

Contrib'Asso

Projet d'amélioration de la qualité
et de la pertinence des
contributions aux évaluations des
produits de santé des associations
de patients auprès de la HAS

Septembre 2022

Contrib'Asso

La contribution des associations de patients à l'évaluation des produits de santé est un facteur essentiel de l'accès aux soins et du bon usage de ces derniers. La Haute Autorité de Santé (HAS), qui est responsable en France de l'évaluation des médicaments et dispositifs médicaux en vue de leur inscription au remboursement et de la fixation de leur prix, a intégré cette participation dès 2017. Il s'agit d'une importante avancée de la démocratie en santé, qui n'a néanmoins pas encore atteint tout son potentiel en raison des difficultés rencontrées par les associations de patients, qui seront décrites plus avant.

« Les patients disposent d'un savoir spécifique sur leur maladie. L'expérience sur le vécu de la maladie, les traitements existants, les parcours de soins, les besoins, enrichit l'évaluation des médicaments et des dispositifs médicaux. »

Lorsque l'évaluation d'un médicament (ou d'un dispositif médical) est planifiée, elle recueille les contributions écrites des associations concernées par la pathologie, qui sont invitées à remplir un questionnaire. Il peut s'agir d'une première évaluation, d'une réévaluation d'un traitement déjà sur le marché, ou d'une évaluation en vue de l'accès précoce à un médicament (depuis 2021). Pour les médicaments, ces contributions sont transmises à la commission de la transparence (CT), et le cas échéant, à la commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) si le médicament fait l'objet d'un avis d'efficience.

A travers ces contributions, les associations exposent la façon dont les patients et leurs proches vivent la maladie, les traitements et la prise en charge dont ils bénéficient, et surtout quel est l'impact sur leur qualité de vie. Cela contribue à l'identification des besoins non couverts (médical et en termes de qualité de vie). Les attentes des patients par rapport aux nouveaux traitements et leur expérience éventuelle du médicament évalué sont d'autres éléments importants des contributions.

Le contexte

Les associations de patients sont néanmoins confrontées à de multiples difficultés pour contribuer aux évaluations de la HAS

- Les délais de réponse sont très courts (de 30 à 45 jours)
- Les moyens humains, bénévoles ou salariés, dont disposent les associations de patients, sont souvent très limités et déjà largement employés.
- La collecte de l'expérience des patients au travers d'enquêtes en ligne ou papier est désormais soumise à des contraintes particulièrement strictes du fait de l'application du RGPD et du renforcement de la loi informatique et libertés, particulièrement s'agissant de données de santé.
- Dans certaines aires thérapeutiques, comme l'oncohématologie, le rythme de l'innovation s'est accéléré. Cela implique une augmentation de la fréquence des demandes de prise en charge de nouveaux traitements de la part des industriels et donc des sollicitations accrues des associations de patients de la part de la HAS.
- Beaucoup d'associations couvrent plusieurs pathologies et/ou sous-types d'une même pathologie. Une certaine pour ELLyE ; elles sont donc susceptibles de contribuer aux traitements soumis à l'évaluation de la HAS pour chacune d'entre elles/eux.
- Depuis juillet 2021, les associations peuvent en outre contribuer à l'évaluation des médicaments en vue d'une autorisation d'accès précoce, avant leur remboursement pérenne par l'Assurance maladie. Ce type de demande étant particulièrement fréquent en oncohématologie, cela augmente d'autant le nombre des contributions possibles.
- L'impossibilité d'évaluer l'impact de leurs contributions sur les évaluations de la HAS tend à décourager les associations, qui ne peuvent pas mesurer l'efficacité de leurs actions alors que les contributions sont extrêmement chronophages.
- Les associations disposent de peu d'informations pour développer leurs contributions. Elles n'ont en effet pas accès aux dossiers déposés par les industriels, ni aux articles publiés dans des revues à comités de lecture (accès payant et/ou sur abonnement).

L'association ELLyE (Ex-France Lymphome Espoir) a commencé à contribuer aux évaluations des médicaments auprès de la HAS dès 2017, dès l'ouverture de cette possibilité. En 2021, l'association a ainsi soumis 4 contributions écrites. Le rythme des sollicitations s'est considérablement accru en 2022 : sur les 6 premiers mois de l'année, ELLyE a ainsi reçu 12 sollicitations de la HAS concernant des demandes d'accès précoce ou d'accès pérenne au remboursement pour des molécules visant à traiter différents sous-types de lymphomes, la leucémie lymphoïde chronique, ou la maladie de Waldenström.

Cette forte augmentation du rythme des sollicitations révèle une tendance de long terme, qui devrait se confirmer dans les années à venir ; elle est en effet essentiellement liée à la montée en charge de l'accès précoce et à la récente extension du champ d'action d'ELLYE aux leucémies lymphoïdes chroniques et à la maladie de Waldenström. Cette situation a amené l'association à s'interroger sur la soutenabilité de son activité de contribution aux évaluations de la HAS et à réfléchir à la mise en place d'une méthode et d'un modèle de travail structurés, efficaces et pérennes, qui pourraient être développés en collaboration avec d'autres associations de patients se trouvant dans une situation similaire.

A terme, sans amélioration des conditions techniques, méthodologiques et des modalités de réponse aux propositions de contribution de la HAS, certaines associations comme ELLyE pourraient être contraintes de sensiblement réduire leurs contributions, voire d'y renoncer complètement. Le faible nombre de contributions des associations par rapport au nombre de médicaments évalués est déjà en soi un indicateur. Cette situation va à l'encontre des principes fondamentaux de démocratie en santé, rappelés dans le plan cancer 2021-2030, mais aussi du « plan d'action de la HAS pour des médicaments innovants ».

Les objectifs du projet

Objectif général :

L'objectif général de Contrib'Asso est de mettre en place une nouvelle méthode soutenable et participative d'élaboration des contributions des associations de patients aux évaluations des médicaments par la HAS. Le projet participe au développement de la démocratie en santé appliquée à l'accès aux médicaments, afin de garantir que les nouveaux traitements évalués correspondent le mieux possible aux besoins et attentes des patients.

Sous-objectifs :

1

Favoriser l'inclusion de l'expérience des patients dans l'évaluation des produits de santé.

2

Améliorer l'efficacité et la pertinence des contributions des associations de patients auprès de la HAS.

3

Fournir à des associations de patients de diverses aires thérapeutiques une méthode et des outils leur permettant de réaliser des contributions utiles.

Plan d'action

Objectif 1 : Favoriser l'inclusion de l'expérience des patients dans l'évaluation des produits de santé.

Action 1 : Création de la plateforme numérique « Contrib'Asso » conforme aux normes en vigueur afin de solliciter, recueillir, colliger et transmettre les indicateurs qualitatifs et quantitatifs de l'expérience patient. Echéance de mise en ligne Décembre 2023

- Appel d'offre et recherche du prestataire adapté au projet et à ses obligations – Nov. 2022
- Réalisation des épreuves standardisées et questionnaires duplicables de collecte et de réponse hébergés sur la plateforme – Courant 2023

Objectif 2 : Améliorer l'efficacité et la pertinence des contributions des associations de patients auprès de la HAS.

Action 1 : Mise en place et animation du groupe de travail interassociatif en charge de l'identification des problématiques communes, identification des besoins communs et bonnes pratiques. Rédaction d'un cahier des charges en vue de la conception des outils. Echéance Avril 2023

Action 2 : Organisation d'un séminaire entre les membres de Contrib'Asso et les membres du service « engagement des usagers » de la HAS – Echéance juillet 2023

Action 3 : Organisation de rencontre entre les membres de Contrib'Asso et les groupes coopérateurs et sociétés savantes des aires thérapeutiques concernées afin de les intégrer au processus de diffusion des enquêtes patient. Echéance Juillet 2023

Objectif 3 : Fournir à des associations de patients de diverses aires thérapeutiques une méthode et des outils leur permettant de réaliser des contributions utiles.

Action 1 : Mise en œuvre de sessions de formation à destination des membres d'associations Octobre 2023 :

- Formation à la méthodologie de réponse aux appels à contribution de la HAS
- Formation à l'utilisation des outils et méthodes mises en place par Contrib'Asso

Action 2 : Mise à disposition de la boîte à outils numériques et méthodologiques de réponse aux appels à contribution HAS aux associations les sollicitant. Echéance Janvier 2024

Phase pilote - évaluation

Une "phase pilote" permettant d'évaluer en vue de réajuster le projet se déroulera de janvier à juin 2024 :

- o Test des outils et de la méthodologie sur 2 à 3 contributions
- o Finalisation des outils et de la méthodologie sur la base du retour d'expérience de la phase pilote
- o Présentation des résultats du projet à la HAS et à toutes les associations susceptibles d'être intéressées
- o Publication et diffusion des résultats du projet

Indicateurs d'évaluation du projet

L'amélioration de la qualité des contributions est difficile à évaluer car nous n'avons jamais de retour sur l'impact de nos contributions et leur rôle dans les décisions de la HAS. Par ailleurs, les effets du projet se feront sentir dans le temps, au-delà de la fin du projet. On pourrait néanmoins prévoir une période de test plus longue (9 à 12 mois) pour avoir des indicateurs plus significatifs.

- Nombre d'associations participant au projet et/ou utilisant les outils produits au cours du projet
- Nombre de personnes formées à l'utilisation de la méthodologie dans les différentes associations
- Respect des règles RGPD pour les enquêtes
- Nombre de réponses aux questionnaires patients pendant la période de test
- Nombre d'heures passées par les associations pour la rédaction des contributions tests par rapport au temps passé auparavant
- Nombre de contributions dans la phase pilote
- Nombre d'auditions demandées par les associations dans le cadre de l'accès précoce

Calendrier

2022											
Novembre	Décembre										
Appel d'offre prestataire											

2023											
Janvier	Février	Mars	Avril	Mai	Juin	Juillet	Août	Septembre	Octobre	Novembre	Décembre
Sélection du prestataire	Initiation de la réalisation des outils		Démarrage des travaux interassociatifs		Séminaire HAS	Séminaire Sociétés savantes		Formations à la méthodologie	Formations à l'utilisation des outils		Mise en ligne de la plateforme numérique

2024											
janvier	février	mars	avril	mai	juin	juillet	août	septembre	octobre	novembre	décembre
Mise à disposition de l'ensemble des outils	Phase test					Présentation des résultats de la phase test		Publication des résultats			

La demande de subvention dans le cadre du FNDS concerne les actions mises en œuvre durant l'année 2023

Jusqu'à présent, les contributions réalisées par ELLyE sont le fruit d'une méthode empirique, qui a évolué avec le temps, mais qui a fait la preuve de ses limites en termes de qualité, pertinence et soutenabilité devant l'augmentation de la fréquence des sollicitations. L'(les) association(s) souhaite désormais rationaliser et systématiser la méthode employée, en y intégrant un compagnonnage interassociatif et un tutorat professionnel. En effet, les outils et méthodes employés jusqu'à présent n'apportent pas suffisamment de garanties dans les dimensions telles que la protection des données personnelles, l'indépendance vis-à-vis de l'industrie pharmaceutique ou encore la qualité et représentativité des recueils de données.

La mise en œuvre du projet Contrib'Asso permettrait dès lors à ELLyE, mais aussi aux associations souhaitant participer à l'amélioration de la qualité des soins par un meilleur accès aux thérapies médicamenteuses d'avoir accès à une boîte à outil et des formations adaptées à leurs besoins.

Contrib'Asso s'inscrit dans l'objet du présent appel à projet par sa dimension représentative des patients et de leurs avis, son renforcement de l'accès aux produits de santé et le renforcement de la qualité et sécurité des prises en charge. Enfin, il permet d'améliorer la participation des patients et de leurs représentants à des programmes de formation.