

Médicament – Une Commission de la transparence bien opaque

par Valentin Petkantchin, chercheur associé à l'Institut économique Molinari

Les médicaments sont une cible privilégiée de la maîtrise publique des dépenses de santé en France. Le « marché » des médicaments remboursables est soumis à un contrôle des prix par les pouvoirs publics.

Dans ce processus réglementé du marché pharmaceutique français, la Commission de la transparence (CT) occupe une place particulière. Les Français connaissent sans doute peu cet organisme public qui fait rarement l'objet de débats. Ses décisions peuvent pourtant avoir un réel impact sur leur état de santé.

Les avis de la CT servent en effet de « faire-valoir » aux pouvoirs publics qui s'en prévalent pour imposer des contrôles de prix sur les produits pharmaceutiques ou pour les exclure de la liste des médicaments remboursables. Présentés comme « scientifiques », ces avis cachent en réalité un processus bureaucratique qui aboutit à une commercialisation retardée – voire même parfois à la non-commercialisation – de certains médicaments en France au détriment de la qualité de vie des patients qui auraient pu en bénéficier. La CT devient ainsi un instrument de maîtrise comptable des coûts de la santé, pénalisant l'innovation pharmaceutique.

LA CT DANS LE PARCOURS RÉGLEMENTAIRE DU MÉDICAMENT

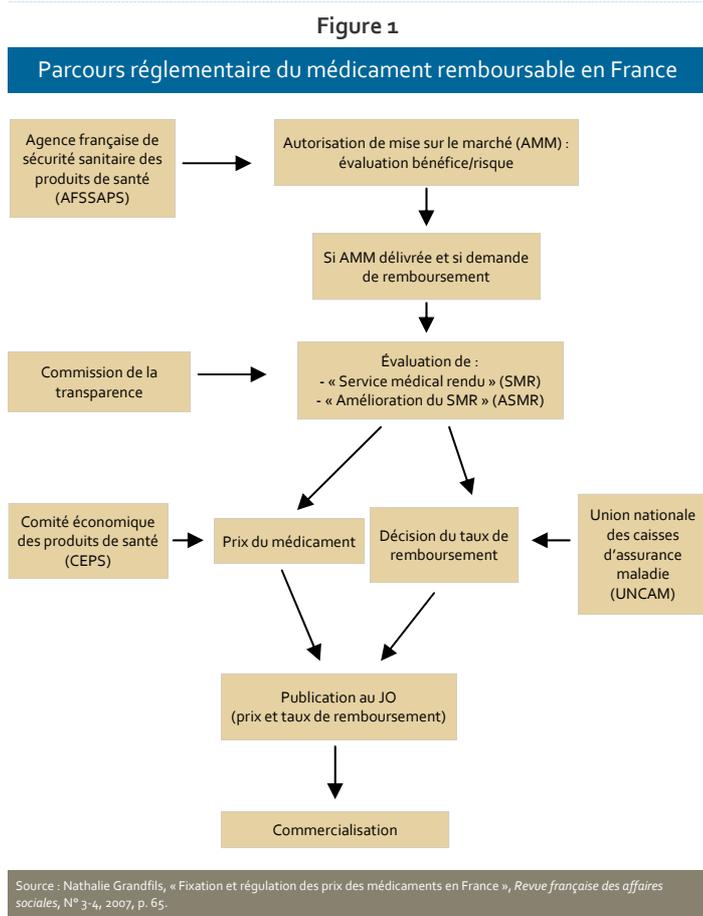
Le régime obligatoire d'assurance maladie est en situation monopolistique pour la couverture des médicaments prescrits en France. Pour être remboursés, les nouveaux produits doivent traverser un parcours réglementaire complexe auprès de différents organismes publics dont la CT (voir Figure 1).

Les laboratoires doivent d'abord obtenir une autorisation de mise sur le marché (AMM) attestant notamment de l'innocuité et de l'efficacité thérapeutique de leur nouveau produit. Ensuite, s'ils souhaitent que leurs médicaments soient remboursés, ils doivent constituer et soumettre un dossier auprès de la CT¹.

Constituée de 20 membres à voix délibérative² et intégrée depuis 2005 à la Haute Autorité de Santé (HAS), la CT intervient à un double titre dans l'étude de ce dossier.

D'une part, la CT détermine dans ses avis le « service médical rendu » (SMR), à savoir si le médicament a une valeur thérapeutique, quelle est sa place par rapport aux traitements existants, etc. Le SMR peut être jugé par la CT comme étant majeur, important, modéré, mineur ou insuffisant.

D'autre part, la CT essaie d'évaluer le niveau d'amélioration du service médical rendu (ASMR). Il s'agit de déterminer si les nouveaux médicaments présenteraient une « valeur ajoutée » par rapport aux médicaments existants. Les avis de la CT sont réputés comme visant ainsi à « quantifier » celle-ci en attribuant 5 niveaux d'ASMR (voir encadré 1, p. 2).



1. Le dossier concerne une indication précise du nouveau médicament, i. e. quelles conditions ou symptômes il traite, etc. La CT n'étudie, et ne donne son avis, que sur la situation thérapeutique ou l'indication pour laquelle est destiné ce médicament (un même médicament peut en revanche faire l'objet de plusieurs avis – un par indication – s'il peut être prescrit dans des traitements différents).

2. Voir Commission de la transparence, « Règlement intérieur du 22 juin 2005 modifié les 20 juillet et 19 octobre 2005, les 18 janvier, 29 mars, 10 mai, 19 juillet et 4 octobre 2006 et le 2 juillet 2008 ».

Disponible à : http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/ri_ct_2005_v.04-10-06.pdf. Six membres suppléants et huit membres, ayant un rôle consultatif, font également partie de la CT.

Encadré 1

Le SMR et l'ASMR

Le SMR essaie de prendre en compte :

- l'efficacité et les effets indésirables du médicament;
- sa place dans la stratégie thérapeutique, notamment au regard des autres thérapies disponibles;
- la gravité de l'affection à laquelle il est destiné;
- le caractère préventif, curatif ou symptomatique du traitement médicamenteux;
- l'intérêt pour la santé publique du médicament.

Le SMR est qualifié de majeur, important, modéré, faible ou insuffisant pour justifier le remboursement.

L'ASMR – les 5 niveaux d'ASMR sont :

- I : Progrès thérapeutique majeur
- II : Amélioration importante en termes d'efficacité thérapeutique et/ou de réduction des effets indésirables
- III : Amélioration modérée en termes d'efficacité thérapeutique et/ou de réduction des effets indésirables
- IV : Amélioration mineure en termes d'efficacité thérapeutique et/ou de réduction des effets indésirables
- V : Absence d'amélioration

Source : Commission de la transparence.

Ce sont ces deux éléments présents dans les avis de la CT – à savoir le SMR et l'ASMR – qui conditionnent par la suite le taux de remboursement éventuel ou le prix des nouveaux médicaments³.

En effet, les pouvoirs publics se basent sur le niveau de SMR pour décider si, et à quel taux, le médicament sera remboursé. Un SMR jugé insuffisant débouche sur un refus de remboursement.

Les pouvoirs publics s'appuient aussi sur les décisions de la CT pour justifier les prix auxquels ces médicaments seront commercialisés. Le niveau d'ASMR contribue à déterminer, entre autres facteurs (par exemple, les prix des traitements concurrents ou les volumes de ventes espérés⁴), le prix du médicament.

L'attribution d'une ASMR I, II, III ou pour certains médicaments de catégorie IV (permettant des économies par rapport aux traitements existants), laisse la possibilité aux laboratoires pharmaceutiques de recourir à une procédure dite de « dépôt de prix ». Selon cette procédure, qui existe depuis 2003, les industriels du médicament proposent au CEPS un prix similaire à celui qu'ils pratiquent dans d'autres pays européens. Sauf objections de la part de celui-ci, le laboratoire est ainsi autorisé à commercialiser le produit au prix déposé. Grâce à cette

procédure, seuls les prix des médicaments classés en ASMR V restent ainsi sous le contrôle complet des pouvoirs publics français.

Sur le papier, la CT n'a qu'un rôle consultatif et ses avis n'ont pas un caractère obligatoire pour les autorités qui fixent en aval le taux de remboursement et le prix des médicaments. Mais en réalité, le rôle de ses avis est inscrit dans la loi et ils sont donc, en règle générale, suivis. Considérés comme des éléments « scientifiques »⁵ d'aide à la décision des autorités, ces avis servent de véritables « faire valoir » aux pouvoirs publics censés légitimer leurs interventions sur le « marché » du médicament.

Or, ce processus de « quantification » de l'innovation pharmaceutique et les décisions prises par la CT souffrent en réalité d'un arbitraire irréductible.

UN FONCTIONNEMENT OPAQUE ET DES DÉCISIONS ARBITRAIRES

La CT est un organisme qui réunit des experts et des scientifiques. De ce fait, il est généralement extrapolé que les avis rendus par la CT seraient également le reflet d'une vérité scientifique.

Or, il n'en est rien. Car même si la CT entreprend une analyse des données et des études scientifiques concernant un médicament, son environnement thérapeutique, etc., le processus et les critères de prise de décision contiennent plusieurs aspects arbitraires qui vont au-delà de la simple évaluation thérapeutique affichée.

Premièrement, bien que l'objectif officiel soit d'évaluer les médicaments du seul point de vue thérapeutique, la CT tient compte, implicitement, de considérations économiques et financières dans ses décisions.

Par exemple, alors qu'un SMR insuffisant ne devrait tenir compte que de la valeur thérapeutique du médicament évalué (à savoir s'il présente une valeur thérapeutique ou pas⁶), la CT elle-même précise qu'un SMR insuffisant signifie « insuffisance pour justifier la prise en charge par la solidarité nationale »⁷. Ce faisant, elle mixe à la fois considérations médicales et financières, ces dernières ne faisant pourtant pas partie de ses compétences.

Deuxièmement, les grilles de type SMR et ASMR qui servent à « quantifier » la valeur et le progrès thérapeutique d'un nouveau médicament ne sont pas en elles-mêmes le fruit d'un résultat scientifique avéré. Elles résultent au contraire de nombreux compromis consistant à retenir certains critères dans certains pays et à les exclure dans d'autres, si bien que les grilles varient d'un pays à un autre⁸. Or, les vérités scientifiques ne connaissent pas de frontières géographiques.

La grille d'ASMR varie aussi dans le temps, généralement avec le

3. Les médicaments sont ensuite réévalués tous les cinq ans.

4. Voir Valérie Paris, « La régulation du prix du médicament en France », *Regards croisés sur l'économie*, 2009/1, N° 5, p. 221.

5. Voir, par exemple, Jacques Massol et Claire Le Jeune, « Comment évaluer l'intérêt des médicaments ? », *La Presse Médicale*, vol. 36, N° 3, mars 2007, p. 506 qui soulignent que « les avis [de la CT] ont un caractère scientifique exclusif ». Voir aussi à ce sujet l'article du président de la CT, Gilles Bouvenot, « Service médical rendu des médicaments », *Revue du Rhumatisme*, 73, 2006, p. 412.

6. À ce sujet, à la différence de la CT, les médecins décident souvent que la valeur thérapeutique des médicaments à SMRI est largement suffisante pour les prescrire à leurs patients. Par exemple, selon une étude, un produit sur cinq serait à SMR insuffisant en 2001 ; voir Florence Naudin et Catherine Sermet, « La prescription de médicaments à service médical rendu insuffisant en 2001 », *Questions d'économie de la santé*, IRDES, 2004, n° 82, p. 1-5.

7. Voir le Rapport annuel de la HAS, 2005, p. 22, disponible à : <http://lesrapports.ladocumentationfrancaise.fr/BRP/054000591/0000.pdf>.

8. Voir Catherine Sermet, « La prise en compte de l'innovation thérapeutique dans les politiques de prix et de remboursement des médicaments », *Revue française des affaires sociales*, n° 3-4, 2007, p. 322 concernant les grilles dites de « valeur thérapeutique ajoutée » dans plusieurs pays de l'OCDE, dont la France.

changement de présidence de la CT⁹. Depuis 2004, on ne retient plus que les critères d'efficacité et d'effets indésirables d'un traitement pour la détermination d'une ASMR I, II, III ou IV. Les critères d'acceptabilité, de commodité d'emploi, d'observance ou les compléments de gamme dans l'attribution d'ASMR IV qui faisaient pourtant partie de la grille auparavant¹⁰ ont été rejetés. Ces critères innovants – ayant leur importance pour les patients et leur qualité de vie au quotidien – n'ont plus leur place dans la grille d'ASMR¹¹. À l'évidence, la grille est arrêtée, ou modifiée de manière arbitraire par la CT.

Troisièmement, les décisions d'attribution de SMR et d'ASMR sont également le résultat de compromis qui leur font perdre leur caractère scientifique. En effet, c'est sur la base de synthèses d'experts – dépendante des choix de sélection et d'interprétation de ces derniers – que les membres de la CT votent à la majorité simple le SMR et l'ASMR. Or, un tel vote est par nature un mode de décision politique, étranger à la démarche scientifique. Ce n'est pas par le vote que la science progresse et que les vérités scientifiques sont établies.

De même, alors que le débat scientifique est porté ouvertement dans des revues scientifiques où les arguments peuvent être débattus ouvertement, ce n'est guère le cas de ceux au sein de la CT. Au contraire, les personnes participant aux débats lors des séances de la CT sont obligées d'en garder le contenu secret¹².

Les avis de la CT sont ainsi des avis entachés d'un arbitraire et d'une opacité irréductible. Il s'agit de décisions qui – par leur nature et dans le cadre français d'évaluation des médicaments – sont fondamentalement politiques, ayant une répercussion sur l'ensemble des assurés sociaux.

Se remettre sans sens critique à ces avis, sous prétexte qu'ils seraient « scientifiques », revient à ignorer leur nature arbitraire et effets éventuels pervers.

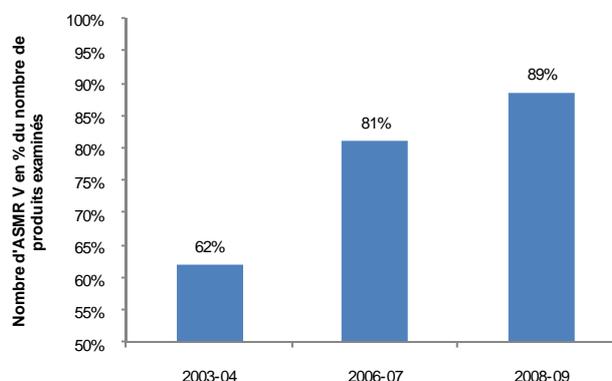
UN OBSTACLE À L'INNOVATION AU DÉTRIMENT DES PATIENTS

Normalement, quelle que soit la nature d'un nouveau produit ou service, son caractère novateur et le progrès qu'il représente sont évalués directement sur le marché. Les consommateurs décident s'il représente une valeur ajoutée et s'ils le préfèrent aux alternatives déjà existantes en étant prêts à en payer le prix. C'est ainsi que par un processus spontané et minutieux, l'innovation est valorisée par l'ensemble des acteurs du marché en fonction de leurs préférences. Si un nouveau produit ne représente pas de progrès, il n'est pas demandé et son fabricant est directement incité à en arrêter la production.

Dans le domaine du médicament, cette logique a été complètement



Figure 2
Évolution du nombre d'ASMR V 2003-2009*



* Il s'agit d'une moyenne calculée sur les deux années affichées. Le nombre total de produits examinés correspond aux avis de première inscription et d'extension d'indication.

Sources : Rapports d'activité de la Commission de la transparence (2003-04) et Rapports annuels de la Haute Autorité de Santé-HAS (2006-2009) ; calculs de l'auteur.

écartée par les pouvoirs publics. L'appréciation du progrès que représentent les nouveaux médicaments est laissée aux mains d'organismes bureaucratiques comme la CT. Les destinataires ultimes, c'est-à-dire les patients conseillés par leurs médecins, n'ont pas voix au chapitre. Le lien naturel qui existe sur le marché a ainsi été rompu et il existe une réelle déconnexion entre ceux qui évaluent les nouveaux produits et ceux qui sont censés profiter des bénéfices éventuels qu'ils représentent.

Ce décalage concerne notamment la valeur de l'innovation graduelle – celle qui concerne une amélioration des médicaments existants par un dosage plus précis ou différent, par un mode d'administration moins douloureux ou plus facile pour le patient (un patch ou une prise orale à la place d'une injection effectuée par un médecin), etc. Bien qu'elle puisse représenter une valeur ajoutée aux yeux des patients, ce type d'innovation n'est plus reconnu, notamment depuis 2004. La CT lui attribue quasi-systématiquement une ASMR V, concluant ainsi à la place des patients et de leurs médecins à une absence d'amélioration. Le nombre d'avis d'ASMR V n'a cessé d'augmenter, étant présent, en moyenne, dans près de 9 produits examinés sur 10 en 2008-2009 (voir Figure 2)¹³.

La conséquence d'une telle défaillance de valorisation de l'innovation graduelle est double.

9. Voir Claude Le Pen, « Évaluation du médicament : l'innovation incrémentale est-elle maltraitée ? », Étude du CRIP-IMS, janvier 2009. Les différentes grilles d'ASMR de la CT ont ainsi porté le nom de son président.

10. L'ASMR IV était équivalente ainsi à une « amélioration mineure en termes d'acceptabilité, de commodité d'emploi, d'observance ou complément de gamme justifié » (nos italiques) ; voir Commission de la transparence, Rapport annuel 2003, p. 4, disponible à : <http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/ctrapact2003.pdf>.

11. Il n'est pas interdit à la CT de décider cependant d'en tenir compte, le cas échéant.

12. Voir Commission de la transparence, « Règlement intérieur du 22 juin 2005 », *Op. cit.*, p. 5.

13. Le Professeur Claude Le Pen décrit cette évolution comme un glissement « vers le bas » des ASMR (i. e. une diminution des ASMR I à IV et une augmentation des ASMR V) ; voir Claude Le Pen, 2009, *Op. cit.*, p. 19.

D'une part, l'attribution d'une ASMR V par la CT signifie que les fabricants se verront imposer des prix inférieurs au prix des traitements existants, même si ce prix peut être celui d'un générique qui a été fixé 10 ou 15 ans auparavant – sans être indexé en fonction de l'inflation – et que les coûts de la R&D pharmaceutique ont considérablement augmenté. De plus, les baisses de prix obligatoires peuvent être considérables, atteignant 75 % comme ce fut le cas d'un antalgique ayant reçu un ASMR V en 2006¹⁴!

De telles pratiques de prix artificiellement bas retardent la commercialisation du médicament en France voire la bloquent alors qu'il est disponible ailleurs. Il en va ainsi pour la maladie de Parkinson pour laquelle le traitement de référence, datant de 1960, provoque des effets secondaires considérables. De nouveaux traitements de la maladie ont reçu des ASMR IV ou V. Associés à des prix administrés trop bas, ils n'ont pas été commercialisés en France¹⁵, avec à la clef une perte de bien-être pour les malades.

D'autre part, des prix administrés de cette manière affectent indiscutablement les marges et le retour sur investissement des laboratoires. De tels prix bureaucratiques artificiellement bas pénalisent l'innovation pharmaceutique graduelle qui pourtant présente des avantages aussi bien thérapeutiques (plus grand choix à la disposition des médecins pour traiter leurs patients) qu'économiques (une meilleure qualité de vie, une concurrence plus intense vis-à-vis des médicaments existants, etc.).

Une mauvaise reconnaissance de ce type d'innovation risque de se traduire à terme par moins de produits dans le futur, affectant la santé et le bien-être des malades demain.

CONCLUSION

L'innovation pharmaceutique doit être appréciée dans le cas de chaque patient, conseillé le cas échéant par son médecin. Elle ne peut être valablement appréciée de manière centralisée pour l'ensemble des assurés, comme souhaite le faire la CT. Il en découle une marge importante de discrétion et d'arbitraire dans les avis qu'elle émet.



Dans la perspective d'une maîtrise publique des dépenses pharmaceutiques, la CT devient facilement un outil visant à limiter le coût pour l'assurance maladie, au lieu d'évaluer l'innovation pharmaceutique dans la perspective d'en faire bénéficier les patients. Du fait d'une reconnaissance insuffisante, des nouveaux médicaments – représentant des innovations graduelles par rapport aux médicaments existants – s'en trouvent particulièrement pénalisés et leurs fabricants peuvent décider de ne pas les commercialiser en France à cause de prix jugés insuffisants.

En dépit de baisses « court-termistes » des prix des produits pharmaceutiques pour l'assurance maladie, une telle pratique d'évaluation bureaucratique par la CT n'est pas sans danger à plus long terme pour l'innovation graduelle. Cette innovation s'en trouve menacée aux dépens *in fine* des malades, sans que ceux-ci aient le choix dans le système monopolistique actuel d'assurance maladie.

14. En tenant compte du coût du traitement journalier, le prix a été fixé à 0,32 euros contre 1,22 euros pour le traitement existant (voir Claude Le Pen, 2009, *Op. cit.*, p. 22).

15. Voir Claude Le Pen, *Op. cit.*, p. 25 qui donne plusieurs exemples à cet égard.



Valentin Petkantchin

M. Petkantchin détient un doctorat ès sciences économiques et est diplômé du Magistère média et formation économique de l'Université d'Aix-Marseille III. Entre 1996 et 2003, il a été chercheur au Centre d'analyse économique et a enseigné l'économie à la Faculté d'économie appliquée, ainsi qu'à la Faculté de droit, au sein de cette même université. Il compte à son actif plusieurs publications scientifiques et travaux de recherche portant sur divers sujets. De janvier 2004 à mai 2006, il a été directeur de la recherche à l'Institut économique de Montréal. Il a rejoint l'IEM en juin 2006.

L'Institut économique Molinari (IEM) est un organisme de recherche et d'éducation indépendant et sans but lucratif.

Il s'est fixé comme mission de proposer des solutions alternatives et innovantes favorables à la prospérité de l'ensemble des individus composant la société.

Reproduction autorisée à condition de mentionner la source

Directrice générale : Cécile Philippe
Maquette et montage : Gilles Guénette

www.institutmolinari.org