

Objectif :

Cette étude explore des exemples internationaux de dispositions novatrices en matière d'accès réussies, d'infrastructures de données concrètes et de systèmes de remboursement en décrivant les expériences des pays qui ont des systèmes comparables à celui du Canada.

Contexte :

De nombreux nouveaux traitements arrivant sur le marché ne sont pas bien pris en compte par les approches traditionnelles de remboursement des médicaments actuellement utilisées par les régimes publics du pays. Étant donné que beaucoup de ces traitements répondent à d'importants besoins cliniques non satisfaits, un nombre croissant d'organismes de réglementation européens ont eu recours à de nouveaux accords de gestion du lancement et de nouvelles dispositions novatrices en matière d'accès pour accélérer les délais d'approbation et améliorer la disponibilité pour les patients.

Méthodes :

Une analyse de l'environnement a été réalisée afin de détailler les tendances internationales en matière d'accords novateurs dont les systèmes sont comparables à ceux du Canada relativement au marché de l'évaluation des technologies de la santé (ETS) ou au système de soins de santé. L'étude explore également la manière dont les données concrètes sont mises en œuvre dans d'autres pays et fournit des exemples de types d'accords de remboursement tout au long du cycle de vie du produit.

1 Accords de gestion du lancement et dispositions novatrices en matière d'accès

Les nombreux types d'accords de gestion du lancement et de dispositions novatrices en matière d'accès sont classés en trois approches principales répondant à des objectifs différents : 1) les programmes basés sur le financement; 2) les programmes basés sur les résultats; et 3) la couverture sous réserve de la fourniture de données probantes. Ils ont un dénominateur commun : ils permettent aux patients d'accéder rapidement à des thérapies novatrices en partageant le risque entre les payeurs et les fabricants de médicaments, et en recueillant des preuves supplémentaires sur les résultats.

Tableau 1 – Principales catégories d'accords de gestion du lancement

Approche de gestion du lancement	Objectif principal	Types d'accords	Niveau d'activité
Programmes basés sur les coûts	Contrôler l'incidence budgétaire	Accords prix-volume, remises et rabais, stocks gratuits, plafonds budgétaires, limites d'utilisation ou de temps, coût fixe par patient	Population/patients
Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes	Lever l'incertitude	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes	Population
Accords basés sur les résultats	Gérer les taux variables de réponse aux médicaments	Garanties de résultats, contrôles de l'admissibilité des patients, poursuite du traitement conditionnelle, processus de soins	Patient

L'Europe a été la première région du monde à utiliser les accords de gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès. Cependant, les systèmes de santé y varient énormément, tout comme leur façon d'aborder ces deux éléments. Dans le passé, l'Union européenne (UE) a joué un rôle relativement limité dans les politiques en matière de santé. Toutefois, depuis la pandémie de COVID-19, la participation de l'UE a considérablement augmenté dans ce domaine (voir tableau 4), y compris dans des initiatives de collecte de données concrètes.

2 Profils de pays

🇮🇹 L'Italie : une pionnière en matière de gestion du lancement

- L'Italie fait figure de pionnière à l'échelle mondiale dans le domaine des accords de gestion du lancement avec un système national étendu de registres en ligne opéré par la « Agenzia Italiana del Farmaco » (AIFA).
- Le premier registre a été créé en novembre 2004 et en 2006, le premier accord de gestion du lancement basé sur les résultats a été conclu.
- L'agence italienne des médicaments, AIFA, a introduit un nouveau système d'évaluation de l'innovation en 2017.
- Les compagnies pharmaceutiques versent à l'AIFA une redevance de 30 000 € pour trois ans afin d'obtenir un registre.
- En 2021, 73 compagnies possédaient au moins un registre.
- L'AIFA gère actuellement 192 registres sur les ordonnances appropriées, 8 registres basés sur les coûts et 10 registres basés sur les résultats.
- Près des trois quarts des registres actifs concernent les thérapies anticancéreuses. Cependant, des 3,3 millions de patients inclus dans les registres de l'AIFA, 51% suivent des traitements pour des maladies cardiovasculaires, 16 % pour des cancers et 10 % pour des maladies oculaires.
- Le gouvernement italien s'est engagé à faire passer le fonds pour les médicaments novateurs de 1 milliard d'euros en 2021 à 1,3 milliard d'euros d'ici 2024.

Tableau 2 – Approches de gestion du lancement en Italie

Niveau d'activité	Type d'approche	Accord de gestion du lancement	Caractéristiques principales
Patient	Approche basée sur les résultats	Partage des risques	Les compagnies pharmaceutiques remboursent une partie du coût pour les personnes n'ayant pas répondu au traitement.
		Paiement selon les résultats	Les fabricants effectuent un remboursement complet pour les personnes n'ayant pas répondu au traitement. Cette approche est utilisée pour les médicaments perçus comme ayant un rapport avantages-risques défavorable au moment de leur lancement. Presque tous les accords actifs basés sur les résultats suivent ce modèle de paiement.
		Paiement à l'atteinte des résultats	Un remboursement est effectué, comme pour le paiement selon les résultats, mais de façon échelonnée.
Approche basée sur les coûts	Partage des coûts	Cette approche prévoit une réduction du coût du premier cycle de traitement, ou de l'ensemble de la thérapie, pour tous les patients admissibles. Elle est généralement utilisée quand les possibles répercussions financières d'un nouveau médicament (et non son efficacité) suscitent l'incertitude.	
	Plafonnement	Cette approche permet de limiter les dépenses d'un médicament par patient. Le fabricant assume les coûts restants.	
Population	Approche basée sur les coûts	Plafonnement des dépenses par produit	Le comité sur la tarification et le remboursement, appelé le « Comitato Prezzi e Rimborso », de l'AIFA négocie une limite nationale pour les dépenses relatives à un médicament au cours de ses 12 ou 24 premiers mois sur le marché. Si cette limite est dépassée, le fabricant doit rembourser les coûts excédentaires aux administrations régionales.
		Accords prix-volume	Cette approche prévoit des remises sur les prix courants qui varient selon le volume des ordonnances. Les remises peuvent prendre la forme d'une réduction de prix ou d'un remboursement aux administrations régionales.

🇬🇧 Augmentation de l'utilisation des couvertures sous réserve de la fourniture de données probantes et des accords intelligents en Angleterre

- La gestion du lancement est adoptée rapidement. En 2002, le remboursement des traitements de la sclérose en plaques a été mis en place selon les résultats obtenus.
- En 2016, le Cancer Drugs Fund (CDF) a été réformé afin de fournir un financement provisoire pour les médicaments anticancéreux prometteurs en attendant la collecte de données concrètes en vue d'une réévaluation par le National Institute for Health and Care Excellence (NICE).
- Le gouvernement britannique a également commandé un examen accéléré de l'accès suggérant la conclusion de nouveaux accords de partage des risques entre le National Health Service (NHS) et le fabricant.
- Depuis 2021, le nouveau programme Innovative Licensing and Access Pathway (ILAP) offre un accès rapide aux nouveaux médicaments prometteurs.
- En février 2021, NHS England a publié un cadre commercial pour les nouveaux médicaments, qui décrit sa stratégie de gestion du lancement.
- Le NHS a également négocié des dizaines d'accords intelligents. La liste comprend plusieurs thérapies cellulaires et géniques de pointe, des antibiotiques de réserve, des traitements contre l'hépatite C, un portefeuille de médicaments contre la fibrose kystique et des accords de gestion de la santé de la population dans les domaines de la dyslipidémie et de l'oncologie.
- En octobre 2021, NHS England a signé un premier accord de gestion de la santé de la population dans le domaine du cancer avec une jeune entreprise de biotechnologie, sous réserve de l'approbation réglementaire et des recommandations du NICE. Les accords sur la santé de la population maximisent la population potentielle de patients en échange de prix nettement inférieurs pour limiter l'incidence budgétaire.
- NHS England a lancé un modèle d'abonnement qui garantit aux fabricants d'antibiotiques sélectionnés une somme fixe, quelle que soit la fréquence à laquelle les produits sont prescrits. Le contrat aura une valeur maximale de 10 millions de livres sterling par antibiotique et par an et durera trois ans, avec une option pour le prolonger jusqu'à dix ans.
- L'Angleterre est de plus en plus souvent le premier marché d'Europe à donner accès aux nouveaux médicaments.
- En juin 2022, le NICE a publié un cadre de données concrètes. En fin de compte, le NICE estime que l'utilisation des données concrètes permettra « de combler les lacunes en matière de connaissances et d'améliorer l'accès aux innovations pour les patients » [traduction].

Tableau 3 – Cadre commercial du NHS pour les nouveaux médicaments

Type de programme ou d'accord	Caractéristiques principales
Programmes simples d'accès aux patients	<ul style="list-style-type: none"> • Il s'agit de l'option la plus courante. Sa charge administrative minimale permet d'offrir un accès plus rapide. • Un prix fixe ou un pourcentage de remise est applicable à toutes les indications (sans tarification mixte ou spécifique à une indication).
Programmes complexes d'accès aux patients	<ul style="list-style-type: none"> • Ces programmes sont seulement envisagés si leur utilisation est solidement justifiée et si la manière dont les risques seront partagés est clairement expliquée. • Les renseignements ne sont pas confidentiels (pour assurer une valeur au NHS).
Accords d'accès commerciaux	<ul style="list-style-type: none"> • Cette option convient aux technologies dont le rapport coût-efficacité différentiel est inférieur à 20 000 £ par année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) ou pour lesquelles le lancement d'un produit serait particulièrement difficile ou non viable sur le plan commercial. • Exemples : plafonds budgétaires, accords prix-volume, partage des coûts, critères d'arrêt et accords basés sur les résultats ou paiements selon les résultats.
Ententes d'accès réglementé	<ul style="list-style-type: none"> • Ces ententes sont envisagées pour les médicaments qui pourraient faire l'objet d'essais afin d'en vérifier l'efficacité, mais qui suscitent l'incertitude. • La collecte de données est combinée à un programme d'accès aux patients (simple ou complexe) ou à un accord d'accès commercial. • La faisabilité de la collecte de résultats pertinents sur la santé est une condition essentielle à l'approbation de l'entente. • Ces ententes sont généralement utilisées dans le cadre du CDF ou pour des technologies hautement spécialisées, mais leur utilisation ne se limite pas à ces programmes. • Elles ne sont pas visées par l'obligation légale de financement (couverture par le NHS dans les 90 jours suivant l'approbation du NICE).
Programmes basés sur l'incidence budgétaire	<ul style="list-style-type: none"> • Le NHS entamera des discussions commerciales pour réduire le coût des médicaments dont la possible incidence budgétaire nette est supérieure à 20 millions de livres sterling au cours de leurs trois premières années sur le marché.

🇪🇸 L'Espagne met au point une plateforme en ligne polyvalente pour soutenir la gestion du lancement à l'échelle nationale

- L'Espagne a fait son entrée relativement tard dans le domaine de la gestion du lancement. En effet, le pays a négocié son premier accord de gestion du lancement en 2010. Dans le passé, la gestion du lancement se faisait principalement à l'échelle régionale ou locale avec le premier accord de gestion du lancement national conclu en 2013.
- Une étude a recensé 39 accords de gestion du lancement en Espagne en mai 2016. Parmi ces accords, 26 (67%) étaient des accords de partage des risques, tandis que les 13 autres (33 %) étaient des plafonds de dépenses.
- En 2019, l'arrivée de la plateforme de registre en ligne VALTERMED a transformé l'environnement de gestion du lancement.
- La plateforme de registres en ligne VALTERMED permettra d'analyser le rapport coût-efficacité des médicaments et de soutenir les objectifs de durabilité et d'accès aux soins de santé.

🇫🇷 La France signe un accord-cadre qui prévoit un recours accru à la gestion du lancement

- La France a largement recours à la gestion du lancement, mais les accords sont essentiellement basés sur les coûts.
- En 2021, les accords de gestion du lancement ont permis au système de santé français d'économiser un montant record de 4,5 milliards d'euros, soit une augmentation de 39 % par rapport à l'année précédente et de décuplé par rapport à 2012.
- En 2012, 80 % des économies étaient dues aux accords prix-volume, mais cette part est tombée à 30% en 2021. En revanche, la part de simples remises dans les économies dues aux accords de gestion du lancement est passée de 3% en 2012 à 64% en 2021.
- Les accords basés sur les résultats (appelés « contrats de performance » en France) ne sont utilisés que lorsqu'il existe un besoin médical non satisfait.
- En 2021, le Comité économique des produits de santé (CEPS) a signé un accord-cadre de trois ans avec le Leem, la principale association française de l'industrie pharmaceutique, qui prévoit un recours accru à la gestion du lancement.
- La loi de financement de la sécurité sociale de 2023 comprend des dispositions visant à promouvoir l'utilisation d'accords basés sur les résultats avec des paiements échelonnés pour les thérapies cellulaires et géniques.

3 Les sources de données concrètes et leurs applications

La gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès nécessitent une infrastructure numérique solide pour recueillir des données concrètes. Le tableau 4 résume les principales sources de données concrètes dans les quatre pays considérés dans cette analyse, ainsi que dans l'UE, qui encourage activement une utilisation élargie des données concrètes.

Tableau 4 – Sources de données concrètes en Europe

Emplacement	Sources de données concrètes	Application
Union européenne	European Medicines Regulatory Network (EMRN)	Comblement des lacunes en matière de données probantes avant l'autorisation; vérification de la sécurité après l'autorisation
	Espace européen des données de santé : dossiers de santé électroniques, applications sur le bien-être et autres logiciels médicaux et de santé	Amélioration des résultats sur la santé pour les patients et le grand public; soutien au développement des technologies de la santé
	Data Analysis and Real World Interrogation Network (DARWIN EU)	Amélioration de la compréhension de l'évolution naturelle des maladies; normes de soins supérieures; connaissances sur la conception, la faisabilité et la représentativité des études
	European Health Data & Evidence Network (EHDEN)	Soutien à l'approbation réglementaire, aux ETS et aux besoins des payeurs; élaboration d'un processus normalisé pour faciliter la prise de décision dans le domaine de la médecine personnalisée
Royaume-Uni	GetReal Institute (GRI)	Réduction des obstacles à l'utilisation des données générées dans la pratique clinique courante pour la prise de décision en matière de soins de santé; comblement du fossé entre les données concrètes et les essais cliniques randomisés (ECR); réponse aux besoins en données probantes des décideurs en aval (organismes d'ETS, payeurs, concepteurs de programmes cliniques, cliniciens et patients), ainsi que des organismes de réglementation
	Données concrètes dans les études cliniques	Prise de décision réglementaire par la Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA)
	Ensemble de données de la Systemic Anti-Cancer Therapy (SACT)	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes
Italie	Dossiers médicaux des patients, dossiers administratifs, registres des patients, enquêtes, groupes d'études d'observation et technologies numériques de la santé	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes; accords basés sur les résultats
	Registres sur les ordonnances appropriées de l'AIFA	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes
Espagne	Registres basés sur les résultats de l'AIFA	Accords basés sur les résultats
	Plateforme VALTERMED	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes; accords basés sur les résultats
Allemagne	Registres du Gemeinsamer Bundesausschuss	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes
	Données sur les demandes de remboursement des fonds d'assurance maladie	Accords basés sur les résultats
	Centre de données sur la santé	Optimisation de la prise en charge des maladies par une surveillance améliorée des effets des médicaments
France	Réseau national d'entrepôts de données sur la santé dans les hôpitaux	Transfert d'accès à des parties prenantes publiques et privées pour soutenir la recherche et l'innovation
	Données concrètes fournies par le fabricant	Accords basés sur les résultats
Suède	Registre des patients, registre des produits pharmaceutiques sous ordonnance, registre suédois des cancers, registre des causes de décès, dossiers médicaux régionaux, données de l'agence suédoise d'assurance sociale, données de Statistics Sweden	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes; accords basés sur les résultats
Pays-Bas	Registres (existants ou sur mesure)	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes; accords basés sur les résultats; ententes hybrides d'accords basés sur les résultats et de couverture sous réserve de la fourniture de données probantes pour les médicaments orphelins

4 Perspectives pour la gestion du lancement en Europe

- Tous les types d'accords de gestion du lancement ne conviendront pas à tous les marchés.
- La couverture sous réserve de la fourniture de données probantes sera de plus en plus importante pour les médicaments qui sont prometteurs, mais dont la base de données probantes n'est pas encore mûre au moment de leur lancement.
- La médecine personnalisée et le profilage génétique devraient améliorer les taux de réponse pour certains nouveaux médicaments, ce qui pourrait réduire la nécessité d'accords basés sur les résultats.
- L'augmentation attendue du nombre de traitements agnostiques des tumeurs et de médicaments anticancéreux à indications multiples obligera les fabricants et les payeurs à collaborer étroitement pour faciliter l'accès des patients.
- Pour certains médicaments au moins, il est probable que l'on passera de la pratique actuelle de l'ETS à la gestion des technologies de la santé.
- La technologie et la refonte de l'infrastructure informatique faciliteront de nombreux aspects de la gestion du lancement.

5 Que peut apprendre le Canada de l'Europe?

- Bien que les systèmes de santé et les marchés pharmaceutiques européens soient différents de ceux du Canada, on peut tirer des leçons précieuses de leur expérience avec les accords de gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès pour permettre au Canada de concrétiser sa propre approche pancanadienne.
- Les systèmes de santé de l'Italie et de l'Espagne sont fortement régionalisés (ce qui n'est pas sans rappeler le modèle canadien), et ces deux pays ont réussi à coordonner la gestion du lancement à l'échelle nationale.
- Les expériences de l'Italie, de l'Angleterre et de l'Espagne montrent qu'il est important d'investir dans une infrastructure numérique solide afin de pouvoir recueillir les données nécessaires aux accords novateurs. Ces trois pays ont élaboré des stratégies nationales de gestion du lancement.
- L'expérience de l'Italie et de l'Angleterre pourrait servir à accélérer l'accès aux médicaments anticancéreux au Canada pendant que l'on recueille des données post-commercialisation pour justifier un remboursement à long terme.

Conclusion :

Les solutions innovantes en matière de remboursement offrent aux payeurs, aux compagnies pharmaceutiques et aux autres parties prenantes la possibilité d'établir des partenariats importants à long terme qui peuvent promouvoir l'adoption rapide de médicaments en se concentrant sur la valeur des nouveaux médicaments grâce à des données probantes.

Les investissements dans l'infrastructure de données peuvent faciliter la mise en œuvre d'accords novateurs. En fin de compte, les patients bénéficieront d'un accès rapide aux traitements et les incertitudes des payeurs seront dissipées.