



# Innovation pharmaceutique et accès aux médicaments

Synthèse



## Table des matières

Introduction	3	A. Associer les acteurs à des initiatives communes visant à réduire les coûts de la R-D et accélérer l'accès aux marchés	7
Le système actuel donne-t-il des résultats satisfaisants ?	4	B. Accroître l'efficacité des dépenses	7
Que peut-on faire pour que les systèmes marchent mieux pour tout le monde ?	5	C. Déterminer la propension à payer pour de nouveaux traitements et des avantages sanitaires	8
		D. Mettre au point de nouvelles mesures de type « push and pull » pour encourager l'innovation	9
		E. Enrichir la base d'informations disponibles pour mieux éclairer les débats publics	10

Options politiques

# Ce document est la synthèse...

...du rapport de l'OCDE « *Innovation pharmaceutique et accès aux médicaments* ». Il présente un aperçu des idées clés du rapport, qui repose sur une évaluation fondée sur les preuves de la performance du système actuel d'innovation pharmaceutique, ainsi qu'une analyse critique d'options politiques susceptibles de promouvoir accès et soutenabilité.

## Introduction

**A**u cours des dernières décennies, des médicaments innovants ont non seulement contribué à améliorer les taux de survie et la qualité de vie de nombreux patients dans le monde entier, mais également modifié l'évolution naturelle de maladies telles que le VIH et certains cancers. Les traitements antirétroviraux ont transformé l'infection par le VIH, autrefois incurable, en une maladie chronique bien prise en charge et l'administration d'un comprimé unique en une seule prise quotidienne a simplifié la vie des patients. Ces 15 dernières années, le taux de survie à 5 ans des patients atteints de leucémie myéloïde chronique est passé de moins de 20 % à plus de 90 %, grâce à l'arrivée d'une classe de médicaments : les inhibiteurs de la tyrosine kinase. Sans parler des antiviraux à action directe, qui permettent désormais, en seulement 8 à 12 semaines de traitement, de guérir plus de 90 % des cas d'hépatite C, autrefois première cause de transplantation hépatique.

**L'accès durable aux médicaments innovants est une source de préoccupation croissante.**

Malgré ces progrès indéniables, les décideurs et autres acteurs de nombreux pays s'inquiètent de plus en plus des résultats produits par le système d'innovation pharmaceutique. Les prix de nombreux nouveaux médicaments les rendent difficilement accessibles, pour les organismes payeurs comme pour les patients ; les processus de R-D sont coûteux et complexes ; les perspectives commerciales ne sont pas toujours suffisamment engageantes pour encourager le développement de produits qui répondraient pourtant à des besoins criants ; les coûts et la structure des prix du marché pharmaceutique sont souvent opaques ; sans compter les préoccupations légitimes que soulèvent le degré d'innovation et la valeur de certains traitements nouveaux de plus en plus onéreux. Au fil du temps, ces questions ont entamé la confiance de certains organismes payeurs et d'autres acteurs envers le secteur pharmaceutique, et suscité dans le même temps des inquiétudes sur la capacité des politiques actuelles de promouvoir le dével-

oppement d'innovations majeures tout en garantissant un accès durable aux traitements. De plus en plus de voix s'élèvent pour réclamer une réforme du système.

L'OCDE a reçu en 2017 une demande des ministres de la Santé des 35 États membres de l'époque, la priant de préparer un rapport mettant en évidence les principaux défis auxquels les pouvoirs publics et les autres acteurs sont confrontés pour permettre à tous ceux qui en ont besoin de bénéficier d'un accès approprié aux médicaments innovants, à un coût raisonnable, tout en continuant à encourager l'innovation. L'objet du rapport de l'OCDE est de fournir des éléments tangibles permettant de juger, à partir de mesures objectives et d'analyses fondées sur des données factuelles, si le système actuel donne des résultats satisfaisants, et de procéder à une évaluation critique d'actions envisageables pour le réformer.

Bien que le présent rapport porte sur les médicaments, il est important de replacer l'évaluation dans le contexte plus global de l'amélioration de l'efficacité à l'échelle des systèmes de santé. De fait, la plupart des pays de l'OCDE, sinon tous, éprouvent les plus grandes difficultés à contenir leurs dépenses de santé. Y parvenir tout en améliorant l'accès aux soins et la qualité des services de santé demande de prendre des mesures courageuses pour réduire le gaspillage qui envahit les systèmes de santé. Selon un rapport récent de l'OCDE intitulé *Tackling Wasteful Spending on Health* (OCDE, 2017), une grande partie des dépenses de santé dans les pays de l'OCDE sont, au mieux, inefficaces, au pire, gaspillées. Ce rapport suggère des solutions possibles pour remédier au gaspillage dans de nombreux domaines, notamment en améliorant la pertinence des soins et en s'attaquant aux redondances et aux processus inefficaces. Parallèlement, le secteur pharmaceutique peut jouer un rôle déterminant à l'appui de l'effort général engagé pour améliorer la valeur pour les patients tout en exploitant le potentiel que recèlent les nouvelles technologies.

## Le système actuel donne-t-il des résultats satisfaisants ?

L'industrie pharmaceutique occupe une place importante dans un certain nombre d'économies de l'OCDE et emploie directement plus de 1.2 million de personnes, dont près de 500 000 rien qu'aux États-Unis. Le secteur représente en outre une part non négligeable (0.8 à 0.9 %) de l'emploi total dans des pays comme la Suisse, la Slovénie et le Danemark. Figurant parmi les secteurs les plus actifs dans le domaine de la R-D, il y investit autour de 40 % de sa valeur ajoutée brute au Japon et aux États-Unis. La R-D pharmaceutique représente 30 % de la R-D privée totale en Suisse et en Belgique, et 24 à 25 % en Slovénie et au Danemark. À l'échelle mondiale, plus des trois quarts des essais cliniques de médicaments et autres interventions en santé se déroulent dans les pays de l'OCDE.

**Les décideurs en quête d'un juste équilibre entre trois exigences : promouvoir et récompenser l'innovation, garantir l'accès aux médicaments et assurer la viabilité des systèmes de santé.**

La R-D pharmaceutique est risquée, onéreuse et chronophage, et bien que le secteur public y contribue pour une large part, les risques et les coûts sont supportés en grande majorité par des investisseurs et des entreprises privés. En cas de réussite, le développement d'un nouveau médicament prend en moyenne entre 10 et 15 ans. La probabilité d'obtenir une autorisation de mise sur le marché pour un médicament entrant en phase I des essais cliniques est comprise entre 7 % et 45 % selon le type de produit et la procédure d'autorisation. La productivité de la R-D pharmaceutique, mesurée d'après le montant dépensé par médicament autorisé, a diminué – comme cela a été le cas dans d'autres secteurs affichant d'importantes activités de recherche, en partie parce que « les idées sont plus difficiles à trouver ». Seule une minorité de médicaments autorisés connaissent un succès commercial. Sur 466 nouvelles substances actives lancées aux États-Unis entre 1991 et 2009, la moitié a généré moins de 1.5 milliard USD de chiffre d'affaires sur toute leur durée de vie, et seulement 10 % environ ont généré plus de 10 milliards USD de chiffre d'affaires.

Les dépenses pharmaceutiques au détail ont représenté 1.4 % du PIB dans les pays de l'OCDE en 2016 et 2 % ou plus dans quatre pays (à savoir la Grèce, la Hongrie, les États-Unis et le Japon). Cette part est, en moyenne, restée stable au cours de la décennie écoulée, tandis que la part dans les dépenses courantes de santé a baissé de 19.2 % en 2006 à 16.5 % en 2016. Les dépenses pharmaceutiques totales sont en réalité entre 9 et 30 % plus élevées si l'on tient compte des médicaments dispensés en hôpital ou administrés dans les cabinets de médecins. En termes réels et

en moyenne dans les pays de l'OCDE, le taux de croissance des dépenses pharmaceutiques au détail a diminué presque chaque année, passant 8 % en 2001 à des taux négatifs à compter de 2009 – notamment sous l'effet d'un grand nombre de brevets arrivés à échéance et de politiques de maîtrise des dépenses –, avant de repartir à la hausse en 2014. Au cours de cette période, les dépenses réelles dans d'autres parties des systèmes de santé, comme les soins dispensés dans le secteur ambulatoire et les hospitalisations, ont continué de progresser.

Les dépenses pharmaceutiques peuvent être des investissements intéressants pour les systèmes de santé. Au-delà de la valeur thérapeutique des nouveaux produits, de nombreux médicaments relativement peu coûteux contribuent à retarder ou prévenir la survenue de complications médicales et à réduire le recours à des services de santé plus onéreux. Le coût de l'inobservance des traitements a été estimé à 125 milliards EUR dans les pays d'Europe et à 105 milliards USD aux États-Unis.

Néanmoins, l'accès durable aux médicaments innovants est une source de préoccupation croissante. Les prix élevés de nombreux médicaments nouveaux font la une des journaux, comme ce fut le cas il y a trente ans lors de l'arrivée de nouveaux traitements contre le VIH, et il y a dix ans, pour les thérapies contre le cancer du sein. Aujourd'hui, les inquiétudes soulevées par les prix et l'accessibilité ont été alimentées par une série d'événements qui ont ébranlé la confiance des payeurs comme des patients et ajouté à la pression qui pèse sur les décideurs en quête d'un juste équilibre entre trois exigences : promouvoir et récompenser l'innovation, garantir l'accès aux médicaments et assurer la viabilité des systèmes de santé.

Quatre grands défis ont été identifiés :

Malgré le ralentissement de la croissance dans les années 2000, les dépenses pharmaceutiques ont fortement augmenté dans certains domaines thérapeutiques, tels que l'oncologie et le traitement de maladies rares, où de nombreux médicaments nouveaux sont destinés à des groupes de population réduits, conduisant à des prix élevés. Si ces médicaments répondent à des besoins non satisfaits, leur prix n'est pas toujours justifié par les bienfaits thérapeutiques qu'ils confèrent.

Il se peut que les pays soient mal préparés à l'arrivée de nouveaux médicaments ciblant de larges groupes de population. En 2013, le lancement des antiviraux à action directe contre l'hépatite C, premiers d'une nouvelle classe de médicaments très efficaces mais onéreux, a créé un choc en raison de l'impact budgétaire potentiel si l'ensemble de la population infectée devait être traités. Beaucoup de pays ont donc d'abord réservé l'accès aux malades les plus atteints, provoquant la frustration tant des patients que des médecins. Bien que, par la suite, l'arrivée de médicaments alternatifs ait stimulé la concurrence par les prix et permis aux payeurs d'élargir la population de patients couverts, le choc initial a mis en évidence l'impréparation des organismes payeurs face à ce type d'événements.



Dans certains pays, des hausses fortes et soudaines des prix de médicaments dont le brevet était tombé dans le domaine public ont rendu des traitements importants inaccessibles aux patients.

Enfin, l'innovation fait défaut dans certains domaines où les besoins, pourtant criants, ne sont pas satisfaits, comme les nouveaux antimicrobiens, la démence non vasculaire et certaines maladies rares.

Les débats sur certains de ces sujets ont été difficiles dans de nombreux pays et ont fait émerger une cinquième difficulté à surmonter : l'érosion de la confiance entre les organismes payeurs, la société civile et les laboratoires pharmaceutiques. Il est nécessaire de restaurer la confiance entre toutes les parties prenantes sur la manière dont le marché pharmaceutique fonctionne si l'on veut qu'elles travaillent ensemble à faire en sorte que le système produise à l'avenir les bonnes innovations, pour les bons patients, au juste prix.

## Que peut-on faire pour que les systèmes marchent mieux pour tout le monde ?

Le présent rapport s'appuie sur cinq principes généraux pour trouver des réponses possibles à ces difficultés :

**1. Accroître la valeur des dépenses consacrées aux médicaments.** L'objectif général est de maximiser la valeur produite par les dépenses réalisées. Ce qui pourrait conduire à réduire (ou limiter) les dépenses sur les produits à faible valeur et/ou à les accroître sur les produits à forte valeur ; on pourrait notamment chercher à réduire les prix (pour atteindre le niveau d'efficacité escompté) ou varier les modes de paiement ; autre solution, on pourrait varier les moyens de déployer certains produits au sein des systèmes de santé. Tout en cherchant à récompenser explicitement l'innovation afin d'encourager les investissements privés efficaces dans les activités de recherche-développement (R-D), les payeurs peuvent simultanément chercher à envoyer des signaux clairs pour orienter les investissements vers des innovations conformes à leurs propres priorités.

**2. Assurer l'accès aux médicaments dans des pays à différents niveaux de développement.** La meilleure façon de garantir que les patients de pays présentant des niveaux de développement différents aient accès aux traitements innovants consiste à appliquer une tarification différenciée (ou modulée). Selon ce modèle, les prix pratiqués sont plus élevés dans les pays riches que dans les pays pauvres ; permettant à l'industrie de réaliser les profits nécessaires à la poursuite d'investissements privés dans la R-D.



**3. Soutenir un système fondé sur des règles.** La mise au point et l'application, par les décideurs publics, de critères transparents pour déterminer combien ils sont disposés à payer en contrepartie de bénéfices sanitaires supplémentaires, pourraient permettre aux innovateurs de savoir à l'avance quels gains ils peuvent espérer.

**4. Stimuler la concurrence sur les marchés des médicaments brevetés ou dont le brevet est tombé dans le domaine public.** Une concurrence accrue contribuerait à améliorer l'efficacité des dépenses pharmaceutiques et à encourager l'innovation. La concurrence n'est pas toujours possible sur les marchés des médicaments brevetés, même lorsqu'il existe plusieurs thérapies pour les mêmes indications, mais pourrait être stimulée par des politiques adaptées dans les domaines des approvisionnements et des paiements.

**5. Promouvoir une communication et un dialogue de meilleure qualité entre les organismes payeurs, les décideurs, les laboratoires pharmaceutiques et le public** pourrait accroître la confiance entre les parties prenantes et l'alignement de la R-D industrielle avec les priorités sociétales. Les débats et les décisions en matière d'action publique doivent s'appuyer sur des informations fiables sur les activités du secteur, les coûts de la R-D et les produits à venir.

n'existe pas de solutions immédiates et la plupart des options proposées, sinon toutes, présentent à la fois des avantages et des inconvénients. Il appartiendra aux pays – individuellement et, parfois, collectivement – de décider des arbitrages à opérer. Ce rapport ne formule aucune préconisation ni recommandation concernant ces moyens d'action ; son but est plutôt d'éclairer le débat public et d'aider à définir des combinaisons de mesures destinées à améliorer les systèmes susceptibles d'améliorer le système et de favoriser le développement d'innovations porteuses de valeur, qui soient à la fois accessibles et abordables. Les options politiques décrites ici sont réparties dans cinq grandes rubriques (A-E). L'analyse qui sous-tend chacune de ces solutions est exposée dans le reste du document.

Le présent rapport évalue un certain nombre de moyens d'action envisageables au regard de ces principes. Compte tenu de la complexité du système pharmaceutique, il

## B. Accroître l'efficacité des dépenses

**A**ccroître l'efficacité des dépenses à l'échelle des systèmes de santé, y compris la valeur et l'efficacité des dépenses consacrées aux médicaments nouveaux et existants. Dans le secteur pharmaceutique, les décideurs pourraient s'employer à :

**Faciliter la coopération dans le domaine des évaluations des technologies de santé (ETS).** De nombreux pays utilisent des ETS pour éclairer leurs choix de remboursement et de tarification. L'ETS est un exercice complexe, qui demande des ressources et des compétences adaptées. Les pays de l'OCDE disposent de capacités très différentes en la matière et la duplication des efforts est monnaie courante. Il serait donc rationnel d'encourager la coopération internationale dans le domaine de l'ETS, même si elle ne semble envisageable qu'au niveau régional et entre les pays disposant de normes et de modèles de soins similaires. Elle suppose en outre que les agences réalisant les ETS s'accordent sur les méthodes et les approches à employer. La collaboration et la coopération en matière d'ETS pourraient contribuer à réduire les coûts administratifs des agences ainsi que les coûts de production de l'information pour les laboratoires, et à accélérer l'accès aux traitements. En revanche, les aspects économiques des ETS devront toujours être évalués à l'échelon national, avec des données locales sur la prévalence de la maladie, l'utilisation des ressources, ainsi que les modèles et les coûts des soins.

**Encourager la coopération en matière de négociation de prix, de passation de marchés ou d'approvisionnement.** Ce type d'initiative, dont on dénombre déjà certains exemples (avec notamment l'initiative BeNeLuxA en Europe ou les accords Amérique du Sud/PAHO), pourrait aider à accroître le pouvoir de négociation des acheteurs, stimuler la concurrence entre vendeurs et imposer une discipline plus grande dans les processus de négociation et de fixation des prix, en améliorant l'information dont disposent les acheteurs. L'idée consiste à abaisser les coûts de transaction lors de la détermination des prix et/ou de l'évaluation des bénéfices, ce qui profitera aux pays participants (en augmentant leur pouvoir de négociation) et aux laboratoires (en réduisant les coûts de transaction). En revanche, les pays devront peut-être présenter des niveaux de revenus et/ou une propension à payer similaires pour que le principe de la tarification différenciée soit préservé ; dans le cas contraire, des accords supplémentaires devront être conclus pour définir la manière dont les prix devront varier d'un pays à l'autre.

**Évaluer les performances des médicaments dans la pratique clinique courante et ajuster les conditions de remboursement et les prix.** Les systèmes de santé sont aujourd'hui de plus en plus capables d'évaluer les performances des nouvelles technologies dans le cadre de la pratique courante. On pourrait tirer parti des données collectées en routine pour évaluer l'efficacité des médicaments en dehors des essais cliniques et l'efficacité comparative de traitements. Ces évaluations pourraient être utilisées pour éclairer non seule-

## Options politiques

### A. Associer les acteurs à des initiatives communes visant à réduire les coûts de la R-D et accélérer l'accès aux marchés

**A**lors que les entreprises recherchent en permanence les gains d'efficacité dans leurs processus de R-D, les autorités réglementaires pourraient travailler à harmoniser les conditions d'autorisation de mise sur le marché, accélérer et rationaliser les processus d'évaluation, favoriser le partage d'informations et le travail collaboratif, et, dans certains cas, s'engager en faveur d'une reconnaissance mutuelle entre agences nationales. De tels efforts pourraient aider à réduire les coûts de R-D, et accélérer l'accès des patients aux médicaments et les flux de revenus pour les laboratoires. Toutefois, pour accroître la viabilité financière pour les organismes payeurs, de telles mesures doivent aller de pair avec une réduction des prix et, dans le même temps, une amélioration de la proposition de valeur.

**Harmoniser les exigences réglementaires et encourager la reconnaissance mutuelle.** Cette mesure pourrait permettre de diminuer le nombre et les coûts des essais cliniques. La difficulté est d'amener les agences à s'entendre sur les méthodes les plus adaptées et la mesure des résultats.

**Accélérer l'accès aux marchés des médicaments présentant des avantages potentiels importants.** La Food & Drug Administration (FDA) des États-Unis et l'Agence européenne des médicaments (EMA) ont déjà mis en place différents types de circuits d'autorisation accélérés afin d'assurer un accès plus rapide aux marchés pour les traitements répondant à des besoins médicaux non satisfaits. Ces procédures fonctionnent relativement bien, même si certains experts ont exprimé des craintes quant au respect par les fabricants des obligations de fournir des études, après la mise sur le marché, sur les médicaments autorisés par cette voie. Il est essentiel de veiller au respect de ces exigences et à une information appropriée pour les patients pour que ce type d'action profite aux patients, aux organismes payeurs et aux laboratoires.

ment la formulation de recommandations relatives à la pratique clinique, mais aussi le remboursement et la détermination du prix. Il serait ainsi possible d'améliorer l'efficacité et la valeur des dépenses pharmaceutiques. Avec toutefois une contrainte majeure, d'ordre méthodologique : les études d'observation ne fournissent pas toujours les informations nécessaires pour évaluer l'impact d'un seul produit.

**Promouvoir la concurrence sur les marchés de produits brevetés.** Les assureurs de santé en concurrence ou les gestionnaires de l'assurance médicaments (aux États-Unis) stimulent généralement la concurrence sur les marchés de produits brevetés par une gestion stratégique de leur liste de médicaments remboursés. Ils négocient avec les laboratoires pharmaceutiques des remises de prix en contrepartie d'un statut préférentiel sur ces listes, associé une réduction de la dépense à la charge des patients. Ce mécanisme encourage l'utilisation de ces médicaments. Souvent, les acheteurs en situation de monopole n'exploitent pas la concurrence sur le marché des produits brevetés. Les appels d'offres sont largement utilisés sur les marchés des produits dont le brevet est tombé dans le domaine public et/ou pour les achats des hôpitaux, mais sont moins fréquents dans le cas des produits brevetés. La Norvège fait exception à cette règle : le pays pratique en effet des appels d'offres par indication sur les marchés de produits brevetés (à l'instar des traitements contre l'hépatite C). Si les résultats de ces appels d'offres permettent à plusieurs fournisseurs d'approvisionner le marché – afin, d'une part, de laisser aux médecins et aux patients un certain choix thérapeutique et, d'autre part, d'éviter une situation de monopole –, les offres soumises déterminent le médicament qui est recommandé prioritairement en traitement de première intention.

**Explorer les paiements par épisode de soins, par exemple en oncologie.** Cette solution consiste à rémunérer, par un paiement unique, et en fonction des coûts attendus, un ensemble de services dispensés dans le cadre d'un épisode de soins définis cliniquement. Ils ont pour objectif d'inciter les fournisseurs à utiliser le traitement le plus efficace pour une pathologie donnée et à négocier des prix d'achat avec les laboratoires. Les paiements par épisode de soins sont actuellement expérimentés en oncologie aux États-Unis. Si les résultats en termes d'efficacité et de qualité de soins contre le cancer sont pour l'heure globalement encourageants, ils ne donnent pas nécessairement lieu à une baisse des coûts des médicaments.

**Promouvoir la concurrence sur les marchés de produits dont le brevet est tombé dans le domaine public.** La concurrence sur ces marchés peut se traduire par des économies, sans perte d'avantages pour les patients, en rapprochant les prix des coûts marginaux de production et en augmentant la pénétration des génériques et des biosimilaires grâce aux incitations ciblant les prescripteurs, les pharmaciens et les patients. Un certain nombre de politiques promeuvent le recours aux génériques et aux biosimilaires, en encourageant l'entrée précoce sur le marché de nouveaux fournisseurs dès la perte d'exclusivité des médicaments princeps,

en rationalisant les autorisations de mise sur le marché, en encourageant les médecins à mentionner dans leurs prescriptions la dénomination commune internationale (DCI), en renforçant le rôle des pharmaciens et en mettant l'accent sur les mesures d'incitation et d'éducation des patients. En outre, il est possible de stimuler la concurrence par les prix en adoptant des mécanismes d'approvisionnement adaptés, sous réserve que plusieurs laboratoires soient actifs sur chaque segment de marché. Les mécanismes destinés à influencer les prix des génériques pourraient utiliser les processus concurrentiels, tels que les appels d'offres, qui visent à équilibrer les économies à court et long termes, soutenir la concurrence et empêcher les laboratoires d'acquiescer une position dominante sur le marché pouvant conduire, à plus long terme, à une hausse des prix ou à des pénuries. Il convient d'éviter les contrats avec un fournisseur unique, qui peuvent se traduire par la sortie des autres fournisseurs du marché et, par ricochet, mettre en péril la sécurité d'approvisionnement et donner naissance à des monopoles, synonymes de possibles hausses des prix à long terme. Enfin, les pays pourraient instaurer un système de surveillance de la dynamique des marchés et permettre aux acheteurs de signaler des hausses de prix importantes lorsqu'elles surviennent.

## C. Déterminer la propension à payer pour de nouveaux traitements et des avantages sanitaires

Les autorités et les organismes payeurs publics pourraient avoir intérêt à déterminer combien ils sont disposés à payer pour de nouveaux traitements ou pour des bénéfices sanitaires. Le recours à des processus transparents et justes du point de vue procédural pour définir la propension à payer peuvent aider à faire en sorte que les décisions relatives à la fixation des prix et au remboursement soient comprises et acceptées par l'ensemble des acteurs concernés. Ils pourraient également permettre d'accroître les gains retirés des dépenses actuelles, de mieux aligner les dépenses sur les priorités publiques, de renforcer le pouvoir de négociation des autorités nationales et des payeurs, et d'améliorer la prévisibilité des décisions pour les laboratoires. Les décideurs pourraient à ce titre :

**Définir des critères de fixation des prix et de remboursement explicites.** La propension à payer pour un médicament donné peut légitimement varier selon les pays et les domaines thérapeutiques (elle peut par exemple être plus élevée pour les maladies graves ou rares). Les critères pris en compte pourraient inclure non seulement le rapport coût-efficacité (reflet de la valeur), mais aussi l'impact budgétaire et des considérations d'équité. Pour déterminer une « propension à payer fondée sur la valeur », il peut également être nécessaire de comparer les avantages d'un nouveau médicament et ceux obtenus pour un même volume de dépenses supplémentaires alloué à d'autres interventions ou services de santé – en particulier lorsque de tels services sont financés à l'aide de la même source de revenus. Le principe de la tarification fondée sur la valeur présente

l'avantage de récompenser la mise au point des médicaments les plus efficaces et d'éviter de récompenser outre mesure le développement des médicaments dont la valeur est faible. Qui plus est, un processus fondé sur des règles pour prendre les décisions relatives à la fixation des prix et au remboursement pourrait prévoir des mécanismes de résolution lorsque les négociations ne permettent pas de parvenir à un accord (comme en Allemagne, par exemple).

**Instaurer des règles particulières en cas d'impact budgétaire élevé.** Le principe général de la fixation des prix des produits pharmaceutiques devrait être de récompenser les produits présentant une valeur élevée. Mais il peut arriver – ainsi que l'a montré le cas du sofosbuvir (Sovaldi®), un médicament utilisé pour le traitement de l'hépatite C – que la combinaison d'une valeur thérapeutique extrêmement élevée et d'une charge de morbidité importante grève de manière excessive les budgets des organismes payeurs, avec des effets négatifs sur l'accès au traitement. L'ensemble de critères évoqué au point précédent pourrait comprendre des règles particulières, définies à l'avance, sur le comportement à observer dans les situations de ce type, qui restent rares. À titre d'exemple, les organismes payeurs pourraient proposer un budget maximum et demander au laboratoire qu'il satisfasse toutes les personnes ayant besoin du traitement sans dépasser ce plafond (comme ce fut le cas en Australie avec les traitements contre l'hépatite C). Ils pourraient aussi proposer que les paiements soient échelonnés sur plusieurs années, de manière à s'adapter aux contraintes liées aux cycles budgétaires. De telles mesures ne nuisent pas à la nécessité de récompenser convenablement l'innovation, puisque le retour sur investissement pour le laboratoire peut rester très élevé. En revanche, en fixant à l'avance l'ampleur et le calendrier de dépenses d'envergure, on offre une visibilité accrue aux laboratoires comme aux organismes payeurs. Les pouvoirs publics et les autres payeurs pourraient par exemple commencer à réfléchir à la façon dont ils entendent gérer l'arrivée d'un ou de plusieurs traitement(s) efficace(s) contre une pathologie présentant une prévalence aussi élevée que la maladie d'Alzheimer.

**Optimiser l'utilisation des accords contractuels par produit.** Les accords contractuels basés sur les performances sont utilisés dans de nombreux pays, mais pas toujours de façon optimale (leur mise en œuvre se heurte notamment à des difficultés liées à la mesure des

résultats et à la charge administrative importante). Ces accords pourraient être mieux exploités, par exemple s'ils étaient limités aux produits dont l'efficacité ou le rapport coût-efficacité est très incertain(e) au moment de leur lancement, et dont la valeur peut être mise en évidence par des données supplémentaires. Les résultats pourraient être mieux définis et mesurés, et mis à la disposition de la communauté scientifique, des prescripteurs et des patients. Dans l'idéal, les accords devraient être conçus de manière à inciter les laboratoires à démontrer les performances de leurs produits. Ils pourraient par exemple prévoir la fixation de prix initiaux bas par défaut ou de paiements partiels, puis, par la suite, des hausses de prix ou des paiements complémentaires, sous réserve de la mise à disposition de données démontrant que les objectifs de performance prédéfinis ont été atteints. De tels accords pourraient contribuer à élargir la base de connaissances sur les produits médicaux et garantir aux payeurs la valeur des dépenses engagées. Ils ne devraient pas toutefois supplanter les essais randomisés contrôlés en tant que source principale de données probantes servant à évaluer l'efficacité et l'efficacité des médicaments.

#### D. Mettre au point de nouvelles mesures de type « push and pull » pour encourager l'innovation

De nouvelles incitations de type « push and pull » pourraient être mises au point pour stimuler l'innovation dans des domaines où les besoins non satisfaits sont importants, tels que les antimicrobiens, la démence non vasculaire et les maladies rares. Plusieurs pistes sont envisageables :

**Mettre au point des incitations « push » ciblant le développement de produits** répondant à des besoins médicaux non satisfaits, en assortissant les financements publics de R-D de conditions d'accès aux médicaments. Le secteur public contribue déjà au financement de la R-D au travers de divers mécanismes (crédits d'impôt en faveur de la R-D, financement direct de travaux de recherche fondamentale ou d'essais cliniques, partenariats public-privé et partenariats de développement de produits). Il pourrait donner la priorité aux investissements dans des domaines de recherche qui



n'intéressent pas le secteur privé. Lorsque le secteur public contribue pour une grande part au développement de produits précis, il devrait en garantir l'accès à un prix abordable par le biais de licences volontaires et du rachat de brevets.

**Explorer des incitations « pull » alternatives pour encourager les activités de R-D répondant à des besoins médicaux non satisfaits.** Ce type d'approche s'avère particulièrement nécessaire pour s'attaquer au problème de la résistance aux antimicrobiens et aux maladies rares. Le système actuel qui récompense l'innovation en fonction du volume des ventes ne peut fonctionner pour les nouveaux antimicrobiens, et les pays doivent trouver d'autres mécanismes, comme les mesures récompensant l'entrée sur le marché (Market entry rewards), les prix d'innovation et autres mécanismes de garantie de marché (Advanced Market Commitments).

**Revoir les politiques relatives aux médicaments orphelins afin de mieux cibler les domaines dans lesquels les besoins médicaux ne sont pas satisfaits.** Le nombre de médicaments et d'indications disponibles pour traiter des maladies rares augmenté au cours du temps. Bien que cela soit positif pour les patients atteints de maladies rares, il arrive que la désignation orpheline (et les avantages qui lui sont associés) soit accordée pour des produits prescrits pour de nombreuses autres indications qui génèrent des revenus commerciaux importants. Avec le développement de la médecine de précision, les indications des médicaments ciblent des groupes de population de plus en plus limités, ce qui les rend potentiellement éligibles aux avantages découlant des politiques relatives aux médicaments orphelins. Or ces avantages ont un coût pour les contribuables, puisqu'ils sont synonymes de frais d'évaluation réduits ou nuls, de crédits d'impôts et d'exclusivité commerciale étendue dans certains pays. Si l'on en croit les tendances actuelles, ces coûts devraient augmenter, sans nécessairement favoriser le développement des types de médicaments auxquels étaient initialement destinés ces avantages. Il pourrait être utile de vérifier si les politiques actuelles en matière de médicaments orphelins produisent les incitations et les résultats escomptés, et d'évaluer des solutions alternatives.

## E. Enrichir la base d'informations disponibles pour mieux éclairer les débats publics

**B**ien qu'il soit extrêmement difficile d'évaluer avec précision les coûts occasionnés par la mise au point d'innovations quel que soit le résultat final – succès ou échec –, les payeurs et le public ont besoin de mieux comprendre ce que coûte le développement d'un nouveau médicament, comment ces coûts sont supportés et quels gains les investisseurs et les entreprises retirent de ces activités. Les organismes payeurs doivent en outre savoir ce sur quoi les laboratoires travaillent afin de mieux se préparer à l'impact de l'arrivée de nouveaux traitements à la fois sur les systèmes et sur les coûts, notamment pour

ce qui est des traitements révolutionnaires onéreux dont les incidences budgétaires seront élevées. Pour progresser sur ce front, diverses mesures s'imposent, notamment :

**Publier des informations fiables sur les activités du secteur, ainsi que sur les risques, les coûts et les retours sur investissements de la R-D, afin de mieux éclairer la décision publique.** Les débats publics sont souvent parasités par des données contradictoires et des avis radicalement opposés sur le rôle et le fonctionnement de l'industrie pharmaceutique. S'il est légitime d'exprimer des points de vue différents, la publication d'informations pertinentes et fiables pourrait éclairer les débats d'une manière plus constructive. L'OCDE pourrait mobiliser sa vaste expertise (notamment dans les domaines de la santé, de l'innovation et des technologies, et des finances) et mettre à profit ses relations privilégiées avec les pouvoirs publics et l'industrie pour dégager un consensus sur des indicateurs appropriés et sur une collecte de données (collecte de données primaire ou utilisation de bases de données existantes).

**Améliorer la transparence des prix sur les marchés pharmaceutiques.** Le degré d'opacité des prix sur ces marchés est élevé et en augmentation, à l'échelle tant infranationale que transnationale, du fait entre autres de la prolifération d'accords confidentiels entre les laboratoires et les organismes payeurs privés et publics. Le décalage entre les prix catalogue et les prix pratiqués dans le cadre des transactions pose un certain nombre de problèmes : les prix catalogue élevés servent de point de départ dans toutes les négociations tarifaires ; ils faussent les comparaisons internationales qui sont utilisées par beaucoup de pays ; les analyses de l'évolution des prix ont perdu de leur intérêt et les entreprises se voient parfois reprocher des prix élevés qu'elles n'appliquent pas en réalité. Une transparence totale pourrait être difficile à concilier avec une tarification différenciée, car l'opinion publique risquerait d'exercer de fortes pressions sur les pays ayant une capacité et une propension à payer élevées pour les amener à baisser les prix au niveau de ceux obtenus ailleurs. Pour limiter ces inconvénients, les acheteurs pourraient commencer par signaler publiquement l'existence d'accords confidentiels sur des produits spécifiques. Une autre solution consisterait à accorder aux payeurs publics des rabais ultérieurs transparents, ce qui serait compatible avec la détermination du prix fondée sur la valeur.

**Améliorer les activités de veille stratégique et favoriser la coopération au niveau régional.** Un certain nombre de pays ont entrepris récemment des activités de veille stratégique (horizon scanning) afin de mieux se préparer aux mises sur le marché à venir et à l'adoption de nouvelles technologies, faisant parfois intervenir une coopération régionale. La coopération internationale dans ce domaine pourrait permettre d'améliorer les méthodes et les échanges d'informations sur les projets de R-D et les traitements à venir, ainsi que l'information sur les dates d'expiration des brevets et des droits d'exclusivité commerciale. Les entreprises gagneraient à ce que les pays soient mieux préparés à la diffusion de nouveaux traitements.



## Contact, Références, Remerciements

---

### Pour plus d'informations

Visitez notre site :  
<http://www.oecd.org/health/pharmaceuticals.htm>

ou contacter Valérie Paris  
Analyste senior des politiques de santé  
Division de la santé de l'OCDE

[valerie.paris@oecd.org](mailto:valerie.paris@oecd.org)  
+33.1.45.24.80.29

### Références

Cette synthèse fait partie du rapport de l'OCDE « *Innovation pharmaceutique et accès aux médicaments* », OECD Health Policy Studies, OECD Publishing, Paris [<https://doi.org/10.1787/9789264307391-en>].

### Images

Pages de couvertures 1 et 4 : © Image Point Fr/shutterstock.com;  
Page de couverture 2 et 3 : © Monkey Business Images/shutterstock.com and khemporn tongphay/shutterstock.com  
Page 5 : © FotoDuets/shutterstock.com  
Page 6 : © Monkey Business Images/shutterstock.com  
Page 9 : © perfectlab/shutterstock.com

### Remerciements

Substance : Valérie Paris et Martin Wenzl avec Rabia Khan, Allison Colbert et Ruth Lopert. La version complète des remerciements est disponible dans le rapport.

Mise en page et édition : Lukasz Lech, Marie-Clémence Cnaud, Lucy Hulett et Ruth Lopert.

© OECD 2018.

# Innovation pharmaceutique et accès aux médicaments

Le rapport de l'OCDE « *Innovation pharmaceutique et accès aux médicaments* » examine le rôle important des médicaments dans les systèmes de santé, décrit les tendances actuelles des dépenses pharmaceutiques et de leur financement, et résume les approches utilisées par les pays de l'OCDE pour déterminer la couverture et le prix des médicaments.

Puis, il met en évidence les défis auxquels font face les décideurs, tels que les prix croissants des nouveaux médicaments ; les préoccupations quant à la valeur des dépenses dans certains domaines thérapeutiques ; les difficultés à anticiper l'arrivée de nouveaux médicaments très efficaces pour des maladies à forte prévalence ; et l'apparente incapacité des incitations existantes à stimuler le développement de traitements pour certaines affections.

Le rapport décrit également le rôle de l'industrie biopharmaceutique dans les économies de l'OCDE, examine le processus de R-D pharmaceutique et son financement, ainsi que les risques, les coûts et les retours liés aux investissements en R-D pour l'industrie. Observant les tendances, il

montre que la productivité des dépenses de R-D a diminué au cours du temps ; que la durée de l'exclusivité sur le marché est restée relativement stable ; que les nouveaux médicaments sont de plus en plus souvent développés pour de petites populations cibles ; et que l'industrie, dans l'ensemble, est restée très profitable pour les investisseurs.

Enfin, le rapport présente un ensemble d'options politiques que les décideurs peuvent considérer pour promouvoir le développement de réponses efficaces et coordonnées aux défis identifiés.

Ce document est la synthèse du rapport de l'OCDE « *Innovation pharmaceutique et accès aux médicaments* ». Il présente un aperçu des idées clés du rapport, qui repose sur une évaluation fondée sur les preuves de la performance du système actuel d'innovation pharmaceutique, ainsi qu'une analyse critique d'options politiques susceptibles de promouvoir accès et soutenabilité.

