

Scénarios futurs pour le développement des médicaments et la fixation de leurs prix



Stratégies pour offrir aux patients un accès durable à des médicaments sûrs, efficaces et adaptés à leurs besoins, avec une attention particulière pour **les mécanismes de fixation des prix.**



Scénarios futurs pour le développement des médicaments et la fixation de leurs prix

Ce rapport est le fruit d'un processus de consultation et de délibération initié par le Centre fédéral d'expertise des soins de santé (KCE) et le Zorginstituut Nederland (Institut néerlandais des soins de santé, ZIN) pour explorer sans entraves des solutions potentielles au défi complexe que posent à notre société les prix de plus en plus élevés des médicaments. L'objectif du projet était d'élaborer des scénarios inventifs pour imaginer de nouvelles façons, plus durables, d'ouvrir aux patients l'accès à des médicaments sûrs et efficaces, tout en stimulant énergiquement l'innovation et en se concentrant sur les besoins de santé réels.

Ce projet a bénéficié de la contribution active d'un groupe soigneusement équilibré d'experts et de stakeholders d'Europe et d'Amérique du Nord. Ce groupe de travail rassemblait des représentants des patients, des leaders de l'industrie, des universitaires, centres de recherche à but non lucratif, des instances régulatrices, des payeurs et des représentants gouvernementaux. Ce rapport présente quatre scénarios cohérents, élaborés sur la base d'entretiens approfondis avec des experts et suivis par deux ateliers de délibération de deux jours qui se sont tenus à Amsterdam aux mois de mars et avril 2016.

Préface



Grâce aux avancées de la recherche et aux biotechnologies, nous disposons aujourd'hui de nouveaux médicaments qui offrent des perspectives à nombre de patients atteints de maladies auparavant incurables — ou quasi — comme le cancer du poumon, la mucoviscidose ou l'hépatite C. Pour eux, ces médicaments permettent de faire la différence entre la vie et la mort, ou à tout le moins d'améliorer considérablement la qualité de vie.

En même temps, ces nouveaux médicaments nous posent d'énormes dilemmes. Car leurs prix sont très élevés, et ils vont encore grimper dans les années à venir. Jusqu'aujourd'hui, nous sommes toujours restés en mesure d'y donner accès à tous les patients en restant attentifs à nos dépenses. Mais notre système actuel est de moins en moins capable de faire face à ce problème. Car dans un marché de plus en plus mondialisé, il devient extrêmement difficile de trouver des solutions adaptées au niveau d'un pays individuelle.

Si, dans ce contexte en pleine évolution, nous voulons continuer à pouvoir offrir les médicaments réellement innovants à nos patients, et en même temps maintenir les coûts de la santé sous contrôle, les pays doivent oser collaborer davantage. C'est pourquoi, il y a un an et demi, nous avons fait un premier pas en ce sens. Nous échangeons désormais nos informations, partageons nos connaissances et nos expertises, et œuvrons de plus en plus souvent ensemble, comme par exemple quand nous lançons des projets pilotes communs pour négocier ensemble le prix d'un médicament très cher.

Mais même en collaborant, si nous restons dans les cadres traditionnels de la politique du médicament, nous n'arriverons pas à des solutions à long terme, compte tenu des business models actuels de l'industrie pharmaceutique. Pour cela, il nous faut ouvrir un débat de société dans lequel nous oserons sortir des sentiers battus pour réfléchir aux contours d'un développement durable pour nos soins pharmaceutiques.



Le *Zorginstituut Nederland* et le Centre fédéral belge d'Expertise des Soins de santé (KCE) ont pris l'initiative d'esquisser cet avenir plus lointain et d'imaginer d'autres scénarios pour briser la spirale infernale de la course aux prix des médicaments.

Étant donné que ce problème transcende clairement les frontières de nos deux pays, les deux institutions ont réuni un panel prestigieux d'experts internationaux qui, en ces mois de mars et avril 2016, à Amsterdam, ont consacré plusieurs jours à *brainstormer* ensemble.

Edith I. Schippers

Ministre néerlandaise de la Santé publique, du Bien-Être et des Sports

Ce qui leur a été demandé est tout simple: forts de leurs connaissances et expériences, de laisser courir leurs idées radicalement et sans entraves vers des futurs plus souhaitables pour les soins pharmaceutiques.

Le résultat est devant vous: un rapport original qui décrit différents scénarios d'avenir possibles. Ils doivent stimuler et encourager la discussion. Pas vraiment les recommandations politiques classiques auxquelles nous ont habitués le KCE et le ZIN, donc. Mais à nos yeux, ce n'en sera pas moins un défi que d'oser envisager ces perspectives dans notre dialogue sur la politique d'aujourd'hui et de demain.

Maggie De Block

Ministre belge des Affaires sociales et de la Santé publique



Le défi



Au cours des dernières décennies, les prix des nouveaux médicaments ont considérablement augmenté. Les entreprises pharmaceutiques ne les fixent plus sur la base des coûts globaux de la recherche, du développement et de la production des médicaments; elles les tirent vers le haut jusqu'à atteindre, voire dépasser, la limite de ce que sont prêts à payer (*'willingness to pay'*) les gouvernements et les caisses d'assurance maladie.

Certains avancent que cette question de prix des médicaments ne concerne que quelques classes thérapeutiques spécifiques. Ils affirment également que si l'on tient compte de l'efficacité croissante des nouveaux médicaments, le coût total par résultat clinique ne s'en retrouve pas nécessairement augmenté. Enfin, même si les prix augmentent, il n'est pas facile de déterminer l'évolution des montants réellement payés car ils font l'objet d'accords confidentiels passés entre les entreprises qui développent les médicaments et les pays/payers individuels.

Quoi qu'il en soit, le prix élevé des médicaments est un sujet de plus en plus brûlant sur l'agenda des décideurs politiques et de la communauté internationale des soins de santé. Un nombre croissant d'observateurs, de politiciens et même de leaders du secteur pharmaceutique reconnaissent que la tendance actuelle n'est pas tenable à long terme.

De toute évidence, la grande majorité des acheteurs (gouvernements, caisses d'assurance maladie, hôpitaux, etc.) ne parviennent visiblement pas à brider les prix demandés, ni à fixer des limites raisonnables à ce qu'ils sont eux-mêmes prêts à payer. Ils peinent à trouver les fonds pour couvrir ces médicaments coûteux, ce qui les confronte de plus en plus souvent à d'épineux dilemmes moraux: refuser aux patients le remboursement de médicaments susceptibles de leur sauver la vie ou se voir contraints de puiser dans les fonds réservés à d'autres nécessités sociales et médicales et fragiliser ainsi l'ensemble du système de santé.



Vers un système de développement des médicaments et de fixation des prix axé sur les besoins de santé publique

Le principe directeur de cette réflexion est que des soins de santé efficaces doivent être accessibles à tous ceux qui en ont besoin. Conformément à la Constitution de l'Organisation mondiale de la Santé (OMS), *«la possession du meilleur état de santé qu'il est capable d'atteindre constitue l'un des droits fondamentaux de tout être humain»*. Étant donné que des médicaments efficaces, sûrs et abordables sont des éléments cruciaux des soins de santé, ils devraient être développés, testés et évalués dans le souci de répondre aux besoins prioritaires des patients et de la santé publique, et non dans le but premier de maximiser les profits.

Quatre aspects clés du système actuel de développement des médicaments et de fixation de leurs prix sont remis en cause:

La privatisation des investissements publics de R&D

Beaucoup, voire la plupart, des grandes découvertes biomédicales sont basées

sur des recherches menées par des universités, des laboratoires et des instituts de recherche subsidiés par les pouvoirs publics. Le contribuable finance donc la vaste majorité des recherches fondamentales qui aboutissent à la découverte de nouveaux médicaments. Pourtant, ces fonds publics investis dans une recherche à haut risque visant à produire un bien collectif (en l'occurrence de nouvelles connaissances) se retrouvent privatisés lors de la phase de développement des médicaments. Le contribuable paie donc doublement: d'abord pour financer une grande partie de la recherche qui précède le développement des médicaments, ensuite en payant des prix prohibitifs lorsque ces nouveaux médicaments sont mis sur le marché.

La vulnérabilité face aux pratiques monopolistiques

Le système actuel de développement et de commercialisation des médicaments repose essentiellement sur les brevets, ce qui le rend particulièrement vulnérable aux pratiques monopolistiques, notamment dans le cas de



maladies graves ou potentiellement mortelles. Les brevets, de surcroît, ont tendance à stimuler la recherche de progrès marginaux et les traitements des stades avancés, plutôt que l'innovation, la prévention et les traitements radicaux. On connaît plusieurs exemples de médicaments efficaces et peu coûteux qui ont été remplacés par des médicaments brevetés très chers, dont la valeur ajoutée clinique était limitée.

Le manque de prise en compte des besoins de santé publique

De nos jours, les innovations industrielles dans le domaine du développement de médicaments répondent à des motivations multiples qui ne sont pas toujours en adéquation avec les besoins réels des patients et de la santé publique. Les décisions d'investissement sont prises sans impliquer les parties représentant les intérêts publics. Bien souvent, les pouvoirs publics ne disposent même pas des moyens d'identifier ces besoins.

On peut donc dire que, dans une certaine mesure, le processus d'innovation actuel gaspille des ressources et ne répond pas aux priorités réelles de la santé publique.

L'efficacité, plutôt que la valeur ajoutée thérapeutique, comme critère d'autorisation de mise sur le marché

Les instances de régulation approuvent souvent des médicaments sur la base d'une efficacité supérieure à celle d'un placebo; il n'est d'ailleurs pas rare que des résultats indirects soient considérés comme suffisants. Il n'y a donc pas de garantie de valeur ajoutée clinique, et la recherche de bénéfices marginaux prend le pas sur le développement de médicaments véritablement innovants et efficaces. Cela empêche finalement les payeurs publics de prendre des décisions de remboursements appropriées et les prescripteurs de faire les meilleurs choix cliniques.



Pourquoi des scénarios

Les scénarios sont des 'histoires' qui permettent de projeter dans l'avenir des facteurs difficiles à formaliser, sous la forme de narrations plausibles et cohérentes. Les scénarios ne sont donc pas des prévisions pour le futur mais des descriptions crédibles et cohérentes de ce qui pourrait se produire.

Les scénarios présentés ici n'ont pas vocation à proposer des solutions immédiates et concrètes à court terme. Leur objectif est de fournir une source d'inspiration et d'élargir le débat de société autour du prix élevé des médicaments et des défis que cela implique.





Présentation des scénarios

Scénario 1

Des partenariats publics-privés axés sur les besoins

Les acteurs publics et les développeurs de médicaments collaborent de façon énergique et pragmatique pour répondre aux priorités de santé publique. L'acteur public identifie les indications qui représentent des besoins de santé publique élevés, définit les critères de performance des médicaments à développer pour ces indications et indique combien il est prêt à payer. Grâce à des marchés publics contraignants, l'acteur public établit des partenariats avec les développeurs de médicaments pour répondre à ces besoins. Les développeurs sont quant à eux disposés à conclure de tels partenariats et à revoir leurs prix à la baisse en échange d'accords fixes négociés au préalable sur les prix et les volumes, ce qui leur permet de limiter leurs risques.

Les membres du partenariat

L'acteur public peut être l'Union européenne, le gouvernement d'un (grand) pays, ou une coalition de pays s'il s'avère nécessaire d'atteindre une masse critique et de disposer d'un marché suffisamment important.

Le développeur ou le responsable de la recherche clinique est généralement une entreprise privée, biotechnologique ou pharmaceutique, mais il peut également s'agir d'un acteur public, ou d'un institut de recherche gouvernemental ou académique indépendant disposant d'infrastructures de développement de médicaments. Dans certains cas, il peut même s'agir d'une collaboration entre les deux pour développer un médicament souhaité.

Une gouvernance publique forte

C'est l'acteur public qui est à la manœuvre pour déterminer la politique et les responsabilités, ce qui permet d'éviter que les priorités des développeurs ne passent avant celles du public.



Ces partenariats reposent sur des marchés publics contraignants spécifiant au préalable les performances exigées. C'est l'acteur public qui définit à l'avance les critères de performance du nouveau médicament: profil, sécurité, efficacité et effet clinique. Il annonce ouvertement le montant qu'il est prêt à payer pour un médicament qui correspond à ces critères de performance.

Le développeur ne se voit accorder une mise sur le marché et un remboursement que s'il développe un médicament conforme à ces critères.

Différents mécanismes de gouvernance sont mis en place afin de garantir que les chercheurs indépendants et les institutions spécialisées puissent valider les résultats à l'issue de chaque phase de développement, que l'ensemble du processus soit transparent et que le partenariat tienne ses promesses, c.-à-d. que le public ne paie que pour ce qu'il a demandé. Les instances régulatrices et

les agences d'évaluation des technologies médicales (HTA) sont impliquées dès les premières négociations, ce qui est une valeur ajoutée pour toutes les parties.

Ces partenariats reposent sur des marchés publics contraignants spécifiant au préalable les performances exigées.

D'autres parties peuvent être impliquées dans ce partenariat: des payeurs publics ou privés, des représentants des patients ou toute autre partie prenante pertinente (un fonds caritatif, une ONG...) en fonction de l'indication médicale spécifique, des besoins, de l'expertise requise et des opportunités.

Un développement suivi pas à pas

Le développement est contrôlé par une plateforme de développement clinique composée d'experts et de représentants du développeur et du partenaire public. C'est à ce niveau que sont prises les décisions au sujet des essais cliniques, des objectifs à atteindre, etc. Au sein de cette plateforme, la transparence totale et l'accès aux données sont garantis. Le mode de gestion des données est déterminé d'un commun accord par tous les membres; cela peut aller de la gestion indépendante à la cogestion. Participent également à cette plateforme des experts cliniques et universitaires indépendants — qui n'ont pas de liens avec le partenaire privé — et des représentants des patients. Enfin, chaque étape est validée par un comité de révision entièrement indépendant des partenaires privés et publics impliqués dans le processus. Le partenariat peut également décider d'une transparence intégrale en mettant toutes les données à la disposition du public.



La flexibilité est un élément fondamental tout au long du processus, notamment en ce qui concerne les méthodes scientifiques utilisées pour générer les données probantes, mais sans que cela ne compromette les critères de sécurité et d'efficacité. La science est en perpétuelle évolution; il est essentiel d'en tenir compte d'un bout à l'autre du processus de développement.

Toutefois, les exigences de l'acteur public en termes de performances doivent rester réalistes par rapport à l'état des connaissances scientifiques au début du partenariat.

Comme il s'agit d'un cadre collaboratif, les questions de brevets et d'exclusivité des données sont débattues et négociées dès le début du partenariat. Il peut être décidé de ne pas déposer de brevet, ou que le brevet devienne propriété commune, ou encore que le brevet aille au développeur. Ces décisions font partie intégrante des négociations contractuelles.

Mesures incitatives

Les entreprises pharmaceutiques sont disposées à conclure de tels partenariats car ils leur procurent des avantages clairs et convaincants, même si cela implique des concessions sur les prix. Ces avantages sont par exemple la possibilité de négociations et de collaborations dès les premiers stades avec des pouvoirs régulateurs et des agences d'évaluation technologique afin de définir les performances attendues et le type de données probantes nécessaires à la démonstration de ces performances.

La garantie de mise sur le marché et l'engagement préalable du payeur en termes de prix et de volume sont également des arguments convaincants car ils évacuent les incertitudes du système actuel autour de l'autorisation de mise sur le marché et du remboursement. L'entreprise pharmaceutique ne s'expose donc pas à des risques excessifs en investissant massivement pour des résultats incertains. En outre, certains pays



peuvent fournir des incitants supplémentaires, comme des avantages fiscaux, des primes à l'innovation ou des subventions de recherche.

Le processus d'autorisation de mise sur le marché et de remboursement de ces médicaments plus abordables et axés sur les besoins en santé publique est généralement plus court puisque les niveaux de performance, les prix et les volumes ont été convenus en amont avec le partenaire public.

Des partenariats pilotes couronnés de réussite peuvent néanmoins ouvrir la voie vers une conversion graduelle du système d'innovation dans le secteur des soins de santé.

Un modèle existant dans d'autres secteurs industriels

Ce modèle de développement de médicaments et de fixation des prix ressemble à des pratiques gouvernementales existantes dans d'autres domaines de recherche intensive comme les transports publics, la défense et l'exploration spatiale. De même, pour les grands projets scientifiques, les acteurs publics définissent généralement un certain nombre de critères de performance et s'engagent à passer commande pour un certain prix si un développeur répond aux critères fixés. L'industrie peut alors choisir d'investir ou non dans ces projets, en fonction d'engagements publics clairs.

Dans le secteur des soins de santé également, on connaît des exemples de partenariats fructueux entre des partenaires

publics et privés pour le développement de médicaments indispensables au traitement de maladies négligées, comme par exemple les partenariats visant à endiguer le paludisme et d'autres maladies tropicales en Afrique.

Une innovation axée sur le long terme

Comme ce modèle de partenariats publics basés sur des passations de marché ne peut vraisemblablement débuter que sous la forme de projets pilotes assez restreints pour quelques maladies spécifiques, il ne risque pas, à court terme, de révolutionner le mode de développement des médicaments. Le profit reste donc la principale motivation de l'entreprise qui développe les médicaments et les sociétés pharmaceutiques gardent leur rôle majeur dans l'innovation en matière de santé.

Des partenariats pilotes couronnés de réussite peuvent néanmoins ouvrir la voie vers une conversion graduelle du système d'innovation dans le secteur des soins de santé. Progressivement, les maladies considérées comme des défis de santé publique peuvent alors être abordées dans le cadre de tels partenariats publics-privés. Le développement des médicaments s'aligne davantage sur les besoins médicaux prioritaires, et n'est plus déterminé par l'offre.

Grâce à la transparence du système, les citoyens et les patients sont plus conscients de ce qu'ils peuvent attendre de leur système de soins de santé. Les enseignements tirés des partenariats pilotes inspirent des changements législatifs en matière de transparence, de mécanismes de fixation des prix, d'accès au marché, etc. Et finalement, les payeurs et les gouvernements sont en mesure de mieux planifier leurs dépenses de santé et de les allouer plus judicieusement.



Scénario 2

Le développement de médicaments dans un système parallèle

Les états membres de l'UE ont mis en place un système parallèle de développement de médicaments sans but lucratif qui coexiste avec l'industrie pharmaceutique et biotechnologique, mais de manière indépendante. L'objectif de ce système parallèle est de développer des médicaments à moindre prix, sans faire de compromis sur leur sécurité et leur efficacité.

Coalitions de recherche publiques

Après avoir établi un inventaire des manques et des priorités en santé publique, les autorités des états membres de l'UE demandent aux grands instituts de recherche publics de présenter les découvertes, actifs, outils et infrastructures dont ils disposent pour développer des solutions destinées à répondre (en tout ou en partie) aux besoins identifiés. Parmi ces centres de recherche figurent des hôpitaux universitaires, des centres de recherche indépendants, des institutions gouvernementales, des universités, etc.

En cas d'adéquation entre la demande et l'expertise disponible, des coalitions sont formées entre les payeurs, les autorités, les organisations de patients et les instituts de recherche (à but non lucratif). L'ensemble de ces partenaires s'engage à participer aux projets de recherche clinique de façon ouverte et transparente.

Mise en concurrence

D'un côté, ce système parallèle comble les vides dans lesquels l'industrie n'est pas disposée à investir (p. ex. nouveaux antibiotiques, maladies négligées, certaines maladies rares...). De l'autre, il développe aussi des médicaments qui viennent concurrencer l'industrie basée sur le profit. Mais les médicaments développés dans ce système parallèle ne sont pas vendus à des prix exorbitants car ils ne sont pas concernés par la maximisation du profit et les frais annexes de rémunération des forces de vente, dépenses de marketing, salaires élevés et primes des managers.

Des modèles de financement créatifs permettent de compenser les dépenses de R&D. Cela peut se faire sous forme d'acomptes ou de paiements à chaque étape de développement plutôt que de paiements pour l'utilisation du médicament. D'autres sources de financement comme le financement participatif (*crowdfunding*) ou le contrat à impact social peuvent également être instaurés.

Propriété intellectuelle: oui ou non?

Les droits de propriété intellectuelle sont acquis dès les premières étapes du processus de développement par les partenaires du consortium. La propriété de ces droits est partagée. Une autre solution consiste à déprioriser intégralement la propriété au sein de l'infrastructure de recherche parallèle, c.-à-d. que les inventions et développements de ce système parallèle ne sont pas protégés et relèvent du domaine public. Cette approche encourage la science ouverte, la collaboration et l'innovation en invitant les autres acteurs (même industriels) à exploiter tout résultat prometteur tout au long du processus de développement.

La principale préoccupation de ces consortiums est le résultat — un produit ou



une solution abordable — et non l'entité qui le développe. Dans cette optique, la propriété a peu d'importance, tant que les objectifs sont atteints.

Ces nouvelles opportunités dans la recherche médicale et le développement de médicaments encouragent de nombreux centres de recherche publics à moderniser leur infrastructure de chimie pharmaceutique afin de produire des molécules thérapeutiques. De grands centres publics de recherche fondamentale, de chimie pharmaceutique et de recherche clinique accordent leurs projets de recherche afin d'optimiser le développement de médicaments. Un nombre croissant de partenaires industriels s'intègre au système pour mettre à disposition leur expertise technique et scientifique et leur infrastructure de production au profit de médicaments développés initialement dans le système parallèle.

Une solution pour contourner les monopoles

Parmi les grandes découvertes des sciences médicales, beaucoup sont le résultat d'investissements publics dans les universités, instituts de recherche et laboratoires gouvernementaux. Le développement de ces découvertes se poursuit généralement sous forme de spin-offs privées à but lucratif. Et ce n'est qu'à partir du moment où les premières phases de recherche pré-cliniques et cliniques donnent des résultats intéressants que les grandes compagnies pharmaceutiques et biotechnologiques viennent cueillir les candidats les plus prometteurs pour les phases de développement, de mise sur le marché, de marketing et de distribution.

En substance, le nouveau système parallèle de développement de médicaments permet aux autorités sanitaires d'effectuer des premiers essais lorsqu'elles ont l'impression de tenir une bonne opportunité de développer

un produit à moindre coût pour certaines indications ou besoins non rencontrés. Ce système parallèle n'oblige pas le secteur industriel à changer ses habitudes ou son mode de fonctionnement. Mais en cas de succès, il pourrait apporter une diversité intéressante dans les modes de développement de nouveaux médicaments. Toutefois, une des conditions de sa faisabilité est de réaménager le système de règlement des litiges autour de la propriété intellectuelle et des brevets. En effet, le système actuel peut très facilement bloquer ou retarder le développement concurrentiel et non commercial des médicaments.

Le système parallèle permet aux décideurs politiques d'accéder graduellement à un système de développement de médicaments plus rentable. Dans un premier temps, il ne perturbe pas le système existant. Néanmoins, en prenant de l'ampleur et en aboutissant manifestement à des innovations à faible coût, il contraint l'industrie pharmaceutique à emboîter le pas et à s'aligner sur un développement coût-efficace et un prix de vente abordable.



Scénario 3

Rachat des brevets

Un consortium de pays européens a mis en place un fonds commun, le «Fonds public pour des médicaments abordables». Chacun des pays participants y dépose un pourcentage annuel fixe de ses dépenses actuelles en médicaments. Des financeurs privés (notamment des compagnies d'assurances) peuvent également se joindre au Fonds.

Le Fonds scrute en permanence le marché de la recherche pour y dénicher des médicaments «intéressants» en phase II ou III de développement qui répondent à des indications sanitaires clairement prioritaires. Il rachète les brevets des développeurs, dirige ou délègue les dernières phases de recherche au sein d'instituts publics ou passe un contrat de sous-traitance avec des partenaires privés (sous supervision strictement publique) et dirige la procédure de demande d'autorisation de mise sur le marché. Le médicament est alors disponible à un prix relativement bas, ce qui permet au payeur public de faire des économies considérables. Une fois que ce système a atteint sa vitesse de croisière, les économies ainsi générées peuvent servir (en partie) à réapprovisionner le Fonds.

Découplage

Le modèle '*pay for patents*' de rachat des brevets désolidarise la recherche et le développement de la fabrication et de la vente. Les prix baissent car les partenaires du Fonds considèrent que les médicaments sont des biens publics qui ne devraient pas



être financés par des prix monopolistiques. Lorsque le secteur public détient le brevet et que le développement a abouti à une autorisation de mise sur le marché, les droits de production, de distribution et de vente peuvent être attribués aux fabricants et distributeurs qui proposent la meilleure qualité/sécurité/accessibilité pour le meilleur prix. Par principe, plusieurs partenaires privés sont mis en concurrence si bien que «de nouveaux médicaments sont mis sur le marché au prix de génériques».

Le modèle '*pay for patents*' de rachat des brevets désolidarise la recherche et le développement de la fabrication et de la vente. Les prix baissent car les partenaires du Fonds considèrent que les médicaments sont des biens publics qui ne devraient pas être financés par des prix monopolistiques.

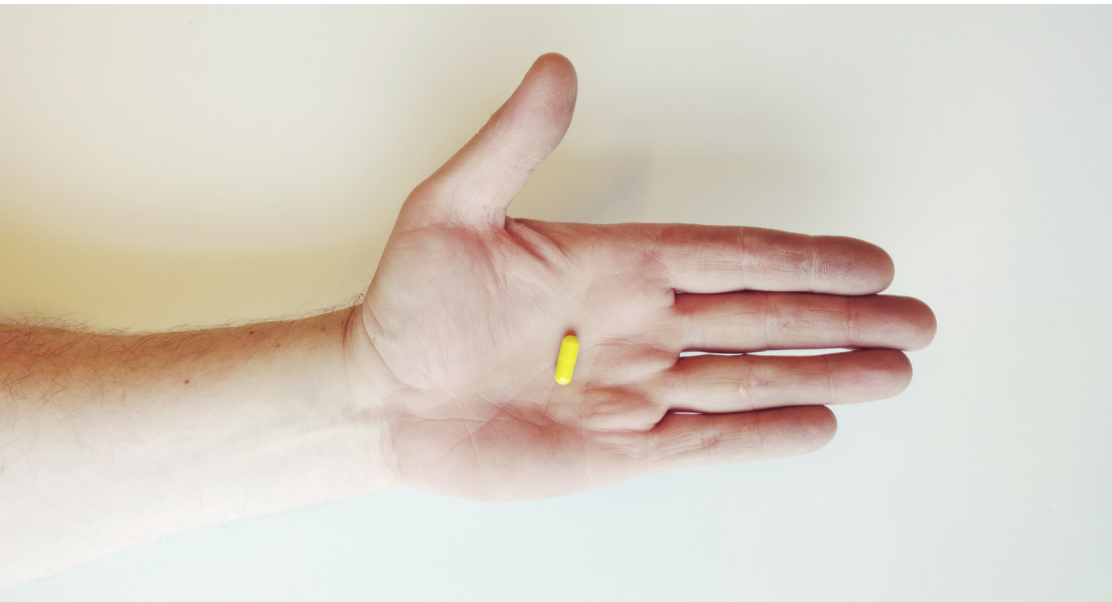


Un contre-pouvoir

Le Fonds révolutionne les conditions du marché des nouveaux médicaments dans les pays participants. Généralement, il cherche à repérer des molécules candidates dans des domaines où plusieurs médicaments concurrents d'efficacité similaire sont en cours de développement. D'autres candidats intéressants pour le Fonds sont des alternatives légèrement supérieures à un médicament original coûteux. Les développeurs pourraient alors privilégier le transfert des droits du nouveau médicament potentiel au profit du Fonds en échange d'une rémunération honorable pour la recherche et le développement déjà effectués, plutôt que de porter tous les risques liés au développement interne du médicament avec des perspectives de concurrence sévère dans des créneaux déjà surchargés.

Bien que les concurrents soient toujours en mesure de développer leurs molécules candidates, la molécule du Fonds public peut être utilisée pour casser les prix en contraignant les concurrents à revoir à la baisse le prix des produits d'origine, voire pour dominer le marché.

En mettant fin au monopole des grandes entreprises pharmaceutiques et en amenant certaines d'entre elles à signer un accord avec lui pour garantir un retour sur investissement, le Fonds incite d'autres pays et d'autres payeurs à se joindre au consortium. Il rémunère généreusement les innovations, qu'il vend ensuite à des prix concurrentiels: toutes les parties impliquées y gagnent. Les patients ont accès aux médicaments efficaces dont ils ont besoin, l'innovation et l'investissement conservent leur pouvoir d'attraction, et les budgets de la santé sont moins mis sous pression.



Scénario 4

Un bien public de A à Z

Le développement des médicaments est essentiellement une entreprise publique, radicalement réorientée vers la satisfaction des intérêts publics et des besoins des patients plutôt que vers le profit du secteur privé. Dans ce système, les entreprises pharmaceutiques privées ont toujours leur place mais leur modèle économique a été entièrement revisité. Elles se consacrent principalement à la fabrication de médicaments et assurent des prestations de service pour le fournisseur public sur une base concurrentielle. Quant aux brevets et monopoles, ils n'ont plus de raison d'être puisque les médicaments et autres technologies de la santé sont devenus des biens publics.

Un bien public développé par le public

Ce sont les patients et les acteurs de santé publique — et non plus les entreprises — qui déterminent quels besoins de santé doivent faire l'objet de recherches. Les pouvoirs publics publient régulièrement des listes de priorités pour la recherche; ces listes sont basées sur une évaluation objective des besoins médicaux non satisfaits, réalisée avec la participation des patients. Les gouvernements organisent et financent cette recherche en recourant à divers mécanismes, notamment des compensations par étapes ou une gestion active du processus d'innovation. Ou encore des appels à projets définissant clairement les objectifs, et auxquels peuvent répondre des équipes de recherche privées et publiques.

En rémunérant directement la R&D et en instaurant une gestion active des filières de développement des médicaments, les nations et les systèmes de soins de santé déboursent nettement moins que pour les médicaments brevetés du passé. Le prix des médicaments est donc dissocié des coûts de R&D; il est calculé sur la base des coûts réels de production, de contrôle qualité et de distribution.



Des mesures clés vers une transformation du système

Pour mettre en place ce système de développement de médicaments 'orienté santé publique', il a fallu mettre en place d'importants changements. La solide protection que conféraient les accords commerciaux internationaux relatifs aux restrictions de propriété, à la confidentialité et au secret commercial, a dû être supprimée, ou renégociée, pour le secteur médico-pharmaceutique. De nouveaux traités ont été négociés et adoptés afin de lever les obstacles à l'optimisation de la santé publique, de l'équité et des économies dans les budgets de santé.

Au cours d'une période de transition, tous les textes législatifs empêchant la mise sur le marché de nouveaux médicaments génériques à l'expiration d'un brevet ont été supprimés et il n'a plus été possible de breveter des modifications mineures apportées à une molécule. En outre, les pays individuels ont été déchargés des négociations sur le prix des médicaments au profit de l'UE, qui négocie désormais pour l'ensemble de l'Union. Les pouvoirs publics disposent ainsi d'une influence considérable sur les prix pratiqués. Pour les médicaments qui permettent de sauver des vies ou de prévenir un handicap grave, l'UE s'appuie désormais sur un nouveau système de licences obligatoires: en échange d'un forfait limité accordé à l'entreprise pharmaceutique détentrice du brevet, un fabricant tiers est autorisé à produire une version générique du médicament. Finalement, la plateforme de négociations de l'UE est devenue l'Institut européen médicopharmacologique de la santé publique, responsable du développement et de la mise sur le marché des médicaments.

Le nouveau système de R&D pour les soins de santé ne se contente pas de développer des médicaments abordables. Il mène

également des travaux de recherche sur des interventions non médicamenteuses, dans les domaines préventifs et curatifs. Le système est exclusivement scientifique et orienté sur les besoins; la protection des données, la propriété intellectuelle et les monopoles n'y ont pas leur place. Comme c'est le public qui finance l'ensemble de la recherche, il en détient les résultats.

Indépendant & open source, avec un financement public

Tous les essais cliniques de médicaments ou de dispositifs médicaux sont effectués par des institutions et des chercheurs entièrement indépendants, dépourvus de tout intérêt financier, commercial ou autre en lien avec les résultats (positifs ou négatifs) des essais. Les protocoles des essais sont enregistrés et accessibles au public, ce qui permet aux patients et à d'autres acteurs de les commenter afin de garantir qu'ils portent sur des objectifs pertinents pour les patients et qu'ils sont aussi utiles que possible pour la santé publique.

Toutes les informations relatives aux essais cliniques sont rendues publiques sans exception: tous les objectifs annoncés sont publiés et toutes les données brutes (anonymisées) des patients sont fournies sur demande, ce qui donne la possibilité à d'autres chercheurs de mener leurs propres analyses.

La gestion publique des essais de médicaments permet aussi de garantir que les comparaisons entre nouveaux médicaments et médicaments existants sont faites de manière équitable, de même que les comparaisons avec des interventions non médicamenteuses, le cas échéant.

Le montant du financement public des essais indépendants ne dépasse pas celui des investissements habituels dans le secteur des soins de santé. Le prix des médicaments





ayant nettement baissé, la part des budgets santé versée précédemment aux entreprises pharmaceutiques sert désormais à payer la recherche.

Législation en matière de médicaments

Les agences réglementaires sont désormais intégralement financées par des fonds publics et les médicaments sont approuvés sur la base de leur qualité, efficacité, sécurité et, plus important encore, de leur valeur ajoutée thérapeutique. Les seuils d'efficacité clinique sont établis au préalable, et respectés. Une condition absolue pour l'autorisation de mise sur le marché des médicaments est que l'envergure des essais soit suffisante et que leur durée soit assez longue pour pouvoir déceler les effets à long terme, positifs comme négatifs.

Les médicaments sont approuvés sur la base de leur qualité, efficacité, sécurité et, plus important encore, de leur valeur ajoutée thérapeutique.

L'autorisation de mise sur le marché des médicaments ne peut plus se baser sur des résultats de substitution. Les médicaments ne sont autorisés et remboursés que si leurs bénéfices cliniques ont pu être démontrés au cours d'essais menés de façon indépendante sur des groupes de patients représentatifs de la pathologie à traiter. Les instances réglementaires appliquent les principes modernes de la médecine factuelle (EBM) en regroupant tous les essais pertinents dans des méta-analyses.

Éducation et participation publiques

Beaucoup d'efforts sont consentis pour expliquer aux patients et au public les bases de ce système innovant et le mode de fonctionnement des programmes de recherche et développement. De ce fait, et même s'il peut arriver qu'un projet soit abandonné, les contribuables n'ont pas le sentiment que leur argent est gaspillé dans des développements coûteux voués à l'échec. De plus, des consultations sont régulièrement organisées pour définir les priorités en soins de santé, et le public est convié à y participer. Ce système est gouverné par une structure transparente qui rend compte aux patients et à la population.



Épilogue



Ces quatre scénarios présentent des évolutions possibles du système actuel de développement des médicaments et de fixation des prix. Ils reposent tous sur le principe que les soins médicaux sont un droit fondamental des êtres humains. Par conséquent, ils décrivent des situations futures dans lesquelles le développement de nouveaux médicaments est clairement orienté vers l'intérêt public.

Au cours des dernières années, beaucoup de concepts utilisés dans ces scénarios ont été discutés dans différents forums. Ils se retrouvent ici, intégrés dans l'un ou l'autre de ces scénarios. Ces scénarios ne doivent pas être considérés comme incompatibles. Il n'est pas exclu que, dans l'avenir, des partenariats publics basés sur des passations de marché cohabitent avec des mesures de développement de médicaments financées par l'état et des mécanismes de découplage. Certes, le scénario du «Bien public de A à Z» pourrait se heurter aux limites de certains autres principes mis en œuvre dans les autres scénarios. Une conclusion indéniable de ce travail est que le développement des médicaments et

la fixation de leurs prix devront évoluer de façon significative pour pouvoir répondre aux exigences de santé publique du 21^e siècle. La relation entre les patients, les payeurs et les développeurs de médicaments changera, car on disposera d'arguments nouveaux pour évaluer les risques et bénéfices des investissements dans l'amélioration des soins de santé. Les conceptions conventionnelles des droits de propriété intellectuelle devront être revues pour les médicaments car, en fin de compte, il ne s'agit pas de biens de consommation mais de biens collectifs. La combinaison d'incitants, de compétences et d'attitudes plus appropriés rendront le système de développement des médicaments et les procédures de fixation des prix plus réactifs, plus transparents... et plus responsables. La prévoyance et la saine gestion sont sur le point de devenir des compétences clés pour les pouvoirs publics. La transparence accrue et l'engagement inébranlable en faveur d'une bonne gouvernance sont des composants essentiels de tous les scénarios d'avenir imaginés au cours de ce projet. Ces défis de taille feront appel à la détermination, à l'ingéniosité, au bon sens et à la volonté d'expérimenter des pouvoirs politiques.





Colophon

Titre

Scénarios futurs pour le développement des médicaments et la fixation de leurs prix — Synthèse

Auteurs

Philippe Vandenbroeck (shiftN),
Peter Raeymakers (LyRaGen), Rachel Wickert
(Minds et Motion), Kim Becher (shiftN),
Jo Goossens (shiftN), Frank Hulstaert (KCE),
Irina Cleemput (KCE), Lydia de Heij (ZIN),
Raf Mertens (KCE)

Coordinateurs de projet

Nathalie Swartenbroeckx (KCE),
Dominique Paulus (KCE)

Experts externes

Ont participé dans les ateliers:

Teresa Leonardo Alves (Universiteit Utrecht /
WHO Collaborating Centre for Pharmaceutical
Policy and Regulation, NL), Francis Arickx
(RIZIV — INAMI, BE), Peter Bach (Memorial

Sloan Kettering Cancer Centre, NY — US),
Sharon Batt (Dalhousie University, Halifax,
NS — CA), Marcel Canoy (Autoriteit Consument
& Markt / Erasmus School of Accounting and
Assurance / Longkanker Nederland, NL), Irina
Cleemput (KCE, BE), Lydia de Heij (Zorginstituut
Nederland, NL), Ri De Ridder (RIZIV — INAMI,
BE), Hans-Georg Eichler (European Medicines
Agency, UK), Silvio Garattini (Istituto di Ricerche
Farmacologiche Mario Negri, IT), Peter
Gøtzsche (Nordic Cochrane Centre, DK), David
Hammerstein (Commons Network, ES), Ellen 't
Hoen (Universitair Medisch Centrum Groningen,
NL), Frank Hulstaert (KCE, BE), Hugo Hurts
(College ter Beoordeling van Geneesmiddelen,
NL), Isabelle Huys (Katholieke Universiteit Leuven,
BE), Denis Lacombe (European Organisation
for Research and Treatment of Cancer, BE),
Yann Le Cam (Eurordis, FR), Raj Long (Bill &
Melinda Gates Foundation, US), Panos Kanavos
(London School of Economics, UK), Eveline Klein
Lankhorst (Ministerie van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport, NL), Donald W. Light (Rowan
University — US), Raf Mertens (KCE, BE), Yannis
Natsis (European Public Health Alliance, BE),
Cor Oosterwijk (Vereniging Samenwerkende



Ouder- en Patiëntenorganisaties voor Zeldzame en Genetische aandoeningen, NL), Valérie Paris (L'Organisation de coopération et de développement économiques — Organisation for Economic Co-operation and Development), Jean-Louis Roux (EURORDIS, BE), Joan Rovira (University of Barcelona, ES), Koen Torfs (Janssen Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson, DE), Els Torreele (Open Society Foundations, NY — US), Mark Trusheim (Massachusetts Institute of Technology, US), Stijn Vanacker (Robeco, NL), Martin van der Graaff (Zorginstituut Nederland, NL), Walter Van Dyck (Vlerick Business School, BE)

Ont été interviewés mais n'étaient pas impliqués dans les ateliers:

Jean-Jacques Cassiman (Katholieke Universiteit Leuven, BE), Richard Evans (Sector Sovereign, US), Suzanne Hill (World Health Organisation, CH), Aaron Kesselheim (Harvard Medical School, US), Donna Messner (Center for Medical Technology Policy, US), Matt Todd (University of Sydney, AUS), Sean Tunis (Center for Medical Technology Policy, US).

Remerciements

Anne Hendrickx (ancien Cellule stratégique de la ministre de la santé publique et des affaires sociales/Strategische cel van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Piet Vancraeynest (RIZIV — INAMI), Kris Westelinck (MedWEST Consultancy)

Autres intérêts déclarés

Tous les experts et stakeholders consultés pour ce rapport ont été sélectionnés en raison de leur implication dans le domaine de cette étude. A ce titre, il est possible que chacun d'eux présente, jusqu'à un certain point, un inévitable conflit d'intérêt.

Layout

Meer wit (www.meerwit.be)

Disclaimer

Les experts externes ont été consultés sur une version (préliminaire) du rapport scientifique. Leurs remarques ont été discutées au cours des réunions. Ils ne sont pas co-auteurs du rapport scientifique et n'étaient pas nécessairement d'accord avec son contenu. Le KCE reste seul responsable des erreurs ou omissions qui pourraient subsister.

Date de publication

23 juin 2016

Domaine

Health Services Research (HSR)

MeSH

Economics, Pharmaceutical; Drug approval, Drug legislation

Classification NLM

QV 736 Drug industry. Economics of pharmacy.

Langue

Français

Dépôt légal

D/2016/10.273/57

Copyright

Les rapports KCE sont publiés sous Licence Creative Commons « by/nc/nd »
<http://kce.fgov.be/fr/content/a-propos-du-copyright-des-rapports-kce>

Comment citer ce rapport

Vandembroeck Ph, Raeymakers P, Wickert R, Becher K, Goossens J, Hulstaert F, Cleemput I, de Heij L, Mertens R. Scénarios futurs pour le développement des médicaments et la fixation de leurs prix. Bruxelles: Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE), Diemen: Zorginstituut Nederland. 2016. D/2016/10.273/57

Ce document est disponible en téléchargement sur le site Web du Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé et du Zorginstituut Nederland.

