

Accès aux innovations thérapeutiques : L'accès dérogatoire, soutenable économiquement? Une réussite?



RENCONTRES ONCO AURA ^{3e} édition
Regards croisés en cancérologie
Jeudi 20 mars 2025
Université Grenoble Alpes - Campus Santé et distanciel



Liens d'intérêts

Comités scientifiques, interventions, invitations :

- Fresenius,
- Adienne,
- BMS,
- Roche,
- Viatris,
- Merck,
- Esteve,
- Gilead,
- Pfizer,
- Zentiva

- **Accès dérogatoire : Accès précoce - Accès compassionnel**
 - Rappels rapides points clefs de la réforme
 - Données 2019 - 2023 : nb patients, dépenses – Réussite?
- **Innovation thérapeutique AD : soutenabilité point de vue ES et collectivité?**
 - Les évolutions des dépenses AD
 - Soutenabilité pour 1 ES
 - Dépenses de médicaments - le reste à charge
 - Soutenabilité pour collectivité
 - Rappels des leviers de régulation sur le médicament : prix, volume, clause de sauvegarde
 - Evolution des CA des médicaments tout confondu / CA net des reversements
 - Dédommagements Ind et RH mises en place ES : valeurs en adéquation?

- **Accès dérogatoire : Accès précoce - Accès compassionnel**
 - Rappels rapides points clefs de la réforme
 - Données 2019 - 2023 : nb patients, dépenses – Réussite?

- **Innovation thérapeutique AD : soutenabilité point de vue ES et collectivité?**
 - Les évolutions des dépenses AD
 - Soutenabilité pour 1 ES
 - Dépenses de médicaments - le reste à charge
 - Soutenabilité pour collectivité
 - Rappels des leviers de régulation sur le médicament : prix, volume, clause de sauvegarde
 - Evolution des CA des médicaments tout confondu / CA net des reversements
 - Dédommagements Ind et RH mises en place ES : valeurs en adéquation?

Rappels rapides points clefs de la réforme

Accès précoce (AP)
médicaments susceptibles d'être innovants
avec engagement à déposer une AMM

Accès compassionnel
médicaments non nécessairement innovants, non
destinés à obtenir une AMM

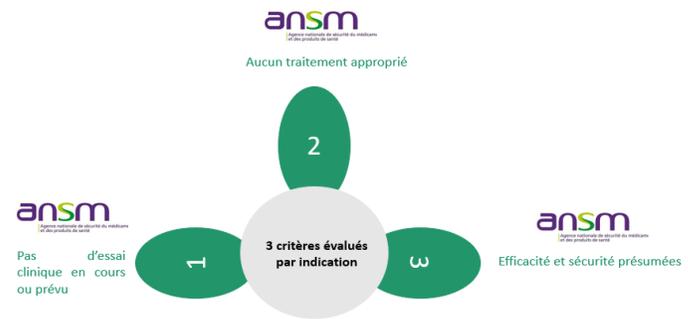
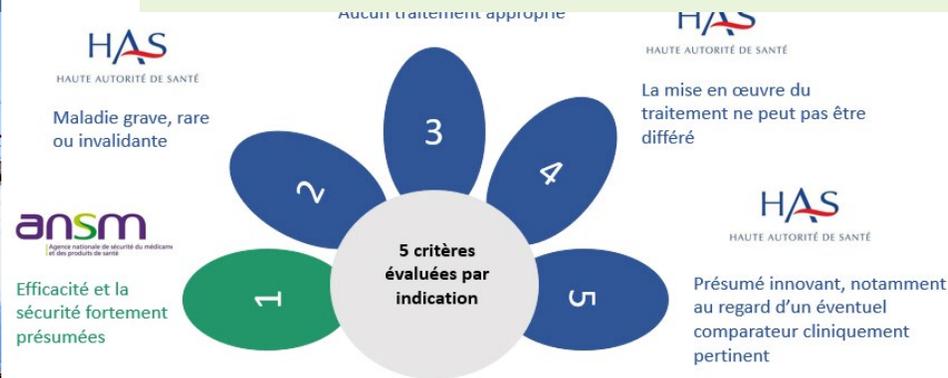
AF

Autorisation accès

Cadre de prescription
personnel

« SIMPLIFIER LES DEMANDES, HARMONISER LES PROCÉDURES, GARANTIR UN ACCÈS IMMÉDIAT AUX TRAITEMENTS ET UNE PRISE EN CHARGE RAPIDE POUR CES MÉDICAMENTS TOUT EN ASSURANT LA SOUTENABILITÉ FINANCIÈRE DU DISPOSITIF POUR L'AM ».

Ministère de la Santé,
Maladies rares
S, renouvelable

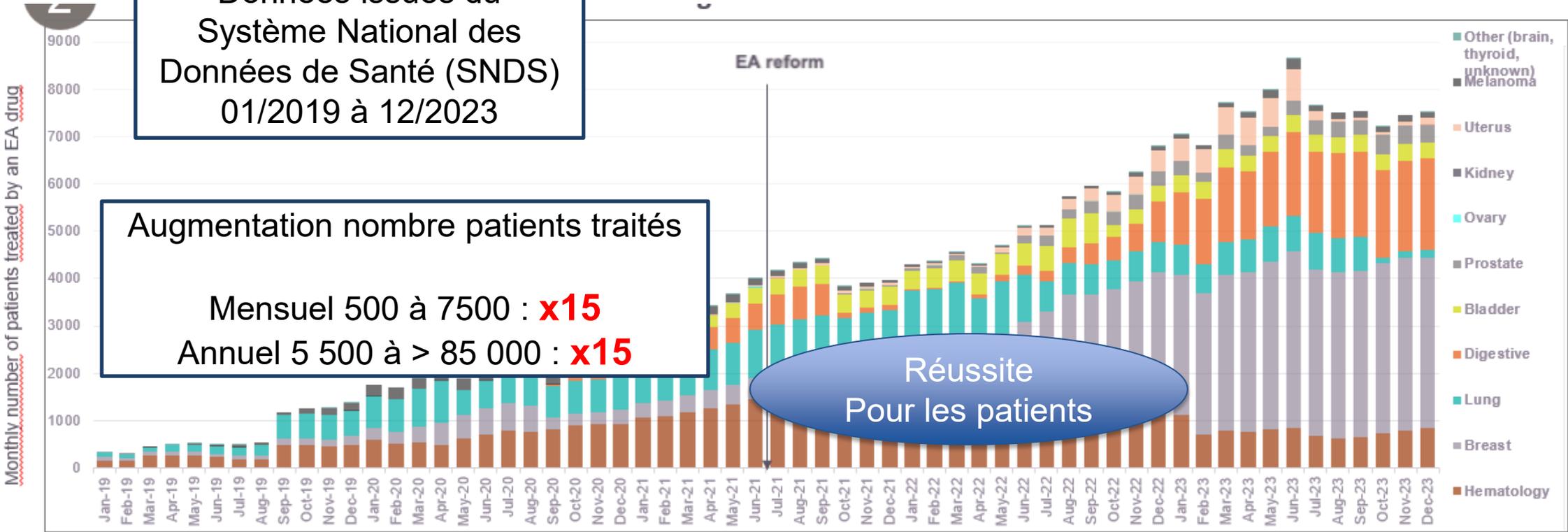


Données 2019 - 2023 en cancérologie : Nombre patients, dépenses – Réussite?

Données issues du
Système National des
Données de Santé (SNDS)
01/2019 à 12/2023

Augmentation nombre patients traités

Mensuel 500 à 7500 : **x15**
Annuel 5 500 à > 85 000 : **x15**



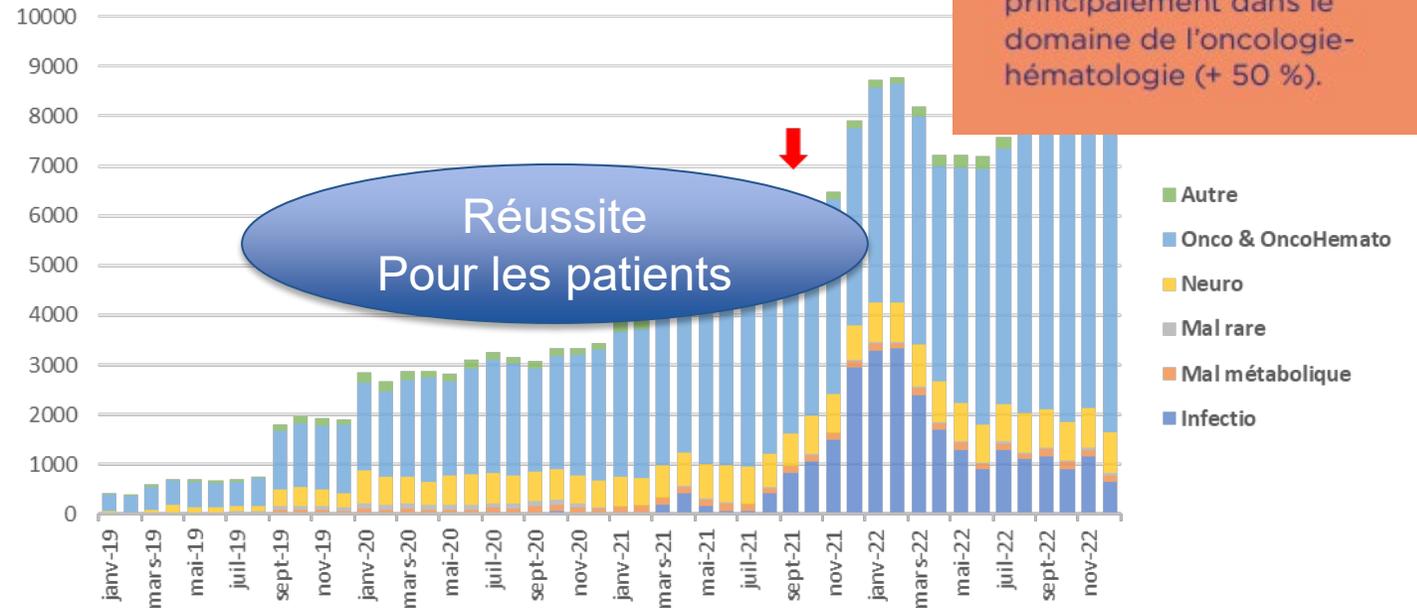
EVOLUTION NOMBRE PATIENTS TRAITÉS EN ACCÈS PRÉCOCE 2019 - 2023

Données 2019 - 2022 toutes pathologies : Nombre patients, dépenses – Réussite?

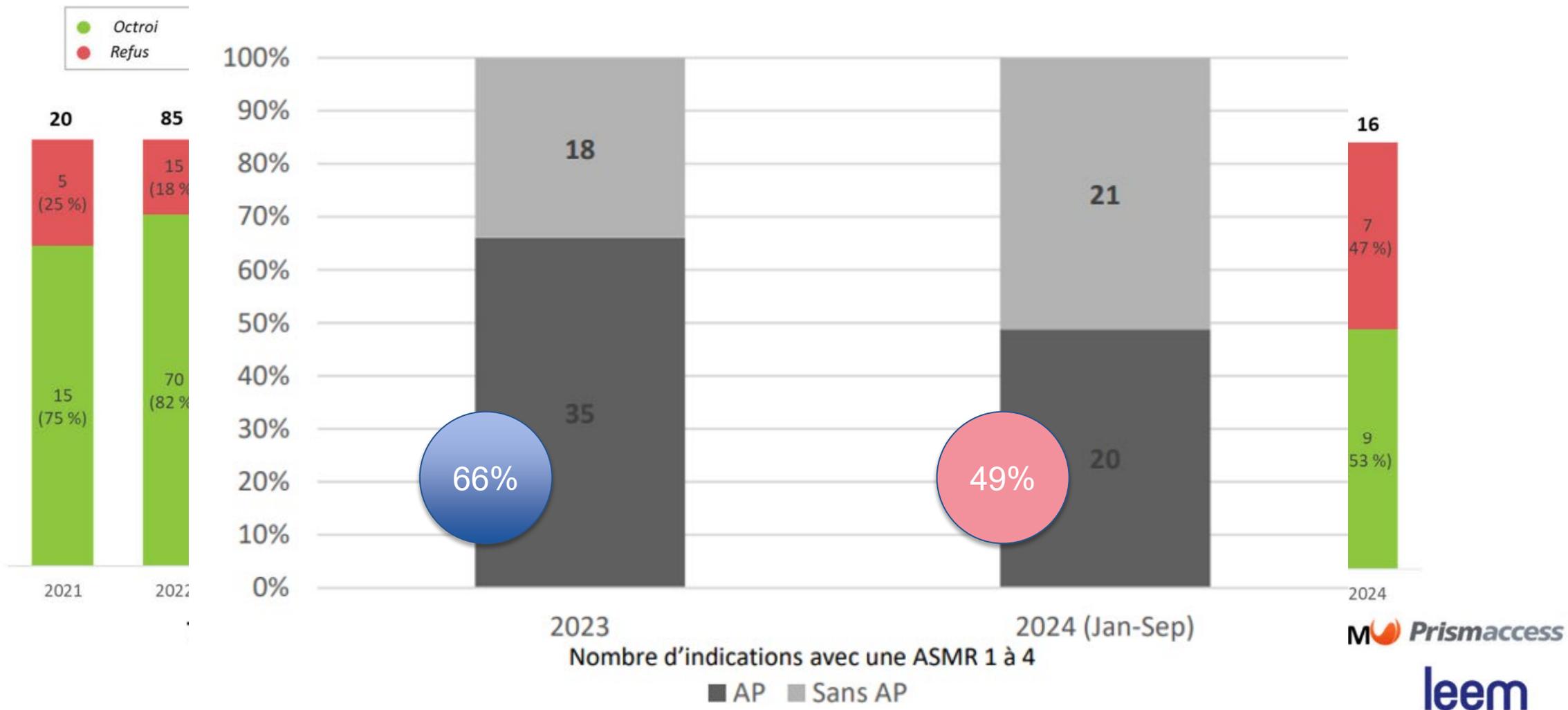
Données issues du
Système National des
Données de Santé (SNDS)
01/2019 à 12/2022

Augmentation nombre patients traités
:
5 516 à 39 224
+611% (* par 7,1)

EVOLUTION DU NOMBRE DE PATIENS
POUR LES ATUC / AP PAR AIRE THER



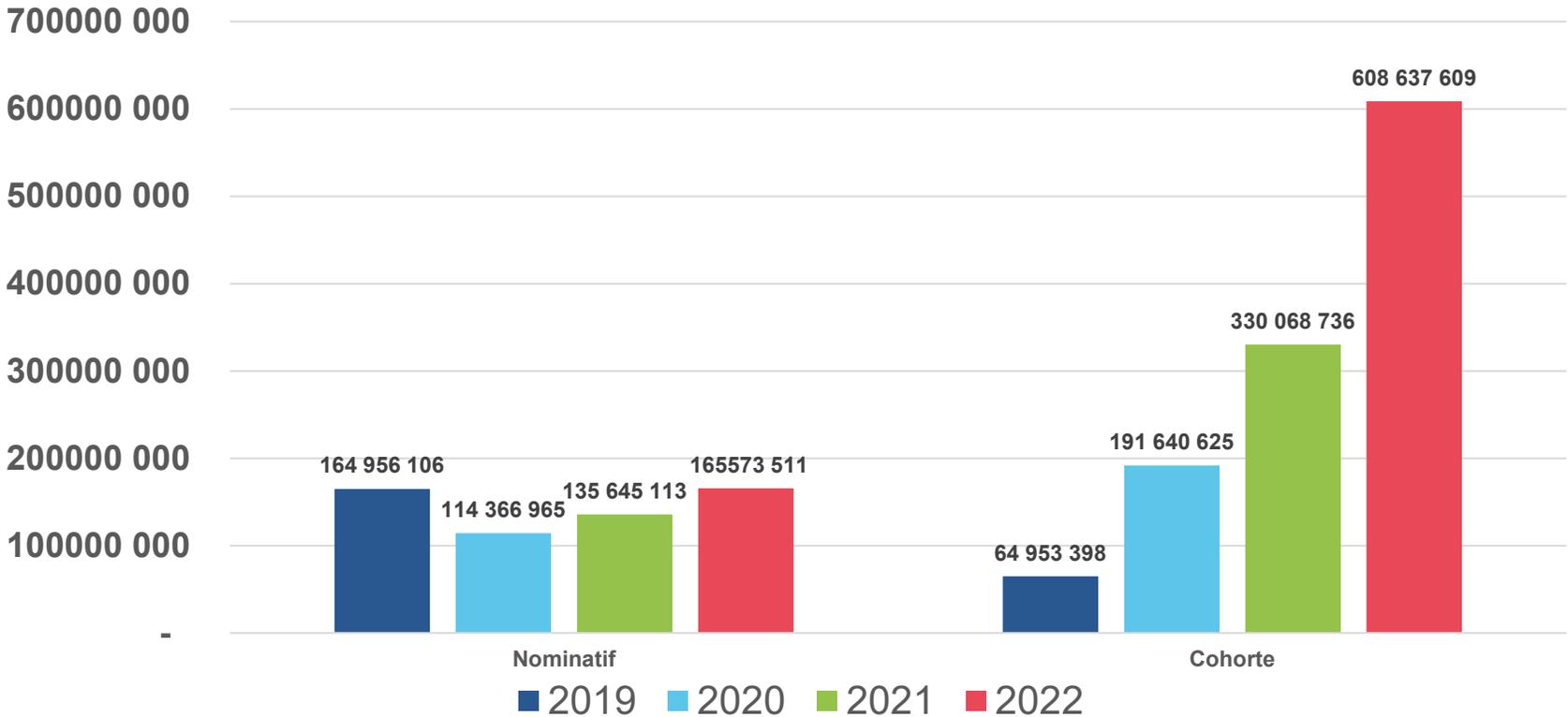
Crainte : dynamique négative des accords des AAP



- **Accès dérogatoire : Accès précoce - Accès compassionnel**
 - Rappels rapides points clefs de la réforme
 - Données 2019 - 2023 : nb patients, dépenses – Réussite?
- **Innovation thérapeutique AD : soutenabilité point de vue ES et collectivité?**
 - **Les évolutions des dépenses AD**
 - **Soutenabilité pour 1 ES**
 - Dépenses de médicaments - le reste à charge
 - **Soutenabilité pour collectivité**
 - Rappels des leviers de régulation sur le médicament : prix, volume, clause de sauvegarde
 - Evolution des CA des médicaments tout confondu / CA net des reversements
 - **Dédommagements Ind et RH mises en place ES : valeurs en adéquation?**

EVOLUTION DÉPENSES ACCÈS DÉROGATOIRE 2019 (PRÉ RÉFORME) - 2022

Augmentation dépenses de
l'AD > x10



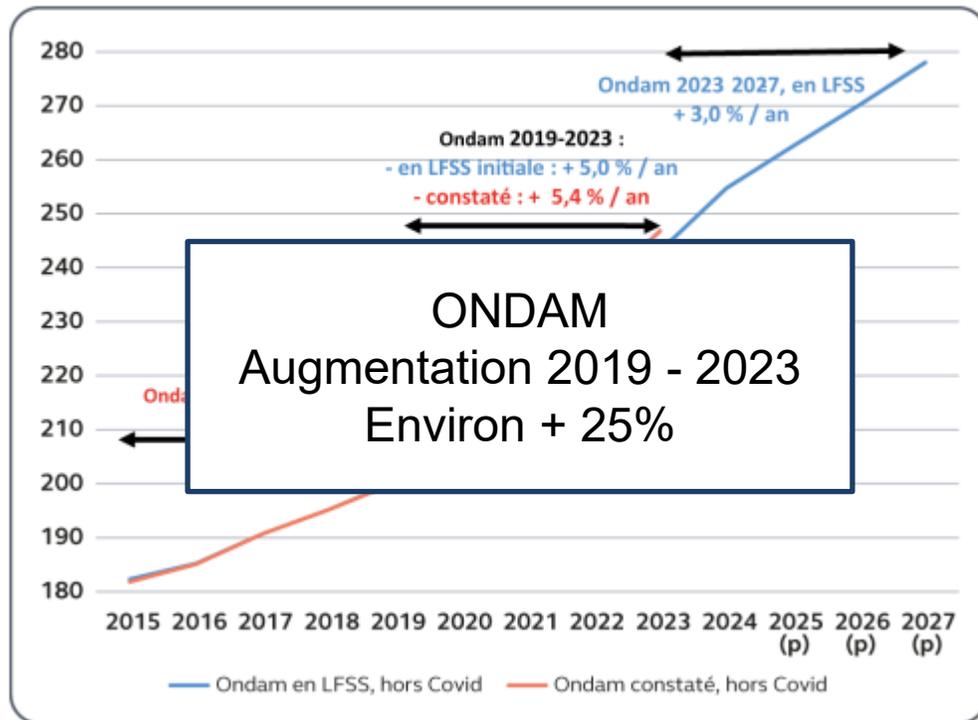
Données Isabelle Borget

- **Acces dérogatoire : Accès précoce**
 - Rappels rapides points clefs de la réforme
 - Données 2019 - 2023 : nb patients, dépenses – Réussite?
- **Innovation thérapeutique AD : soutenabilité point de vue ES et collectivité?**
 - Les évolutions des dépenses AD
 - ES et France
 - **Soutenabilité pour 1 ES**
 - Dépenses de médicaments le reste à charge
 - Soutenabilité pour collectivité
 - Rappels des leviers de régulation sur le médicament : prix, volume, clause de sauvegarde
 - Evolution des CA des médicaments tout confondu / CA net des reversements
 - Dédommagements Ind et RH mises en place ES : valeurs en adéquation?

Soutenabilité pour 1 établissement de santé le CLB

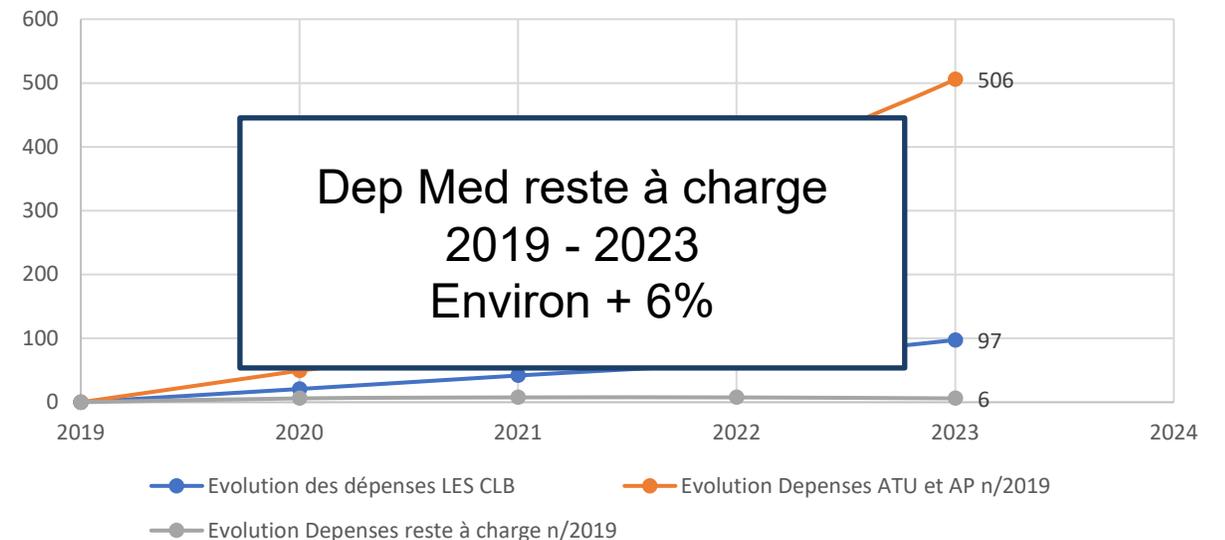
Evolution des dépenses de médicaments

Graphique n° 6 : évolution des dépenses d'Ondam hors covid constatées par rapport aux LFSS (en Md€)



Source : Cour des comptes d'après les LFSS et les informations communiquées par la DSS

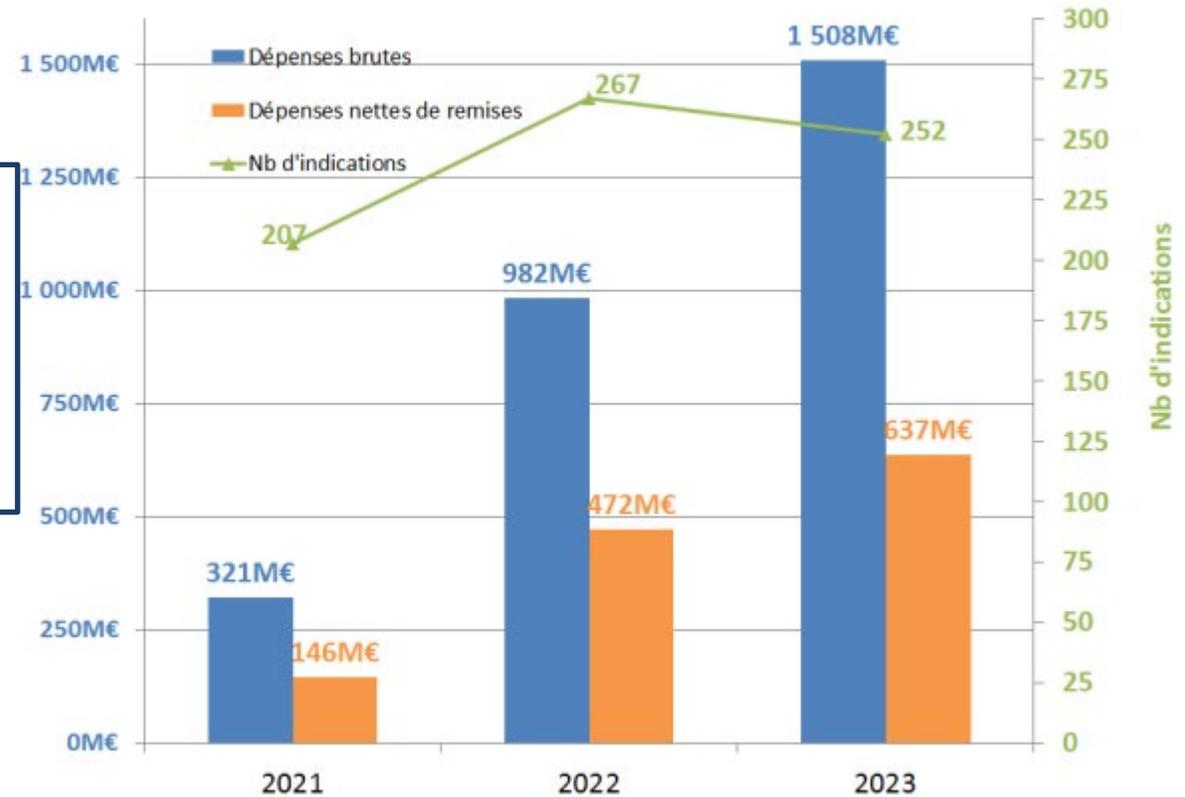
Evolution dépenses médicaments CLB 2019-2023



- **Acces dérogatoire : Accès précoce**
 - Rappels rapides points clefs de la réforme
 - Données 2019 - 2023 : nb patients, dépenses – Réussite?
- **Innovation thérapeutique AD : soutenabilité point de vue ES et collectivité?**
 - Les évolutions des dépenses AD
 - ES et France
 - Soutenabilité pour 1 ES
 - Dépenses de médicaments le reste à charge
 - **Soutenabilité pour collectivité**
 - Rappels des leviers de régulation sur le médicament : prix, volume, clause de sauvegarde
 - Evolution des CA des médicaments tout confondu / CA net des reversements
 - Dédommagements Ind et RH mises en place ES : valeurs en adéquation?

Evolution dépenses AP (AAC-AAP) point de vue collectivité

Figure 147 : Evolution annuelle du nombre et des dépenses des médicaments en accès précoce depuis juillet 2021



2021-2023
Dep nettes Médicaments
: +0,5 M€ soit +436,3%

Champ : France entière: données en date de liquidation, tous régimes

Soutenabilité point de vue collectivité

Leviers de régulation de la dépense de médicaments

Levier 4

Levier 3

Levier 2

Levier 1

Clause de sauvegarde

Se déclenche si

Clause de sauvegarde

le CA net des médicaments >
au montant M voté lors de la
LFSS.

Maitrise médicalisée
Maitrise médicalisée
MEP par AM.

Remises

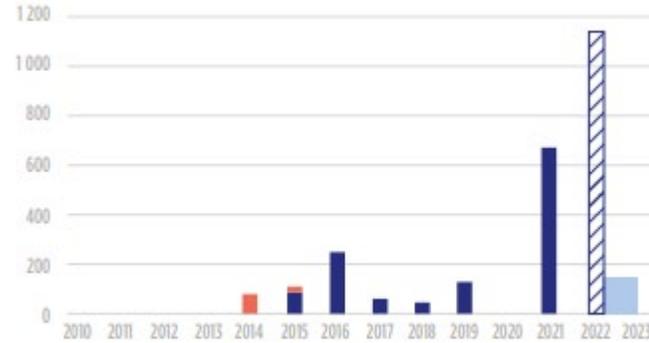
Fixées par CEPS et
Indus.
Remises

médicaments prix
négociés (LES, AD)

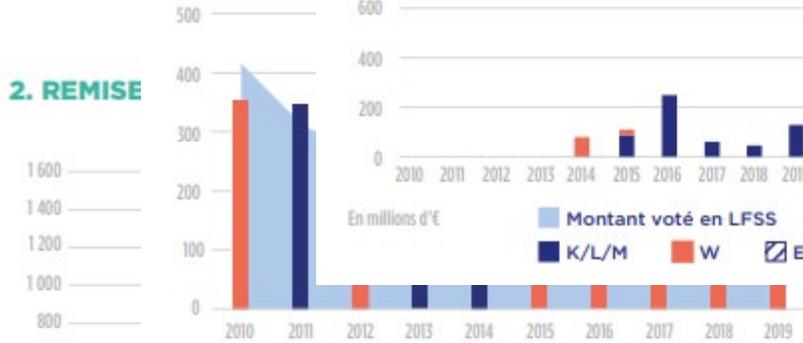
BAISSE DE PRIX
FIXÉES PAR CEPS ET INDUS.

MÉDICAMENTS
REMBOURSABLES

4. CLAUSE DE SAUVEGARDE



3. MAÎTRISE



1. BAISSE



Données issues LEEM

Soutenabilité point de vue collectivité

Leviers de régulation de la dépense de médicaments

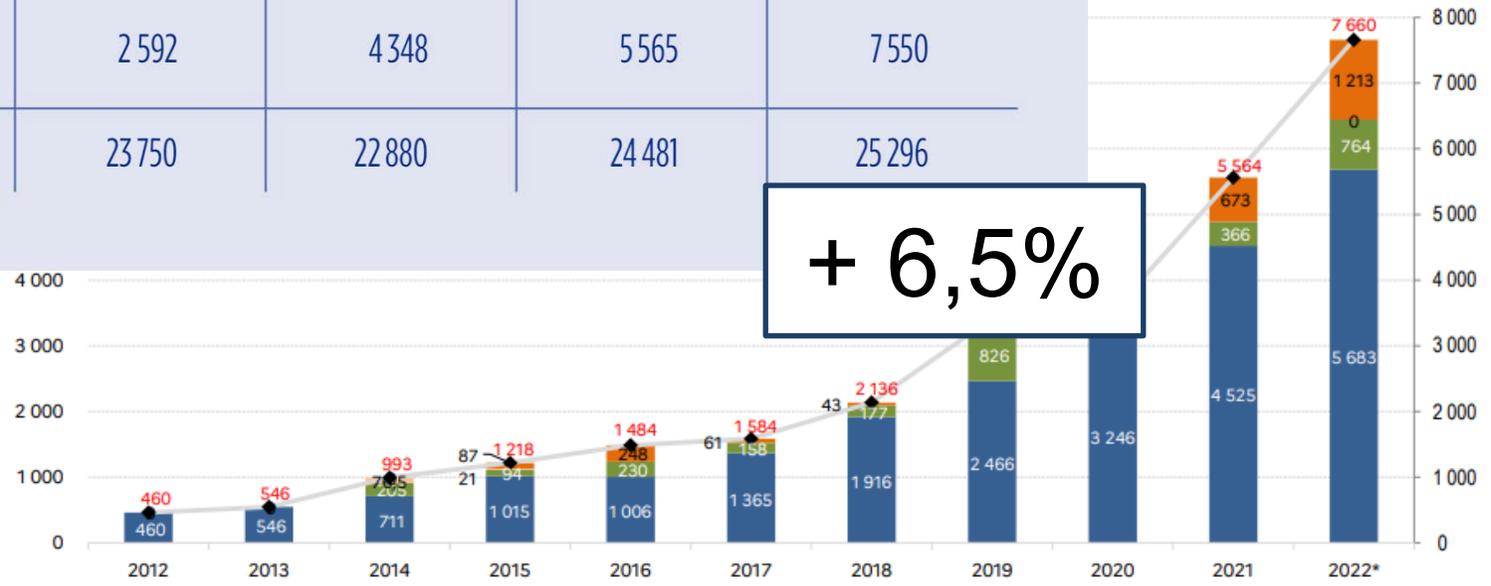
- Levier 4
- Levier 3
- Levier 2
- Levier 1

Classement
Médicaments
Remises
BAISSE DE PRIX

24. REVERSEMENTS ET CHIFFRE D'AFFAIRES RÉGULÉ NET
Source : GERS (p) : provisoire

Données LEEM

	2019	2020	2021	2022(p)
Reversements (remises produits et ATU, clauses de sauvegarde W, L et M)	2 592	4 348	5 565	7 550
CA régulé total, net de reversements	23 750	22 880	24 481	25 296

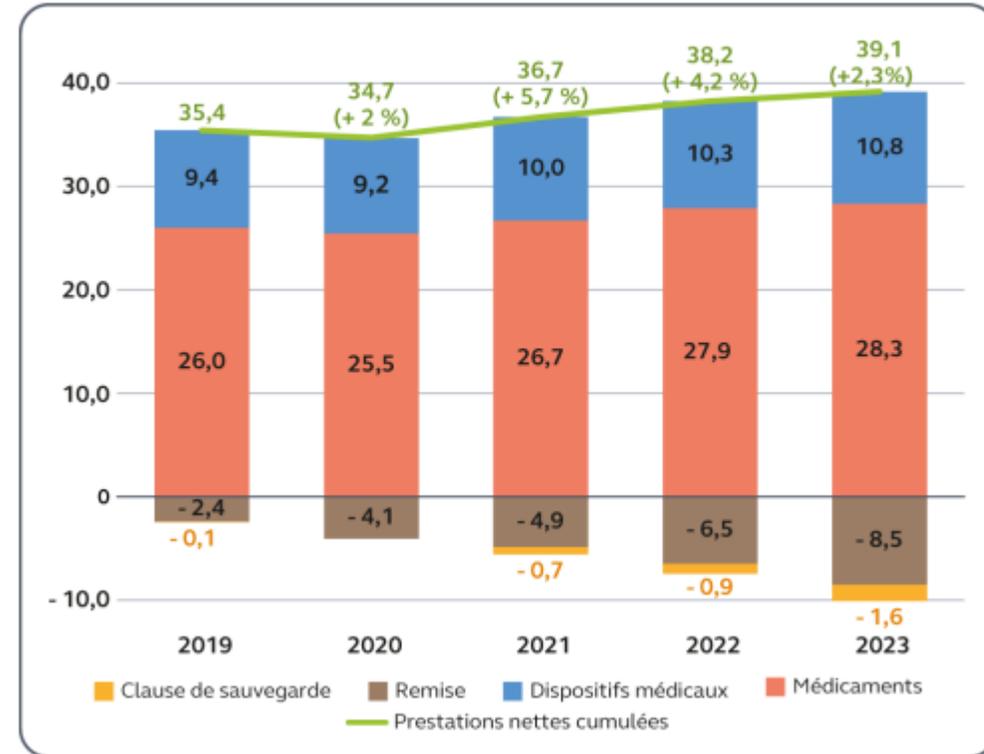


Soutenabilité point de vue collectivité

Données de la cour des comptes 2024

2019-2023
Dep Médicaments en net:
+2,3 M€ soit +8,8%

Graphique n° 11 : évolution des dépenses de produits de santé
2019-2023 (en Md€)



Source : Cour des comptes à partir des données de la direction de la sécurité sociale

Soutenabilité point de vue collectivité

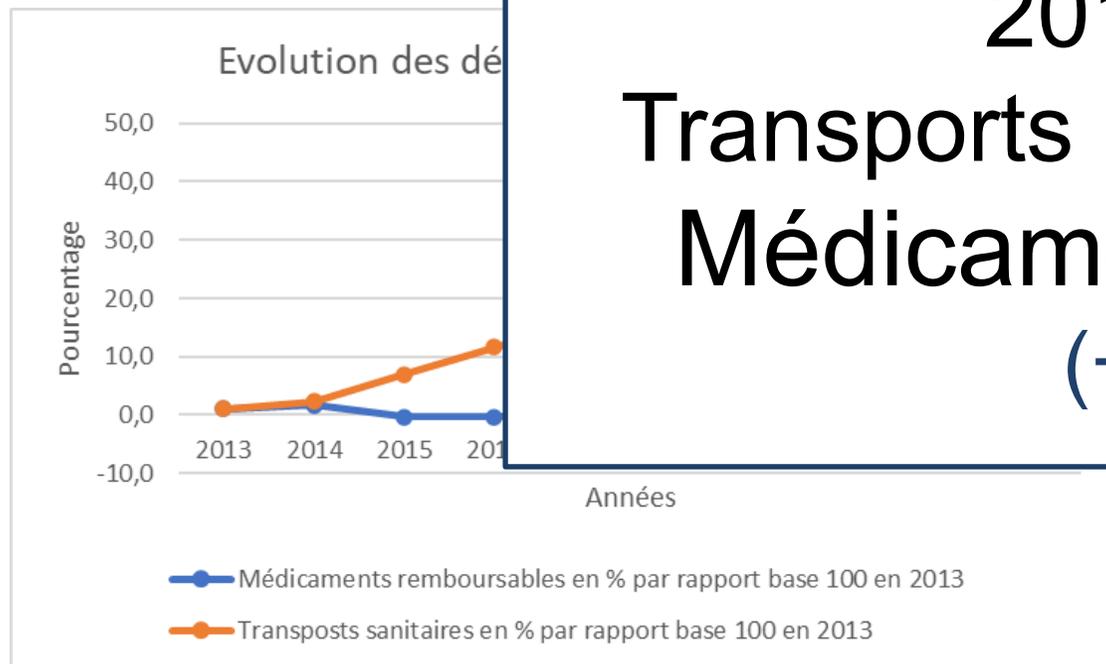
Données DREES - Dépenses santé 2022 édition 2023

Tableau 1 La consommation de soins et de biens médicaux (CSBM) à prix courants (en valeur)

En millions d'euros

	2020	2021	2022
	103 270	110 165	114 862
	79 797	84 916	88 700
	23 473	25 249	26 163
	107 154	116 762	120 913
	54 797	60 288	62 157
	23 031	24 583	25 584
	10 169	10 438	10 835
	12 416	13 632	14 197
	446	512	552
	15 733	17 306	17 877
	41	5 579	6 009
	31	31 108	32 768
	17	28 753	30 170
	14	2 355	2 598

2013-2022
Transports : +1,7M€ (+39,5%)
Médicaments : +1,5M€ (+5,2%)



Médicaments remboursables	28 707	29 222	28 634	28 679	28 765	28 055	28 113	27 517	28 753	30 170
Médicaments non remboursables	2 877	2 790	2 841	2 806	2 746	2 810	2 573	2 314	2 355	2 598
• Biens médicaux	13 999	14 610	15 228	15 795	16 125	16 758	17 578	17 784	19 787	19 978
Optique	6 041	6 118	6 257	6 302	6 216	6 492	6 931	6 245	7 256	7 272
Prothèses auditives	865	925	1 010	1 081	1 158	1 254	1 257	1 263	2 027	1 977
Orthèses et prothèses externes, VHP ¹	1 726	1 841	1 936	2 014	2 137	2 157	2 323	2 054	2 307	2 373
Matériels, aliments et pansements	5 366	5 726	6 025	6 398	6 614	6 855	7 066	8 222	8 197	8 357
Consommation de soins et de biens médicaux (1+2)	185 339	190 029	193 069	197 255	200 351	202 781	207 143	210 424	226 927	235 775

1. Véhicules pour handicapés physiques.
 Source > DREES, comptes de la santé.

- **Acces dérogatoire : Accès précoce**
 - Rappels rapides points clefs de la réforme
 - Données 2019 - 2023 : nb patients, dépenses – Réussite?
- **Innovation thérapeutique AD : soutenabilité point de vue ES et collectivité?**
 - Les évolutions des dépenses AD
 - ES et France
 - Soutenabilité pour 1 ES
 - Dépenses de médicaments le reste à charge
 - Soutenabilité pour collectivité
 - Rappels des leviers de régulation sur le médicament : prix, volume, clause de sauvegarde
 - Evolution des CA des médicaments tout confondu / CA net des reversements
 - **Dédommagements Ind et RH mises en place ES : valeurs en adéquation?**

Dédommagements Industriels et RH mises en place ES : valeurs en adéquation?

Exemple pour 1 ES

- Dédommagements période 07/2021 – 01/2025 :
 - Environ 280 k€
- Dépenses période 07/2021 – 01/2025 :
 - Environ 70 k€
 - Comptabilisé : 1ETP ARC
 - Non comptabilisé : Temps médecin + 0,4 ETP phien + 6 mois d'ARC
- Solde période 07/2021 – 12/2024 :
 - Crédeur légèrement

Dédommagements Industriels et RH mises en place ES : valeurs en adéquation?

Questions

- Comptes Equilibrés ? **oui mais** pas au début ;
 - Premier dédommagement 27/02/2023 soit à 18 mois
 - nécessité de provisionner pendant près de 2 ans
- Comptes Equilibrés ? **oui mais** combien de temps, Pérennité du système ?
 - Fortes incertitudes sur les Recettes des dédommagements :
 - Négociations DGOS – Ind Med – Fédérations Hospitalières et Syndicats
 - Expérimentation HAS et IA dans la collecte de données sur l'accès précoce
 - Fortes certitudes sur les Dépenses : CDI ARC engagé

Conclusions

- **Accès dérogatoire : Accès précoce**
 - Accès patients Réussite? : Réponse claire OUI
- **Innovation thérapeutique AD : soutenabilité ?**
 - point de vue ES ?
 - Possible
 - Point de vue de la collectivité?
 - Possible
 - Système stable
 - Comme toujours non beaucoup d'incertitudes