

Expert witness of the day

Grand Témoin
du jour

Lionel Collet
Haute Autorité de
santé

En préambule de son intervention, le président de la Haute Autorité de Santé (HAS) a rappelé que son institution ne joue pas un rôle de régulateur au sens strict du terme, dans la mesure où sa mission principale est d'aider à la régulation en évaluant l'apport des produits de santé dans la stratégie thérapeutique et d'établir les référentiels garantissant la qualité du système de santé. Ainsi, la HAS n'est pas une autorité décisionnaire mais apporte des évaluations, avis et recommandations essentielles à cet égard.

La HAS est consciente des défis et opportunités qu'apportent les méthodologies innovantes dans le domaine de la santé. Lors de la journée, plusieurs points ont été abordés concernant les méthodologies d'évaluation des médicaments. Par exemple, l'évolution des études proposées pour les prises en charge a montré une diminution des études pivot, passant de 80% à 50% selon la FDA. En France, une comparaison des périodes 2010-2015 et 2015-2020 a révélé que les études en oncologie avec des données comparatives sont passées de 80% à 75%, et une augmentation notable des études de phase 2 a été observée depuis 2024. Cependant, dans 52% des cas, les comparateurs utilisés ne répondent peu ou pas aux attentes de la HAS.

La HAS a intégré ces nouvelles méthodologies dans sa doctrine depuis 2013, notamment en

permettant l'utilisation d'autres types d'études sous certaines conditions.

Par exemple, il est attendu des industriels qu'ils justifient l'absence d'une étude contrôlée randomisée et qu'ils choisissent le comparateur adéquat en amont du lancement de l'étude. Cela est nécessaire pour valider des traitements sur des données incomplètes et pouvoir après quelques mois réévaluer les données, lever l'incertitude, voire relever le score d'ASMR (Amélioration du service médical rendu), nous permettant ainsi une analyse rigoureuse.

Ainsi, pour améliorer encore ses évaluations, la commission de la transparence a mis en place un groupe de travail pour définir les critères sur lesquels ses experts veulent pouvoir réévaluer les produits validés en accès précoce et ainsi lever l'incertitude. Ils identifient plusieurs points de vigilance : le schéma d'étude, les critères des industriels et les délais dans lesquels les données complémentaires leur seront fournis.

Conclusion

La HAS reste engagée à adopter des méthodologies innovantes tout en exigeant des études de qualité et robustes. Elle recommande aux industriels de continuer à progresser dans ces nouvelles approches tout en maintenant des standards élevés. La mission de la HAS est d'évaluer les produits de santé pour garantir leur remboursement, toujours dans l'intérêt du patient et de la solidarité nationale.