



# Comprendre l'évaluation des technologies de santé à la Haute Autorité de santé (HAS)

Support de formation pour les associations de patients et d'usagers



Novembre 2022



Lien vers un contenu externe



Lien dans le document



# Acronymes

## Acronymes utilisés à la Haute Autorité de santé

**CEESP** : Commission évaluation économique et santé publique  
**CRPPI** : Commission recommandation, pertinence, parcours et indicateurs  
**CNEDiMTS** : Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé  
**CT** : Commission de la transparence

## Autres acronymes

**ANSM** : Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé  
**AMM** : Autorisation de mise sur le marché  
**AP** : Accès précoce  
**ASA** : Amélioration du service attendu  
**ASMR** : Amélioration du service médical rendu  
**ASR** : Amélioration du service rendu  
**CEPS** : Comité économique des produits de santé  
**CNAM** : Caisse nationale de l'Assurance maladie  
**DM** : Dispositif médical

**HAS** : Haute Autorité de santé  
**SEAP** : Service évaluation des actes professionnels  
**SED** : Service évaluation des dispositifs  
**SEM** : Service évaluation des médicaments  
**SEU** : Service engagement des usagers

**EMA** : Agence européenne des médicaments (European Medicines Agency)  
**ETS** : Évaluation des technologies de santé  
**IRM** : Imagerie par résonance magnétique  
**LPPR** : Liste des produits et prestations remboursables  
**SA** : Service attendu  
**SMR** : Service médical rendu  
**SR** : Service rendu  
**UE** : Union européenne  
**UNCAM** : Union nationale des caisses de l'Assurance maladie

# Support de formation pour les associations de patients et d'usagers

Associations de patients et groupes d'usagers, ce support vous est destiné.

Il vous aide à comprendre l'évaluation des technologies de santé (ETS) à la Haute Autorité de santé (HAS) : évaluation des médicaments, des dispositifs médicaux et des actes professionnels. Il vous explique ensuite comment contribuer à ces évaluations.



## Pour qui ?

- Associations de patients, agréées ou non
- Groupes d'usagers
- Usagers qui font partie d'une association agréée de patients



## Quel contenu ?

### **Comprendre l'ETS et le rôle de la HAS**

Définitions clés

- Module 1 : La HAS
- Module 2 : L'ETS
- Module 3 : Parcours d'une technologie de santé
- Module 4 : Nouveau règlement européen

### **Participation des usagers à l'ETS à la HAS**

- Module 5 : Votre participation en pratique
- Module 6 : Attentes de la HAS et conseils de méthode

### **Glossaire**



## Comment l'utiliser ?

- Chaque module de chaque bloc peut être utilisé séparément.
- Chaque diapositive détaille le contenu minimal à connaître sur le sujet.
- Les commentaires associés à la diapositive vous permettent d'aller plus loin.

# Sommaire global des modules de formation

## 1. Comprendre l'ETS et le rôle de la HAS

Module 1 : La Haute Autorité de santé (HAS) +

Module 2 : Évaluation des technologies de santé (ETS) +

Module 3 : Parcours d'une technologie de santé +

Module 4 : ETS dans le cadre du nouveau règlement européen +

## 2. Participation des usagers à l'ETS à la HAS

Module 5 : Votre contribution en pratique +

Module 6 : Attentes de la HAS et conseils de méthodes +



# Contacts

Nous espérons que vous apprécierez cette formation !

Nous souhaitons que ce support facilite vos participations aux évaluations des technologies de santé à la HAS.

N'hésitez pas à nous faire part de vos commentaires ou questions, nous sommes à votre écoute.



01 55 93 71 18



contact.contribution@has-sante.fr



**Nous remercions l'équipe de développement de cet outil de formation :**

- Groupe de travail : 13 usagers
- Collaboration interne : 11 membres de 6 services de la HAS
- Relecteurs externes : 14 usagers



# Technologie de santé (TS)

## ... ○ Définition

Toute intervention pouvant être utilisée pour promouvoir la santé, prévenir, diagnostiquer ou traiter une maladie, faire de la rééducation ou fournir des soins de longue durée.

### Cela inclut :

- Médicaments
- Dispositifs et d'autres technologies
- Actes professionnels
- Programmes de santé publique

# L'évaluation des technologies de santé (ETS)

## ... o Définition

Processus scientifique fondé sur des données probantes...



...qui permet aux autorités compétentes (la HAS en France) d'apprécier **l'efficacité relative** des technologies de santé nouvelles ou existantes

## ... o Objectif

- donner un avis au décideur public sur la valeur ajoutée par rapport à d'autres technologies.

*NB. Efficacité relative : Il s'agit d'apprécier l'efficacité d'une technologie de santé par rapport à une autre, lorsqu'elle est fournie dans des circonstances idéales.*

# L'évaluation des technologies de santé (ETS) - Deux temps

En vue de la définition commune européenne

L'évaluation s'effectue en 2 temps : un temps d'examen critique des preuves scientifiques et un temps de délibération ou d'appréciation où ces preuves sont examinées au regard du contexte dans lequel le produit sera utilisé.

En anglais, les termes « *assessment* » et « *appraisal* » sont utilisés au niveau européen (***merci de consulter le module 4 pour plus d'informations***)<sup>+</sup>

... ○ **Évaluation (*Assessment*)** 

L'examen critique des preuves scientifiques



... ○ **Appréciation (*Appraisal*)** 

Prise de décision qui englobe les questions de coût et d'autres impacts de la technologie dans la société.

↓  
Par les services de la HAS

↓  
Au sein des commissions spécialisées de la HAS

# Les différents groupes d'usagers et de patients

Termes utilisés dans ces modules de formation

*Pour l'ensemble des modules, les termes suivants seront utilisés selon les définitions ci-dessous :*

➤ **Association :**

- *Concerne toute association loi 1901 ayant pour objet de défendre les intérêts de malades ou d'usagers du système de santé*
- *Sauf si spécifiée autrement, cette association peut être agréée ou non*

➤ **Groupe d'usagers :**

- *Fait référence à des groupes d'usagers organisés sous forme de collectifs (maladie ou situation émergentes le plus souvent)*

➤ **Membre d'association :**

- *Concerne les adhérents d'une association*
- *Pour être membre de certaines commissions réglementées de la HAS, il est indispensable d'être adhérent d'une association agréée de malades et d'usagers du système de santé*



# Bloc 1

## Comprendre l'évaluation des technologies de santé et le rôle de la HAS

# Sommaire du bloc Comprendre l'ETS et le rôle de la HAS

## 1. La Haute Autorité de santé (HAS)

- Missions et valeurs
- Organisation pour l'ETS
- Définitions et valeurs relatives aux usagers

## 2. Évaluation des technologies de santé

- Définitions clés
- Contexte dans le système de santé

## 3. Parcours d'une technologie de santé

- Médicament
- Dispositif médical
- Acte professionnel

## 4. Évaluation des technologies de santé

- Contexte
- Calendrier

dans le cadre du nouveau règlement européen

En savoir  cliquez !



# Module 1

## La Haute Autorité de santé (HAS)

Missions et valeurs  
Organisation  
Définitions et valeurs relatives aux usagers

# Objectifs du module 1

**1** **Connaître les missions et valeurs** de la Haute Autorité de santé (HAS)

**2** **Appréhender l'organisation des instances** de la HAS qui s'occupent de la mission « Évaluation des technologies de santé »

**3** Comprendre **pourquoi il est important que les usagers participent** à l'ETS à la HAS et quelles sont les valeurs associées à leur participation.

# Missions et valeurs de la HAS

La Haute Autorité de santé (HAS) est une **Autorité publique indépendante à caractère scientifique**. Elle vise à développer la qualité dans le champ sanitaire, social et médico-social.

Elle a trois missions principales.

Cet outil de formation concerne **la première**.

## Trois missions



**Évaluer** les médicaments, dispositifs médicaux et actes professionnels en vue de leur remboursement



**Recommander** les bonnes pratiques professionnelles, élaborer des recommandations vaccinales et de santé publique



**Mesurer et améliorer** la qualité dans les hôpitaux, cliniques, en médecine de ville, et dans les structures sociales et médico-sociales

## Trois valeurs

Rigueur scientifique  
Indépendance  
Transparence



Vidéo de présentation de la HAS (durée : 2 min)

# Rôles des commissions et services d'ETS

## Commission de la transparence (CT)

Avis sur les médicaments  
Autorisations d'accès précoce



Service évaluation  
des médicaments  
(SEM)

## Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP)

Avis d'efficacité sur certains  
médicaments, DM,  
recommandations de santé  
publique



Service évaluation des  
dispositifs médicaux  
(SED)

## Commission d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS)

Avis sur les dispositifs médicaux  
(DM) et d'autres technologies de  
santé, des actes professionnels



Service évaluation des  
actes professionnels  
(SEAP)

## Commission recommandations, pertinence, parcours et indicateurs (CRPPI)

Avis sur les actes professionnels



Hors périmètre de la  
formation

## Commission technique de la vaccination (CTV)

Avis et recommandations  
vaccinales



CEESP



Service évaluation de  
santé publique et  
évaluation vaccinale  
(SESPEV)

# ETS à la HAS : donner un avis au décideur public



**Service engagement des usagers (SEU) :**  
Appui pour la participation des associations  
ou groupes dans la société civile

[Organigramme  
complet](#)



# Le rôle d'un usager siégeant dans une commission d'ETS\*



\* Commission d'Évaluation des technologies de santé (ETS) de la HAS : CT, CNEDiMTS, CRPPI, CEESP

## Qui est-il ?

Quelqu'un qui intervient en qualité d'**adhérent d'une association de malades et d'usagers** du système de santé dans les commissions réglementées pour l'ETS, l'association doit être agréée.

## Rôle

- **Participation aux discussions** sur la technologie examinée, en privilégiant les enjeux pour les patients.
- **Présentation orale des contributions** associatives transmises à la HAS
- **Droit de vote** comme les autres membres des commissions, concernant l'avis rendu par la commission sur la technologie examinée

*Il porte le point de vue des patients et non pas d'une association dans une commission. Il est nommé par le Collège de la HAS pour une durée de 3 ans.*

*Pour en savoir plus sur la participation des usagers **au-delà** de ceux qui siègent dans les commissions ETS, merci de consulter [le module 5](#).*



En savoir  cliquez !



# Module 2

## Évaluation des technologies de santé

Définitions clés  
Contexte dans le système de santé

# Objectifs du module 2

**1** Définir « technologie de santé »

**2** Comprendre en quoi consistent les « évaluations des technologies de santé »

**3** Retenir l'objectif de l'évaluation des technologies de santé à la HAS

# Exemples de technologies de santé

## 1. Des produits de santé



- **Médicaments** (par ex. comprimés, solutions buvables, injections par voie sous-cutanée ou intraveineuse)



- **Dispositifs médicaux et autres technologies** (par ex. une pompe à insuline, une prothèse de hanche ou un fauteuil roulant)



## 2. Des interventions de santé



- **Actes professionnels** (par ex. chirurgie, examens réalisés en laboratoire d'analyses médicales)



- **Programmes de prévention des maladies\*** (par ex. : programme de dépistage ou de vaccination)

*\*Hors périmètre des modules de formation*

En savoir  cliquez !

# L'évaluation d'une technologie de santé vient après la recherche

## Recherche

Production et développement de connaissances scientifiques. Cela peut impliquer des volontaires sains ou malades.



Preuves scientifiques



## Evaluation

Jugement dans un objectif précis selon des critères définis *a priori*, par exemple la valeur, l'efficacité et l'impact d'un produit ou d'une intervention de santé dans la société.

Utilisation des preuves scientifiques



# L'évaluation des technologies de santé (ETS)

## ... o Définition

Processus scientifique fondé sur des données probantes...



...qui permet aux autorités compétentes (la HAS en France) d'apprécier **l'efficacité relative** des technologies de santé nouvelles ou existantes

## ... o Objectif

- donner un avis au décideur public sur la valeur ajoutée par rapport à d'autres technologies.

*NB. Efficacité relative : Il s'agit d'apprécier l'efficacité d'une technologie de santé par rapport à une autre, lorsqu'elle est fournie dans des circonstances idéales..*

# La HAS évalue les produits de santé et actes en vue de leur remboursement ou d'un financement par la solidarité nationale

Champ d'action de la HAS dans l'ETS

**Évaluation *en vue du remboursement***

=

utilisation des preuves scientifiques  
+  
prise en compte du contexte  
d'utilisation de ces produits ou actes

... ○ Quelle finalité ?



Rendre un avis sur le **service** (médical) **rendu** ou **attendu**



**Parfois accompagné d'un avis économique**

Rendre un avis sur l'**efficience médico-économique** (rapport entre le coût et les bénéfices en santé)

# La HAS évalue les médicaments en vue d'une autorisation d'accès précoce

Champ d'action de la HAS d'ETS

**Évaluation en vue  
d'une autorisation  
d'accès précoce**

=

utilisation des preuves scientifiques  
+  
prise en compte du contexte  
d'utilisation du médicament

... ○ Quelle finalité ?



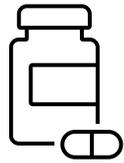
Prendre **une décision  
d'autorisation d'accès  
précoce à un médicament**  
par le Collège de la HAS

*\*Les éléments autour de l'évaluation (voir notes en bas)*

# L'ETS : une mission réglementaire de la HAS



Évaluer les médicaments, dispositifs médicaux et actes professionnels en vue de leur remboursement



## ... o Médicaments

Code de la sécurité sociale:

*art R. 163-18*

*art. R. 163-3*

*art. R. 163-1*



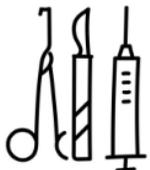
## ... o Dispositifs médicaux

Code de la sécurité sociale:

*art L. 165-11*

*art. R. 165-2*

*art. R. 165-49*



## ... o Actes professionnels

Code de la sécurité sociale:

*art. L.161-37*

*art. L.162-1-7*

*art. R. 162-52-1*

Code de la santé publique

*art. L1151-1*

*art. L1151-3*



# Module 3

## Parcours d'une technologie de santé

Médicament  
Dispositif médical  
Acte Professionnel

# Objectifs du module 3

**1** Appréhender les différentes étapes du parcours d'un médicament

**2** Comprendre les différentes étapes du parcours d'un dispositif médical

**3** Connaître les différentes étapes d'évaluation d'un acte professionnel

**4** Identifier les étapes où les associations de patients et d'usagers peuvent intervenir

# Les acteurs dans ce module



Industriel / fabricant



Patients et usagers



Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé



Organismes professionnels



Haute Autorité de santé



Agence européenne des médicaments



Ministère de la santé et de la prévention



Comité économique des produits de santé



Union nationale des caisses d'assurance maladie

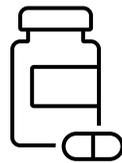
# Définition d'un médicament



- ... ○ Le code de la santé publique (article L.5111-1) définit ainsi le médicament :  
« [tout produit] possédant des propriétés curatives ou préventives [...], ainsi que [tout produit] en vue d'établir un diagnostic médical [...],



## Exemples :



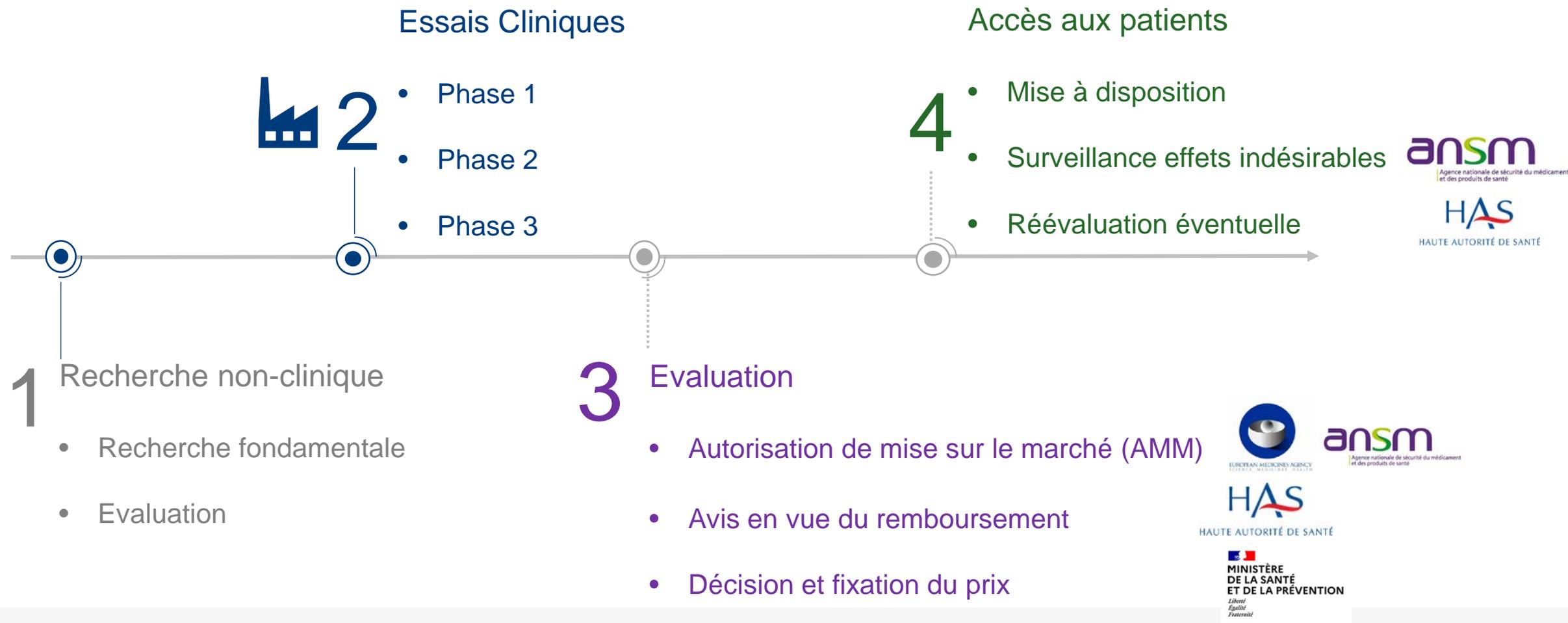
- En curatif : traitement antibiotique
- En préventif : vaccin
- Pour le diagnostic : produits radiopharmaceutiques



# Le parcours d'un médicament en France

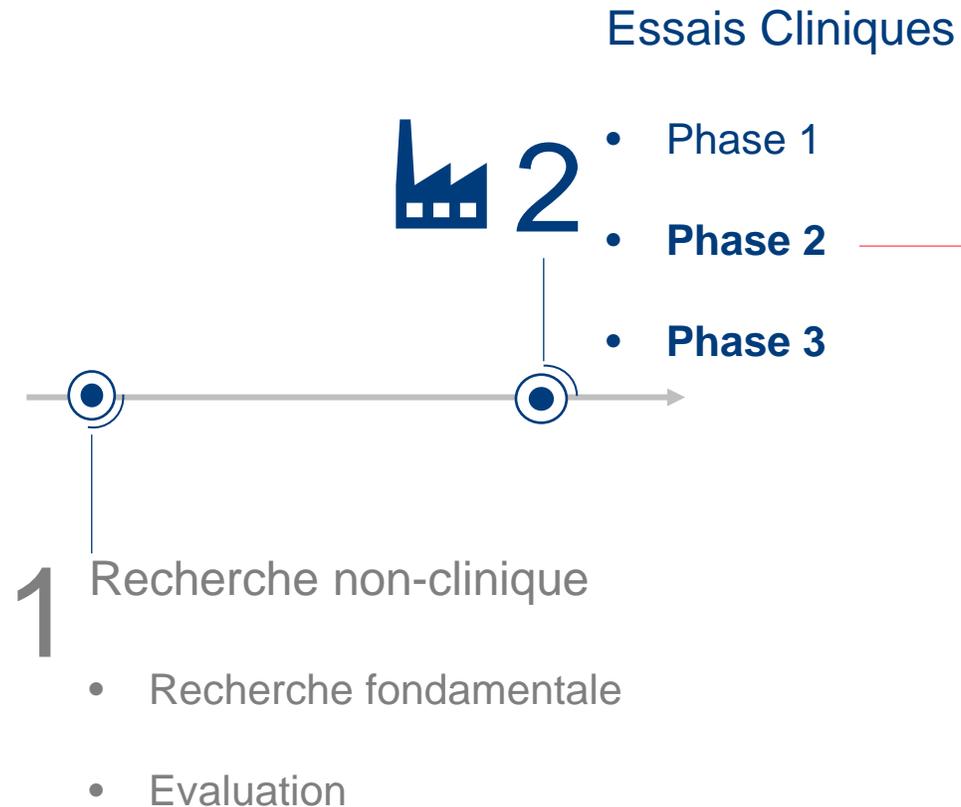


Jusqu'à son accès pour les patients



# Le parcours d'un médicament en France

La recherche pour produire des connaissances scientifiques



## 2 Essais Cliniques (Phases 2 + 3)



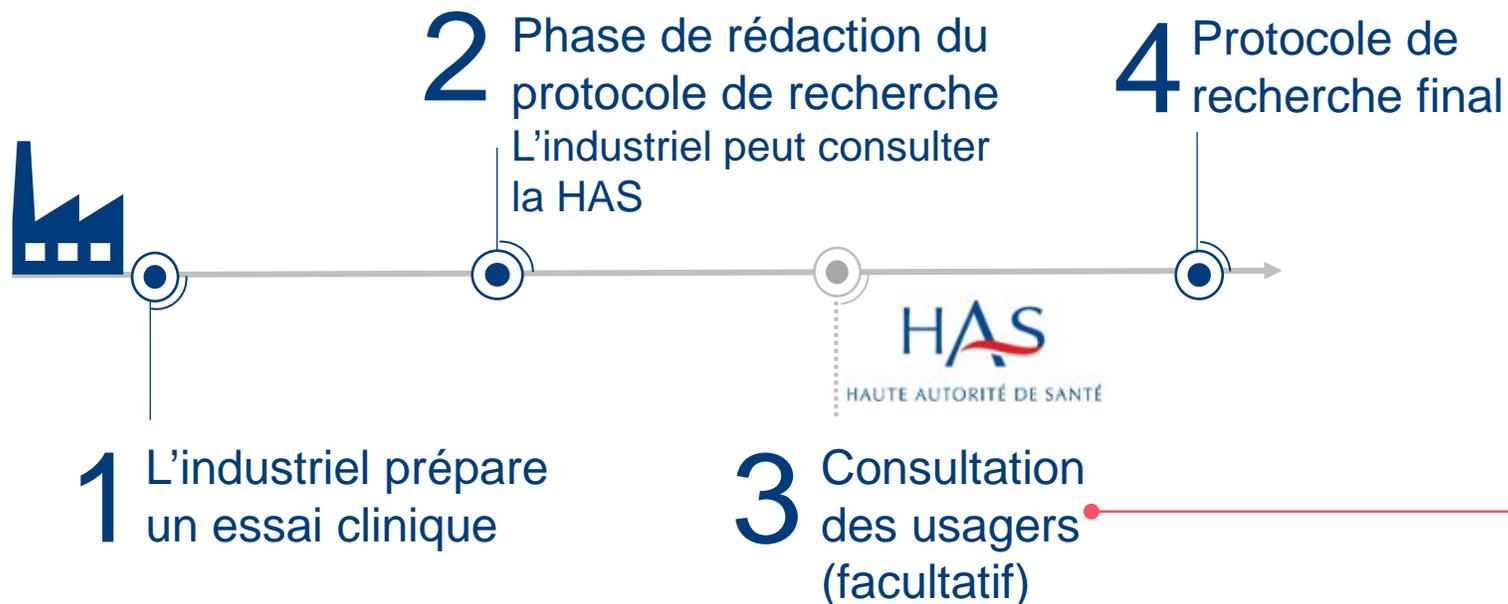
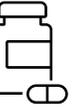
Les industriels peuvent solliciter la HAS pour discuter dans les rencontres précoces nationales :

- Plan de recherche qu'ils doivent développer

**L'objectif** : apporter les éléments qui sont nécessaires pour l'évaluation en vue du remboursement.

# Les usagers participent aux « Rencontres précoces nationales »

Pour un médicament en cours de développement clinique



## 3 Consultation (facultatif)



Le service « Évaluation des médicaments » instruit la demande et rédige la réponse.



**La HAS prend l'avis des usagers**  
**Entretiens individuels (1h) HAS +**  
membre d'une association

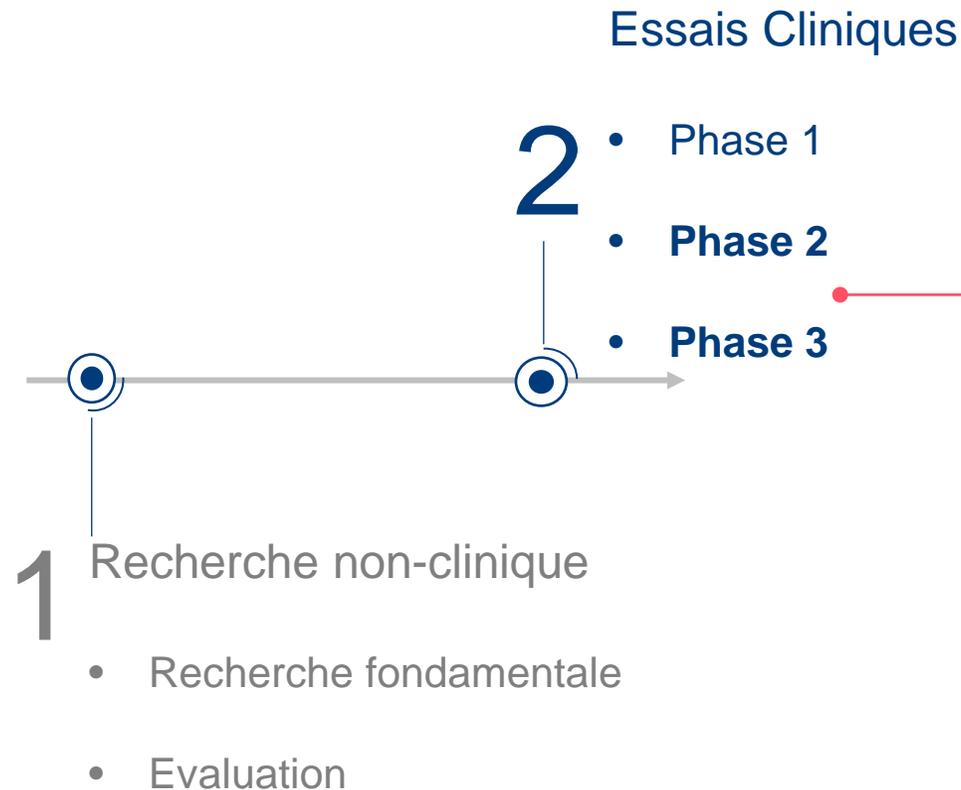
**Objectif :** Fournir aux entreprises qui les sollicitent des recommandations sur le développement de recherche clinique des médicaments pour améliorer leur rigueur et leur performance.

**Démarche facultative** pour les industriels.  
**L'avis rendu par la HAS est consultatif.**

# Le parcours d'un médicament en France



Proposer un accès précoce tout en continuant la recherche



## 2 Essais Cliniques (Phase 2 + 3)



### Autorisation d'accès précoce pré-AMM :

**L'objectif :** Permettre aux patients en impasse thérapeutique de bénéficier, à titre exceptionnel et temporaire (1 an, renouvelable) de médicaments présumés innovants avant l'obtention de l'AMM

### Critères d'éligibilité pour l'accès précoce :

- le médicament traite une maladie grave et invalidante ;
- il n'existe pas de traitement approprié ;
- ce médicament est présumé innovant ;
- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.

# Les usagers participent aux « évaluations en réponse aux demandes d'autorisation d'accès précoce pré-AMM »

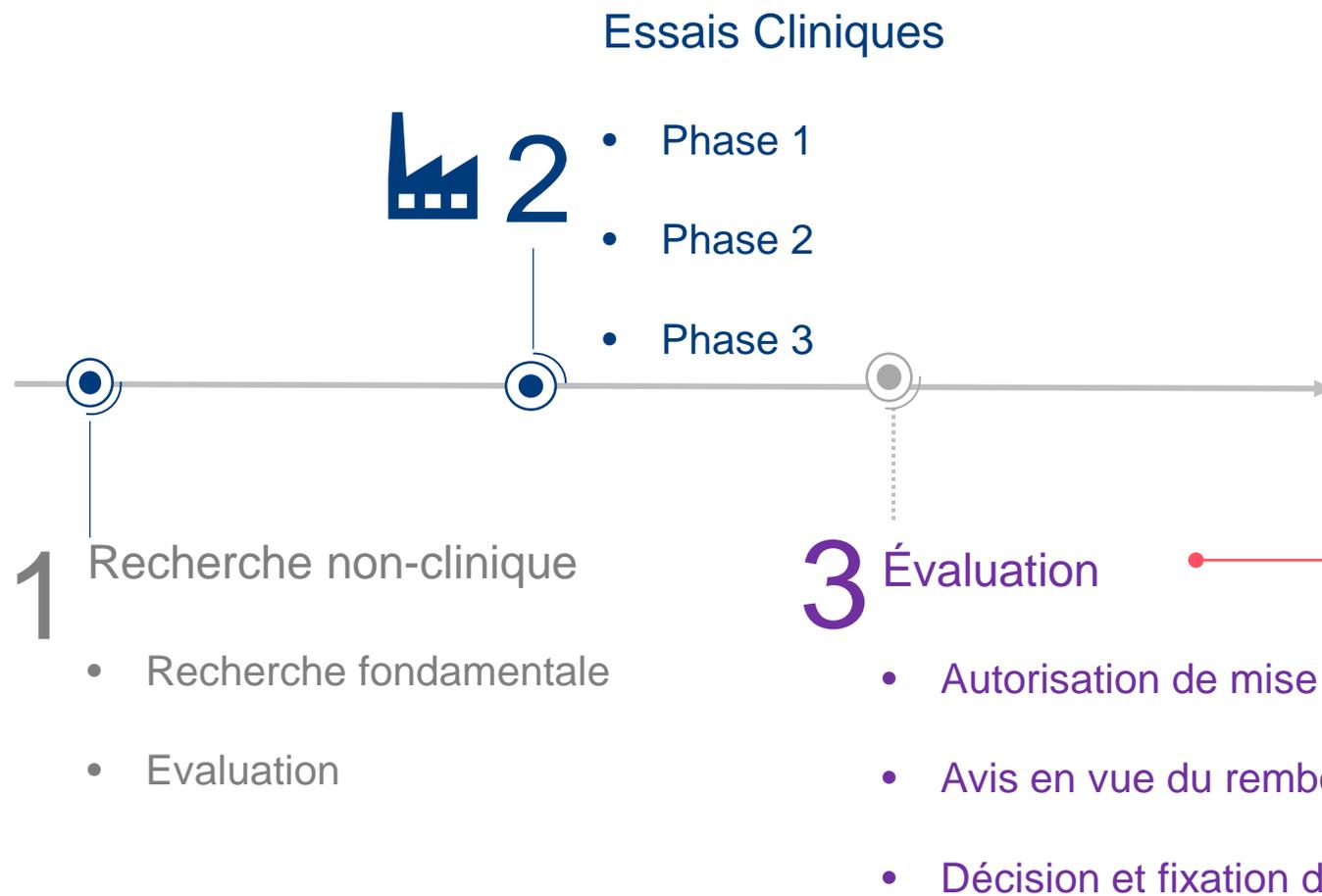


\*Le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (voir notes en bas)

# Le parcours d'un médicament en France



En attendant la fixation du prix et le remboursement



## 3 Evaluation



### Autorisation d'accès précoce post-AMM :

**L'objectif :** Pour permettre aux patients en impasse thérapeutique de bénéficier, à titre exceptionnel et temporaire (1 an, renouvelable) des médicaments ayant l'AMM, présumés innovants, avant leur admission au remboursement

### Critères d'éligibilité :

- le médicament traite une maladie grave et invalidante ;
- il n'existe pas de traitement approprié ;
- ce médicament est présumé innovant ;
- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.



# Les usagers participent aux « évaluations en réponse aux demandes d'autorisation d'accès précoce post-AMM »



## 2 Evaluation + Appréciation



Le service « Évaluation des médicaments » évalue et prépare le dossier pour l'appréciation par la Commission de la Transparence de la HAS.

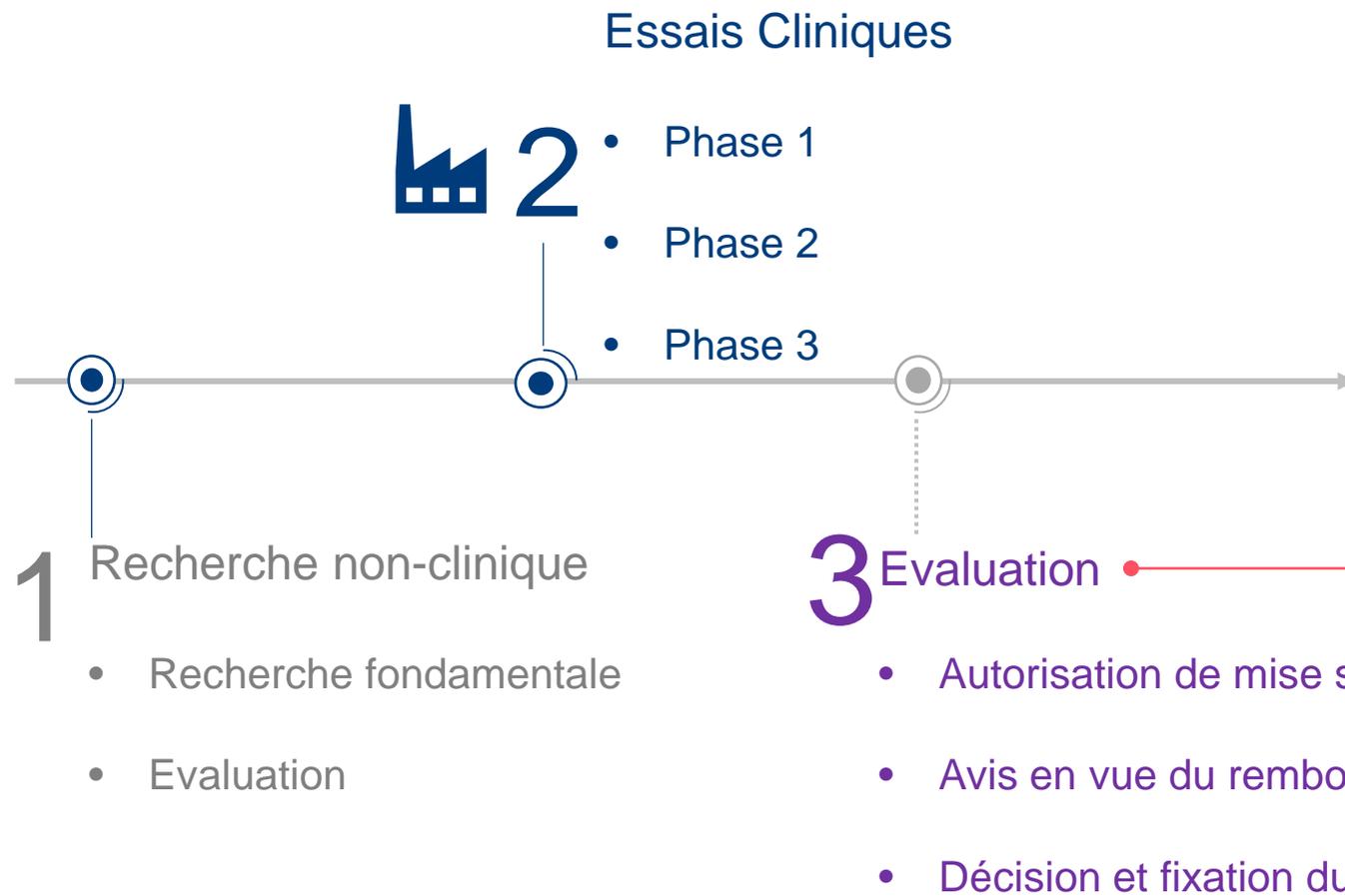


**La HAS prend l'avis des associations**  
**Contribution écrite, audition possible**

# Le parcours d'un médicament en France



En vue du remboursement (droit commun)



## 3 Evaluation



**Avis en vue du remboursement (Demande d'inscription sur la liste des produits remboursables) :**

**L'objectif :** Pour permettre aux patients de bénéficier du remboursement d'un traitement par l'Assurance maladie.

**Critères d'éligibilité du médicament :**

- Service médical rendu (SMR) : *il sert à déterminer le taux de remboursement;*
- Amélioration du service médical rendu (ASMR) et avis économique : *ils participent à la fixation du prix.*



# Le parcours d'un médicament en France

Jusqu'à son accès pour les patients



## 4 Accès aux patients

**Réévaluation éventuelle d'un médicament :**

**L'objectif :** Réévaluation selon les situations suivantes : modification des conditions de l'inscription en fonction des nouvelles données cliniques disponibles pour permettre aux patients de bénéficier du remboursement d'un traitement par l'Assurance maladie.

**Critères d'éligibilité du médicament :**

- Service médical rendu (SMR) : *il sert à déterminer le taux de remboursement;*
- Amélioration du service médical rendu (ASMR) et avis économique : ils participent à la fixation du prix.

# Les usagers participent aux « Évaluations en vue du remboursement »



## 2 Evaluation + Appréciation



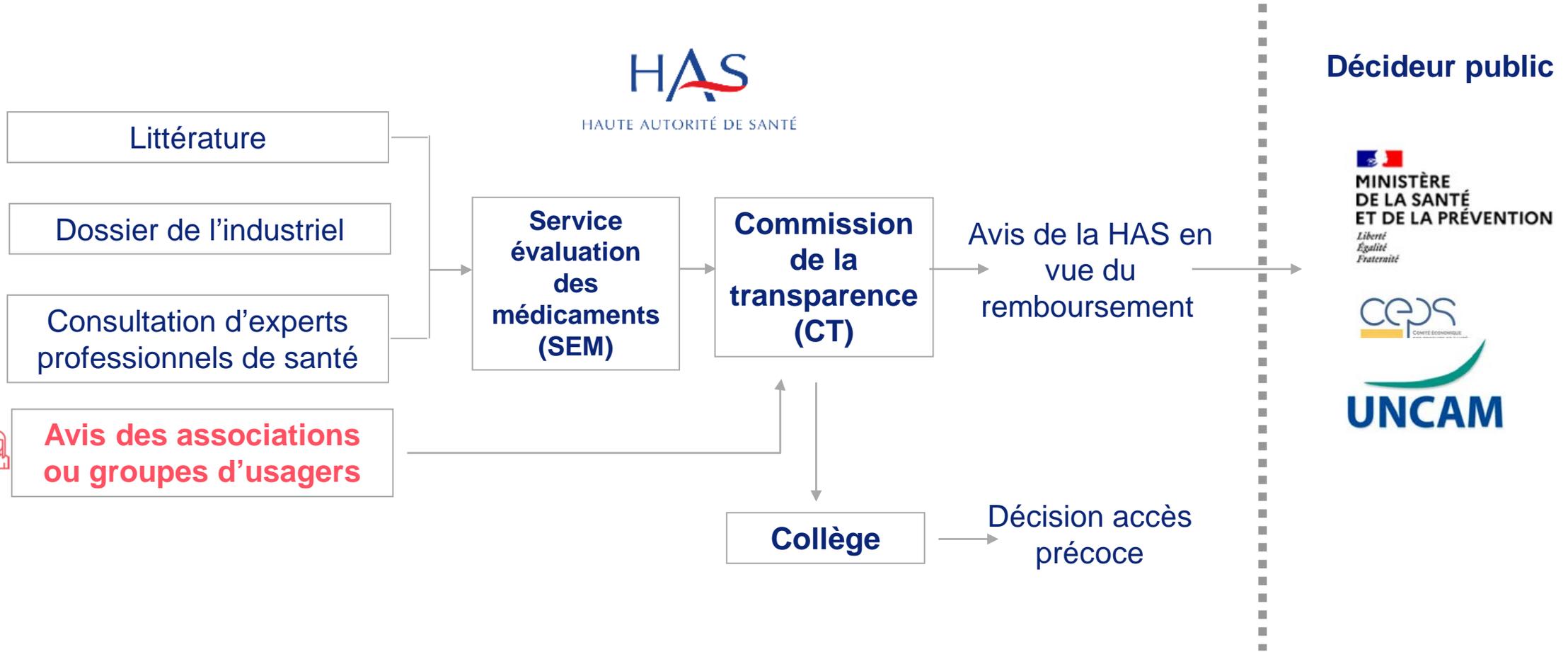
Le service « Évaluation des médicaments » évalue et prépare le dossier pour l'appréciation par la Commission de la Transparence de la HAS qui donne son avis.



**La HAS prend l'avis des associations**  
**Contribution écrite**

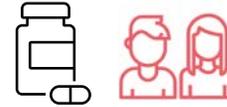
# Les éléments à prendre en compte

Pour une évaluation d'un médicament à la HAS avant décision du ministère



# Résumé de la participation des usagers

Dans le parcours d'un médicament à la HAS



## Rencontres précoces +

Patients ou usagers, à titre individuel  
Une expérience collective au sein d'une association ou d'un groupe d'usagers est appréciée

- Entretiens individuels avec la HAS

## Accès dérogatoire : Accès précoces (pré et post autorisation de mise sur le marché) +

Associations *agrées ou non*

- Questionnaire standardisé,
- Audition possible, commentaires sur le PUT-RD pour les médicaments pré-AMM

## Accès de droit commun : Accès au remboursement et réévaluation +

Associations *agrées ou non*

- Questionnaire standardisé

**Et participation des membres d'association, au sein de la commission de la transparence**

En savoir + cliquez !

# Définition d'un dispositif médical



- ... ○ Définition d'un dispositif médical selon le code de la santé publique (articles L 5211-1 et R 5211-1) :

« tout instrument, appareil, équipement, matière, produit, à l'exception des produits d'origine humaine [...] destiné par le fabricant à être utilisé [...] à des fins médicales dont l'action principale voulue [...] n'est pas obtenue par des moyens pharmacologiques ou immunologiques ni par métabolisme. »



## Exemples :

- Fauteuils roulants
- Prothèses
- Appareils auditifs
- Sondes urinaires
- Implants mammaires
- Stents cardiaques ou intracérébraux



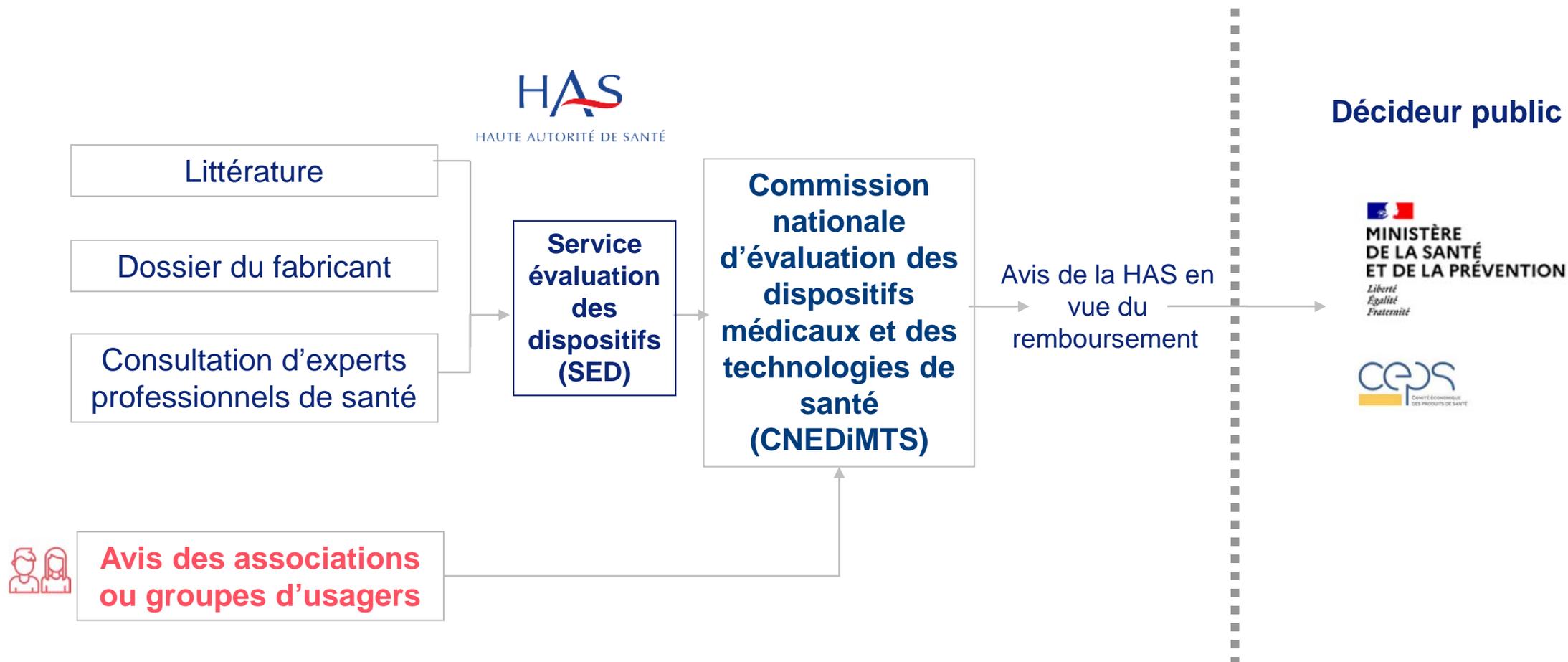
# Le parcours d'un dispositif médical ou technologie de santé en France jusqu'à son accès pour les patients

Pour une évaluation d'un dispositif médical (avec marquage CE)



# Les éléments à prendre en compte

Pour une évaluation d'un dispositif médical (avec marquage CE) en vue d'une décision du ministère



# Le parcours d'un dispositif médical en France

Pour une évaluation d'un dispositif médical (avec marquage CE) en vue d'une décision du ministère



## 2 Evaluation + Appréciation



Le service « Évaluation des dispositifs » évalue et prépare le dossier pour l'appréciation par la CNEDiMTS qui donne son avis.

**L'objectif :** Pour permettre aux patients de bénéficier du remboursement d'un traitement par l'Assurance maladie.

### Critères d'éligibilité du dispositif médical :

- *Service attendu/rendu (SA/SR) : il sert à déterminer si un dispositif médical doit être remboursé ou non*
- *Amélioration du service attendu/rendu (ASA/ASR) : impact sur la fixation du prix du DM, négocié par le CEPS avec le fabricant.*

# Les usagers participent aux « Evaluations en vue du remboursement »

Pour une évaluation d'un dispositif médical (avec marquage CE) en vue d'une décision du ministère



## 2 Evaluation + Appréciation

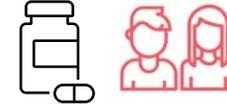


Le service « Évaluation des dispositifs » évalue et prépare le dossier pour l'appréciation par la CNEDiMTS qui donne son avis.



**La HAS prend l'avis des associations**  
Contribution écrite, audition possible

# Résumé de la participation des usagers



Dans le parcours d'un dispositif médical (avec marquage CE)

## Droit commun : Consultation pour avis sur remboursement

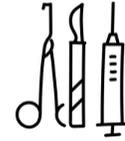
Première inscription ou renouvellement d'inscription sur la liste de produits et de prestations remboursables (LPPR) 

Associations **agrées ou non**

- Consultation de parties prenantes par questionnaire standardisé, auditions possibles **devant la CNEDiMITS dans certains cas**

**Et participation des membres d'associations, au sein de la CNEDiMITS**

# Définition d'un acte professionnel



## ... ○ Définition d'un acte professionnel :

« geste clinique ou technique réalisé par un **professionnel de santé** qui a un but de **diagnostic**, de **prévention**, de **traitement** ou de **rééducation** et concerne aussi bien la médecine de **ville** que **l'hôpital**, les professionnels du secteur **médical** que le **paramédical**. »



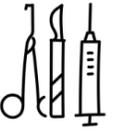
### Exemples d'actes professionnels



- une prise de sang
- un acte de biologie médicale
- un examen d'imagerie (radio, scanner, IRM, etc.)
- une intervention chirurgicale



# L'évaluation d'un acte vise à répondre aux questions suivantes :



...o Pour quoi ?

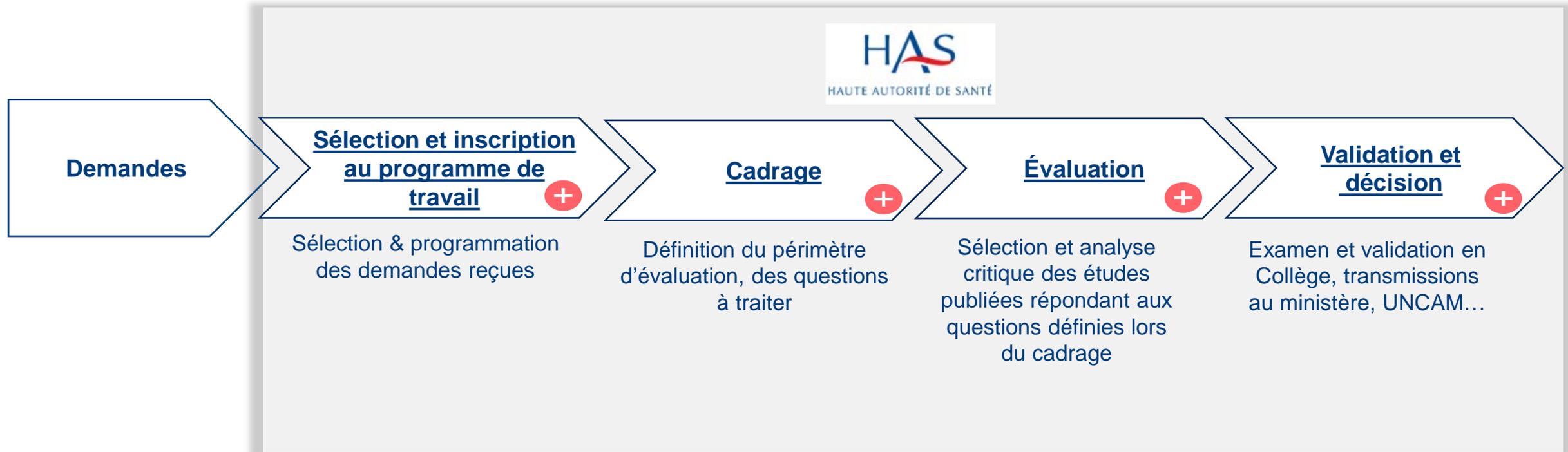
...o Pour qui ?

- Admission au remboursement d'un acte non inscrit ?
- Encadrement des conditions de réalisation d'un acte ?
- Modification des conditions d'inscription d'un acte ?
- Renforcement du bon usage d'un acte ?
- Dangerosité d'un acte esthétique ?
- Radiation d'un acte obsolète ?



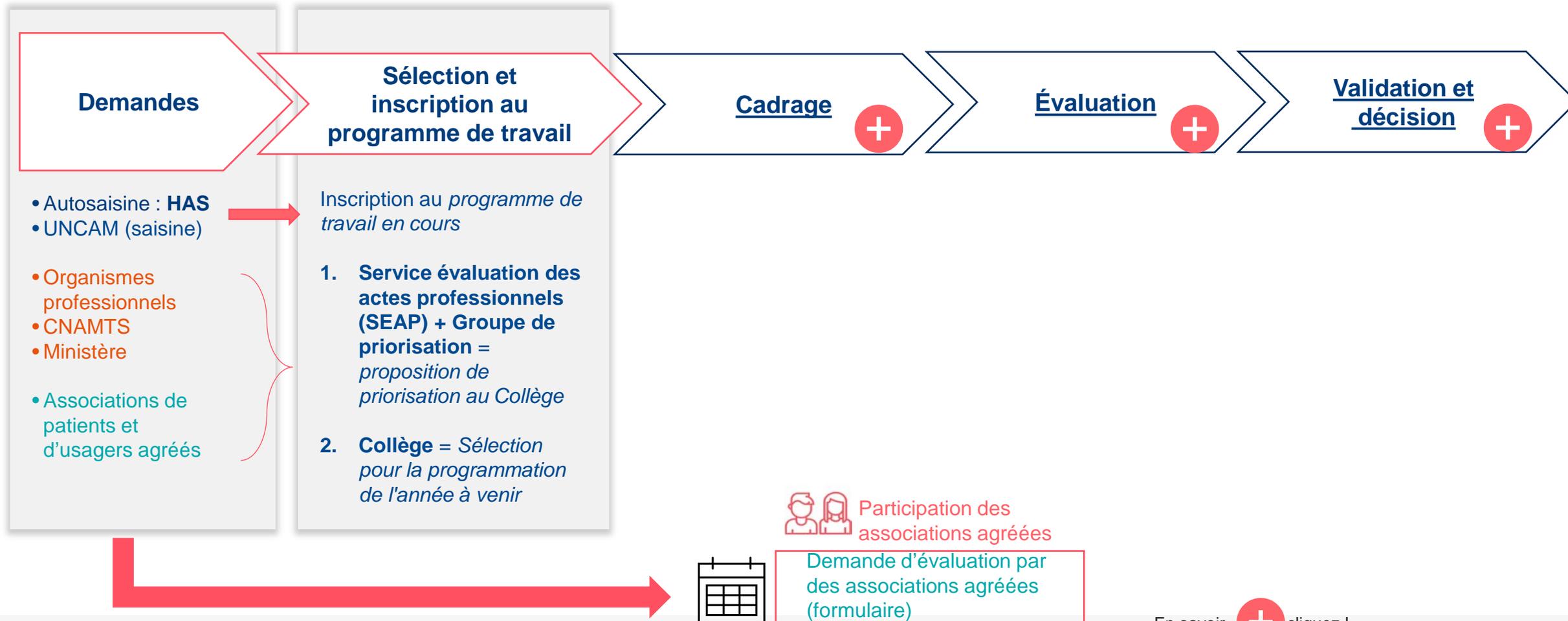
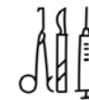
Organismes professionnels

# Objectifs des étapes d'évaluation d'un acte professionnel



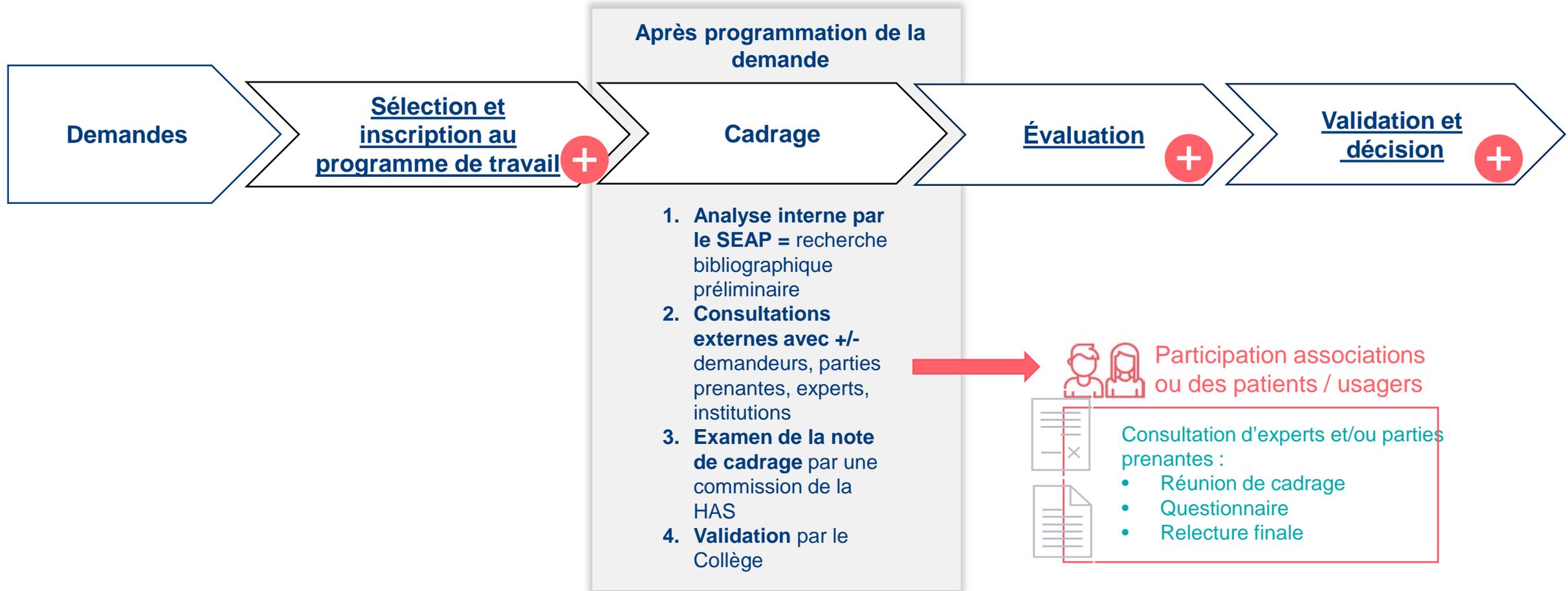
# Etape 1 - Sélection et programmation de l'évaluation d'un acte professionnel

Et comment les usagers peuvent participer



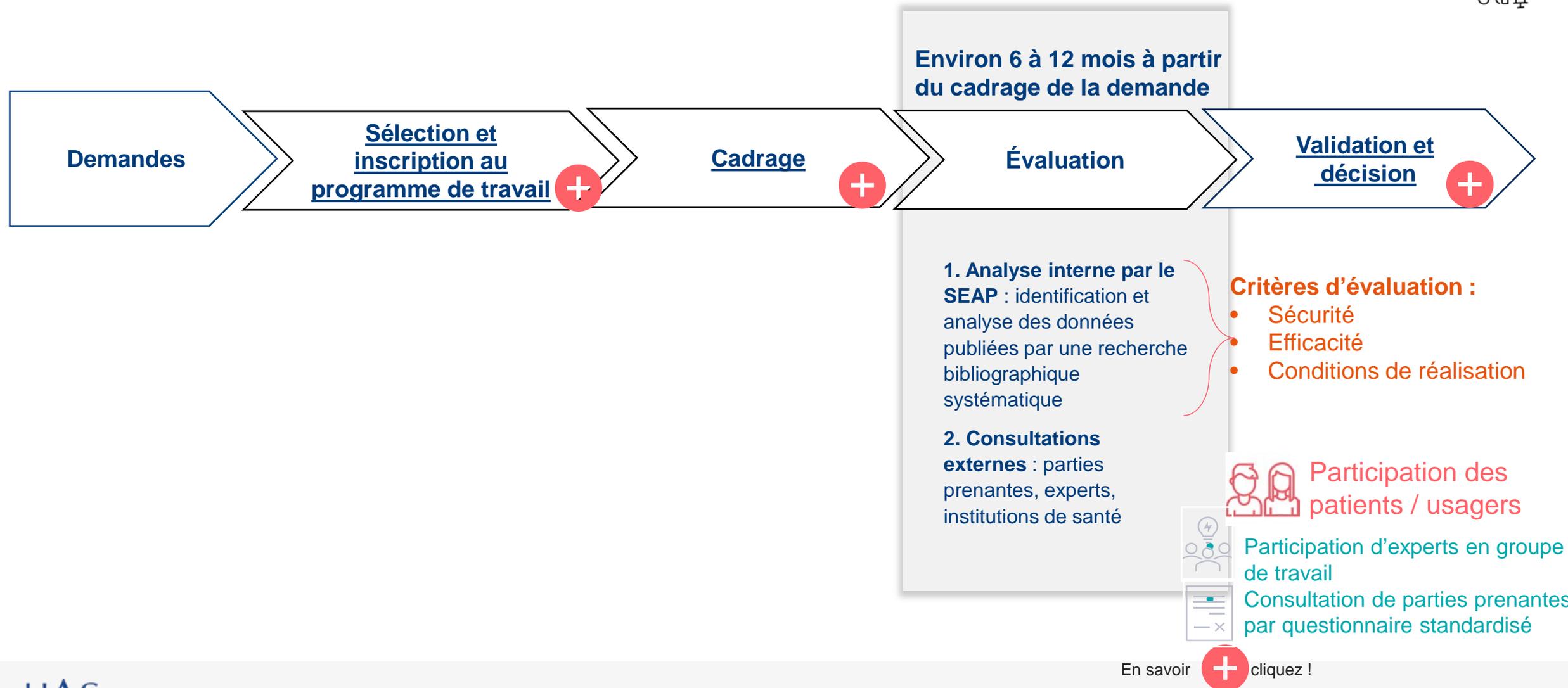
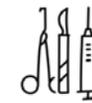
# Etape 2 - Cadrage des demandes programmées d'un acte professionnel

Et comment les usagers peuvent participer

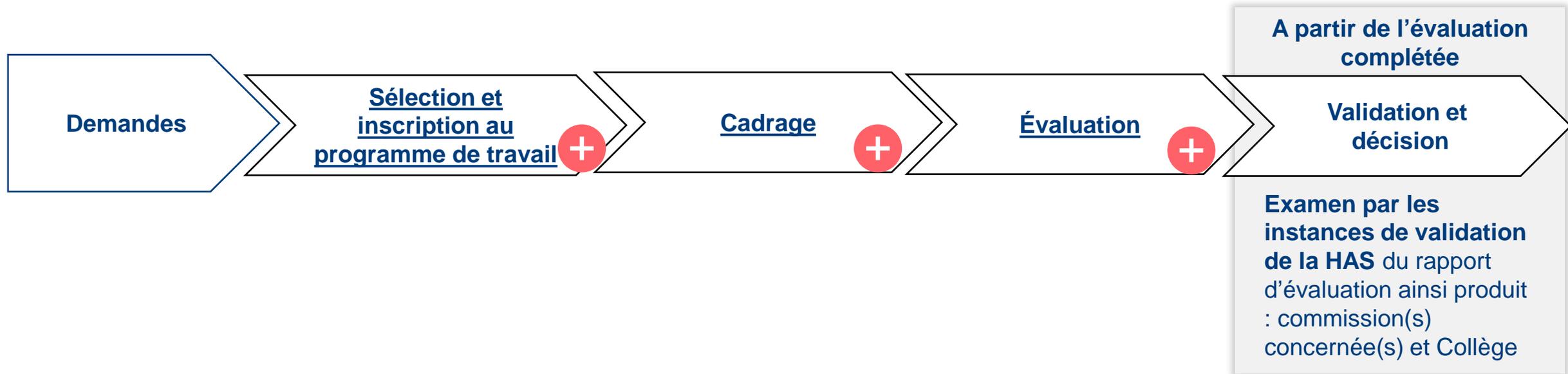


# Etape 3 - Évaluation des demandes cadrées d'un acte professionnel

Et comment les usagers peuvent participer



# Etape 4 - Validation et décision

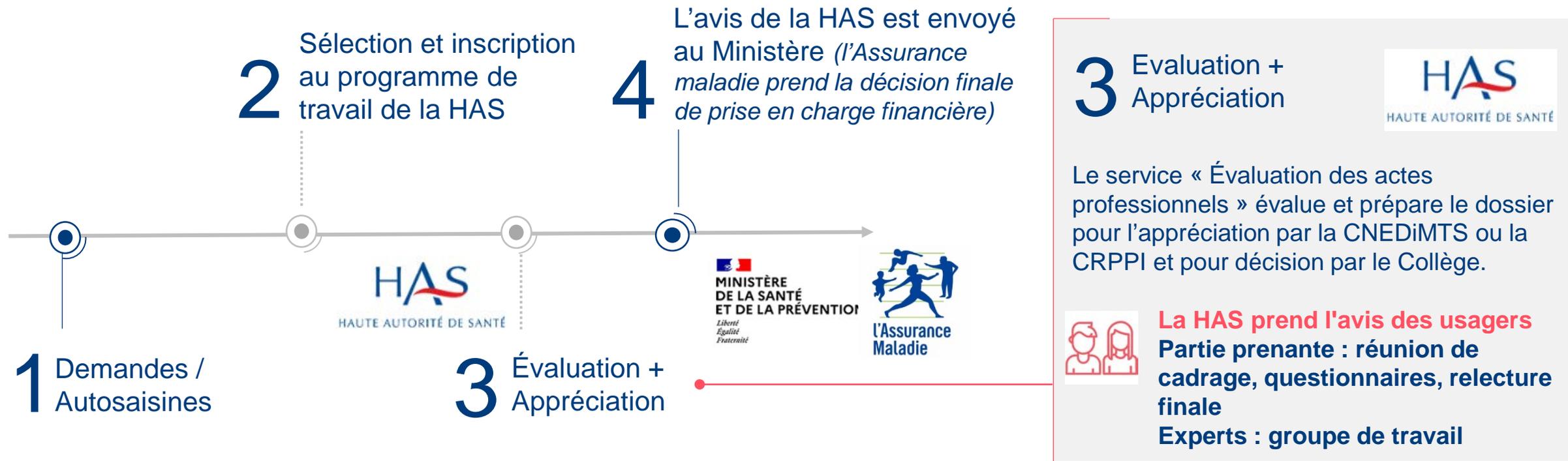


Participation des membres d'associations

- Participation en tant qu'experts au sein de la commission la Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) ou Commission recommandations, pertinence, parcours et indicateurs (CRPPI).

En savoir + cliquez !

# Les usagers participent aux « Évaluations des actes en vue du remboursement »



# Résumé de la participation des usagers à la HAS



Dans la procédure d'évaluation d'un acte professionnel

## Demande d'évaluation pour éventuelles sélection et inscription au programme de travail +

- Associations *agrées*

➤ Formulaire en ligne 

## Cadrage des demandes programmées +

- Associations agréées ou non
- Patient et usager individuel

- Réunion de cadrage
- Questionnaire (associations en tant que parties prenantes)
- Relecture finale

## Evaluation des demandes cadrées +

- Associations agréées ou non
- Patient et usager individuel

- Groupe de travail (experts)
- Questionnaire (associations en tant que parties prenantes)
- Relecture finale

**Et participation des membres d'associations, au sein de la CNEDIMTS et de la CRPPI**

En savoir  cliquez !



# Module 4

## Évaluation des technologies de santé dans le cadre du nouveau règlement européen

Contexte  
Calendrier

# Objectifs du module 4

**1** Être capable de **résumer la différence** entre l'évaluation des médicaments et des dispositifs médicaux **au niveau européen et au niveau national.**

**2** **Connaître les dates clés de la mise en œuvre** du nouveau règlement européen.

# Règlement européen : pourquoi et quel historique ?

## Mutualisation et réutilisation des évaluations des technologies de santé (ETS) au sein de l'Union Européenne (UE)

Historiquement : évaluation pays par pays

Evolution : évaluation clinique commune (UE)

« *Règlement européen ETS 2025* »

- **Niveau UE** : évaluation commune
- **Niveau national** : conclusion, décision



# Règlement européen : de quoi parle-t-on ?



## Partie UE : évaluation commune



## Partie nationale : conclusion, décision



HAS

MINISTÈRE  
DE LA SANTÉ  
ET DE LA PRÉVENTION  
*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

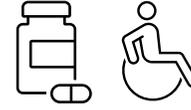
Rapport d'évaluation clinique commune pour les 28 Etats membres « *Joint Clinical Assessment* »

Pour les **médicaments et les dispositifs médicaux**

Ce rapport devra faire partie de la documentation à la disposition des autorités [...] sur laquelle s'appuie le processus national d'appréciation ou « *Appraisal* ».

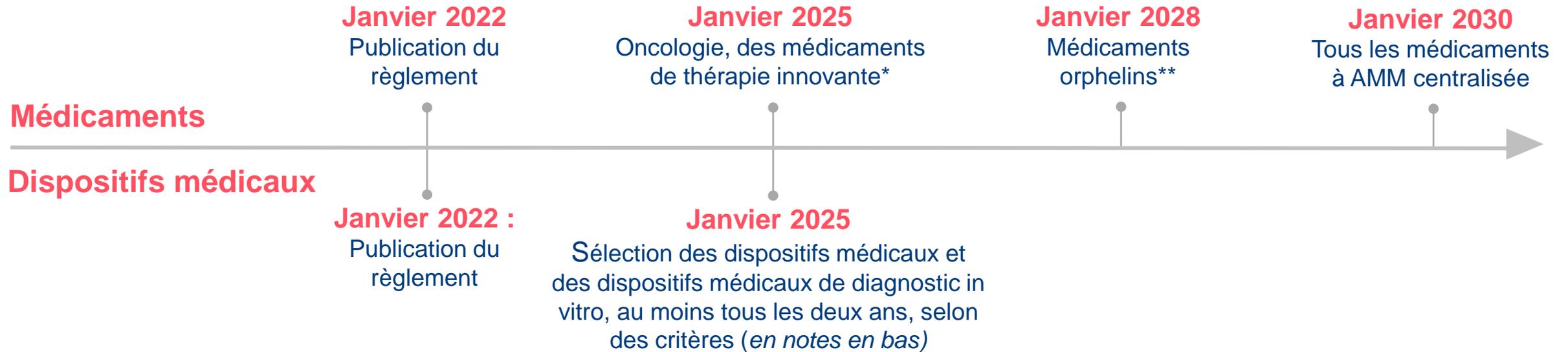
Le pays prendra en compte le contexte spécifique de son système de santé et tirera ses propres conclusions concernant la valeur ajoutée clinique globale d'une technologie de santé et sa prise en charge par la collectivité « *Appraisal* ».

# Règlement européen : quand ?



## Médicaments et dispositifs médicaux

Publication du règlement en janvier 2022, Entrée en application en 2025



\*Un médicament à usage humain basé sur les gènes, les cellules ou l'ingénierie tissulaire

\*\* Un médicament est dit « orphelin » lorsqu'il est destiné au traitement de maladies rares.

# Participation des usagers aux évaluations cliniques communes

Les discussions au niveau européen permettant de préciser la procédure d'évaluation sont en cours.

Des précisions seront données dans les mois/années à venir.



Nouvelle possibilité de participer en tant qu'utilisateur au niveau européen



La participation des usagers est maintenue au niveau national



## Bloc 2

# Participation des usagers à l'ETS à la HAS

# Sommaire du bloc « Participation des usagers à l'ETS à la HAS »

## 1. Votre contribution en pratique

- Définitions
- Modalités

## 2. Attentes de la HAS et conseils de méthodes



- Attentes générales
- Conseils de méthode
- Conseils pour vos contributions

En savoir  cliquez !



# Module 5

## Votre participation à la HAS en pratique

Définitions  
Modalités de participation

# Objectifs du module 5

**1** Comprendre les termes utilisés à la HAS pour la participation des usagers

**2** Connaître les différentes façons dont les avis des usagers sont recueillis par la HAS en-dehors des commissions

# Les valeurs de la participation des patients et usagers à l'ETS



## Au niveau international



Pertinence

*Les patients et usagers détiennent un savoir, une vision et une expérience unique et complémentaire de ceux des autres parties prenantes*



Justice

*Les patients ont les mêmes droits à contribuer à l'ETS que d'autres parties prenantes*



Équité

*Les divers besoins des patients sont compris dans un système de santé qui cherche à allouer les ressources équitablement entre usagers*



Légitimité

*En participant, les patients aident ceux qui sont touchés par les recommandations et décisions issues de l'ETS*

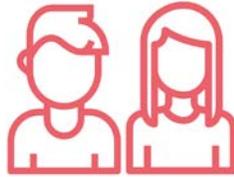


Construction des capacités

*Interactions entre patients et organismes dédiés à l'ETS pour lutter contre les freins à leur implication dans l'évaluation*

# Pourquoi participer en tant qu'utilisateur à l'ETS à la HAS ?

## *En tant qu'utilisateur...*



- ... Vous apportez une **composante fondamentale** aux avis de commissions de la HAS : le point de vue des personnes directement concernées.



- ... Vous pouvez apporter aux commissions un **éclairage spécifique** sur l'impact de la maladie, sur les médicaments, les dispositifs médicaux ou les actes professionnels, afin de renforcer la réflexion qui conduit aux décisions publiques.

**Par exemple** : informations sur la qualité de vie, confort, douleurs, garanties, retour à la vie active, sur les attentes vis-à-vis de nouveaux traitements, etc.

# En quoi consiste votre participation aux ETS ?

Il y a deux statuts différents de participation à la HAS



En tant qu'**expert**

(Vous donnez un avis en votre nom propre)

En tant que **partie prenante**

(Votre association donne son avis)

*Votre participation peut être de nature **consultative** ou de nature **participative***

# Modalités de participation

## En tant qu'utilisateur à la HAS

### Entretien bilatéral +

Rencontres précoces nationales pour un médicament en cours de développement clinique  
**(Expert)**

### Audition +

Dans le cadre d'une demande d'autorisation d'accès anticipé et d'un remboursement de certains dispositifs médicaux  
**(Partie prenante)**

### Relecture et commentaires sur le PUT-RD +

Dans le cadre d'une demande autorisation d'accès précoce d'un médicament  
**(Partie prenante)**

### Relecture de documents intermédiaires +

Travaux d'évaluation du SEAP  
**(Partie prenante)**

### Réponse à un questionnaire écrit +

Tous les travaux d'évaluation de la HAS peuvent être concernés (médicaments, dispositifs médicaux, actes professionnels)  
**(Partie prenante)**

### Participation à un groupe de travail +

Travaux d'évaluation du SEAP  
**(Expert)**

En savoir + cliquez !

# Entretien individuel

Dans le cadre d'une rencontre précoce nationale pour un médicament en cours de développement clinique

## Qui participe ?

La HAS identifie les associations de patients concernées et leur propose de participer à un entretien bilatéral (avec les membres du Service évaluation des médicaments et du Service engagement des usagers).

L'association propose un ou deux patients concernés par la maladie pour cet entretien d'une durée d'une heure.

## Selon quelles modalités ?

En visioconférence ou en présentiel (Saint-Denis, 93).

Vous serez rémunéré pour ce travail.

## Exemples de participation

Rencontre précoce au sujet d'un lymphome

# Audition

Par un service, devant une commission ou devant le Collège de la HAS

## Qui participe ?

La HAS identifie les associations de patients ou groupes d'usagers concernées et leur propose de participer à une audition en tant que partie prenante.

## Selon quelles modalités ?

En visioconférence ou en présentiel (Saint-Denis, 93).

Vous ne serez pas rémunéré pour ce travail.

## Exemples de participation

Audition devant la CT pour une demande d'autorisation d'accès précoce pour une chimiothérapie des patients adultes atteints d'un cancer des voies biliaires,

Audition devant la CNEDiMTS pour un nouveau dispositif concernant le diabète.

# Relecture et commentaires sur le PUT-RD

## Qui participe ?

Le PUT-RD peut être communiqué, sur proposition de la HAS au représentant légal des associations déclarées concernées sous réserve de la signature d'un engagement de confidentialité par le représentant légal.

## Selon quelles modalités ?

Travail à distance, sur la partie dédiée du questionnaire

Vous ne serez pas rémunéré pour ce travail.

## Exemple de participation

Commentaires sur le choix du questionnaire de qualité de vie précisé dans l'annexe 1 du PUT-RD et suggérer un autre questionnaire de qualité de vie que vous jugeriez plus pertinent.

# Relecture de documents intermédiaires



## Qui participe ?

La HAS identifie des interlocuteurs associatifs et leur propose de participer à la relecture de documents.

Toute association ou tout groupe d'utilisateurs peuvent être sollicités par la HAS.

Dans certains cas seulement, la relecture est proposée à l'ensemble des utilisateurs sous la forme d'une consultation publique (mise en ligne sur le site de la HAS).

## Selon quelles modalités ?

Travail à distance, directement sur le document proposé ou par questionnaire pour faciliter l'expression de votre point de vue.

Vous ne serez pas rémunéré pour ce travail.

## Exemples de participation

Détection de l'ARN des papillomavirus humains (HPV) à haut risque dans le cadre du dépistage primaire du cancer du col utérin, évalué par le SEAP.

# Participation à un groupe de travail

## Qui participe ?

La HAS lance un appel à candidature pour identifier des usagers qui souhaitent participer en tant qu'expert à un groupe de travail avec des professionnels.

Toute association ou tout groupe d'usagers peut être sollicité(e) en parallèle par la HAS pour relayer cet appel à candidatures auprès de leurs membres.

## Selon quelles modalités ?

Une déclaration publique d'Intérêt (DPI) doit être remplie par le candidat.

Les réunions sont organisées par la HAS, soit en visioconférence, soit sur place (Saint-Denis, 93).

Vous serez rémunéré pour ce travail.

## Exemples de participation

Groupe de travail sur la télésurveillance des moniteurs cardiaques implantables, animé par le SEAP

# Contribution écrite aux évaluations des médicaments ou des dispositifs médicaux



## Qui participe ?

Toutes les associations agréées ou non, ou groupes d'usagers peuvent contribuer.

Une seule contribution par association ou groupe doit être envoyée.

La HAS publie sur son site internet la liste des produits pour lesquels il est possible d'envoyer une contribution.

## Selon quelles modalités ?

Les associations sont informées via le fil Twitter de la HAS et par mail pour les associations dont nous avons les coordonnées.

Le questionnaire à remplir et renvoyer par mail (à [contact.contribution@has-sante.fr](mailto:contact.contribution@has-sante.fr)) est sur le site.

Vous ne serez pas rémunéré pour ce travail.

## Exemple de participation

Questionnaire dans le cadre d'une évaluation en vue d'autorisation d'accès précoce pour RONAPRÈVE, médicament destiné à traiter le COVID-19.



# Module 6

## Attentes de la HAS et conseils de méthodes

Attentes générales  
Conseil de méthodes  
Conseil pour vos contributions

# Objectifs du module 6

**1** Connaître les **attentes générales de la HAS** pour vos contributions aux ETS (médicaments, dispositifs médicaux et actes professionnels)

**2** **Appréhender les méthodes** de recueil des informations

**3** Comprendre les **conseils de la HAS** pour vos contributions

# Ce que la HAS attend de vos contributions

## *En tant qu'usager...*

Votre **éclairage est complémentaire à celui donné par les publications scientifiques et les professionnels**. Les commissions ne disposent sinon pas de ces informations.



**Quelles sont les Informations importantes ?**

- Les aspects de la qualité de vie : impact de la maladie, aspects positifs et négatifs des traitements actuellement disponibles
- L'impact sur les proches et/ou aidants
- L'impact sur votre parcours de soin, sur les coûts à votre charge
- Vos besoins et préférences, pour les traitements évalués

**Exemples**

**Qualité de vie** : attentes pour une nouvelle chimiothérapie sous forme que l'on peut prendre à la maison, 3 fois par jour par comparaison à une injection toutes les semaines au centre hospitalier.

**L'impact sur les proches** : Arrêt de travail d'un parent pour s'occuper de son enfant depuis le diagnostic d'une maladie rare.

# Ce que la HAS demande en vue de votre participation

## *En tant qu'usager...*

La HAS n'exige pas que vous ayez suivi une formation spécifique pour contribuer



L'essentiel est de bien connaître l'impact de la maladie sur le patient et ses proches

## En tant qu'expert

- Pour les membres usagers dans les commissions/ou groupe de travail : *déclaration publique d'intérêts (DPI) à remplir*
- En termes de compétences : *peuvent s'acquérir dans le cadre des activités associatives ou de formations portant sur la démocratie en santé, le partenariat patient-professionnels, l'éducation thérapeutique du patient, etc.*

## En tant que partie prenante

- Contributions pour une évaluation en vue d'une autorisation accès précoce : *pour obtenir le PUT-RD, un engagement de confidentialité doit être rempli*
- Audition : *Être en capacité d'expliquer les liens de l'association avec le laboratoire (médicament) ou le fabricant (dispositif médical) et les professionnels*

# Conseils de méthode pour recueillir des informations pour vos contributions (1/4)



Vous êtes libres d'utiliser les méthodes qui vous semblent appropriées



Plus les informations que vous transmettez sont représentatives, **plus elles auront de poids.**



Dans les cas où une approche synthétique n'est pas possible (maladies très rares par exemple), vous pouvez transmettre la somme de témoignages individuels.

# Conseils de méthode pour recueillir des informations pour vos contributions (2/4)



Recueillez des informations aussi structurées que possible auprès du plus grand nombre possible de personnes concernées

**Exemples pour joindre le plus grand nombre possible de personnes :**

- Utilisez la liste de vos contacts (adhérents)
- Connectez-vous avec des groupes externes ou des organisations partenaires
- Utilisez les événements, réunions ou conférences existants
- Utilisez les réseaux sociaux
- Demandez aux cliniciens de relayer vos questionnaires

***Merci d'indiquer à la HAS la méthode d'élaboration de votre contribution***

# Conseils de méthode pour recueillir des informations pour vos contributions (3/4)



Que ce soit pour un questionnaire écrit ou pour la trame d'un entretien semi-directif, vous pouvez par exemple:



Choisir le maximum de questions fermées (choix à multiple réponses, réponse par un nombre, etc.)



Complétez par des **questions ouvertes**

***Merci d'indiquer à la HAS la méthode d'élaboration de votre contribution***

# Conseils de méthode pour recueillir des informations pour vos contributions (4/4)



Vous pouvez, par exemple :

## Utiliser des questions fermées

En demandant des résultats chiffrés (% par exemple)

- Par ex. Combien de fois par an vous déplacez-vous pour suivre votre thérapie actuelle ?

## Utiliser des questions ouvertes

En demandant un résultat par synthèse qualitative

- Par ex. Veuillez décrire les effets secondaires que vous seriez prêt à tolérer et pourquoi.

***Merci de ne transmettre aucune information permettant l'identification des patients ou des proches***

# Conseils de méthode

## Comment mettre en œuvre le recueil des informations?



### Enquêtes en ligne et par courrier

Correspondant aux sections à remplir dans le questionnaire

- Sites web : Doodle, SurveyMonkey, Google Forms, Microsoft Forms, Typeforms etc.



### Réseaux sociaux

Correspondant à une ou plusieurs sections

- Sites/applications : Twitter, Facebook, Instagram, LinkedIn



### Groupes de discussion

Groupe en présentiel, mixte, distanciel

- Logiciels : Zoom, Microsoft TEAMS, Google Meet



### Entretiens téléphoniques

Discussion bilatérale avec les membres d'une association

- Suivre une trame de questions simplifiées



### Entretiens avec d'autres associations sur leurs expériences.

(usagers en France/Europe)

Contactez le SEU afin que nous puissions vous mettre en contact avec d'autres associations si vous ne les connaissez pas encore

- Suivre une trame de questions simplifiées

# Conseils généraux pour les entretiens individuels et les contributions par questionnaire

## Recommandations



- Faire état des expériences des personnes vivant avec la maladie ainsi que les proches et aidants,
- Mentionner les expériences d'autres patients au sein des associations de patients et des aidants,
- Rapporter sur les traitements actuels,
- Décrire les expériences des patients qui ont utilisé ces produits actuels,
- Expliquer les attentes, les besoins et les préférences de patients d'un nouveau produit de santé pour traiter la maladie en question

## Conseils à ne pas faire



- Inclure des éléments cliniques et scientifiques que la HAS obtiendra par d'autres parties prenantes (société savantes professionnelle) et d'autres experts,
- Inclure la contribution de cliniciens, d'autres prestataires de soins de santé ou de fabricants de produits pharmaceutiques,
- Reproduire la revue de la littérature scientifique (la HAS a déjà effectué ce travail),
- Résumer ou reformuler les informations provenant de sources non-patients.

# Conseils généraux pour les auditions devant une commission

## Recommandations



- Résumer les points clés et importants de la contribution écrite en 5 à 10 minutes,
- Utiliser un support de présentation comme des diaporamas pour illustrer ces points clés et importants, si vous le souhaitez,
- Être prêts à répondre aux questions des membres de la commission, notamment sur la qualité de vie des patients.

## Conseils à ne pas faire



- Citer le nom des patients (respect du secret médical)
- Dépasser le temps d'intervention



# Glossaire

**Termes clés relatifs à ces modules**

# Glossaire

## Termes clés relatifs à ces modules

**Acte professionnel** : geste réalisé par un professionnel de santé qui a un but de diagnostic, de prévention, de traitement ou de rééducation et concernent aussi bien la médecine de ville que l'hôpital, les professionnels du secteur médical que le paramédical.

**Agence nationale** : Une structure d'organisation administrative capable de répondre à des besoins spécifiques. Ex. Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

**Appréciation** : Les jugements de valeur sur les données scientifiques et un éventail d'opinions d'experts (et de patients).

**Autorisation de mise sur le marché** : Une autorisation de mise sur le marché (AMM) fait référence à l'approbation de commercialisation d'un médicament. Différentes procédures existent pour obtenir une AMM. L'EMA (« l'Agence ») est responsable de la « procédure centralisée ». Une seule demande est soumise à l'EMA pour une évaluation par les comités scientifiques de l'Agence. Si l'évaluation est positive, une seule autorisation de mise sur le marché est émise par la Commission européenne. Les autorités nationales compétentes (ANC), telle que la HAS, sont responsables de l'évaluation des demandes d'autorisation de mise sur le marché et de l'affectation d'AMM pour des médicaments ne répondant pas aux critères de la procédure centralisée.

**Autorité publique indépendante** : Une autorité administrative indépendante (AAI) est un organisme chargé de réguler certains secteurs au nom de l'État. Elle a la particularité de ne pas être soumise à l'autorité hiérarchique d'un ministre, et donc de ne pas relever de l'autorité gouvernementale. Elle ne reçoit ni d'ordres ni conseils des pouvoirs publics et agit en toute indépendance. Elle établit des recommandations, prend des décisions, mais réglemente et sanctionne aussi le secteur dont elle est chargée.

D'après le glossaire



# Glossaire

## Termes clés relatifs à ces modules

**Dispositif médical** : Un instrument, appareil, équipement, matière, produit, à l'exception des produits d'origine humaine [...] destiné par le fabricant à être utilisé chez l'homme à des fins médicales [...] dont l'action principale voulue [...] n'est pas obtenue par des moyens pharmacologiques ou immunologiques ni par métabolisme.

**Efficacité** : L'efficacité fait référence à la capacité d'un médicament à apporter un effet bénéfique (un rapport bénéfice/risque positif) lors de son examen au cours d'un essai clinique. La différence entre l'efficacité et l'efficience repose sur le fait que cette dernière fait référence au bon fonctionnement d'un traitement dans la pratique médicale en situation réelle, alors que l'efficacité mesure quant à elle le bon fonctionnement d'un traitement lors d'essais cliniques ou d'études de laboratoire.

**Efficacité relative** : Il s'agit d'apprécier l'efficacité d'une technologie de santé par rapport à une autre technologie, lorsqu'elle est fournie dans des circonstances idéales.

**Efficience** : Dans le contexte de l'économie de la santé, l'efficience d'un médicament est une mesure qui exprime le rapport entre le résultat obtenu et les coûts engagés pour les individus ou la société. Le traitement le plus efficace ne sera peut-être pas l'option la plus efficiente (rentable), par exemple en impliquant une mise en œuvre inabordable financièrement pour les patients ou le système de santé.

D'après le glossaire  EUPATI

# Glossaire

## Termes clés relatifs à ces modules

**Être consulté** : Action de consulter quelqu'un, de demander un avis, un conseil à une personne compétente.

**Évaluation** : Recueil et examen critique des données scientifiques probantes lors d'une évaluation des technologies de santé.

**Évaluation des technologies de santé (ETS)** : Processus scientifique fondé sur des données probantes qui permet aux autorités compétentes d'apprécier l'efficacité relative des technologies de la santé nouvelles ou existantes. L'ETS se concentre en particulier sur la valeur ajoutée d'une technologie de la santé par rapport à d'autres technologies nouvelles ou existantes.

**Expert** : Personne qui s'exprime en son nom propre et qui est choisie en raison de ses compétences et de son expérience dans le domaine des travaux engagés par la HAS.

**Médicament** : *[tout produit]* possédant des **propriétés curatives** ou **préventives** à l'égard des **maladies [...]**, ainsi que *[tout produit]* en vue **d'établir un diagnostic médical ou de restaurer, corriger ou modifier leurs fonctions physiologiques** en exerçant une **action [biologique sur le corps]**. » Il contient un **principe actif**, caractérisé par un **mécanisme d'action curatif ou préventif** précis dans l'organisme [...].

D'après le glossaire  EUPATI

# Glossaire

## Termes clés relatifs à ces modules

**Intervention** : En médecine, une intervention est une action qui modifie le résultat ou le cours d'une condition ou d'une maladie afin d'éviter de nuire à la santé, ou de l'améliorer, via l'utilisation de médicaments, de dispositifs médicaux ou de procédures/de la chirurgie..

**Partie prenante** : groupe de personnes, directement ou indirectement impacté par les décisions prises, qui s'exprime au nom de ce groupe.

**Patient** : un individu qui est, ou a été, en situation de handicap ou atteint par la maladie visée par le médicament, dispositif médical ou acte professionnel en cours d'évaluation, ou dont l'état de santé est concerné par cette même technologie de santé.

**Technologie de santé** : toute intervention pouvant être utilisée pour promouvoir la santé, prévenir, diagnostiquer ou traiter une maladie, faire de la rééducation ou fournir des soins de longue durée. Cela inclut les médicaments, dispositifs, actes et systèmes d'organisation utilisés dans le secteur de la santé.

D'après le glossaire  EUPATI



Retrouvez  
tous nos travaux sur

[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)



Pour recevoir la newsletter de la HAS  
et/ou des informations sur les sujets qui  
vous concernent

[Je m'inscris](#)

