

Accès aux thérapies innovantes : maîtrise du risque et soutenabilité financière

Blanka BARTOS, LL.M., PhD

Maîtriser le risque lié à l'achat des thérapies innovantes

Accords basés sur la performance : Il s'agit d'accords entre le laboratoire et l'État : le paiement du médicament dépend de son efficacité réelle chez les patients. Autrement dit, si le médicament démontre un bénéfice clinique, il est payé.

Problème : Au moment de la mise sur le marché, les données d'efficacité peuvent être limitées, en particulier pour les maladies rares (petites populations, essais cliniques réduits).

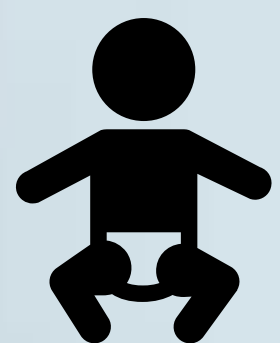
Solutions pour mieux évaluer l'efficacité et sécuriser l'accès :



- Dispositifs de type « **bac à sable réglementaire** » : permettent de tester plus rapidement des innovations (ex. dispositifs médicaux avec IA) dans un cadre encadré, avec certaines exigences réglementaires adaptées.



- **Données de vie réelle** (*real-world data*) : registres de patients, évaluations des technologies de santé (HTA – *Health Technology Assessment*), Espace Européen des Données de Santé (EHDS – *European Health Data Space*) → Objectif : mieux documenter l'efficacité et la tolérance en pratique courante.

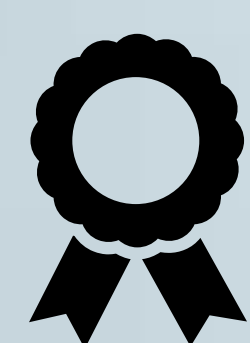


- **Dépistage néonatal** : permet d'initier le traitement plus précocement, ce qui améliore souvent l'efficacité clinique.

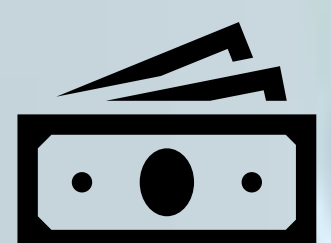
Maîtriser la soutenabilité financière des thérapies innovantes

Tarification basée sur la valeur : le prix du médicament est déterminé en fonction de sa valeur globale → Objectif : fixer un prix cohérent avec la valeur réelle du traitement.

Mécanismes de régulation en cas de prix trop élevé :



- **Licence obligatoire** et licence d'office : possibilité d'autoriser un tiers à exploiter un brevet si le médicament n'est pas suffisamment accessible.



- Droit de la concurrence : **prix excessifs, abus de position dominante, accords retardant l'arrivée des génériques** (« pay-for-delay ») → ces pratiques peuvent être sanctionnées.



- Évolutions internationales à surveiller : politique américaine dite de la « nation la plus favorisée » (**Most Favoured Nation Executive Order**) → Objectif : aligner le prix des médicaments aux États-Unis sur les prix les plus bas pratiqués dans d'autres pays.

→ Impact potentiel : pression à la hausse des prix dans certains pays; modification des stratégies de fixation des prix par les laboratoires; conséquences possibles sur l'accès global aux traitements et le financement de la R&D.

CONTACT : Blanka BARTOS – docteur en droit (blankab93@gmail.com)

Recherche menée dans le cadre d'une thèse doctorale à l'Université Bourgogne Europe;

Pas de lien avec le Plan France Médecine Génomique