

**NOTE DE
CADRAGE**

Renforcer l'engagement des usagers dans l'évaluation des technologies de santé à la HAS

Validée par le Collège le 15 juillet 2021

Date de la saisine : 4 mars 2020

Demandeur : Collège

Service(s) : Service de l'engagement des usagers

Personne(s) chargée(s) du projet : Marc Guerrier

1. Présentation et périmètre

1.1. Demande

À l'occasion de la présentation d'une analyse descriptive rétrospective du dispositif de contribution des associations d'usagers présentée devant lui, le collège de la Haute Autorité de santé (HAS) a souhaité que l'ensemble des efforts de la HAS pour renforcer la place des usagers dans l'évaluation des technologies de santé fasse l'objet d'une feuille de route présentant les principales orientations à retenir pour les années à venir conformément aux engagements de son projet stratégique 2019-2024 et notamment son axe n° 2 « Faire de l'engagement des usagers une priorité »¹.

1.2. Contexte

L'*evidence based medicine* postule la prise en compte des données de la littérature, de l'expérience clinique et des préférences des patients et usagers au moment de la prise de décision pour un patient donné. Pour ce qui relève de l'évaluation des technologies de santé, des guides méthodologiques présentent les principes et les modalités définis par les trois commissions réglementées de la HAS en charge de ces évaluations : Commission de la transparence (CT), Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDIMTS) et Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP).

¹ Haute Autorité de santé. Projet stratégique 2019-2024. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2018-11/projet_strategique_2019-2024.pdf

Pour permettre la prise en compte des préférences collectives des patients et usagers plusieurs évolutions ont déjà eu lieu :

- les décrets successifs relatifs à la composition des trois commissions précitées ont prévu la désignation de membres choisis parmi les adhérents d'une association agréée de malades et d'usagers (article L. 1114-1 du Code de la santé publique) qui sont aujourd'hui au nombre de trois dans chacune d'entre elles, 2 titulaires et un(e) suppléant(e) ;
- après une phase d'expérimentation en 2016-2017, le dispositif d'appel à contribution des associations d'usagers² a fait l'objet d'une systématisation pour toute procédure d'instruction complète lors de l'évaluation de médicament ou de dispositif médical en vue de sa prise en charge financière par la solidarité nationale ;
- des usagers sont appelés à participer à certaines évaluations quand elles requièrent la constitution de groupes de travail ou de lecture ;
- une analyse de la littérature disponible en matière de préférences collectives des patients et usagers est réalisée pour l'instruction de certains dossiers soumis aux commissions règlementées, notamment dans le cadre des évaluations médico-économiques ou de santé publique ;
- des consultations publiques ont également pu avoir lieu, notamment pour certaines recommandations examinées par la Commission technique des vaccinations (CTV) ou des évaluations de technologies de santé en lien avec des actes professionnels ;
- depuis le début de l'année 2020, il est en outre possible que des entretiens avec un(e) patient(e) se déroulent dans le cadre du dispositif de « rencontres précoces » entre la HAS et un industriel lors de la phase clinique de développement d'un médicament en amont des évaluations ;
- enfin, il convient d'ajouter à cet ensemble de solutions soucieuses de faire progresser la prise en compte des attentes des patients et usagers, la possibilité d'auditions ponctuelles devant les trois commissions règlementées, à la demande de celles-ci (CT, CNEDIMTS, CEESP), ainsi que le recours à la composante³ usagers du Conseil pour l'engagement des usagers dans le cadre des travaux de la CTV en lien avec la Covid-19.

1.3. Enjeux

La démocratie sanitaire, au sens où elle est entendue par la loi n° 2002-403 du 4 mars 2002 relative aux droits des malades et à la qualité du système de santé prescrit l'obligation de représentants d'usagers au sein des « instances hospitalières et de santé publique ». Ces représentants doivent être issus d'associations agréées au plan national⁴ et avoir obligatoirement suivi la formation instaurée par la loi n° 2016-41 du 26 janvier 2016 de modernisation de notre système de santé⁵.

Cependant la représentation n'est pas l'unique modalité pour l'implication des personnes concernées dans l'évaluation des produits de santé :

- les principes de *evidence based medicine* requièrent l'inclusion des préférences des patients et usagers⁶ ;
- les guides méthodologiques de la HAS traduisent de nombreuses préoccupations de même nature tendant au respect d'une éthique de la délibération favorable à l'inclusion des personnes

² Haute Autorité de santé. Contributions des associations de patients et d'usagers aux évaluations des produits de santé : analyse descriptive 2017-2018. HAS; 2020. Saint-Denis https://www.has-sante.fr/jcms/p_3178312/fr/contributions-des-associations-de-patients-et-d-usagers-aux-evaluations-des-produits-de-sante-analyse-descriptive-2017-2018.

³ La « composante usagers » est constituée de la moitié des 18 membres du Conseil pour l'engagement des usagers ; les autres catégories de membres de ce conseil ne sont pas appelées à participer.

⁴ Articles L. 1114-1 et R. 1114-13 du code de la santé publique.

⁵ Il de l'article L. 1114-1 du code de la santé publique.

⁶ *Ibid* 2.

concernées autant qu'à la plus juste évaluation des besoins des populations qu'elles représentent ou qui les mandatent ;

- des orientations mises en œuvre au sein du réseau européen EunetHTA et en discussion au sein de l'Union Européenne sont susceptibles d'intervenir pour formaliser la participation d'usagers dans le mécanisme de rencontres précoces entre les agences d'évaluation et les industriels, en amont du lancement de recherches cliniques ;
- en outre la réforme du régime de l'accès précoce⁷ devrait prévoir des mécanismes adaptés de participation des usagers aux décisions que la HAS est appelée à prendre désormais en la matière ;
- des améliorations sont également à apporter au processus des contributions des associations d'usagers qui réclament quelques adaptations comme l'ont relevé les parties prenantes auditionnées par la HAS.

1.4. Cibles

Compte tenu de ce qui vient d'être dit, les cibles visées par cette feuille de route sont :

- les associations agréées d'usagers du système de santé seules habilitées à proposer des noms de représentant(e)s d'usagers pour les trois commissions règlementées (CT, CNEDIMTS, CEESP) ainsi que pour la CTV ;
- plus généralement les associations de patients et d'usagers, agréées ou non, nécessairement intéressées par l'évaluation des produits de santé et le cas échéant appelées à participer aux travaux évaluatifs ;
- les patients et usagers du système de santé potentiellement appelés à contribuer au mécanisme des rencontres précoces ;
- les industries de produits de santé potentiellement appelées à s'impliquer dans l'adaptation des dispositifs existants ou à venir.

1.5. Objectifs

L'objectif principal de cette feuille de route triennale tient dans l'adaptation des outils déjà existants et l'introduction d'un nouveau mécanisme de participation des usagers du système de santé et de leurs associations au titre de la réforme de l'accès précoce.

1.6. Délimitation du thème / questions à traiter

Les actions proposées portent sur les activités suivantes de la direction Évaluation médicale, économique et santé publique (DEMESP) :

- évaluations des médicaments
 - en vue du remboursement dans le cadre des procédures d'instructions complètes,
 - en vue d'un accès précoce ;
- évaluations des dispositifs médicaux en vue du remboursement dans le cadre des procédures d'instructions complètes ;

⁷ L'article 78 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2021 n° 2020-1576 du 14 décembre 2020 prévoit une refonte totale du régime des ATU/RTU (autorisation temporaire d'utilisation/recommandation temporaire d'utilisation) à horizon du 1^{er} juillet 2021.

- évaluations des actes professionnels.

Trois étapes ont été définies pour cette feuille de route, répartissant sept actions à réaliser à court, moyen et long terme, qui nécessiteront :

- la mobilisation des parties prenantes et des services pour la réalisation de cette feuille de route tout au long du projet ;
- la mise en place de groupes de travail spécifiques selon les actions, comprenant des usagers du système de santé ;
- la mise en place d'un groupe d'interface de parties prenantes pour le suivi de la feuille de route, comportant un sous-groupe dédié à la réforme de l'accès précoce ;

2. Modalités de réalisation

- HAS
- Label
- Partenariat

2.1. Méthode de travail envisagée et actions en pratique pour la conduite du projet

Pour l'élaboration de la feuille de route, la méthode de travail retenue a consisté d'abord en une série d'auditions avec des associations concernées afin de mesurer leurs attentes⁸. À la suite se sont tenues :

- deux auditions avec les industries du médicament, d'une part, et les industries du dispositif médical, d'autre part ;
- des échanges internes.

Sur la base des conclusions présentées devant lui, le collège de la HAS s'est prononcé sur la présente feuille de route en date du 15 juillet 2021.

Pour la réalisation des actions, des groupes de travail *ad hoc* seront mis en place selon les différentes actions décrites ci-après, mobilisant *a minima* des membres des services de la HAS et d'associations ou de collectifs d'usagers. Les réunions de travail seront organisées et animées par le Service Engagement des usagers.

Le recrutement de usagers pourra se faire à partir d'appels à candidatures *via* les associations d'usagers ou sur le site de la Haute Autorité de santé. Les personnes ayant participé aux ateliers de l'Engagement des usagers concernant les contributions des associations à l'évaluation des produits de santé seront sollicitées.

Ces actions pourront donner lieu à des adaptations des règlements intérieurs des commissions ou à des délibérations du collège, si les nouveaux mécanismes de participation des usagers impactent les règles internes de la HAS ou de ses commissions.

⁸ Association française des hémophiles, AFM-Téléthon, APF-France Handicaps, France Assos Santé, TRT5-CHV.

Pour le suivi de la feuille de route, un groupe d'interface tripartite de parties prenantes (associations, industries, HAS) sera constitué avec pour mission de suivre son avancement, y compris la réforme de l'accès précoce au travers d'un sous-groupe dédié.

2.2. Composition qualitative des groupes

Les groupes de travail ad hoc, mis en place selon les actions, seront constitués de :

- 1 ou 2 membres du Service Engagement des usagers
- 1 ou 2 membres des Services de la HAS concernés par l'activité
- 5 à 10 usagers.

Des modalités de consultations plus large sous forme d'ateliers ou de phase test pourront être envisagées pour certaines actions (adaptations des questionnaires, numérisation du processus de dépôts, etc.).

Le **groupe d'interface de suivi de la feuille de route** comprendra des représentants associatifs⁹, des industriels du médicament et du dispositif médical¹⁰ ainsi que les services de la HAS (Direction de l'évaluation médicale et de santé publique (DEMESP) et Direction de la communication, de l'information et de l'engagement des usagers (DCIEU). Un sous-groupe de ce comité d'interface dédié au suivi de la réforme de l'accès précoce sera composé au regard de cette mission.

2.3. Actions prévues

Les actions prévues au titre de la feuille de route « Renforcer l'engagement des usagers dans les évaluations des produits de santé » se déploient sur trois ans selon le phasage suivant.

2.3.1. À court terme (juillet 2021 – mars 2022)

Action 1 : Mettre en place la participation des usagers aux évaluations en vue de l'autorisation d'accès précoce aux médicaments

Aux termes de la nouvelle réglementation applicable, les décisions d'autorisation d'accès précoce aux médicaments seront assorties d'un protocole d'utilisation thérapeutique - recueil de données (PUT-RD), ce qui justifie de prendre connaissance des attentes des associations de patients et d'usagers sur les choix qui pourraient être faits en la matière. Un guide destiné aux associations et groupes d'usagers qui souhaiteraient contribuer sera rédigé, notamment pour préciser le rôle de la HAS dans l'autorisation d'accès précoce et les modalités de contribution des associations et groupes d'usagers du système de santé. Une évaluation en fin de première année (juin 2022) permettra d'adapter les procédures de consultation mises en place en tant que de besoin.

Il est également apparu qu'un document d'information au patient bénéficiaire d'un médicament disponible au titre de l'accès précoce en vue de son implication dans le protocole d'utilisation thérapeutique est nécessaire.

Un groupe de suivi est indispensable dans cette période de montée en charge de ce nouveau dispositif (réunions du sous-groupe *ad hoc* issu du comité d'interface chargé du suivi de la feuille de route globale « HTA et engagement des usagers »).

⁹ Sur appel à candidature publié sur le site de la HAS.

¹⁰ Fédération des PSAF, LEEM, UNPDM, SNITEM.

C'est cet ensemble de contraintes, avec un changement de régime juridique au 1^{er} juillet 2021 pour l'accès précoce aux traitements qui amène ce sujet à être positionné en premier rang de cette feuille de route.

Action 2: Former les partenaires associatifs en vue de leur contribution

Le besoin des associations d'être mieux informées sur le circuit du médicament et notamment sur la nature et la portée de l'évaluation par la HAS est ressorti de manière constante lors des auditions préparatoires de cette feuille de route. La question de l'information sur les modalités de participation aux évaluations, dont on vient de voir combien elles sont différentes, justifie aussi aux yeux des associations que s'y attache un niveau d'information complet et transparent.

La réponse à cet enjeu pourrait, à partir d'un repérage précis des besoins fin 2021-début 2022, passer par un prestataire externe afin de disposer d'un module de formation à distance. Cette solution devrait tenir compte des nécessités d'accessibilité de publics aux contraintes parfois fortes liées à la maladie ou à une situation de handicap.

Action 3: Améliorer le questionnaire utilisé pour les évaluations des technologies de santé en procédure d'instruction complète

Il s'agit ici d'une forte attente des associations qui demandent une refonte du questionnaire en ligne utilisé pour les évaluations de procédure d'instruction complète.

Les propositions les plus significatives portent sur une meilleure intégration des données d'usage des produits de santé et les impacts des traitements sur le parcours du patient.

De premiers échanges intervenus lors d'un atelier à l'occasion de la 1^{ère} journée de l'Engagement des usagers organisée par la HAS à la fin de l'année 2020 doivent maintenant être poursuivis pour atteindre ces objectifs. Les expériences étrangères, notamment via les réseaux EuNetHTA et HTAi seront explorées.

2.3.2. À moyen terme (2022)

Action 4 : Améliorer le retour d'information après la contribution des associations d'usagers (première étape)

Les associations de patients et d'usagers ont fait valoir une forte attente d'interactions plus fréquentes, à commencer par un retour sur les dossiers sur lesquels ils ont travaillé. Il est proposé dans une première phase d'effectuer un retour systématique aux associations contributrices au moment de la mise en ligne de l'avis de chaque dossier ayant reçu une contribution. Ce message pointerait la mention écrite de leur apport dans l'avis, ainsi que la possibilité d'accéder aux verbatims de la réunion.

Le traitement de ce sujet est en lien avec l'automatisation du processus de dépôt et de mise en ligne des contributions.

Une phase d'intensification des échanges (cf. action 7) pourrait être envisagée à cette issue.

Action 5: Renforcer l'information dévolue aux associations en vue d'améliorer la contribution des associations d'usagers aux évaluations des produits de santé

Ici encore, il s'agit d'une forte attente des associations, au moment où les pratiques internationales évoluent dans le sens d'une meilleure information des associations sur la technologie de santé

concernée par l'évaluation en vue du remboursement. Cependant, la HAS ne dispose pas des ressources humaines suffisantes pour rédiger le livrable contenant les informations dévolues aux associations. Ainsi, il est proposé une phase expérimentale où l'industriel pourrait proposer des informations aux associations d'utilisateurs. Toutefois, la HAS se doit d'être vigilante sur la nature et la portée des informations remises par l'industriel de santé à une association d'utilisateurs, c'est pourquoi un cahier des charges sera préalablement rédigé par la HAS, garantissant notamment la neutralité de l'information délivrée. L'élaboration du cahier des charges devra être construite en concertation avec les associations, les représentants industriels, et les services concernés de la HAS.

Il sera donc proposé pour cette phase expérimentale que l'industriel produise ces informations sur la base de ce cahier des charges. En termes prévisionnels, la rédaction de ce dernier peut être envisagée début 2022 et le démarrage de la phase expérimentale au cours du premier semestre 2022. Le dispositif sera adapté en fonction du bilan de cette phase expérimentale.

2.3.3. À long terme (2023-24)

Action 6 : Organiser un atelier de réflexion sur les procédures de consultations des associations d'utilisateurs justifiées par les dossiers examinés par le Service de l'évaluation des actes professionnels (SEAP)

De nombreux actes pour lesquels la plus-value potentielle d'une approche par les utilisateurs concernés apparaît contrastée réclame d'être explorée. Il s'agit notamment des actes de biologie, lesquels ne seront parfois réalisés qu'une fois au cours d'une vie, ou pour lesquels il est difficile d'identifier une association de référence. La question se pose alors de la façon dont une participation de patients ou d'utilisateurs concernés pourraient intervenir dans l'évaluation de ces actes.

Un atelier de réflexion sur ces enjeux pourrait avoir lieu à l'occasion d'une des journées nationales de l'engagement des utilisateurs, organisée par la HAS.

Action 7 : Améliorer le retour d'information après la contribution des associations d'utilisateurs (seconde étape)

Pour certaines des associations, il n'est pas envisageable que ces interactions se limitent à la phase de recouvrement des contributions des associations d'utilisateurs. Elles devraient aussi avoir lieu avec le chef de projet pendant l'évaluation et après la publication de l'avis de la commission concernée.

Ainsi, les acteurs associatifs sont demandeurs de la possibilité d'échanges itératifs avec les services en vue de l'amélioration la procédure de retour d'information individualisée devant l'association concernée. La pertinence de tels échanges (notamment au regard du respect de l'indépendance dans l'instruction, de la valeur ajoutée potentielle pour l'HTA, et des ressources humaines de la DEMESP) pourra être discuté en interne après une première période de renforcement de la procédure de retour aux associations. Ces échanges pourront être l'occasion de déterminer la nature d'éventuels enrichissements du retour programmé pour la première étape (cf. action 4).

Le développement de cette réponse, déjà évoquée lors de l'atelier dédié à l'occasion de la 1^{ère} journée de l'engagement des utilisateurs organisée par la HAS, incluant l'amélioration de l'ensemble de la procédure de contribution des associations d'utilisateurs, réclame la mobilisation de ressources humaines à prévoir de façon suffisamment anticipée.

Action 8 : Automatiser le processus de saisie et de dépôts des documents de participation

Le circuit actuel de dépôt des dossiers nécessite la coordination entre plusieurs outils numériques, coordination partiellement automatisée seulement. Il conviendrait de finaliser le transfert des fichiers épars en un fichier unique et de numériser la totalité du processus pour les contributions des associations d'usagers dans les futures évolutions des plates-formes électroniques des dossiers, en lien avec l'exécution du plan de transformation numérique par le Service de la transformation numérique et de la logistique (STNL).

3. Calendrier prévisionnel des actions

- Le calendrier prévisionnel des actions est celui figurant au 2.3.