ALAN
Acute Leukaemia Advocates Network







Contribution des patients français à l'évaluation des technologies de santé et au remboursement des médicaments aux niveaux européen et national







Contribution des patients français à l'évaluation des technologies de santé et au remboursement des médicaments aux niveau européen et national

Depuis 1995, les laboratoires pharmaceutiques qui développent de nouveaux médicaments contre le cancer[1] doivent demander une autorisation de mise sur le marché (AMM) auprès de l'Agence européenne des médicaments (*European Medicines Agency*, EMA). Ce processus centralisé couvre les 27 pays de l'Union européenne (UE), ainsi que l'Islande et la Norvège, désignés collectivement sous le terme *« Europe »* ou *« pays européens »* dans cette fiche d'information, préparée par le réseau d'associations de patients Acute Leukemia Advocates Network (ALAN).

L'EMA examine toutes les données des essais cliniques pour décider si les bénéfices du médicament l'emportent sur ses risques. C'est ce qu'on appelle l'évaluation bénéfice-risque. Ce n'est qu'en cas de réponse positive que le médicament obtient une AMM valable dans toute l'Europe.

1. Évaluation commune des technologies de santé depuis 2025 en Europe

L'AMM octroyée par l'EMA ne suffit pas à garantir l'accès des patients à un nouveau médicament. Pour qu'un médicament soit remboursé par les systèmes de santé publics, il doit également faire l'objet d'une évaluation des technologies de santé ou aussi communément appelée HTA (*health technology assessment*).

Une HTA est définie comme « *un processus multidisciplinaire qui synthétise les informations relatives aux questions médicales, sociales, économiques et éthiques liées à l'utilisation d'une technologie de santé, de manière systématique, transparente, impartiale et robuste. Son objectif est d'éclairer l'élaboration de politiques de santé sûres, efficaces, centrées sur les patients et visant à obtenir le meilleur rapport qualité-prix* » (EUnetHTA, 2007).

Une HTA évalue si un traitement apporte des bénéfices supplémentaires par rapport aux options existantes et si ces bénéfices justifient des coûts supplémentaires. Elle appuie la prise de décision dans le processus de remboursement[2] et comprend généralement deux étapes principales :

- **l'évaluation** (*assessment*) : une revue scientifique des preuves (par exemple, quelle est la solidité des résultats des essais ?).

[1] Dans l'Union européenne, en Islande et en Norvège, la plupart des nouveaux médicaments innovants sont approuvés par une procédure centralisée : ils sont évalués une seule fois par l'Agence européenne des médicaments (EMA) et, s'ils sont approuvés, obtiennent une autorisation de mise sur le marché (AMM) valable dans tous ces pays. Cette procédure est obligatoire pour les médicaments destinés à traiter des maladies graves comme le cancer, le VIH/sida, le diabète ou les maladies rares, ainsi que pour ceux utilisant des technologies avancées (ex. : thérapie génique ou cellulaire). Pour les autres médicaments, elle reste facultative, mais est souvent privilégiée.

[2] Pour en savoir plus sur ce qu'est une évaluation des technologies de santé (HTA) et ses différences avec le remboursement, consultez notre fiche d'information complémentaire : « *Health Technology Assessment and Reimbursement: What is the Difference ?* ».

- **l'avis** (*appraisal*) : une étape de décision qui prend en compte le contexte (par exemple, s'agit-il d'une maladie rare ? Le traitement est-il abordable ?).

Jusqu'en 2024, chaque pays réalisait lui-même ces deux étapes (voir Figure 1).

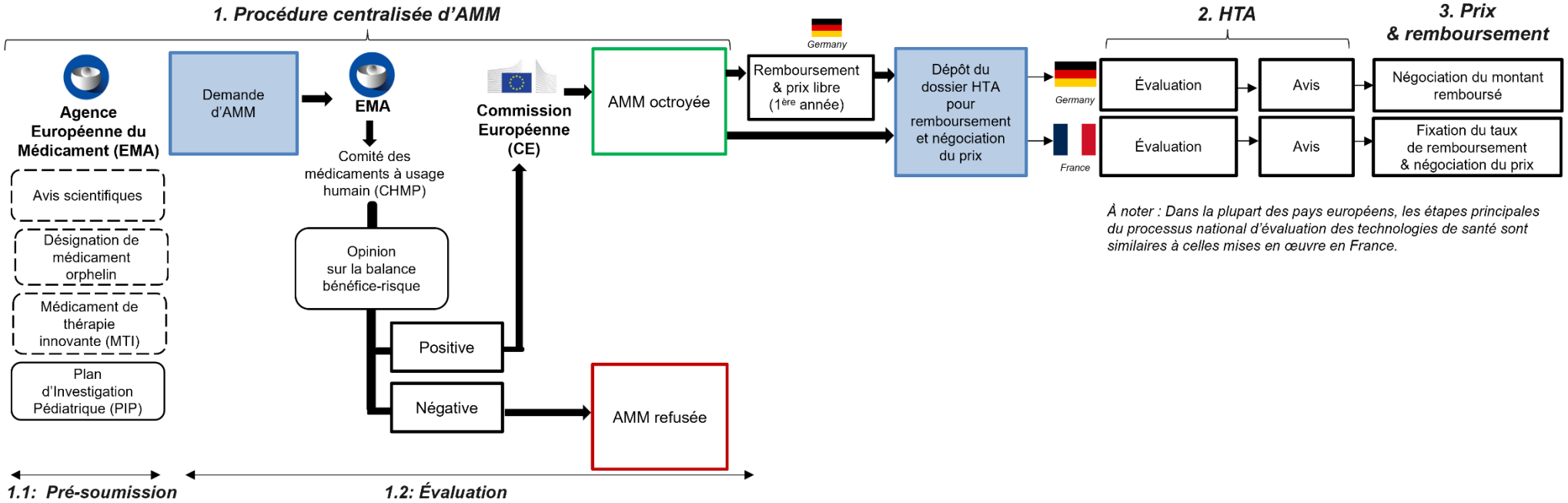
Depuis janvier 2025, la collaboration européenne ne se limite plus à l'AMM. Elle s'étend désormais à l'étape d'*assessment* du HTA, avec un processus conjoint encadré par le Règlement européen sur l'HTA (HTAR) (voir Figure 2).

L'objectif est d'aider les patients à accéder plus rapidement à des médicaments efficaces en évitant la duplication des évaluations entre les pays. Cela vise également à garantir une plus grande transparence dans la prise de décision.

Le HTAR s'applique actuellement aux médicaments contre le cancer, y compris ceux contre les leucémies, et aux médicaments de thérapie innovante (MTI ou *advanced therapy medicinal products* ATMP). Il s'étendra aux médicaments contre les maladies rares (médicaments orphelins) en 2028, et à tous les médicaments autorisés de manière centralisée par l'EMA d'ici 2030. Certains dispositifs médicaux sont également concernés dès 2026.[3]

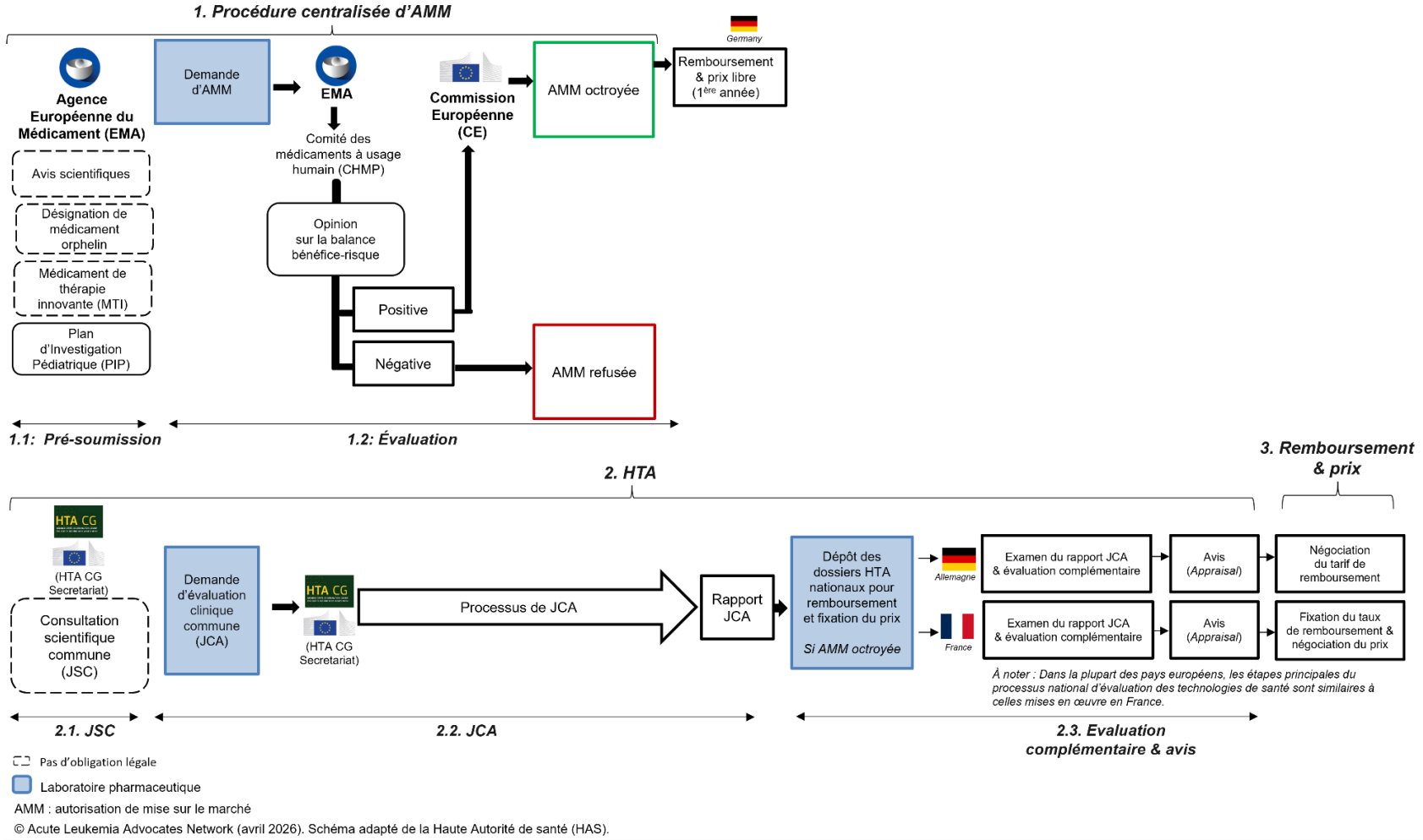
[3] Dispositifs médicaux implantables de classe III ; dispositifs actifs de classe IIb destinés à administrer un médicament de l'organisme ou à l'en retirer ; dispositifs médicaux de diagnostic in-vitro de classe D

Figure 1. Processus d'autorisation de mise sur le marché et d'évaluation des médicaments contre le cancer jusqu'en 2024



Dans l'Union européenne, en Islande et en Norvège, la plupart des nouveaux médicaments innovants sont approuvés par une procédure centralisée : ils sont évalués une seule fois par l'Agence européenne des médicaments (EMA) et, s'ils sont approuvés, obtiennent une autorisation de mise sur le marché (AMM) valable dans tous ces pays. Cette procédure est obligatoire pour les médicaments destinés à traiter des maladies graves comme le cancer, le VIH/sida, le diabète ou les maladies rares, ainsi que pour ceux utilisant des technologies avancées (ex. : thérapie génique ou cellulaire). Pour les autres médicaments, elle reste facultative, mais est souvent privilégiée.

Figure 2. Processus d'autorisation de mise sur le marché (AMM) et d'évaluation des médicaments contre le cancer depuis 2025



Pour plus d'information sur le processus d'autorisation de mise sur le marché (AMM), veuillez consulter notre fiche d'information « *How Medicines Are Evaluated in Europe* ».

2. Comment les patients sont-ils impliqués dans l'évaluation des technologies de santé européenne ?

Depuis 2025, le Règlement sur l'évaluation des technologies de santé (HTAR) introduit deux processus clés au niveau européen : la consultation scientifique commune (*Joint Scientific Consultation*, JSC) et l'évaluation clinique commune (*Joint Clinical Assessment*, JCA). Leur objectif et leur calendrier sont présentés dans le Tableau 1.

Tableau 1. Objectifs et calendrier des processus d'évaluation des technologies de santé européens

Processus	Objectif	Calendrier
Consultation scientifique commune (JSC)	Conseiller les laboratoires pharmaceutiques sur la conception des essais cliniques	Avant le début des essais
Évaluation clinique commune (JCA)	Produire un rapport scientifique commun sur l'efficacité d'un nouveau médicament par rapport aux traitements existants	Débute au moment de la soumission à l'EMA et se déroule en parallèle

Ces processus sont pilotés conjointement par les autorités nationales, le groupe de coordination sur l'évaluation des technologies de la santé (*HTA Coordination Group*, HTA CG) avec le soutien du *HTA Secretariat* de la Commission européenne (*HTA Secretariat*) et la contribution d'experts (dont des patients et des cliniciens) via le réseau des parties prenantes (*HTA Stakeholder Network*).

La France est représentée au sein du *HTA CG* par la Haute Autorité de santé (HAS), l'autorité publique indépendante à caractère scientifique responsable des évaluations des technologies de santé, et le ministère de la Santé.

Pour plus d'informations sur la gouvernance et les processus de HTA au niveau européen, veuillez consulter notre fiche d'information "*How Medicines Are Evaluated in Europe*".

2.1. Consultation scientifique commune (*Joint Scientific Consultation*, JSC)

Les JSC du HTA CG partagent une approche similaire avec les avis scientifiques (*scientific advice*) de l'EMA, mais leurs objectifs diffèrent. Les avis scientifiques de l'EMA conseillent les laboratoires pharmaceutiques sur la conception de leurs essais cliniques avant leur début, en vue d'obtention d'une AMM. Ils évaluent principalement la sécurité et l'efficacité du médicament. Les JSCs, quant à elles, aident les laboratoires pharmaceutiques à améliorer la conception de leurs essais cliniques avant leur début, afin de générer les preuves nécessaires pour les futures évaluations cliniques communes (JCAs).

La participation des patients, cliniciens et autres experts pertinents est une composante fondamentale des JSCs, telle que définie dans le HTAR. Ils interviennent en tant qu'experts individuels. La contribution des patients ne repose pas sur une expertise scientifique ou technique, mais sur leur connaissance du vécu de la maladie, des traitements existants, ainsi que leur compréhension des attentes des patients concernant les innovations thérapeutiques.

Les associations de patients peuvent également être invitées via le réseau des parties prenantes (*HTA Stakeholder Network*), qui inclut des organisations représentant les patients, les professionnels de santé et les sociétés savantes.

En vertu du HTAR, la participation des patients et des cliniciens est obligatoire pour les JSCs (contrairement aux avis scientifiques de l'EMA, où elle est facultative). En pratique, des contraintes (disponibilité ou conflits d'intérêts) peuvent exceptionnellement limiter cette

participation, bien que des mesures soient mises en œuvre pour l'éviter. Tous les experts, patients ou cliniciens, doivent déclarer tout conflit d'intérêts.

2.1.1 Sélection des patients pour une JSC

Le *HTA Secretariat* est responsable de l'identification des experts (patients et cliniciens) et de la constitution d'une liste d'experts ayant rempli les prérequis de déclaration publique d'intérêt. Afin de constituer cette liste, le *HTA Secretariat* peut solliciter des suggestions auprès :

- des membres du Réseau des Parties Prenantes (*HTA Stakeholder Network*)
- des Réseaux Européens de Référence Maladies Rares (*European Reference Network*)
- du portail des maladies rares et des médicaments orphelins (Orphanet)
- des points de contact nationaux désignés en accord avec l'article 83(1) du Règlement n°536/2014 du Parlement Européen et du Conseil.
- du vivier de patients expert de l'EMA.

Si aucun expert qualifié n'est identifié par ces voies, le *HTA Secretariat* peut également consulter

- d'autres bases de données que celles mentionnées précédemment,
- les membres du HTA Coordination Group (HTA CG) et ses sous-groupes,
- des organisations et agences internationales et européennes.

Toute information partagée doit respecter le Règlement général sur la protection des données (RGPD) — par exemple, l'expert doit avoir donné son consentement explicite pour que ses coordonnées soient communiquées.

La sélection finale est effectuée par le sous-groupe JSC (le groupe du *HTA CG* dédié aux consultations scientifiques conjointes). Tous les experts sélectionnés doivent signer un accord de confidentialité.

Le *HTA Secretariat* s'appuie ensuite sur le *Brussels Centre for Collaboration in Health* (BCCH) pour gérer la partie contractuelle et logistique avec les experts.

2.1.2 Rôle des patients dans une JSC

Les experts patients et cliniciens :

- reçoivent la note d'information (*data briefing package*) soumise par le laboratoire,
- fournissent des contributions écrites ou orales (entretien) à l'aide d'un modèle structuré (voir Tableau 2),
- examinent les documents clés, comme la liste des points à examiner (*list of issues*) et le rapport de conclusions (*outcome document*),
- sont invités à participer à une réunion de discussion avec le sous-groupe JSC du HTA CG et le laboratoire pharmaceutique (voir Figure 3).

En plus des contributions individuelles, les associations de patients peuvent être consultées pour apporter une perspective plus large sur la maladie ou les options thérapeutiques.

Tableau 2. Sections du formulaire structuré pour la contribution des patients à une JSC

	Titre de section en anglais	Traduction et description
1	***Scope and objectives***	**Portée et objectifs** : Explication du contexte et du but du questionnaire.
2	***How to complete this questionnaire***	**Comment remplir ce questionnaire** : Instructions pour compléter les sections 3 et 4
3	***Background information of the individual patient***	**Contexte et information sur le patient** : Données à caractère personnel du patient expert
4	***Input by patient contributors (or representatives, proxies, carers, etc.)***	**Contributions des patients (ou proches, aidants, représentants, etc.)** : Expériences et connaissances de la maladie
4.1	***Impact of the disease/condition***	**Impact de la maladie/affection** : Comment la maladie affecte la vie quotidienne des patients et des aidants.
4.2	***Experience with currently available therapies/health technologies***	**Expérience des traitements/technologies de santé disponibles** : Efficacité et toxicité des traitements actuels.
4.3	***Expectations for new therapies/health technologies***	**Attentes vis-à-vis des nouveaux traitements** : Ce que vous espérez qu'un nouveau traitement pourrait améliorer ou changer.
4.4	***Clinical development plan***	**Plan de développement clinique** : Avis du patient expert sur le(s) protocole(s) d'étude proposé(s)
4.5	***Additional information***	**Informations complémentaires** : Tout autre point que le patient expert aimerait soulever
4.6	***Summary and key messages***	**Résumé et messages clefs** : Synthèse des points les plus importants.

Le formulaire décrit dans le Tableau 2 est valable jusqu'avril 2026, date à laquelle le sous-groupe JSC le mettra à jour.

Les cliniciens utilisent un format différent pour leurs contributions. Ils utilisent les critères « PICO » — Population, Intervention, Comparateurs, Résultats (*Outcomes* en anglais) (voir Tableau 3).

Tableau 3. Méthodologie PICO

Critères :	Explication
P – Population *(Population)*	À qui le traitement est-il destiné ?
I – Intervention *(Intervention)*	Comment fonctionne-t-il ?
C – Comparateurs *(Comparators)*	À quoi est-il comparé ?
O – Résultats *(Outcomes)*	Quels résultats importent le plus aux patients ?

Toutes les contributions aux JSC se font via la plateforme informatique HTA (*Health Technology Assessment IT Platform*), gérée par le *HTA Secretariat*.

Pour plus d'informations sur les modalités d'application relatives aux JSCs des médicaments, veuillez consulter le Règlement d'exécution 2024/3169 et les lignes directrices applicables (*Procedural Guidance for JSCs on Medicinal Products*).

Si vous ne trouvez pas de réponses à vos questions, vous pouvez également contacter SANTE-HTA-JSC@ec.europa.eu.

Figure 3. Contribution des patients aux joint scientific consultations (JSCs)

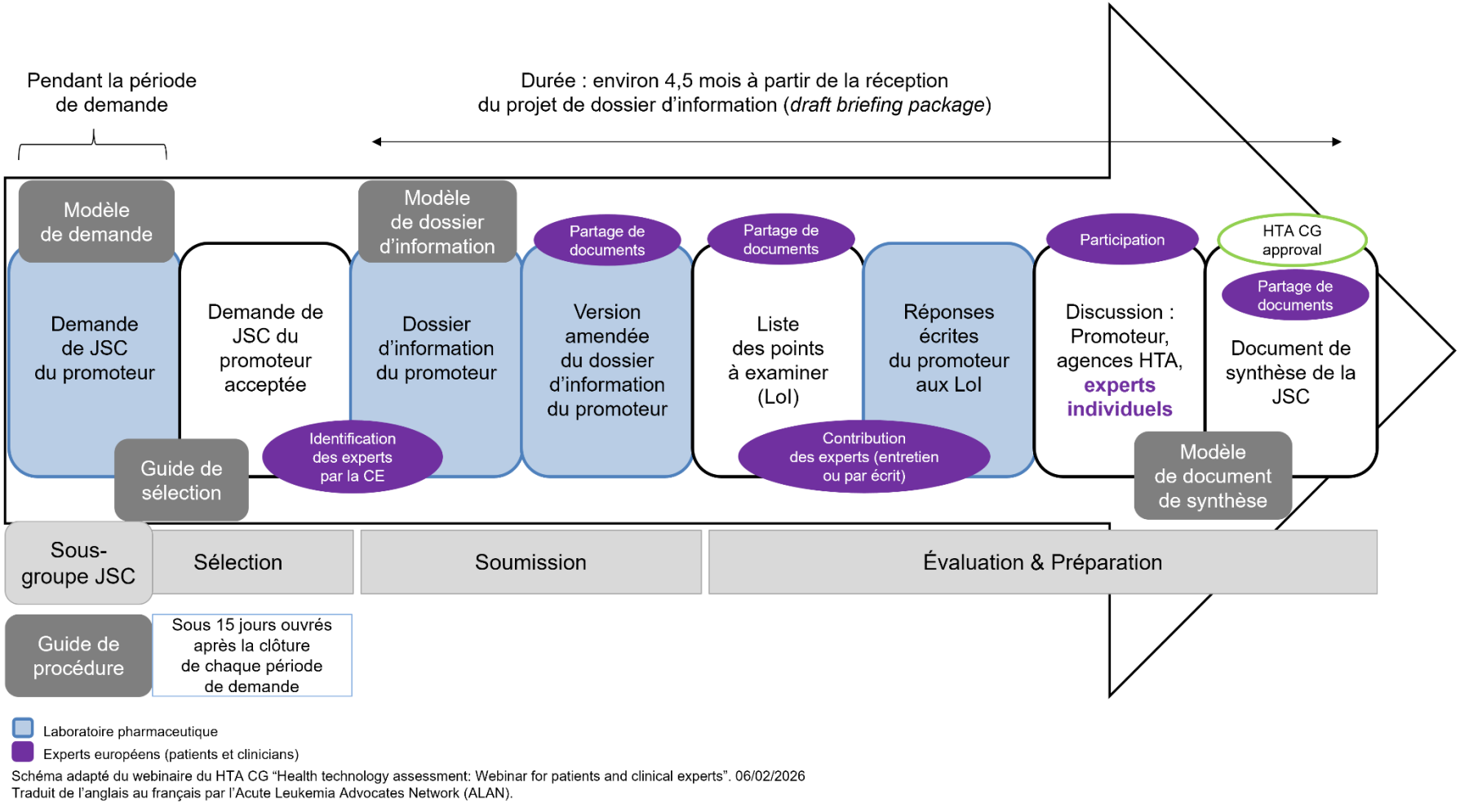


Schéma adapté du webinaire du HTA CG "Health technology assessment: Webinar for patients and clinical experts". 06/02/2026
Traduit de l'anglais au français par l'Acute Leukemia Advocates Network (ALAN).

Les traductions françaises ont été réalisées par ALAN et correspondent aux terminologies ci-dessous :
Projet de dossier d'information : *draft briefing package* ; Modèle de demande : *request template* : Modèle de dossier d'information : *briefing document template* ; Dossier d'information : *briefing package* ; Liste des points à examiner : list of issues (LoI) ; Document de synthèse de la JSC : *JSC outcome document* ; Modèle de document de synthèse : *outcome document template* ; Guide de sélection : *selection guidance* ; Guide de procédure : *procedural guidance*.

2.2. Évaluations Cliniques Communes (*Joint Clinical Assessments*, JCAs)

Un rapport JCA est un rapport scientifique commun rédigé par deux agences européennes d'évaluation des technologies de santé (désignés comme assesseur et co-assesseur). Ce rapport est le résultat de l'étape d'évaluation (*assessment*), au cours de laquelle le nouveau médicament est comparé aux traitements existants. Chaque pays utilisera ensuite ce rapport pour éclairer son avis (*appraisal*), qui consiste à décider du financement du médicament (remboursement, conditions d'accès, etc.).

Une JCA débute lorsqu'un laboratoire notifie au *HTA Secretariat* l'indication revendiquée du médicament (c-à-d l'usage thérapeutique proposé), simultanément à la soumission d'une demande d'AMM à l'EMA, en transmettant. À ce stade, aucune donnée d'essai clinique n'est transmise.

L'assesseur et le co-assesseur élaborent un projet initial de périmètre d'évaluation (*draft assessment scope*) à l'aide de la méthodologie PICO. Ce projet est également appelé proposition de PICO(s) (*PICO proposal*). Il est ensuite partagé avec tous les pays européens via une enquête PICO afin de recueillir les besoins et priorités nationaux.

Pour garantir que la perspective des patients soit prise en compte, des patients experts peuvent être invités à contribuer, soit directement par le *HTA Secretariat* ou indirectement via les agences nationales d'évaluations des technologies de santé (voir Tableau 3 & Figure 4).

2.2.1. Sélection des patients pour une JCA

Les patients français peuvent participer de deux manières à une JCA :

- en tant qu'experts avec une expérience à l'échelle européenne, sélectionnés par le *HTA Secretariat* (voir Section 2.1.1)
- en tant qu'experts nationaux, consultés par la HAS.

Alors que la participation au niveau national est facultative, elle est obligatoire au niveau européen. En pratique, des contraintes (disponibilité ou conflits d'intérêts) peuvent exceptionnellement limiter cette participation, bien que des mesures soient mises en œuvre pour l'éviter.

Pour accélérer le recrutement de patients experts nationaux, la HAS a créé un vivier de patients experts, appelé le *JCA-PICO Pool*, dont voici le processus d'inscription :

- Une association de patients propose un candidat.
- Le candidat remplit le formulaire CANDIDATUS sur le site web de la HAS.
- La HAS vérifie son CV et son profil.
- Si le candidat est approuvé, il remplit un formulaire de déclaration publique d'intérêts.
- La HAS l'ajoute au *JCA-PICO Pool* et le contacte en cas de besoin.

La déclaration d'intérêts doit être réalisée chaque fois qu'un patient est sélectionné, en fonction du médicament évalué, et mise à jour tous les ans. La déclaration d'intérêts est analysée par le déontologue de la HAS. Si celui-ci donne un avis favorable à la participation de ce patient, ce dernier signe un engagement de confidentialité.

2.2.2. Rôle des patients dans une JCA

Patients experts avec une expérience à l'échelle européenne, sélectionnés par le *HTA Secretariat.*

Le *HTA Secretariat* peut inviter des patients experts européens (patients et cliniciens) à donner leur avis sur la proposition PICO(s). Cette étape est facultative.

Une fois que les pays assesseur et co-assesseur ont examiné et consolidé les commentaires à la proposition de PICO(s)[4], le *HTA Secretariat* partage la version consolidée du PICO avec les experts européens, leur permettant ainsi de formuler des contributions supplémentaires. Cette étape est obligatoire.

Après validation, le PICO consolidé est transmis au laboratoire, qui doit alors soumettre un dossier incluant les données et preuves y répondant.

Sur la base des données fournies par le laboratoire, les pays assesseur et co-assesseur vont procéder à leur évaluation au regard du PICO consolidé et éditer un projet de rapport JCA. Les experts européens (patients et cliniciens) sont alors être invités à revoir le projet de rapport JCA avant sa validation. Cette étape est obligatoire conformément à l'Article 15 du Règlement d'application des JCAs (voir Tableau 3 et Figure 4).

Patients experts nationaux, consultés par la HAS.

Alors que l'enquête PICO est diffusée aux États membres pour recueillir leurs contributions, ces derniers ont la possibilité de solliciter des patients experts nationaux afin qu'ils contribuent à leur réponse concernant le ou les PICO proposés. La France fait partie des quelques États membres — tels que Chypre et l'Allemagne — qui consultent des experts pour commenter la proposition de PICO, cette étape étant facultative.

Dès lors que le patient expert sélectionné a signé l'accord de confidentialité, la HAS lui envoie les informations à sa disposition (à savoir : l'indication et, si le délai de consultation le permet, la proposition de PICO(s), afin qu'il formule ses commentaires en suivant les critères PICO.

En raison des délais serrés pour soumettre les contributions PICO et recruter les experts (21 jours), le nombre médian de jours de travail utile pour les patients a été de 13 jours en 2025 (minimum : 3 jours ; maximum : 25 jours).

Toutes les contributions aux JCA se font via la plateforme informatique HTA.

2.2.3. Informations et questions

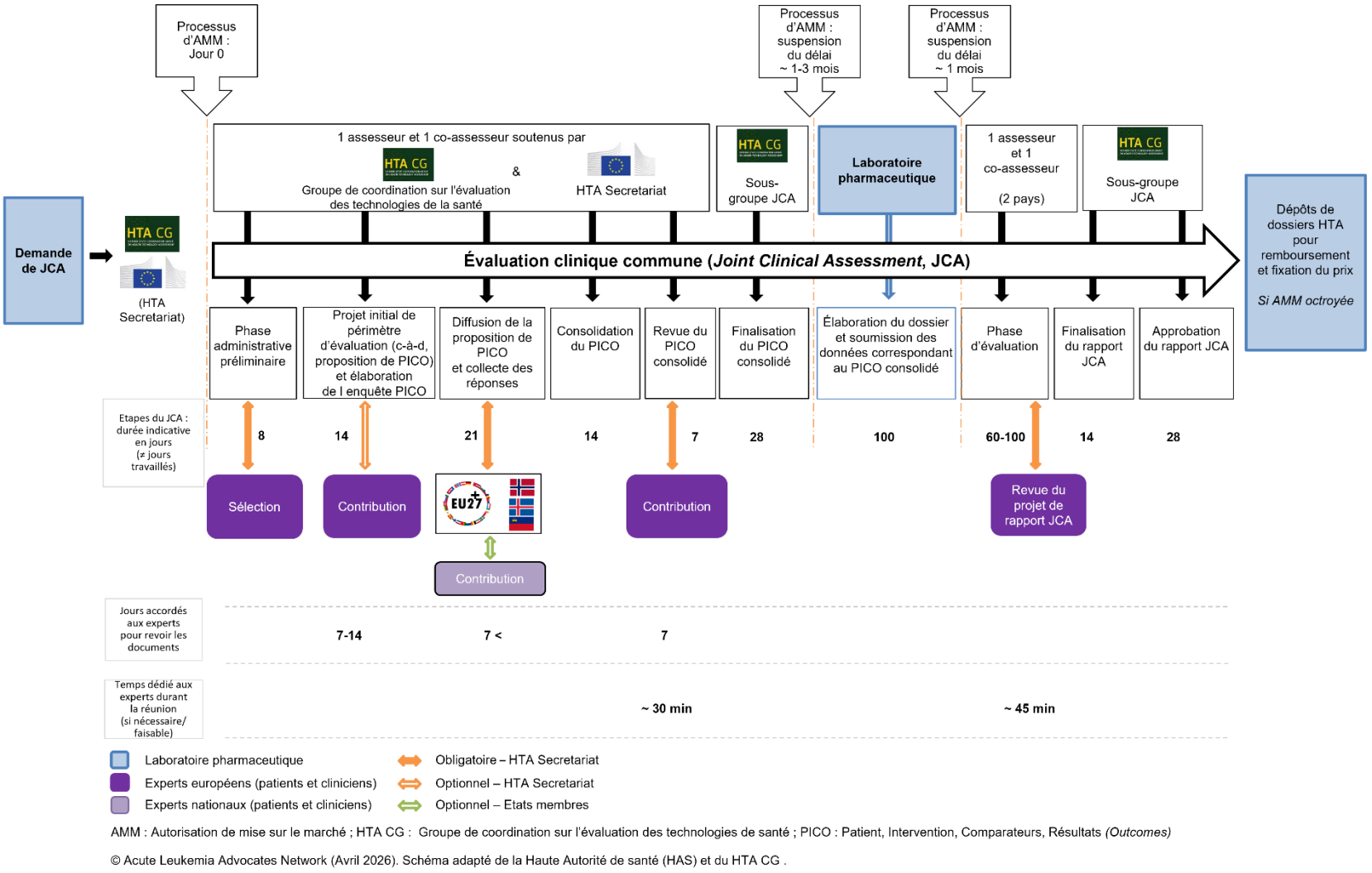
Plus d'informations sur la sélection et le rôle des patients et cliniciens experts dans les JCA sont consultables sur le site du *HTA Secretariat* et sa page FAQ dédiée. Vous pouvez également consulter les modalités d'application relatives aux JCAs, voir le Règlement d'exécution 2024/1381 et les lignes directrices applicables (*Procedural Guidance for JCAs on Medicinal Products*).

Si vous ne trouvez pas de réponses à vos questions, vous pouvez également contacter SANTE-HTA-JCA@ec.europa.eu.

Pour toute question concernant la plateforme informatique HTA, envoyez vos questions à SANTE-HTA-IT-SUPPORT@ec.europa.eu.

[4] Chaque pays peut soumettre un ou plusieurs PICO reflétant ses besoins nationaux. Ceux-ci restent dans le processus JCA, sauf si le pays décide ultérieurement de les retirer. Si plusieurs PICO sont similaires, ils peuvent être fusionnés pour simplifier le processus, mais uniquement avec l'accord des pays concernés.

Figure 4. Contribution des patients à l'évaluation clinique commune (joint clinical assessment, JCA)



3. Contribution des patients à l'évaluation des médicaments en vue de leur remboursement

Une fois qu'un rapport JCA est finalisé pour un nouveau médicament, le laboratoire pharmaceutique doit soumettre un dossier dans chaque pays afin qu'il soit remboursé par les autorités de santé. Chaque pays décide alors :

- si le médicament doit être remboursé,
- quels patients doivent y avoir accès,
- sous quelles conditions (par exemple, usage exclusif en milieu hospitalier),
- à quel prix.

En France, deux commissions sont responsables de conseiller les autorités publiques sur le remboursement des médicaments, les populations concernées et les conditions d'utilisation. Elles fournissent également un avis économique pour éclairer les négociations de tarifs de remboursement, qui sont ultérieurement menées par le Comité économique des produits de santé (CEPS). Ces commissions sont soutenues par des services spécialisés au sein de la HAS :

- **Commission de la transparence (CT)** : elle évalue le service médical rendu (SMR) et l'amélioration du service médical rendu (ASMR) du médicament, avec l'appui du Service évaluation des médicaments (SEM).
- **Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP)** : elle examine la valeur économique (rapport coût-efficacité) du médicament, avec l'appui du Service évaluation économique et de santé publique (SEESP).

L'implication des patients dans l'évaluation des médicaments à la HAS se fait de deux manières :

- en tant qu'adhérents d'associations de malades et d'usagers du système de santé agréées au sein d'une de ces deux commissions,
- en tant que partie prenante associative via une contribution écrite ou une consultation

3.1. Rôle de la Commission de la transparence (CT)

3.1.1. Avis (*appraisal*) sur le remboursement

La CT aide à décider si un nouveau médicament doit être remboursé en France et sous quelles conditions.

Jusqu'à fin 2024, le SEM évaluait tous les nouveaux médicaments, et la CT était responsable de l'avis final.

Depuis 2025, l'évaluation des médicaments en oncologie et des thérapies innovantes (*Advanced Therapy Medicinal Products*, ATMP) est désormais réalisée au niveau européen via le processus de JCA. La CT continue d'émettre un avis, en s'appuyant sur le rapport JCA comme base scientifique, ainsi que sur l'expertise du SEM. Elle ne peut pas demander des données déjà soumises durant la JCA, mais peut demander des compléments d'information. Les laboratoires pharmaceutiques ne peuvent pas soumettre à nouveau au niveau national des données déjà soumises au niveau européen.

Cette répartition des responsabilités s'appliquera aux médicaments des maladies rares (médicaments orphelins) en 2028, et à tous les médicaments autorisés par l'EMA en 2030. Certains dispositifs médicaux sont également concernés depuis 2026.[5]

[5] Dispositifs médicaux implantables de classe III ; dispositifs actifs de classe IIb destinés à administrer un médicament de l'organisme ou à l'en retirer ; dispositifs médicaux de diagnostic in-vitro de classe D

La CT est responsable de trois décisions majeures :

- **population cible** : identification des patients qui peuvent utiliser le médicament. Si son usage est limité à certains patients, on parle de « restriction d'indication ».
- **service médical rendu (SMR)** : évaluation du bénéfice médical global du médicament, basée sur cinq critères :
  - la gravité de la maladie,
  - l'efficacité clinique et la sécurité du produit,
  - son objectif thérapeutique,
  - sa place dans la stratégie thérapeutique,
  - son impact sur la santé publique.

  Sur la base de ces critères, il est classé en quatre niveaux, déterminant le taux de remboursement :
  - Important (65 %)
  - Modéré (30 %)
  - Faible (15 %)
  - Insuffisant (non remboursé).
- **amélioration du service médical rendu (ASMR)** : mesure de la valeur ajoutée par rapport aux traitements existants, l'ASMR sert de base aux négociations de prix avec le CEPS et est notée de I à V :
  - I (amélioration majeure) à IV (amélioration mineure) : prix supérieur à celui des comparateurs.
  - V (absence de progrès thérapeutique) : prix aligné sur celui des comparateurs

Critères de décision de la CT

La CT base ses décisions sur :

- la gravité de la pathologie,
- l'efficacité clinique et la sécurité du médicament,
- la place du médicament dans la stratégie thérapeutique existante,
- selon le cas, l'intérêt de santé publique (ISP).

Dans le cadre du Règlement européen sur l'HTA (HTAR), la CT doit :

- joindre le rapport JCA à son avis,
- expliquer comment le rapport JCA a été utilisé dans son avis,
- et transmettre son avis final au *HTA Secretariat* dans un délai de 30 jours.

La CT peut réévaluer un médicament si de nouvelles preuves scientifiques deviennent disponibles.

3.1.2. Évaluation (*assessment & appraisal*) en vue d'accorder un accès précoce

Le dispositif d'autorisation d'accès précoce permet à certains patients de bénéficier de traitements prometteurs avant l'obtention d'une AMM ou d'un remboursement définitif.

Comme ce dispositif n'est pas couvert par le HTAR, son évaluation reste nationale et est confiée au SEM ; la CT intervient ensuite pour formuler un avis en s'appuyant sur les conclusions de cette évaluation. L'autorisation finale est octroyée par le Collège de la HAS.

Concernant les médicaments n'ayant pas encore obtenu d'AMM, l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) vérifie d'abord si les données cliniques disponibles démontrent que le bénéfice présumé l'emporte sur les risques. Ce premier critère est considéré comme rempli d'office pour les médicaments ayant déjà obtenu une AMM de l'EMA.

Pour accorder l'accès précoce, la CT évalue si le médicament répond à quatre autres critères :

- Il est indiqué dans une maladie grave, rare ou invalidante.
- Il n'existe pas de traitement approprié disponible.
- La mise en œuvre du traitement évalué ne peut pas être différée.
- Ce médicament est présumé innovant, notamment au regard d'éventuels comparateurs cliniquement pertinents.

3.2. Rôle de la Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP)

La CEESP évalue si un nouveau médicament offre un rapport qualité-prix acceptable pour le système de solidarité nationale. Elle intervient lorsque le laboratoire revendique :

- une ASMR modérée à majeure (niveaux I à III) et
- un « impact significatif » sur les dépenses de l'Assurance maladie.

La notion d'impact significatif s'applique dans les cas suivants :

- le produit est un médicament de thérapie innovantes (MTI) ou,
- le chiffre d'affaires prévisionnel de la 2e année de commercialisation est susceptible de coûter 20 millions € ou plus par an.
- le laboratoire revendique une incidence sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les conditions de prise en charge des malades.

Dans ces situations, la CEESP examine les études économiques fournies par le laboratoire, comme les analyses coût-efficacité, et rend un avis. Celui-ci est ensuite utilisé par le Comité économique des produits de santé (CEPS) pour orienter les négociations de prix.

3.3. Adhérents d'associations de malades et d'usagers du système de santé membres de la CT et la CEESP

3.3.1. Composition de la CT et de la CEESP

Les deux commissions incluent des experts indépendants, nommés pour un mandat de trois ans (renouvelable deux fois) :

- 22 membres titulaires (voix délibérative) :
  - 20 experts scientifiques ou médicaux (CT) ou de santé publique ou d'évaluation économique (CEESP)
  - 2 adhérents d'une association agréée de malades et d'usagers du système de santé.

- 7 membres suppléants (voix consultative), dont un 1 adhérent d'une association agréée de malades et d'usagers du système de santé.
- 6 membres avec voix consultative représentant :
  - la Direction de la sécurité sociale, DSS
  - la Direction générale de la santé, DGS
  - la Direction générale de l'offre de soins, DGOS
  - la Caisse nationale de l'assurance maladie, CNAM
  - la Mutualité sociale agricole, MSA
  - l'Agence nationale de sécurité des médicaments et des produits de santé, ANSM – dans la CT seulement
  - l'Union nationale des caisses d'assurance maladie, UNCAM – dans la CEESP seulement.

Tous les membres avec voix délibérative disposent d'un droit de vote égal, et les membres adhérents d'une association agréée de malades et d'usagers du système de santé peuvent influencer de manière significative les décisions, notamment dans les cas où les votes sont serrés.

3.3.2. Processus de sélection des patients et usagers du système de santé

La HAS lance des appels à candidatures pour renouveler les membres. Pour postuler, les patients et usagers du système de santé doivent :

- être adhérent d'une association agréée de malades et d'usagers du système de santé,
- fournir une lettre de motivation, un CV, et une déclaration publique d'intérêts.

Un comité de sélection (incluant un déontologue) examine les candidatures. La validation finale est assurée par le Collège de la HAS.

3.4. Contribution des patients et usagers du système de santé à l'évaluation des médicaments au niveau national

3.4.1. Implication des patients dans les rencontres précoces

La HAS propose des « rencontres précoces » avec les laboratoires pharmaceutiques pour les produits innovants en cours de développement clinique. Ces rencontres, sollicitées par les laboratoires, permettent de formuler des recommandations sur le développement clinique des produits et de préciser les données attendues pour leur évaluation en vue du remboursement. Les rencontres précoces ont un objectif similaire aux JSC au niveau européen.

Dans ce cadre, la HAS peut inviter des patients à des entretiens d'une heure pour recueillir leur vécu de la maladie, identifier les besoins non couverts par les traitements actuels, comprendre les critères et résultats qui comptent le plus pour eux, ainsi que leurs espoirs ou inquiétudes concernant le médicament et les futurs traitements.

La HAS n'organise pas de rencontres précoces pour un médicament ayant déjà fait l'objet (ou en cours) d'une JSC. À l'inverse, elle ne participe pas à une JSC si elle a déjà mené des rencontres précoces pour ce même médicament.

3.4.2. Contribution des aux processus d'accès précoce et de remboursement des médicaments

Une contribution associative, deux commissions

Lorsqu'un nouveau médicament est en cours d'évaluation, les associations de malades et d'usagers du système de santé ont la possibilité de soumettre une contribution écrite au Service engagement des usagers (SEU) de la HAS. Ce document est ensuite transmis au SEM et à la CT et, le cas échéant, à la CEESP. Les membres des deux commissions examinent cette contribution, et les adhérents d'associations de malades et d'usagers du système de santé membres de la CT ou la CEESP peuvent la présenter ou s'y référer lors des réunions.

Voir la Figure 5 pour un aperçu de l'intégration des contributions des patients dans le processus français d'évaluation des médicaments.

Comment savoir qu'un médicament est en cours d'évaluation ?

Les associations de malades et d'usagers du système de santé peuvent se tenir informées en :

- s'inscrivant aux alertes par e-mail (voir les instructions en note de bas de page) [6],
- suivant le compte Twitter/X de la HAS,
- consultant les mises à jour hebdomadaires sur son site internet, qui répertorient les médicaments en cours d'évaluation et les dates limites de soumission.

Qui peut soumettre une contribution ?

Seules les associations de malades et d'usagers du système de santé (et non des patients à titre individuel) peuvent soumettre des contributions écrites. Les associations n'ont pas besoin d'être agréées pour participer.

Contenu de la contribution écrite

Le SEU de la HAS fournit un questionnaire standardisé couvrant :

- l'impact de la maladie sur la vie quotidienne des patients et des aidants,
- les expériences avec les traitements existants,
- les attentes et inquiétudes concernant le nouveau médicament.

Le délai standard pour soumettre la contribution est de 45 jours, mais des échéances plus courtes peuvent s'appliquer.

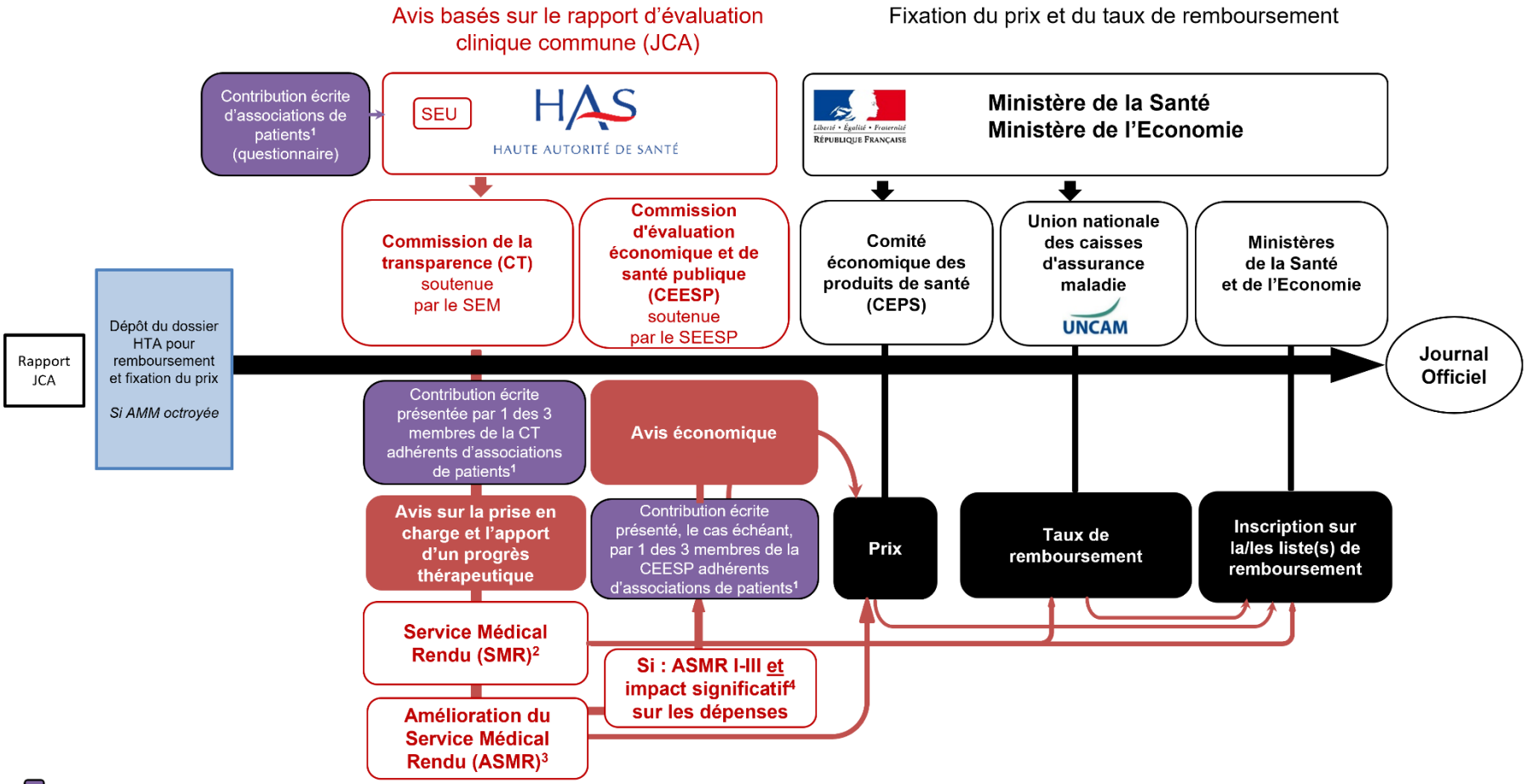
Présentations des contributions lors des réunions de la CT et de la CEESP

Dans le cadre d'une **évaluation pour un accès précoce**, les associations de malades et d'usagers du système de santé peuvent demander à présenter leur contribution lors d'une réunion de la CT. La décision d'accepter ou de refuser cette demande revient à la CT.

En cas de refus, l'un des trois membres de la CT qui sont adhérents d'associations de malades et d'usagers du système de santé présente oralement un résumé de la contribution écrite, généralement sous forme de 4 à 5 diapositives en 5 minutes.

[6] *https://www.has-sante.fr/jcms/fc_2875371/fr/abonnement-alerte-email* :
Sélectionnez « Qualité des soins et de l'accompagnement > Droits des usagers > Information et droits des usagers > médicaments ». Choisissez « fréquence quotidienne » pour être informée sans délai de toute nouvelle évaluation.

Figure 5. Contribution des patients aux évaluations complémentaires du SEM et aux avis de la CT et de la CEESP



Contributions des patients et usagers de santé

SEU : Service Engagement des Usagers ; SEM : Service Evaluation des Médicaments ; SEESP : Service Evaluation Economique et de Santé Publique.

1 La terminologie officielle de la HAS pour désigner les associations de patients est « associations de malades et d'usagers du système de santé ».

2 Le SMR répond à la question : « Le médicament a-t-il suffisamment d'intérêt pour être pris en charge par la solidarité nationale au regard des comparateurs cliniquement pertinents (CCP) ? »

3 L'ASMR répond à la question « Le médicament apporte-t-il un progrès par rapport au(x) CCP ?

4 Impact significatif sur les dépenses de l'Assurance Maladie : médicament de thérapie innovantes (MTI) ou chiffre d'affaires prévisionnel annuel ≥ 20 millions € ou incidence sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les conditions de prise en charge des malades.

Acute Leukemia Advocates Network (2026). Schéma adapté de la Haute Autorité de santé (HAS).

Elles incluent aussi le point de vue de l'association sur trois des quatre critères clés pour attribuer l'accès précoce :

- le médicament est indiqué dans une maladie grave, rare ou invalidante.
- il n'existe pas de traitement approprié disponible.
- il est présumé innovant, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.

Pour les **évaluations en vue du remboursement**, les associations de patients ne peuvent pas présenter directement leur contribution lors de la réunion de la CT. Dans ce cas, l'un des trois membres de la CT adhérents d'associations de malades et d'usagers du système de santé expose les points clés en leur nom, en suivant le même format que pour l'accès précoce (à l'exception des critères spécifiques à celui-ci).

Si la CEESP examine également le médicament dans le cadre du remboursement, l'un de ses trois membres adhérents d'associations de malades et d'usagers du système de santé peut se référer à cette même contribution ou la présenter lors des discussions de la Commission.

3.5. Après les avis de la CT et de la CEESP : fixation du prix et du remboursement

Une fois que la CT et la CEESP ont rendu leurs avis, deux étapes clés interviennent :

- L'Union Nationale des Caisses d'Assurance Maladie (UNCAM) fixe le taux de remboursement.
- Le Comité Économique des Produits de Santé (CEPS) négocie le prix avec le laboratoire pharmaceutique.

La décision finale concernant le remboursement revient au ministère de la Santé. Pour le prix, bien que le ministère le valide formellement, c'est le CEPS qui mène les négociations et propose le prix final. Le prix est déterminé en fonction :

- du niveau d'ASMR,
- du prix des médicaments similaires en France (comparateurs cliniquement pertinents),
- des prix pratiqués dans d'autres pays européens.

Enfin, l'avis de la CT et la contribution des associations de malades et d'usagers du système de santé sont publiés sur le site internet de la HAS.

Il est important de noter que les associations malades et d'usagers du système de santé ne sont pas invitées à commenter le projet d'avis de la CT avant sa finalisation. Leur contribution intervient uniquement en amont, avant l'élaboration du projet de recommandation.

Les patients peuvent néanmoins faire part de leur désaccord avec les résultats d'une évaluation de médicament. Toute communication écrite soulevant des questions ou des préoccupations reçoit systématiquement une réponse et peut déboucher sur des rencontres en présentiel. Ces échanges sont gérés par le SEU.

Pour aller plus loin

Veuillez consultez nos fiches :

- *Health Technology Assessment and Reimbursement: What is the Difference?*
- *How Medicines Are Evaluated in Europe*
- *Involvement of German Patients in Health Technology Assessment and Reimbursement of Medicines at European and National Levels*

Nos sincères remerciements aux équipes de la Haute Autorité de santé (HAS) pour leurs précieux conseils et leur relecture attentive de ce document.

Rédigé par Anne-Pierre Pickaert, conseillère en plaidoyer et communication santé (anne-pierre@care4access.fr), au nom du Acute Leukemia Advocates Network (ALAN) Avril 2026.

REFERENCES

Arcà, E.; Barlassina, A.; Eze, A.; Strammiello, V (2025). Enhancing Patient Engagement in HTA: Using Consensus Research to Overcome PICO Scoping Challenges Under the EU HTAR. J. Mark. Access Health Policy 2025, 13, 27. https://doi.org/10.3390/jmahp13020027

Cochat P. (2026). Chapter 29 Discussion: Perspective of an HTA Appraisal Committee Chair in France. Patient Involvement in Health Technology Assessment. Editors: Karen M. Facey, Anke-Peggy Holtorf, Ann N.V. Single. Open access: *https://link.springer.com/book/10.1007/978-3-032-11284-2*

EUnetHTA (2007). EUNetHTA comments on the Discussion Document: "Health in Europe: A Strategic Approach". https://ec.europa.eu/health/ph_overview/strategy/docs/R-032.pdf*. Accessed on on July 31, 2025.*

European Commission (2023). IMPLEMENTING THE EU HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT REGULATION. https://health.ec.europa.eu/latest-updates/factsheet-implementing-eu-health-technology-assessment-regulation-2023-05-16_en*. Accessed on July 31, 2025.*

European Union. Regulation (EU) 2021/2282 of the European Parliament and of the Council of 15 December 2021 on health technology assessment and amending Directive 2011/24/EU (Text with EEA relevance). PE/80/2021/INIT. https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2021/2282/oj

Commission Implementing Regulation (EU) 2024/1381 of 23 May 2024 laying down, pursuant to Regulation (EU) 2021/2282 on health technology assessment, procedural rules for the interaction during, exchange of information on, and participation in, the preparation and update of joint clinical assessments of medicinal products for human use at Union level, as well as templates for those joint clinical assessments. http://data.europa.eu/eli/reg_impl/2024/1381/oj

Haute Autorité de santé (2024). Contribuer à l'évaluation des médicaments en vue de leur remboursement ou d'une autorisation d'accès précoce. May 7. 2024. https://www.has-sante.fr/jcms/p_3114053/fr/contribuer-a-l-evaluation-des-medicaments-en-vue-de-leur-remboursement-ou-d-une-autorisation-d-acces-precoce*. Accessed on July 31, 2025.*

Haute Autorité de santé (2022). Règlement intérieur de la commission d'évaluation économique et de santé publique. Décision n° 2022.0168 le 25 mai 2022. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2022-06/reglement_interieur_ceesp_-_actualisation_25_mai_2022_2022-06-10_15-42-42_537.pdf

Haute Autorité de santé (2022). Règlement intérieur de la Commission de la Transparence. décision n° 2022.0168/DC/SJ le 25 mai 2022. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2020-11/reglement_interieur_commission__de_la_transparence__19112020.pdf

Haute Autorité de Santé (2026). Évaluation clinique commune des médicaments (JCA) : participation des patients experts dans la phase de cadrage au niveau national Bilan de l'expérimentation à 1 an. 25 mars 2026.
https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2026-04/dir1/evaluation_clinique_commune_des_medicaments_jca_participation_des_patients_experts_dans_la_phase_de_cadrage_national__rappor.pdf

Member State Coordination Group on Health Technology Assessment (2025). EU HTA Regulation for Patients and Clinical Experts. Webinar May 16, 2025.

Member State Coordination Group on Health Technology Assessment (2026). Health technology assessment: Webinar for patients and clinical experts". February 6, 2026.

ALAN

Acute Leukaemia Advocates Network