

# (Ré)inventer l'économie du médicament Colloque du 27 juin 2022

#### Table des matières

Avant-propos 3
Mot d'ouverture 5
Keynote de Jean Tirole
Table ronde 1
Réinventer la régulation du médicament
Table ronde 2
Inventer de nouvelles modalités de financement
Questions-réponses 40
Les intervenants44
Les animateurs 50



#### **Avant-propos**

Repenser l'économie du médicament doit devenir une priorité en France, à l'heure où l'on assiste à une déconnexion croissante entre les besoins en médicaments et la régulation de notre secteur. Préserver un modèle de croissance pour les médicaments établis aussi bien que pour les innovants, est absolument essentiel pour garantir aux patients leur accès sur le long terme.

Face à l'essoufflement du système actuel de la régulation, qui menace cette croissance indispensable pour satisfaire les besoins de santé des Français, il est urgent d'inventer de nouvelles solutions acceptables par tous — industriels, Sécurité sociale, citoyens — et de coordonner leur mise en place par le secteur de la santé. Deux lignes principales ont été esquissées lors du colloque (Ré)inventer l'économie du médicament organisé par le Leem le 27 juin 2022 : introduire davantage de mécanismes pluriannuels pour donner plus de visibilité sur les années futures ou chercher d'autres sources de financement hors Sécurité sociale.

Le Leem a travaillé à cette occasion avec des économistes de la santé, qui ne sont pas des interlocuteurs habituels pour les industriels, et cela nous a permis non seulement de prendre de la hauteur sur des problématiques techniques complexes, mais aussi d'aboutir à des solutions concrètes, que nous souhaitons partager avec les administrations compétentes ; elles pourraient ainsi être mises en œuvre dans les prochains exercices législatifs et réglementaires.

Bonne plongée dans les arcanes de la régulation et du financement du médicament!

**Thierry Hulot** 

Président du Leem



# (RÉ)INVENTER L'ÉCONOMIE DU MÉDICAMENT

#### **MOT D'OUVERTURE**

# Relever ensemble les défis de la régulation et du financement du médicament



Olivier Nataf

Président d'AstraZeneca France et président du Leem par intérim (1er juin-5 juillet 2022)

Mot d'ouverture https://tinyurl.com/ONataf



Bienvenue au colloque du Leem (Ré)inventer l'économie du médicament, en présence de chercheurs de la Toulouse School of Economics (TSE). Depuis deux ans, le partenariat entre le Leem et TSE nous permet de publier et d'organiser des événements pour

donner de la perspective à l'économie de la santé, et en particulier à l'économie du médicament.

Je veux partager avec vous deux messages, un point d'alerte et une note d'espoir. Le point d'alerte : nous avons le sentiment d'arriver au bout d'un système. Ce sentiment est soutenu par des enjeux particulièrement importants en termes de besoins médicaux et d'organisation des soins : reconstruire l'hôpital, réorganiser les soins de ville, accueillir l'innovation, avec de la prospective, et considérer l'innovation non comme un

poste de dépense mais comme un poste d'investissement. Jusqu'à présent, le médicament a été une variable d'ajustement pour l'économie de la santé, et en particulier au sein du PLFSS<sup>(1)</sup>: 11% des dépenses de l'Assurance maladie sont affectées au médicament aujourd'hui, contre 14% en 2010. Or, le médicament représente 50% des économies réalisées chaque année sur l'Assurance maladie. C'est une contradiction qui peut freiner l'innovation.

La note d'espoir, c'est le CSIS<sup>(2)</sup> 2021, qui est l'opportunité non seulement de dire ce que l'on va faire, mais surtout de faire ce que l'on a dit. D'un point de vue politique, d'un point de vue économique, d'un point de vue industriel. Pour relever ensemble les défis de la régulation et ceux du financement.

Avant de plonger comme chaque année le nez dans le guidon du PLFSS, il est essentiel de prendre du recul, pour avoir une meilleure perspective. C'est tout l'objet de ce colloque.

<sup>(1)</sup> Projet de loi de financement de la Sécurité sociale. Il est voté chaque année par le Parlement français.

<sup>(2)</sup> Conseil stratégique des industries de santé.

#### **KEYNOTE DE JEAN TIROLE**

## Pourquoi la Toulouse School of Economics consacre-t-elle des travaux au médicament?





Je suis très heureux de parler aujourd'hui, parce que je pense que ce dialogue entre l'État, les laboratoires et les universitaires est très important. Il va falloir avoir ce dialogue pour profiter de toutes

les promesses de la santé aujourd'hui, avec les nouvelles découvertes. L'ARN messager est un exemple, mais il y a l'intelligence artificielle (IA), la génétique, etc. Et aussi une possible réduction des inégalités. Je pense aux déserts médicaux, aux maladies orphelines, aux pays pauvres.

Ceci étant dit, il y a aussi énormément de défis économiques et sociétaux à relever. D'une part, on assiste au vieillissement de la population. D'autre part, on voit arriver des thérapies de plus en plus ciblées, qui vont coûter extrêmement cher. De très bonnes nouvelles, mais des sources de défis importants. Dans tous les pays, il faudra chercher des moyens pour réduire les inefficacités dans un environnement réglementaire très compliqué, continuer à financer tout en protégeant l'accès aux soins et bien négocier le tournant numérique, de l'IA, de la génétique.

Pourquoi un économiste s'intéresse-t-il au sujet du médicament ? Cela me semble évident. Nous sommes tous responsables de l'organisation du système de santé. Nous avons tous notre jeu d'acteur. En France, c'est souvent l'État qui intervient, mais aussi les assurances privées — et, dans les autres pays, les organismes de gestion intégrée des soins de santé —, les fournisseurs de soins au sens large (hôpitaux, médecins, laboratoires pharmaceutiques, pharmaciens...), bref, tout l'écosystème de santé et nousmêmes en tant que patients, nous avons aussi nos responsabilités. Nous exerçons



des «externalités» (voir définition cicontre), pour utiliser le jargon de l'économie. Par exemple, quand on ne se vaccine pas assez, on consomme trop d'antibiotiques. Mais aussi des internalités, quand on ne défend pas les meilleurs

intérêts pour soi-même.

Cette interaction entre jeux d'acteurs est compliquée par le fait qu'il y a souvent un manque de vision globale et de gestion intégrée. Nous y reviendrons dans certaines tables rondes, avec la question des différentes prérogatives et des budgets étanches. Vous connaissez tous les problèmes de la médecine ambulatoire et des hôpitaux, l'engorgement des urgences, les faibles incitations à la prévention... Ce sont des problèmes fondamentalement économiques, sur lesquels il faut travailler.

Je dois dire quelques mots sur les défis industriels de la santé. Dans le monde de la tech, il y a quelque chose d'assez catastrophique. Sur les 20 plus grandes entreprises technologiques mondiales, 11 sont américaines et 9 sont chinoises. Aucune en Europe. C'est vraiment catastrophique, à la fois pour l'innovation, pour la création de nouveaux emplois, etc. En santé, c'est un peu mieux. Sur les 15 plus grandes entreprises de biotechnologie et de pharmaceutique, il y en 8 aux États-Unis et 7 en Europe. Ce n'est pas si mal que ça. Mais il y a un défi : le passage d'une approche de masse à une approche plus individualisée et l'entrée des géants américains et chinois de la technologie, qui ont les données de santé à partir d'objets connectés ou de données génétiques, et qui sont extrêmement forts en IA, avec des réserves financières infinies. Face à cela, le paysage sera-t-il toujours le même dans dix ou vingt ans ? Je n'en

#### Externalité

Une externalité est une situation économique dans laquelle l'action d'une personne ou d'une chose a une influence directe, positive ou négative, sur une autre personne sans que cette dernière n'ait un lien avec l'action d'origine.

> sais rien. Je l'espère, mais ce n'est pas garanti.

> Je vais parler de l'Europe, parce que la France est un petit pays. Les choses devraient se passer davantage au niveau européen. L'Europe fait face à des défis multiples. D'abord, celui que je connais le mieux, c'est le défi universitaire. Le retard que nous avons pris en France et plus généralement en Europe dans le milieu universitaire se traduit par une déficience de start-up. Ces dernières partent aux États-Unis le jour où elles réussissent. On a un défi européen d'or-

Il faut beaucoup plus d'Europe si on veut pouvoir exister face à la Chine et aux États-Unis.

ganisation, de capacité à travailler ensemble. Cela transparaît au niveau du financement, au niveau des autorisations de mise sur le marché. au niveau de beaucoup de choses. Comme dans d'au-

tres domaines, on n'a pas assez d'Europe, or il faut beau-

coup plus d'Europe si on veut exister face à la Chine et aux États-Unis. Et on n'en est pas là. Là, on est face à un défi qui nous dépasse tous, qui est gigantesque.

Sur le financement, on a besoin que l'État investisse beaucoup d'argent dans des technologies de rupture, comme la Corée l'a fait, comme le font les États-



Les problèmes de la médecine ambulatoire, l'engorgement des urgences, les faibles incitations à la prévention... sont des problèmes économiques sur lesquels il faut travailler.

Unis, avec DARPA(1) et BARDA(2). En Europe, on n'arrive pas à se mettre d'accord, mais en plus, on ne comprend pas le problème de la gouvernance de ces organisations. Elles marchent précisément parce qu'elles ont une gouvernance. Si vous êtes intéressés, lisez mon rapport sur les défis de l'avenir<sup>(3)</sup> coécrit avec Olivier Blanchard. En l'occurrence, c'était sur le climat, mais on peut faire exactement les mêmes remarques sur la santé, avec un organisme finançant les recherches qui vont mener à une rupture, avec beaucoup de risque et de gouvernance à la clé. Si on n'adopte pas cela (malheureusement, on ne l'a pas fait pour le Conseil européen de l'innovation), il faut vraiment changer notre méthode de travailler.

Sur l'avenir de la santé, quelques mots pour conclure. La santé est essentiellement technologique, mais il y a en elle du sociétal : à la fois l'économie et les sciences sociales et humaines ont inté-

rêt à l'étudier. À la TSE, nous travaillons beaucoup sur ces questions, et pas seulement en économie, puisque depuis onze ans, nous avons un centre d'études avancées, avec des psychologues, des sociologues, des politologues, des anthropologues, qui nous donnent une vision beaucoup plus large des sciences humaines et sociales. L'économie de la santé s'est développée très rapidement aux États-Unis. Je remercie d'ailleurs nos collègues américains et anglosaxons, qui nous font l'amitié de présenter certains de leurs travaux cet après-midi à la conférence académique. Malheureusement, on compte très peu d'économistes de la santé en France et plus généralement en Europe. Il y a vraiment un enjeu à développer ce type de recherches sur ces territoires, et à faire émerger une nouvelle génération d'économistes de la santé. Une de nos tâches à la TSE, est de familiariser nos étudiants et doctorants à ces problématiques de la santé, passionnantes intellectuellement. On le fait de plus en plus, en partie sous l'impulsion de Pierre Dubois<sup>(4)</sup>. TSE est une institution qui se mobilise en Europe sur ces problématiques (*voir encadré ci-dessous*).

Notre ambition est d'aller plus loin : de développer comme nous l'avons fait dans d'autres domaines de l'économie industrielle, notamment le digital, un réseau international de recherche ; de publier nos travaux dans les grandes revues internationales à comité de lecture. C'est cela qui valide la qualité de notre travail et qui garantit notre indépendance. C'est tout à fait crucial. Je me réjouis beaucoup de faire partie de cette aventure intellectuelle et de vous écouter



L'idée, c'est de créer un débat intellectuel autour de ces sujets et de les amener sur le plan politique.

aujourd'hui, d'apprendre de vous. Je suis convaincu que l'interaction de nos équipes de chercheurs avec les experts du secteur (des laboratoires pharmaceutiques aux start-up, en passant par les professeurs de CHU, les représentants du ministère et de la filière) va nous aider à progresser énormément sur ces questions. L'idée, c'est de créer un débat intellectuel autour de ces sujets et de les amener sur le plan politique, qui sort alors de notre domaine.

Merci beaucoup pour votre attention. J'attends avec impatience les débats d'aujourd'hui.

#### La Toulouse School of Economics, ou TSE

Centre de recherche international, le premier département d'économie d'Europe continentale.

- ▶ 150 chercheurs
- ≥ 2500 étudiants
- ► Un Centre Santé créé en 2021 et dirigé par Pierre Dubois.
- ➤ Sujets étudiés : organisation du système de soins, financement de l'innovation, prise en charge de la dépendance, développement d'une alimentation durable et réglementation du secteur pharmaceutique.



https://tinyurl.com/KeynoteJT

- (1) Defense Advanced Research Projects Agency (Agence pour les projets de recherche avancée de la défense). Il s'agit d'un programme de recherche pour les technologies de pointe. La DARPA est une division du département américain de la Défense.
- (2) La Biomedical Advanced Research and Development Authority est un bureau du département de la Santé et des Services sociaux des États-Unis. Il est chargé de l'acquisition et du développement de contre-mesures médicales, principalement contre le bioterrorisme, y compris les menaces nucléaires, radiologiques, biologiques et chimiques (NRBC), ainsi que les pandémies (grippe, Covid-19...) et les maladies émergentes. Le modèle de la BARDA a inspiré HERA (Autorité européenne de préparation et de réaction en cas d'urgence sanitaire).
- (3) « Les grands défis économiques », rapport de la Commission internationale présidée par Olivier Blanchard et Jean Tirole, remis au président de la République en juin 2021.
- (4) Pierre Dubois est professeur de sciences économiques à la Toulouse School of Economics dont il dirige le Centre Santé.



# Réinventer la régulation du médicament

La France, berceau de la Sécurité sociale et de l'une des plus faibles participations au monde des patients à leurs frais de médicaments, se trouve confrontée à un paradoxe en matière de santé publique : elle doit concilier la nécessité de réguler les dépenses de l'Assurance maladie, financée sur des fonds publics non extensibles à l'infini, et celle de renforcer l'attractivité de la France, à la fois sur le plan économique et en termes de progrès thérapeutique.

Les leviers actuels de la régulation ont-ils été poussés trop loin, au point de provoquer des délocalisations et de nuire à l'attractivité ? Doit-on inventer d'autres types de régulation ? Peut-on même imaginer une régulation attractive du médicament ?

Pour faire émerger des solutions d'avenir, le Leem a ouvert le débat entre institutionnels, régulateurs, industriels et économistes.

## と Les intervenants



Corinne **Blachier-Poisson Bouyoux** Vice-Présidente et directrice générale d'Amgen France, présidente

de l'Agipharm



Président du CEPS

**Philippe** 



Jean-François **Brochard** Président de Roche France



**Dubois** Professeur de sciences économiques à la Toulouse School of Economics (TSE)

**Pierre** 



**Kyle** Professeure d'économie à Mines ParisTech

Margaret



**Dominique** Libault Directeur de l'EN3S et président du HCFiPS



La table ronde était animée par Juliette Moisset, directrice des opérations économiques du Leem.



Nous sommes aujourd'hui face à un paradoxe : le médicament est financé majoritairement par l'Assurance maladie, par des fonds publics, et il est nécessaire de réguler son chiffre d'affaires, les fonds publics n'étant pas extensibles. Mais, à la fois, nous avons un réel besoin d'attractivité économique, de réindustrialisation de la France, mais aussi d'attirer l'innovation thérapeutique sur le territoire. Quelle est votre vision de ce paradoxe entre régulation et attractivité?



Je pense que le paradoxe vient du fait que la régulation économique des comptes publics cherche à maintenir les dépenses dans une enveloppe fixée chaque année suivant un contexte d'équilibre des comptes, et qu'elle ne tient pas du tout compte de l'arrivée des innovations. Les médicaments qui sont aujourd'hui au stade du remboursement par la Sécurité sociale sont le fruit d'investissements décidés il y a plus de dix ans, voire vingt ans. Or, ils arrivent de manière très soutenue depuis quelques années. Quand on regarde le nombre de nouvelles substances actives sur le site de l'EMA (Agence européenne des médicaments) depuis 2015, le rythme est de 30 à 40 par an. On dépasse même les 50 substances actives l'an dernier. Ceci est complètement indépendant de la politique des comptes publics.

Une deuxième tension est à l'œuvre entre le financement de ces innovations et la relocalisation industrielle. La pandémie a mis sur le devant de la scène la sécurité sanitaire et le fait que la production de nombreux médicaments anciens ait été délocalisée dans des pays à bas prix. L'objectif de l'État est à présent de ramener ces producteurs industriels en France, grâce à des politiques de prix plus favorables. Ce qui était un outil de gain et d'économie au sein de l'enveloppe budgétaire devient maintenant un outil de politique industrielle.

Enfin, les tensions inflationnistes sur le coût des médicaments vont avoir des répercussions sur les innovations, notamment sur ces médicaments à relocaliser.



Avant la crise sanitaire, les comptes sociaux étaient proches de se rééquilibrer. On pouvait dégager des marges de manœuvre pour l'avenir sur un certain nombre de sujets, dont le vieillissement de la population, mais aussi l'innovation du médicament. La crise sanitaire est passée par là, et aujourd'hui, nous faisons face à une situation beaucoup plus compliquée en matière de finances sociales, et de finances publiques en général. On ne peut pas accumuler indéfiniment de la dette publique. La remontée des taux d'intérêt nous le rappelle, il faut équilibrer notre système de solidarité.

Où faire plus d'économies? L'hôpital, les déserts médicaux... La situation actuelle est compliquée. Notre taux de dépenses de santé par rapport au PIB est relativement élevé par rapport à celui des autres pays, avec des résultats sanitaires généraux tout à fait corrects, mais d'autres nations peuvent être inspirantes sur l'efficience du système de santé. La grande critique que l'on peut porter à



La grande critique que l'on peut porter à notre système de régulation, c'est son court-termisme. Il faut retravailler sur le long terme, en anticipant l'innovation thérapeutique, les besoins sociétaux et les questions d'efficience du système.

**Dominique Libaul** 

notre système de régulation, c'est son court-termisme. Les lois de finance, ainsi que la crise financière de 2008-2010 en Europe, ont conduit à rechercher des économies de court terme. Le prix du médicament a été un des leviers faciles à mobiliser. Le sujet le plus important est de retravailler sur le long terme, en anticipant l'innovation thérapeutique mais aussi les besoins sociétaux – le vieillissement – et les questions d'efficience du système. Je crois que c'est le mouvement fondamental qu'il faut faire si l'on veut réussir à concilier innovation et accès aux soins.



La tâche du régulateur est compliquée. On veut réguler, mais pas au détriment de l'innovation. Ni au détriment de la disponibilité des produits essentiels, ou à celui des entreprises qui peuvent contribuer à une sécurité d'approvisionnement, notamment par leur localisation et leur implantation industrielle. La difficulté opérationnelle vient de la volonté de gérer une multiplicité d'objectifs avec un seul outil : le prix. Élargir les objectifs signifie réduire l'assiette sur laquelle on pratique de la régulation.

L'histoire était simple auparavant : on faisait de la régulation sur des produits anciens, et cela permettait de financer les produits nouveaux, innovants, onéreux. Mais aujourd'hui, quel est le périmètre d'action ? Ce défi est encore plus compliqué en période de crise sanitaire, surtout quand l'écart entre la croissance tendancielle et la croissance souhaitée des dépenses est en train de s'accroître.

hait de supprimer les brevets. C'est un problème de focus de court terme et non de long terme. Il faudrait payer plus pour les innovations très importantes, et a contrario payer moins pour les moins importantes. En France, il y a trop de dépenses pour des médicaments qui ne méritent pas de tels prix mais dont la marque est valorisée par le patient, et une utilisation encore insuffisante des génériques, même si la situation est meilleure qu'il y a dix ans.

#### Margaret Kyle

On a des limites, une enveloppe fixe, certes, mais il faut lier les profits à la valeur de l'innovation. Malheureusement, lorsqu'un médicament majeur arrive sur le marché, on observe beaucoup de résistance à le financer, de la part du gouvernement ici — ou, aux États-Unis, des assureurs. Les investissements ont pourtant déjà été payés par l'entreprise. Récemment, avec les vaccins, cette résistance s'est manifestée par le sou-



#### Pierre Dubois

Nous savons que le prix des médicaments innovants est essentiel pour attirer des investissements qui nous apporteront, dans le futur, d'autres innovations cruciales. Le prix sert de signal très important pour l'industrie. En même temps, on a un problème de *sunk costs* (coûts irrécupérables) : une fois que les investissements sont faits, le régulateur a tendance à faire baisser les prix. Avec raison dans certains cas, mais pas toujours. Le système européen permet d'économiser des coûts d'autorisation de mise sur le marché (nous n'avons pas besoin de faire des démarches dans chaque pays), mais l'inconvénient de ce système, avec des prix de référence (voir définition page 14), c'est que chacun se compare. Sans parler du commerce parallèle de médicaments.

Dans cet environnement international, avoir une régulation optimale des prix, autrement dit connaître le juste prix que le gouvernement français ou l'assurance sociale doivent payer pour attirer l'innovation tout en tenant compte du potentiel commerce parallèle en Europe, est mission impossible.

En tant que chercheurs, nous essayons

de trouver des solutions. Nous n'avons pas de recette miracle, mais je crois qu'il faut aller vers des modèles innovants de remboursement, avec des **tarifs binômes** (voir définition ci-contre), des avances. C'est ce qu'on essaie de faire, par exemple, sur le marché des antibiotiques.

Nous avons besoin de plus de travaux sur ces solutions innovantes qui vont être compliquées à mettre en œuvre. C'est pour cela que les discussions avec les différents partenaires (industriels, gouvernements, régulateurs...) sont essentielles pour essayer de mieux comprendre ces systèmes et les éclairer.



Nous parlons de paradoxe attractivité/ régulation, mais le vrai paradoxe serait une régulation qui produit de l'attractivité! La tension entre des bénéfices à court terme (l'équilibre des comptes) et des bénéfices à long terme (qui sont ceux de l'attractivité) a été évoquée. On se focalise souvent sur la partie industrielle de l'attractivité, mais elle comporte d'autres éléments: un écosystème d'employabilité académique, l'attractivité des talents, l'économie des connaissances, me paraissent largement aussi importants, voire davantage.

Comment réguler sans insulter l'avenir ? Peut-être en faisant évoluer les critères avec lesquelles nous régulons, dans les modalités et le niveau de la régulation, et en essayant le plus possible de faire converger ces bénéfices à court terme avec les objectifs d'attractivité. J'aime bien l'idée de revenir sur la notion de résultat, de regarder les résultats pour réconcilier court et long termes. Mais,



- ▶ Le mécanisme du **prix de référence**, ou *list price*, est une règle de remboursement qui établit un niveau de remboursement maximal pour un médicament. Dès lors, si le prix fixé par un producteur excède ce prix de référence, c'est au consommateur de payer la différence.
- ▶ Le tarif binôme est un tarif composé d'une charge d'accès fixe (qui rémunère le stock d'innovation et le droit d'y accéder), et d'une part variable, en fonction de l'usage réel des produits, du volume consommé.
- ► T2A : système de tarification de l'hôpital français qui incite à accumuler un grand volume d'actes médicaux.



Il y a une forme d'urgence à faire converger les objectifs de court et de long termes.

Jean-François Brochard

pour cela, on ne peut pas continuer à considérer ces décisions en silos. Il faut un chef d'orchestre, et aujourd'hui, il n'existe pas. Il faut par ailleurs créer des systèmes permettant de prendre des décisions sur la base des faits et pas uniquement à partir d'opinions. Si l'on arrive à investir dans ces compétences et dans ces systèmes, on sera beaucoup plus à même demain, avec la bonne gouvernance, de concilier long terme et court terme. Il y a une forme d'urgence à faire converger ces deux objectifs.



Pour réguler sans insulter l'avenir, il faut un chef d'orchestre, et aujourd'hui, il n'existe pas.

Jean-François Brochard



Que faire des outils existants de la régulation (voir encadré ci-contre) au vu des problématiques que vous venez d'exposer ? Ces outils sont-ils à la hauteur des enjeux ? Est-ce qu'il faut les maintenir ? Les modifier ? En chercher de nouveaux ?



Le premier levier pour la régulation, ce sont les baisses de prix. Baisser les prix des médicaments plus anciens permettra de financer l'innovation. La facon dont on baisse les prix en France relève du sur-mesure, dans le sens où, produit par produit, c'est une négociation. La loi de financement de la Sécurité sociale nous donne un montant de baisse de prix à réaliser. Le Comité économique des produits de santé (CEPS) identifie un certain nombre de classes thérapeutiques sur lesquelles pourront porter les baisses de l'exercice en cours, notamment au regard de l'ancienneté, du moment où a eu lieu la dernière révision tarifaire, etc. Ensuite, la négociation



#### Les 4 principaux leviers de régulation du médicament

- 1. Les baisses de prix.
- 2. Les remises, qui font que l'Assurance maladie paie pour un médicament un prix inférieur au prix officiel.
- **3.** La clause de sauvegarde, mécanisme qui vient réguler la croissance de l'ensemble de l'industrie en France.
- **4.** La maîtrise médicalisée, qui agit sur la pertinence des prescriptions.

entre le CEPS et les entreprises doit permettre de traiter des situations spécifiques à tel ou tel produit. Globalement, cela fonctionne. À quelques réserves près. Cela n'est pas probant dans le cadre du dispositif médical (exercice après exercice, nous n'arrivons pas à tenir les objectifs). Deuxième réserve : cela marche tant que le montant global reste acceptable. Enfin, on constate vite les limites d'un exercice avec un horizon annuel. Ces réserves mises à part, on dispose d'un levier auquel on ne doit pas renoncer.

#### Pierre Dubois

Concernant l'accès aux médicaments dans les pays les plus pauvres, nous avons montré qu'il était vraiment bénéfique de disposer d'un régulateur centralisé permettant d'avoir une négociation de prix et des tarifs plus accessibles. En France, il faut faire attention : nous arrivons à obtenir des prix négociés relativement faibles (car notre pays, avec ses nombreux habitants, est un marché important pour l'industrie), mais parfois trop faibles par rapport à d'autres pays. Cela crée des problèmes de délais d'accès au marché : les industriels vont d'abord entrer sur les marchés européens les plus lucratifs, au nord de l'Europe ou dans d'autres pays qui vont payer plus cher que les Français. En cas de choc sur l'offre, cela provoque des problèmes d'accès aux médicaments déjà installés ou « génériqués », et pas seulement à l'innovation. Si la demande mondiale est trop forte par rapport à la capacité de production, les producteurs vont d'abord servir les pays qui paient les prix les plus élevés.

L'arbitrage optimal, du point de vue de l'économiste, ce n'est pas de payer absolument le prix que l'industrie exige pour avoir une sécurité d'approvisionnement parfaite. On doit pouvoir accepter des délais d'approvisionnement ou d'entrée plus longs parce qu'on ne veut pas dépenser plus qu'un certain budget de notre Sécurité sociale dans le médicament. Mais il faut avoir conscience de ces arbitrages. Ce que nous avons montré dans nos recherches, c'est que ces derniers ne sont pas forcément conscients, et surtout, pas uniformes. Certaines classes de médicaments vont être implicitement plus favorisées que d'autres. Ce sont des choses qu'on arrive souvent à mesurer a posteriori. Il est très difficile de savoir à l'avance quel va être l'impact de notre prix sur les délais d'approvisionnement futurs pour une certaine classe de médicaments, anticancéreux, antidiabétiques ou autres. Il faut aussi tenir compte de ces arbitrages dans la régulation.



**Pierre Dubois** 

#### Juliette Moisset

Margaret Kyle, vous avez travaillé sur le signal prix dans le secteur du médicament.

Est-ce qu'il fonctionne bien dans ce secteur, par rapport à d'autres que vous avez pu étudier?



Je ne crois pas. L'innovation n'est pas suffisamment valorisée, ni en France ni ailleurs. Selon moi, le système pour récompenser l'innovation n'est pas meilleur aux États-Unis. Il y a beaucoup d'autres frictions pour établir le prix làbas. Mais ici, le prix d'un médicament est négocié environ tous les trois ans. Ce n'est pas comme dans les autres secteurs, où le prix est susceptible de changer immédiatement en fonction de l'information, de préférences, etc. Comme il faut une négociation à chaque fois, il n'évolue pas assez, même si nous disposons de beaucoup plus d'informations sur l'efficacité, les problèmes, etc.

#### Philippe Bouyoux

Dire que l'innovation n'est pas assez rémunérée est assez paradoxal. J'entends bien que l'on ne retrouve pas dans les niveaux de prix la différenciation que l'on constate dans l'évaluation de l'apport thérapeutique des médicaments. Mais on voit arriver des médicaments avec des revendications de prix qui sont extrêmement élevées. C'est un fait nouveau pour nous, en tant que régulateurs. Avant, des laboratoires demandaient un prix pour la France ou pour l'Europe. Maintenant, la revendication pour les

produits innovants est un prix mondial, c'est-à-dire un prix qui nous vient le plus souvent des États-Unis, alors même que le système de santé y est totalement différent. On ne peut pas avoir les mêmes raisonnements et aboutir aux mêmes résultats sur le niveau du prix.



Nous continuons de raisonner avec une enveloppe fermée, mais il y a un problème de capitalisation initiale.

Jean-François Brochard



Nous continuons de raisonner avec une enveloppe fermée, donc on fait avec ce qu'on peut, ce qu'on a, mais on est confrontés dès le départ à un problème de capitalisation initiale. Peut-on se poser la question de la pertinence de l'utilisation d'un certain nombre de ressources en santé? Je continue de m'interroger sur des investissements que notre pays fait en matière de santé. Il y a des exemples emblématiques : 5 milliards d'euros dépensés dans le transport sanitaire. À part évidemment la valeur sociale de confort, quelle est la valeur en santé de cet investissement ?

La régulation marche, elle est même d'une efficacité remarquable. Bien qu'elle ait des effets secondaires à long terme, on arrive à trouver des accords acceptables. Il est un peu irréaliste d'imaginer que l'on puisse avoir tous les bénéfices du système américain et tous ceux du système français. La notion de prix présente un avantage : elle peut

être prévisible. Il est vraiment important que ce levier soit utilisé. La remise est un outil très efficace, parce qu'il permet d'amener des innovations sur le marché. Certes, on affiche un prix vis-à-vis de nos collègues européens qui n'est pas le prix réel, et il est possible qu'ils jouent le même jeu. Cela fait émerger une question beaucoup plus générale sur la cohérence européenne. Tout à l'heure, je parlais de gouvernance ; je crois qu'il faudrait aussi, idéalement, une gouvernance européenne. Aujourd'hui, ces leviers fonctionnent dès lors qu'ils sont prévisibles. Ensuite, les négociations ont lieu, et on parvient quand même à commercialiser les produits.

#### Dominique Libault

Je partage l'idée qu'il faille regarder globalement, parce qu'on a des dépenses finies, l'impact sur la santé. C'est le sujet final: qu'est-ce qui est le plus utile dans la dépense publique et que peut-on éventuellement économiser? Quand on regarde le sujet sous l'angle des résultats, ce qui est frappant, ce sont les inégalités en santé en France, qui sont très fortes. Tout ce qui est du domaine de la prévention, du « travail social » en santé, est extrêmement important, et beaucoup d'économistes de la santé disent que c'est là que l'on aura les plus grands bénéfices dans l'amélioration de la santé des personnes. Par ailleurs, les différences d'espérance de vie en bonne santé, sans incapacités, sont aussi assez fortes en France, et gênent un certain nombre de réformes, à commencer par celle de la retraite à 65 ans.

Sur la régulation du médicament proprement dite, je suis d'accord avec Philippe Bouyoux. Il ne faut pas jeter le bébé avec l'eau du bain. Il y a une Les acteurs du médicament (HAS, CEPS, Cnam...) doivent avoir un dialogue et une vision prospective commune.

**Dominique Libault** 



dizaine d'années, les autorités chinoises regardaient avec beaucoup d'intérêt le système français et s'en sont d'ailleurs inspirées. Quelques progrès peuvent être faits néanmoins. D'abord, il serait souhaitable que les acteurs du médicament travaillent davantage ensemble : le président de la HAS (Haute Autorité de santé), du CEPS, le directeur de la Cnam (Caisse nationale de l'assurance maladie) doivent avoir un dialogue et une vision prospective commune. Deuxièmement, le médicament doit être relié aux autres éléments de régulation. Par exemple, sur l'hépatite C, nous n'avons pas réussi à tirer profit de l'efficacité du traitement et des économies qu'il a permis de faire sur le reste de la dépense nationale en

santé. Nos systèmes de régulation sont les uns à côté des autres. Comment tirer parti d'une innovation thérapeutique, qui permet de réduire le nombre de personnes hospitalisées, avec un système de T2A (voir définition) qui prédomine à l'hôpital ? Certains articles sur la notion de « prescripteur payeur » peuvent être intéressants à cet égard.

Autre sujet : la consommation de médicaments. Les Ehpad ont beaucoup travaillé sur les alternatives non médicamenteuses, avec succès. Plancher sur le budget global, sur la responsabilité des établissements, serait intéressant. Enfin, il faut que l'on incorpore dans la régulation le paramètre environnemental, c'est-à-dire écologique. L'impact environnemental du cycle du médicament est fort. C'est un sujet qui nous attend. Ce n'est pas totalement sans rapport avec les questions de production industrielle. Comment utilise-ton ces éléments dans le prix, les remises ou la facon dont sont rémunérés les distributeurs, que ce soient les grossistes ou les pharmaciens ? Nous avons vu combien cela a été important pour le générique. Nous pouvons aussi jouer sur ces éléments.



L'objectif d'un médicament est de soigner et d'améliorer la qualité de vie du patient ou d'allonger son espérance de vie. Il y a des critères sanitaires sur lesquels nous évaluons le médicament. Dans cette régulation, la place de la maîtrise médicalisée a tendance à être très limitée au fil des années. L'Allemagne a montré que l'introduction d'une classe de médicaments dans des maladies inflammatoires très sévères chroniques, notamment en rhumatologie, avait permis, au fil des ans, de diminuer le nombre de lits d'hospitalisation en rhumatologie. Ce gain d'efficience, nous ne l'avons pas opéré en France. La question de la maîtrise médicalisée revient chaque année au sein des rapports de la Cnam, mais avec des objectifs assez limités financièrement par rapport à l'ensemble de la régulation du médicament, et elle ne fait pas l'objet d'une confrontation en fin d'année des résultats à l'ambition. Cela donnerait pourtant du sens au médecin et au patient.



La question de la maîtrise médicalisée revient chaque année au sein des rapports de la Cnam, mais avec des objectifs assez limités financièrement.

**Corinne Blachier-Poisson** 



#### Juliette Moisset

Comment pourrait-on mieux travailler sur la maîtrise médicalisée ? Comment mieux associer le médicament à l'évolution du système de santé de façon générale ?

#### Dominique Libault

Je crois qu'en France, on a fait beaucoup de progrès. On a introduit les rémunérations sur objectif de santé publique pour les médecins. Sur l'antibiorésistance, par exemple, nous avons diminué les prescriptions excessives d'antibiotiques grâce à ces objectifs. Apparaissent à présent des objectifs de prévention. Il faut continuer à investir sur la prévention, parce qu'on sait que cela fait économiser beaucoup d'argent à long terme. On économise sur des dépenses futures, et nous avons besoin de ces économies.

Par ailleurs, il ne faut pas opposer le coût des innovations et les inégalités d'accès en santé, car les innovations sont des facteurs de réduction des inégalités à long terme, quand elles vont devenir des médicaments génériques, des thérapies beaucoup moins chères. Si je prends l'exemple des thérapies géniques, dans dix ans, mes enfants auront peut-être accès à des traitements qui permettront de vaincre un cancer du foie que Steve Jobs, le patron d'Apple, n'a pas pu guérir, bien qu'il ait été une des personnes les plus riches au monde. Bien sûr, il y a des questions budgétaires dont il faut tenir compte, mais nous avons des progrès à faire sur l'inter-temporalité et la multi-annualité des budgets.

#### Philippe Bouyoux

La guestion de la fréquence de la régulation du prix du médicament est un peu à rebours de ce que l'on demande habituellement au CEPS, puisque ce qu'exigent la plupart des industriels, c'est de la visibilité. Lorsqu'il y a une démarche d'investissement en Europe, et notamment en France, de la part d'industriels, nous considérons que cela nous donne, à nous, régulateurs, de la visibilité, notamment en termes d'approvisionnement, et que nous pouvons le rémunérer sous forme de stabilité de prix étendue. Il peut donc y avoir deux objectifs. Estce que l'efficacité c'est de changer les prix plus souvent ou est-ce que la vision de long terme, c'est de les stabiliser pour une durée plus longue?

#### Margaret Kyle

Je ne veux pas dire que le prix doit évoluer sans cesse de façon aléatoire. Le prix du médicament doit changer quand on a plus d'informations sur son efficacité. On peut obtenir ces informations beaucoup plus souvent que tous les trois ans. Les laboratoires ont l'habitude de gérer l'incertitude avec les essais cliniques. L'idée que les prix puissent monter si l'on dispose de données qui indiquent que cela s'est révélé très efficace, par exemple si le patient change un peu ses habitudes, est un point très important. Encore une fois, il faut ré-



compenser l'innovation qui marche et changer de prix, le baisser, quand ça ne fonctionne pas.

Il faut récompenser l'innovation qui marche et baisser le prix quand ça ne marche pas.

**Margaret Kyle** 

#### Corinne Blachier-Poisson

C'est un sujet sur lequel nous avons été très actifs il y a plusieurs années dans l'industrie puis auguel nous avons un peu renoncé : les contrats de performance. Comment lier notre prix dans le temps à la performance réelle du produit dans la vraie vie ? Nous avons des informations imparfaites au moment de l'autorisation de mise sur le marché, et la connaissance du médicament continue de s'enrichir au fil des années. Avec tous les outils modernes, nous disposons à présent de masses d'informations colossales qui permettraient de mesurer cette performance dans le temps et de pouvoir mettre en place ce suivi. Est-ce que l'efficacité constatée lors des essais cliniques s'observe bien dans la vraie vie ? Est-ce que la tolérance est meilleure ou moins bonne? Est-ce qu'on arrive à remplir les objectifs de santé publique qui ont été discutés à l'avance ? C'est un outil vraiment intéressant que l'on a totalement désinvesti méthodologiquement et sur lequel les économistes peuvent nous aider.

Philippe Bouyoux

Il y a des années où la clause de sauvegarde ne se déclenche pas. En 2022, on parle de 750 millions d'euros. Ce n'est pas anecdotique. La clause de sauvegarde, par construction, doit agir comme un garde-fou si les baisses de prix n'ont pas suffi à atteindre les objectifs de réduction des dépenses de santé. Par ailleurs, c'est un outil législatif, instauré par la loi, et qui ne se négocie donc pas. Ce coup de rabot est réparti proportionnellement au chiffre d'affaires de chaque entreprise. Cela ressemble

donc à de la fiscalité. On part avec une assiette large, un barème plus ou moins unique, une règle générale, puis on se retrouve face à deux débats : les niches (Qui faut-il exonérer? Les génériques, qui, par nature, font déjà des économies? D'autres médicaments qui contribuent à faire des économies par le coût induit de telle ou telle stratégique thérapeutique? Des entreprises qui ont de faibles marges, avec un risque pour l'approvisionnement ?) et le ciblage. On peut aller chercher des économies supplémentaires en désignant une classe thérapeutique onéreuse — comme les immunothérapies — ou les produits en croissance.

Le signal, pour un bon produit, certes onéreux mais dont la première caractéristique est d'être un bon produit, c'est que les volumes augmentent à un prix élevé, et cela fait accroître la dépense de l'Assurance maladie. Est-ce qu'il faut le rémunérer davantage ou est-ce qu'il faut se dire qu'il contribue au dérapage de la dette, donc que c'est là qu'il faut cibler plutôt que d'aller taxer des produits qui auront eu peu ou pas de croissance ? Voilà le type de débat que nous avons entre le CEPS et les industriels.

Concernant, les remises, en France, on négocie le prix du médicament par la loi en fonction de sa valeur. Celle du médicament apparaît dans le prix net. Ensuite. conventionnellement. via l'accord-cadre. le CEPS accorde un certain nombre d'avantages qui peuvent se traduire par exemple par un prix annoncé plus élevé. Cela a été renforcé pour les produits innovants. Du point de vue du Comité, c'est une forme de concession, un avantage supplémentaire pour les produits innovants.

#### Juliette Moisset

Dans le dernier projet de loi de financement de la Sécurité sociale, formellement, les remises sont sorties du tableau des économies pour arriver dans la dynamique du marché, dans la construction du projet de LFSS. Cette évolution nous pousse à nous demander si elles sont toujours de la régulation.



La clause de sauvegarde, certes, est un outil très efficace, mais il a un énorme inconvénient : son imprévisibilité. Je crois que l'invitation à aller dans des niches, des exceptions, est aussi un jeu assez dangereux, d'abord parce que cela produit beaucoup de complexité de gestion, et ensuite parce qu'il est difficile de s'entendre sur un critère. Dire que les biosimilaires et les génériques font faire des économies, c'est une chose, mais ils contribuent tout de même à l'utilisation de ressources publiques. Ensuite, prenez un laboratoire qui, pour certaines classes, est en croissance très forte et pour d'autres en croissance très faible ou forte décroissance, comment le considérez-vous ? Si l'on accepte le principe d'une clause de sauvegarde, qui est une taxe collective, on est d'accord. Je crois qu'il faut jouer le jeu collectif.

Ensuite, sur les contrats de performance, il y a cette idée d'évoluer vers une mesure dynamique de la valeur du médicament. Nous devons passer plus

de temps — et il y a un investissement stratégique - sur nos autoroutes de données, sur la capacité à les exploiter, et il faut aller plus loin. Par exemple, nous avons un accord avec le CEPS pour moduler la remise annuelle concédée en fonction de l'utilisation en vie réelle, avec un très large échantillon, dans les hôpitaux français. Ce n'est pas parfait, certes. Nous sommes encore sur les moyens et pas tout à fait sur le résultat. Mais cela va dans le bon sens. S'il y a vraiment un sujet collectif sur lequel nous devons nous accorder, c'est celuici, parce que plus on pourra documenter cette valeur, plus ce sera facile d'aborder la question de la capitalisation de l'enveloppe, de voir un peu plus loin et de résoudre ce paradoxe ou cette tension entre court terme et long terme.



Plus on pourra documenter cette valeur [du médicament], plus ce sera facile d'aborder la question de la capitalisation de l'enveloppe, de voir un peu plus loin et de résoudre cette tension entre court terme et long terme.

**Jean-François Brochard** 



#### Philippe Bouyoux

Les contrats de performance, c'est le sujet sur lequel, a priori, tout le monde est d'accord. Il faut le faire. Mais on demeure frileux. Pourquoi ? Certes, il y a des progrès en matière de données, mais dans la mémoire du CEPS, ce sont des cas où cela n'a pas marché, parce que les données n'arrivaient pas ou parce que les résultats n'étaient pas au rendez-vous. Avec des contentieux à la clé. Cela ne veut pas dire qu'il ne faut pas essayer. De manière pragmatique. Ce sujet a un regain d'actualité aujourd'hui avec les médicaments innovants, très onéreux, et avec la grande incertitude engendrée par les thérapies géniques. On s'assure de définir ce qu'est un succès, un échec, un succès partiel, etc. On recueille l'avis des cliniciens d'une part, pour bien définir les jalons, et de ceux qui vont tenir les registres, d'autre part, pour savoir quelle est l'information que I'on va pouvoir obtenir. On progresse, donc, mais cela reste très compliqué, et parfois, de part et d'autre de la table de Les contrats de performance, c'est le sujet sur lequel, a priori, tout le monde est d'accord.

**Philippe Bouyoux** 



négociation, on finit par baisser les bras. Il y a les deux approches traditionnelles : voir pour payer ou payer pour voir. Les expériences passées, c'était on paie d'abord, et si les résultats ne sont pas au rendez-vous, on réclame une remise. Si les résultats viennent confirmer ou amplifier les résultats cliniques, à ce moment-là, on pourra réfléchir à augmenter le prix. On est donc ouverts. Mais avec un historique qui n'est pas très favorable.



Les économistes s'accordent pour dire que les contrats de performance sont une très bonne chose, mais ils sont aussi unanimes pour affirmer que la clause de sauvegarde est une très mauvaise chose. Je sais que c'est tabou, mais si l'on pouvait au moins exempter les futurs contrats de performance de cette clause de sauvegarde, ce serait bien. Enfin, les contrats de performance permettent d'éviter une surconsommation qui n'est pas légitime. Si l'on dépense trop à bon escient, c'est bien. Les contrats de performance vont éviter que l'industrie fasse de la promotion à outrance de façon illégitime, en essayant d'inciter les médecins à prescrire des médicaments qui ne sont pas très utiles. Si l'on rémunère simplement en fonction de la performance, on évitera ce genre d'effet pervers.

#### Juliette Moisset

Merci beaucoup. Monsieur Libault, pourriez-vous préciser votre vision sur le sujet de l'environnement et l'idée d'une régulation écologique ?

#### Dominique Libault

Face à l'urgence écologique, il est difficile, quand on pense le financement de la protection sociale, de ne pas s'interroger. Ce financement concerne un quart du PIB. Les dépenses de protection sociale, ce sont à la fois des dépenses monétaires, de redistribution classique, mais c'est aussi le financement de biens et services très importants pour la collectivité. En France, 80 % de l'économie de la santé est financée par le système de Sécurité sociale, plus de 92% si l'on ajoute les complémentaires santé. Est-ce que nous devons interroger nos leviers de financement vis-à-vis de l'hôpital, du transport sanitaire, des Ehpad, du médicament, pour, à travers ces leviers, inciter à la prise en compte de critères écologiques ? C'est une question totalement légitime, assez peu abordée pour l'instant, me semble-t-il. Est-ce que deux médicaments à service médical rendu identique mais qui ont un impact environnemental hétérogène, selon leur site de production, doivent être pris en charge de la même façon par le système productif? Est-ce que nous devons, à travers nos systèmes de prise en charge - c'est-à-dire le prix, le taux de remboursement, la rémunération des distributeurs - inciter, à service médical

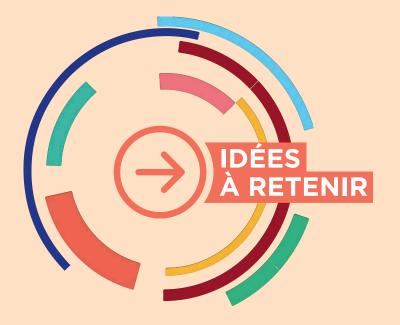
rendu identique, à une production plus respectueuse de l'environnement? Il serait bon de réfléchir collectivement et rapidement sur ce sujet. Il existe même des liens avec l'incitation à produire en France. Le point le plus délicat est de tracer pour pouvoir ensuite mesurer. En commençant par des choses assez simples.

#### Juliette Moisset

De nos débats ressort le fait que notre régulation est aujourd'hui efficace et permet, dans une grande mesure, de répondre à la problématique de contenir la dépense du régulateur. L'appel que j'entends est un appel à plus de dynamisme et de clairvoyance dans cette régulation, à chercher à adapter les leviers de régulation à ce que l'on peut mesurer en vie réelle sur le médicament, via les contrats de performance et d'autres propositions que vous avez formulées.



Table ronde 1 https://tinyurl.com/TR1Leem



#### **TABLE RONDE 1**

#### Réinventer la régulation du médicament

Avoir une vision collective, partagée entre les acteurs de la régulation (HAS, CEPS, Cnam) et un chef d'orchestre de la politique du médicament.

Avoir une vision prospective qui permette au chef d'orchestre de prendre ses décisions en anticipant les prochaines innovations et les transformations qu'elles engendrent..

Le médicament fait évoluer les pratiques : en tirer les conséquences dans le système de soins et les mesurer au fur et à mesure de la vie du médicament.

Adapter les leviers de régulation à ce que l'on peut mesurer en vie réelle sur le médicament, via des contrats de performance.

Intégrer des critères environnementaux dans la régulation.



### Inventer de nouvelles modalités de financement

Et si les sommets atteints aujourd'hui par les leviers de la régulation n'étaient pas tant dus à des dépenses excessives de médicaments qu'à l'insuffisance et l'inadaptation de leur financement ?

L'innovation, les facteurs démographiques, le vieillissement, la nécessité de relocaliser ou de maintenir la production de médicaments essentiels sur notre territoire... Le budget du médicament voté chaque année dans le cadre des lois de financement de la Sécurité sociale (LFSS) est-il adapté aux besoins de notre société ? Doit-on considérer certaines dépenses de médicaments comme des investissements ? Assurance maladie obligatoire ou complémentaire : faut-il repenser la prise en charge de certains médicaments ? Temps, risques, vie réelle : certaines variables peuvent-elles aider à résoudre l'équation du financement ?

Le Leem a convié autour du prix Nobel d'économie Jean Tirole un panel d'industriels, de mutualistes et de régulateurs soucieux d'explorer de nouvelles modalités de financement du médicament. Moisson d'idées.

# と Les intervenants



Jean **Tirole** Président honoraire de la Toulouse School of et président Economics (TSE)



**Dominique** Libault Directeur de l'EN3S du HCFiPS



**Bouyoux** Président du CEPS

**Philippe** 



**Bogillot** Président de Sanofi France et de la Fédération française (FNMF) française des industries de santé (Fefis)

Olivier



Séverine Salgado Directrice générale de la Mutualité



La table ronde était animée par Éric Baseilhac, directeur des Affaires économiques et internationales du Leem depuis novembre 2013.



L'économie du médicament est une économie particulière, tiraillée entre la nécessaire maîtrise des dépenses de santé et la réponse aux besoins croissants de nos concitovens. Le médicament est un bien commun qui devrait être un bien universel, mais qui est un produit manufacturé. J'ai envie, Jean Tirole, de vous inciter à renverser la table, à changer la manière dont nous regardons classiquement ces problèmes de financement. Après tout, pourquoi ne pourrait-on pas considérer les dépenses de médicament comme des investissements?



C'est une très bonne question. S'il est vrai qu'aujourd'hui certains médicaments permettent d'économiser des traitements et des prises en charge, la clé est de savoir comment faire pour en tenir compte. Un bon exemple est l'hépatite C. Pierre Dubois et Thierry Magnac (chercheur à la TSE) ont essayé de mesurer combien on aurait économisé et ce qui aurait changé dans notre gestion si l'on avait eu un cadre pluriannuel quand le traitement<sup>(1)</sup> a été mis sur le marché. Appliquons l'idée de la pluriannualité du niveau le plus microéconomique au plus macroéconomique. Le plus microéconomique, c'est le SMR<sup>(2)</sup>. Il devrait déjà tout englober : l'effet thérapeutique, mais aussi toutes les économies générées, l'effet induit, les effets futurs.

(1) Depuis une dizaine d'années, des médicaments nouveaux permettent de guérir à 95 % l'hépatite C.

(2) Le SMR (service médical rendu) est l'apport thérapeutique d'un médicament. Il est évalué par la Haute Autorité de santé (HAS).

Grâce à un budget des médicaments «roulant», le gestionnaire aurait une vision pluriannuelle et pourrait dire : «Je dépense beaucoup sur l'hépatite C aujourd'hui et dépenserai beaucoup moins demain. » C'est tout à fait logique d'un point de vue économique. Il faut évidemment un chef d'orchestre, et il reste un problème de transition : si on le faisait maintenant, cela induirait des dépenses immédiates colossales. Mais le problème principal, c'est celui de la contrainte budgétaire «lâche», comme l'appellent les économistes. La Cour des comptes ou le ministère des Finances vont craindre que tout soit dépensé tout de suite et que des traitements efficaces soient subitement arrêtés, au détriment des patients. Il faut avoir en tête la façon prudentielle dont on se comporte en France : on veut s'assurer que les déficits des premières années sont de vrais investissements.

Sur le plan macroéconomique, l'investissement crée des revenus futurs et peut même s'autofinancer. Le problème, c'est qu'on ne sait pas mesurer cela. Et certaines « bonnes » dépenses d'investissement ne rapportent pas dans l'avenir.

Il faut

Les investissements verts, par exemple, permettent d'éviter le réchauffement climatique, mais a priori, ils ne vont pas générer des recettes. Les économistes n'ont pas trouvé la solution, et ils n'en sont pas très fiers, mais d'un point de vue théorique, oui, il faut considérer certaines dépenses comme des investissements.



Comment mesurer la rentabilité de l'investissement ? Quelle est l'empreinte du médicament ? Aujourd'hui, on évalue seulement l'épargne qu'il permet de réaliser sur les consultations, les hospitalisations. Est-ce qu'il ne faut pas élargir le sujet à la valeur sociale du médicament ?



Absolument! J'ai mis l'emphase sur l'aspect pluriannuel, mais il faut être plus englobant et regarder tous les effets du médicament. Pour cela, il faudrait que les budgets ne soient pas totalement étanches. Qui est le pilote dans l'avion? Le «millefeuille» français et le manque de cohérence entre les différentes politiques posent problème.



#### Olivier Bogillot

Dans le *JDD* de ce week-end, il y avait un encart sur une étude de Harvard montrant que les optimistes gagnent 5 % d'espérance de vie. Soyons donc optimistes!

Les grandes plaques d'opération pour les industriels du médicament sont les États-Unis, l'Europe, l'Asie. Les médicaments de demain seront produits par ceux qui investissent le plus dans la recherche aujourd'hui. Les Américains et les Chinois sont très dynamiques sur ce plan et en avance sur nous. En 2002, le traité de Lisbonne prévoyait que 3 % du PIB européen soit dédié à la recherche. C'était il y a vingt ans. On en est encore très loin, mais on y travaille.

Une deuxième forme de financement existe: les aides d'État. Quand les Européens refusent d'investir dans des outils de recherche ou de production pour des raisons de règles de concurrence au sein des pays, cela incite les industriels à aller chercher des sources de financement ailleurs. Les choses évoluent heureusement. La pandémie de Covid-19 a poussé l'Europe à investir massivement. Un PIIEC (voir définition page 30) en matière de santé a par exemple été lancé; une forme d'aide d'État dérogatoire permettant de financer des secteurs à forte croissance.

Troisième étage de la fusée : les conditions de marché. L'Europe est pénalisée sur les trois éléments : moins d'investissements en recherche, des difficultés liées à la réglementation européenne sur les aides d'État, et des conditions de marché dépendantes de nos systèmes de protection sociale et de la régulation. La dépense du système de protection sociale doit être contrainte. Le médica-



En matière d'investissement, la France est pénalisée principalement sur trois segments : l'investissement dans la recherche, les aides de l'État pour investir dans l'outil de recherche ou de production, et les conditions de marché.

**Olivier Bogillot** 

ment est bien sûr une cible plus simple que l'hôpital ou la médecine de ville, pour des raisons politiques. Ainsi, on est passé de environ 14% de part du médicament dans la dépense de l'**Ondam** (voir définition page 30) en 2010, à 11% en 2021. Quand un industriel n'a pas ou trop peu de financement pour sa recherche, qu'il n'a pas accès aux aides d'État et que la plaque économique où il se trouve a une régulation contrainte,

il place ses actifs de production ou d'investissement ailleurs, en agent économique rationnel. C'est ce qui a sauté aux yeux des Européens lors de la pandémie de Covid-19: une partie des usines pharmaceutiques sont en Chine, et une partie des centres de recherche et l'essentiel du tissu des biotechs sont aux États-Unis.

La situation post-crise sanitaire est extrêmement déficitaire, avec un niveau de prélèvement obligatoire, de dette et de dépenses de santé très élevé. Pour retrouver l'équilibre, l'équation est très complexe entre un hôpital public en souffrance, les besoins de la médecine de ville et le financement des médicaments. Sur une vision budgétaire à cinq ou dix ans, utiliser les innovations technologiques, le numérique (la télémédecine par exemple) pour diminuer la part de dépenses hospitalières ou de l'offre de soins et la rééquilibrer autour des innovations thérapeutiques, aurait du sens.

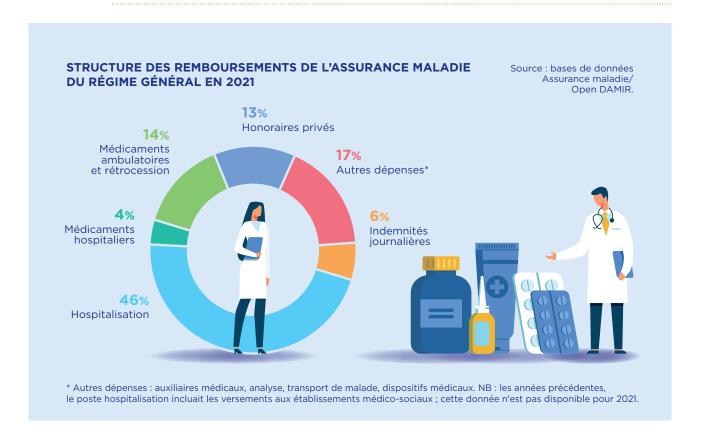


- ▶ PIIEC : projet important d'intérêt économique commun. Un PIIEC pour le secteur de la santé a été décidé en mars 2022 pour soutenir l'innovation et améliorer la qualité et l'accès aux soins des patients européens. Autour de trois thématiques :
- le développement de technologies et de procédés de production innovants et plus verts pour la fabrication de médicaments ;
- l'innovation dans des thématiques stratégiques comme la lutte contre la résistance aux antibiotiques, le développement de traitements contre les maladies rares et, de manière complémentaire avec l'Autorité européenne de gestion des crises sanitaires (HERA), pour faire face aux futures pandémies ;
- le développement des thérapies géniques et cellulaires.

La France a réservé un budget de 1,5 milliard d'euros pour le financement des projets pré-notifiés à la Commission européenne pour ce PIIEC Santé.



▶ L'Ondam est l'objectif national de dépenses de l'Assurance maladie. Il représente un objectif à ne pas dépasser en matière de protection sociale. Il est composé de six sous-objectifs : les dépenses de soins de ville (comprenant une partie des dépenses en médicaments), les dépenses relatives aux établissements de santé (comprenant l'autre partie des dépenses en médicaments), les dépenses en établissements et services pour personnes âgées, les dépenses en établissements et services pour personnes handicapées, les dépenses relatives au fonds d'action régionale, les autres prises en charge. En 2021, le médicament représente 15,9 % des dépenses, mais contribue à près de 39 % des économies réalisées dans le cadre de l'Ondam.



#### Dominique Libault

L'adaptation des outils face aux défis qui sont les nôtres est une réflexion de chaque instant. Notre concentration un peu trop forte sur l'annualité a été renforcée en 2008 : la France a alors dû envoyer à Bruxelles, dès le premier semestre, ses objectifs de dépense publique. Depuis, c'est cette échéance qui fixe l'Ondam. Avoir un objectif préalable à respecter présente des avantages, même si la répartition entre les différents secteurs est complexe à gérer.

Il faut garder un exercice démocratique annuel, qui soit guidé par une vision de moyen ou long terme. Dans une loi de financement, vous avez très peu de temps: quelques heures pour parler du sujet famille, du sujet retraite, du sujet maladie... Il n'y a pas eu de vrai débat de fond sur le médicament au cours des dix ou quinze dernières années. Notre pilo-

tage démocratique permet de gérer les arbitrages sur les finances publiques annuelles, mais pas de réfléchir à des évolutions structurantes. Dotons-nous d'outils différents, qui interrogent les besoins et les opportunités d'efficience. Car, oui, il y a des gains d'efficience possibles dans le système.

À l'échelle européenne, le dialogue entre conducteurs des politiques de santé mériterait d'être renforcé. Quand j'étais directeur de la Sécurité sociale (de 2002 à 2012, ndlr), Bruxelles n'organisait pas de rencontres entre les pilotes des politiques de sécurité sociale, alors que cela existait, par exemple, entre directeurs généraux du travail. Bien que le concept de sécurité sociale ne soit pas tout à fait homogène d'un pays à l'autre, la crise sanitaire a montré que l'on progressait sur une approche santé au niveau européen.

#### Éric Baseilhac

La dette économique ne nous a-t-elle pas obnubilés, ce qui nous a fait créer de la dette épidémiologique et de la dette organisationnelle?

#### Dominique Libault

Ce que l'on a bien pris en compte, de manière continue au fil des politiques publiques, c'est l'idée qu'il ne fallait pas augmenter sans cesse le reste à charge des ménages. La France, aujourd'hui, a le reste à charge le plus faible au niveau

Notre pilotage démocratique ne permet pas de réfléchir à des évolutions structurantes.

**Dominique Libault** 



mondial sur les dépenses de santé. On peut d'ailleurs se demander s'il n'y a pas quelques marges de manœuvre. Moi-même, quand j'étais directeur de la Sécurité sociale, j'ai inventé le forfait de 50 centimes sur le médicament. Globalement, on a beaucoup travaillé sur l'accès aux soins, même s'il subsiste des inéga-

lités de résultats de santé. D'autres sujets n'ont pas été suffisamment pris en charge, comme l'attractivité des métiers et des emplois. Combien rémunère-t-on les acteurs du système ? Sur Parcoursup, ce sont les formations en soins infirmiers qui sont les plus demandées, donc tout n'est pas noir. Mais avec le jeu de l'offre et de la demande, on va payer très cher pour avoir des personnes qui viennent remplacer, ce qui n'est pas très intelligent sur un plan purement économique et de dépense publique. L'attractivité est un sujet qui doit davantage peser dans la décision publique.

#### Éric Baseilhac

L'innovation technologique
est le premier facteur d'évolution
de l'organisation du travail.
Or, on ne regarde jamais
le médicament innovant comme
un facteur de transformation
des organisations, et donc un facteur
d'efficience. Que manque-t-il au
médicament pour créer ce lien direct
entre impact organisationnel
et efficience ?

#### Jean Tirole

On comprend quand même de plus en plus que l'innovation est très importante dans le médicament. Je vous rappelle que les deux success stories européennes pendant la pandémie de Covid-19 — BioNTech et AstraZeneca — étaient financées par le Conseil européen de la recherche, qui distribue des bourses sur des sujets à très haut risque à quelques personnes, typiquement en politique industrielle. Ces bourses sont données par des pairs, une gouvernance très



propre. In fine, cela a payé, mais c'est l'exception. Ce désert de start-up en Europe est absolument catastrophique pour notre industrie. Il y a un changement de gouvernance et de structure à opérer.

#### Éric Baseilhac

Ne rêvons pas. Dans le contexte post-Covid-19, il va y avoir beaucoup de demandeurs légitimes à la porte de la prochaine LFSS. Il nous faudra également chercher des poches externes de croissance.

Peut-on imaginer sur une nouvelle clé de répartition entre AMO et AMC (aide médicale obligatoire, aide médicale complémentaire)?



Le débat post-rapport du HCAAM<sup>(3)</sup> a été un peu hystérisé. Nous avons tous intérêt collectivement à repenser la répartition entre un financeur public et des financeurs privés, parce qu'il est assez clair qu'elle n'est plus adéquate. Quand on reprend la promesse initiale de la Sécurité sociale, que la Mutualité française endosse bien volontiers, à savoir que « chacun doit recevoir selon ses

besoins », j'ai l'impression que nous n'y sommes pas vraiment. Selon l'endroit où l'on vit, la classe sociale à laquelle on appartient, on n'est pas exposé aux mêmes déterminants de santé, on n'est pas pris en charge de la même façon. Résultat, les restes à charge peuvent être très différents et augmenter significativement avec l'âge. Certes, les Français ont les restes à charge les plus faibles de l'OCDE et du monde, mais ils sont très concentrés sur une catégorie de la population. C'est vrai pour à peu près tous les postes de dépense, dont celui du médicament.





Nous avons tous intérêt à repenser la répartition entre un financeur public et des financeurs privés.

**Séverine Salgado** 

(3) Le rapport du Haut Conseil pour l'avenir de l'Assurance maladie sur la Sécurité sociale, publié en 2021.

Nous, Mutualité française, héritons de ces inégalités, qui sont la résultante d'une prise en charge par la Sécurité sociale qui est assez proportionnelle aux dépenses. Je considère que cette partition doit évoluer. Le statu quo n'est pas souhaitable. Pour autant, il me semble que cette complémentarité entre un financeur public d'un côté et des financeurs privés de l'autre, doit être préservée, parce qu'elle apporte de la plus-value au système. Le financeur public, en situation de monopole obligatoire, va fixer des paniers de soins remboursables, des tarifs, et il est le garant d'un socle de solidarité nationale. qui est l'un des plus larges au monde. De leur côté, les financeurs privés vont apporter, à la mesure de leurs moyens — 13 % des dépenses de santé, 1/8e des dépenses du médicament exactement de la souplesse, de l'agilité, de l'innovation dans les prises en charge...

Les financeurs privés vont apporter de la souplesse, de l'agilité, de l'innovation dans les prises en charge.

**Séverine Salgado** 



On peut aussi imaginer une répartition différente, qui permette d'accompagner les industries du médicament. La Mutualité française est un membre parmi d'autres au sein du Comité économique des produits de santé, un membre très minoritaire dans la fixation des tarifs du médicament. Les innovations que nous prenons en charge ou que nous avons

mises en œuvre sont plutôt d'ordre organisationnel (et non pas thérapeutique). Les pharmacies mutualistes ont créé le tiers payant. Autres exemples ? La récupération rapide après une intervention, les sorties d'hospitalisation, la prise en charge des personnes en situation de perte d'autonomie au domicile des patients...

Le rôle des mutuelles ne se cantonne pas au champ des médicaments. Elles interviennent de façon plus globale, sur des parcours de soins, des parcours de santé. Aujourd'hui, moins le médicament est efficace, c'est-à-dire plus le taux de prise en charge par la Sécurité sociale est faible, plus elles payent, puisqu'elles prennent en charge le ticket modérateur. Ce n'est pas le rôle qu'elles souhaitent endosser.

#### Éric Baseilhac

Un autre aspect assez proche de l'efficience de l'organisation des soins pourrait être une source de nouvelles économies, c'est le bon usage du médicament...

#### Olivier Bogillot

Les agents économiques et les industriels en particulier sont là pour essayer de tirer toute l'efficience dans le système. Tout ce qui peut être fait pour améliorer les conditions de vie des patients, leur prise en charge, s'assurer qu'ils sont totalement observants au traitement, que les résultats sont les meilleurs possibles lorsqu'ils entrent dans un schéma thérapeutique, a beaucoup de valeur. Or, il faut des outils pour le mesurer. C'est là que le mariage entre

la tech, le numérique et le médicament peut être fructueux. L'accès aux données est encore complexe. Une fois qu'on aura fait tomber ces obstacles, les industriels devront offrir des médicaments et l'ensemble du service associé.

#### Éric Baseilhac

Le marché du médicament a crû de plus de 10 % en 2021. C'est historique, une première depuis trente ans.
Les facteurs de cette croissance sont essentiellement l'innovation, puis le vieillissement. En parallèle, le budget du médicament, que vote chaque année l'État, n'a pas évolué depuis une décennie. Il a augmenté très légèrement (1%) l'an dernier.
Est-ce que ce constat interroge dans le quotidien de sa pratique le président du CEPS ?





Sur l'investissement, Jean Tirole a répondu sur la logique : dépenser aujourd'hui pour économiser plus tard, c'est accepter un coût initial et l'intégrer dans la durée. En général, ce n'est pas la manière de tarifer. Pour le CEPS, l'investissement, c'est la façon dont on prend

en compte ou non le fait qu'un médicament est produit en Europe ou en France. On donne de la stabilité. Dans la loi de financement, un article permet d'en tenir compte dans le prix, dès lors que cela offre une sécurité d'approvisionnement. Aujourd'hui, on reçoit beaucoup de médicaments qui sont très innovants et très onéreux avec la question des thérapies à administration unique, des thérapies géniques et cellulaires. Le CEPS s'inscrit dans une logique d'investissement au sens où Jean Tirole l'exprimait quand il parlait du niveau microéconomique, c'est-à-dire celui d'un produit. Nous manquons de visibilité pour savoir si nous sommes à l'aube d'un changement de régime (une croissance plus dynamique dans la durée) ou si nous sommes simplement confrontés à un choc initial. L'horizon scanning pourrait nous aider à mieux définir les contraintes macroéconomigues, comme la loi de financement de la Sécurité sociale.

Concernant la valeur sociale ou valuebased pricing (voir définition ci-dessous), les Anglais ont décidé de prendre en compte dans un système d'évaluation



est la valeur que le médicament apporte à la société dans son ensemble, au-delà du simple effet thérapeutique sur un individu (fin d'une crise sanitaire ou économique, réduction des inégalités, allongement de la durée de vie d'une population, etc.). On parle aussi d'externalités positives.

La valeur sociale du médicament

médico-économique le fardeau de la maladie, l'innovation industrielle, différents types d'externalités (retour à l'emploi d'une personne jeune par exemple), avec des seuils au-dessus desquels on ne rembourse pas. Sur les questions de gouvernance, les Britanniques avaient un processus assez technocratique et sont en train d'introduire du multicritères. En France, nous partons de la santé, du SMR (service médical rendu), puis, notamment à l'occasion des PLFSS ou dans la révision des accords-cadres, nous souhaitons intégrer de nouveaux critères, et nous nous raccrochons à l'évaluation médico-économique. Je me demande si, au bout du compte, nous n'allons pas converger.

#### Éric Baseilhac

La notion de valeur sociale s'attache à l'idée qu'il y a des médicaments qui ont un impact direct sur l'économie d'un pays. Le vaccin contre la Covid-19 mettait en jeu des points de PIB. De même, un médicament qui, demain, éradiquerait totalement une maladie, comme le prochain traitement curatif de la maladie d'Alzheimer, aura un impact extraordinaire sur l'économie des pays. Cette perspective ne changerait-elle pas les sources de financement? La Covid-19 n'a pas été financée sur les fonds de l'Assurance maladie, mais sur des fonds de l'État...

#### Jean Tirole

Pour la Covid-19, on a mesuré des taux de rendement sur le vaccin qui étaient absolument fabuleux, en se limitant aux choses économiques, sans parler effectivement des décès, des cas de « Covid

long », etc. La question, c'est l'analyse coût/bénéfice classique en économie. À un moment ou un autre, il faut mettre une valeur sur le fait de maintenir quelqu'un en vie, une vie de bonne qualité — les Anglais le font régulièrement. C'est toujours un peu plus délicat d'en parler en France. Ce n'est pas à l'économiste de décider quelle est la valeur d'une vie ou ce genre de choses, mais de s'interroger sur combien nos gouvernements paient pour maintenir une vie? Encore faut-il avoir les données...



Le régulateur a un travail très difficile : il doit jouer avec la contrainte. Une contrainte financière qui remonte à loin. La base de dépense du médicament est

Il faut mettre une valeur sur le fait de maintenir quelqu'un en vie, une vie de bonne qualité.

**Jean Tirole** 



probablement trop faible aujourd'hui, dans une période où il y a une accélération de l'innovation et 10 % de croissance. Pour baisser la contrainte, il n'y a pas beaucoup de méthodes possibles : augmenter un peu le reste à charge, chercher un peu de fongibilité dans l'ensemble de la dépense sociale et des économies ici pour les réinjecter là, sur le médicament. C'est de l'économie politique. Augmenter l'enveloppe n'est pas simple, les prélèvements obligatoires et la dette étant très élevés en France. Il faudrait élargir l'enveloppe par davantage de croissance, c'est-à-dire sortir de la «croissance molle» pour avoir une croissance un peu plus dynamique, et pour ce faire, il faut investir dans l'innovation. D'autant plus si l'arrivée massive des innovations est durable dans le temps.

Éric Baseilhac

Les modèles montrent clairement qu'on en a encore pour au moins dix ans d'innovations.

## Philippe Bouyoux

La vague d'innovations est indéniable, mais au moment du CSIS, en 2021, on parlait de tsunami d'innovations. De manière opérationnelle, nous avons besoin de disposer d'ordres de grandeur sur l'évaluation médico-économique. Premièrement, cela nous permet de regarder les notions d'efficience, de reconnaître les qualis apportés par le médicament. Le deuxième point, c'est que, quand on possède des chiffres de coût en euro per **QALY** (voir définition page 38) sur un produit, cela nous donne une information qui ressemble à un coût d'opportunité. Est-ce qu'on la

compare à tel ou tel autre médicament innovant que l'on a tarifé récemment dans une autre classe, ou par rapport à la moyenne de ce que l'on fait ? Si nous étions en valeur sociale, nous pourrions comparer à la valeur de la vie statistique par exemple. Tout cela n'est encore qu'embryonnaire, mais l'évaluation médico-économique peut enrichir nos analyses.

Nous n'avons pas prononcé le mot de logique en silo, mais on a parlé de maîtrise médicalisée. Aujourd'hui, les objectifs de maîtrise médicalisée et d'économie par baisse de prix sont distincts. Je crois que c'est un domaine dans lequel nous pouvons progresser, pour le médicament et pour les dispositifs médicaux. Nous devons être collectivement bien organisés pour qu'un impact organisationnel mis en avant par un laboratoire soit validé. Les validations, dans notre système, passent par la HAS. Nous avons des progrès à faire pour que les économies en maîtrise médicalisée apparaissent dans les baisses de prix produites par le CEPS.



Nous devons être collectivement bien organisés pour qu'un impact organisationnel mis en avant par un laboratoire soit validé.

**Philippe Bouyoux** 

## 🖒 Éric Baseilhac

Donc il y a une nécessité de développer une pensée plus holistique et de revoir l'évaluation médico-économique des médicaments. Pour conclure, Jean Tirole, quel est le juste niveau de croissance du budget du médicament ?



Ce n'est pas à l'économiste de décider quels sont nos objectifs sociaux. L'économiste est là pour aider à trouver des solutions. Il faudrait peut-être organiser une convention citoyenne sur cette question. La santé pose des problèmes considérables, y compris éthiques. La vie a un prix, la santé aussi. Regardez tous les budgets du CEPS, de la Sécurité sociale, de l'hôpital, etc. Il y a des prix partout. Arrêtons de nous voiler la face et réfléchissons dans le cadre de débats citoyens. Les inefficacités sont légion, et nous pouvons continuer à essayer de les combattre, y compris l'organisation entre mutuelle et Sécurité sociale, le ticket modérateur. la nécessité de récompenser beaucoup mieux les vraies innovations et pas les fausses, le pilotage... Il faut réfléchir à toute l'organisation du système, et je crois que c'est sur ce point que les économistes peuvent apporter leur concours.



► QALY pour quality-adjusted life vear, soit « année de vie pondérée par la qualité » : c'est le nom de l'indice dont se servent de nombreuses institutions publiques comme privées pour déterminer la valeur de l'existence, donc le coût optimal des traitements médicaux pouvant en améliorer les conditions.

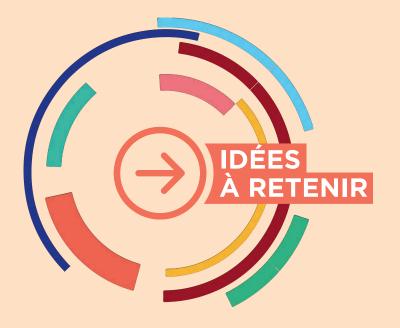
La vie a un prix, la santé aussi. Il faudrait peut-être organiser une convention citoyenne sur cette question

**Jean Tirole** 





Table ronde 2 https://tinyurl.com/TR2Leem



#### **TABLE RONDE 2**

Inventer de nouvelles modalités de financement

Envisager certains médicaments comme un investissement.

Réfléchir à une nouvelle partition AMO/AMC (assurance maladie obligatoire/complémentaire). Les complémentaires santé pourraient jouer un rôle essentiel comme levier de croissance en dégageant de la marge de financement.

Considérer les entreprises du médicament comme facteur d'efficience dans l'organisation des soins et pouvant aider à générer des économies, sur le thème du bon usage. Organiser une large réflexion sur le financement du médicament

Les problématiques de financement sont à considérer :

- en amont par les politiques d'aides publiques à la recherche ;
- en termes de budget que l'on accorde aux médicaments dans le cadre des lois de financement de la Sécurité sociale.
  Le niveau de capitalisation de ce budget est à adapter par rapport aux besoins autour de l'innovation, de la relocalisation ou encore du maintien de la production de médicaments essentiels.

## Questions-réponses à l'issue des tables rondes

#### **GOUVERNANCE**

Comment intégrer les critères environnementaux dans la régulation ?

Juliette Moisset — Les sujets environnementaux ne sont pas forcément traités, même au sein de l'État, par les interlocuteurs qui gèrent habituellement la politique du médicament. C'est la problématique du travailler-ensemble, de la gouvernance, du manque de visibilité du système de régulation, qui n'intègre pas certains paramètres, et la question des outils et des acteurs qui pourraient faire cette mise en cohérence de la stratégie du médicament.

La future Agence de l'innovation en santé pourrait-elle jouer ce rôle de chef d'orchestre et introduire de nouveaux leviers de régulation, les piloter?

Dominique Libault — Le Haut Conseil pour l'avenir de l'Assurance maladie préconise une loi de programmation en santé publique. Elle donnerait une vision permettant de réfléchir à cinq ou dix ans sur les besoins populationnels et les perspectives du système de santé et des innovations, et de travailler à l'évolution anticipée, à la fois de l'organisation de l'offre mais aussi de la façon dont on envisage la répartition de la dépense publique. Notre système souffre d'un défaut d'anticipation. Il y a bien sûr le défi de l'innovation du médicament, mais d'autres sont tout aussi cruciaux : la crise

sanitaire, le vieillissement... Nous gérons l'urgence et pas suffisamment l'anticipation globale du système. Nous devons sortir d'une vision cloisonnée ville-hôpital-médicament, car c'est en grande partie en travaillant mieux ensemble qu'on améliorera l'efficience du système.

Corinne Blachier-Poisson — Il existe déjà une agence, la HAS, qui évalue nos médicaments, leur caractère innovant et leur bénéfice par rapport aux thérapeutiques actuelles. La future Agence de l'innovation en santé devra impérativement articuler son travail avec la HAS. Une refonte du système et des zones de responsabilité de chacun est indispensable, sans quoi nous allons ajouter une couche au millefeuille, sachant que l'industrie pharmaceutique interagit avec à peu près 12 institutions. C'est un sujet de gouvernance très important pour les pouvoirs publics et pour nous.

#### CLAUSE DE SAUVEGARDE ET BESOINS CROISSANTS

La clause de sauvegarde tend à évoluer vers une taxe structurelle. Quelle est votre vision de cette évolution? Est-ce bénéfique ou non?

**Pierre Dubois** — D'un point de vue normatif, un économiste ne comprend pas l'existence d'une clause de sauvegarde. Je ne vais pas comparer avec les autres pays, mais je pense

que nous sommes les seuls à fonctionner ainsi. Je préfère une meilleure régulation du prix, des contrats de performance, éventuellement des prix négociés au préalable un peu plus bas, mais cette clause de sauvegarde est assez difficile à justifier du point de vue économique.

**Philippe Bouyoux** — En principe, la clause de sauvegarde n'a pas vocation à être structurelle. Si elle le devient, c'est qu'il y a une difficulté, mais cela nous renvoie à une question plus large : quelle vision a-t-on de la dynamique spontanée des dépenses et de la dynamique socialement acceptable ? Si l'écart devient très important, il faut s'interroger. Si l'on se contente de laisser le système fonctionner aujourd'hui, pour se passer de la clause de sauvegarde — ce que nous recommandent les économistes — il faut davantage de baisses de prix. Or ces dernières doivent être acceptables. Si l'assiette se réduit, on va demander aux entreprises des baisses assez brutales. Si l'on veut privilégier les baisses de prix, parce que c'est du sur-mesure (qui peut prendre en compte des considérations spécifiques et même, si l'on progresse, intégrer de la visibilité, de la pluriannualité), mais que l'on sait qu'il va y avoir une clause de sauvegarde pour à peu près le même montant, quelle est l'incitation à conclure conventionnellement cet accord de prix sur mesure? La vraie question, c'est le montant global et l'évolution de l'écart entre la tendance spontanée des dépenses de santé et ce qui est acceptable par la société.

Jean-François Brochard — On est d'accord, la clause de sauvegarde est le dernier recours. C'est un mécanisme extrêmement efficace, mais son impact sur l'attractivité est absolument délétère. Nous ne sommes pas tout à fait les seuls à avoir adopté ce dispositif, mais il est vrai qu'en France, ce mécanisme, notamment récemment, joue particulièrement. Le sujet reste l'écart entre le tendanciel physiologique, autour de +10 %, et une enveloppe régulée autour de 1-2 %.

**Philippe Bouyoux** — Je ne veux pas laisser dire que le +10 % est consensuel!

Jean-François Brochard — Ce n'est pas ce que je dis. Je parle de croissance physiologique. Je ne crois pas que les gens s'amusent à utiliser les médicaments par plaisir. Je pense qu'à l'origine de leur utilisation, il y a un besoin, et que celui-ci est physiologique, notamment en raison du vieillissement de la population.

#### LE FINANCEMENT DES MÉDICAMENTS

Ne faut-il pas dériver de la pensée classique du financement pour certains types de médicaments, comme les thérapies géniques et les antibiotiques?

Jean Tirole — Sur les antibiotiques, nous rencontrons effectivement de gros problèmes. Vous savez que nous en manquons à cause de l'antibiorésistance ; certains nouveaux antibiotiques ont une immense valeur, ils sauvent des vies, quand les formules classiques ne fonctionnent pas, mais cela correspond à des volumes extrêmement faibles, donc à très faible rentabilité. Et on constate le même phénomène que pour les maladies rares ou orphelines. C'est un problème d'adéquation financière, où il faut à la fois du push et du pull: les subventions à l'investissement, puis du pull, où on décorrèle les revenus du volume. Des problèmes internationaux se posent également : il peut y avoir beaucoup de free riding entre pays, y compris au niveau européen. Certains pays attendent que les autres développent ces antibiotiques, pour en profiter ensuite. D'ailleurs, je suis étonné que des pays comme l'Angleterre ou la Suède se lancent dans des programmes ambitieux, avec des budgets minuscules, plutôt que de le faire à l'échelle européenne, voire au niveau mondial. On se retrouve, comme dans le cas du climat, face à une difficulté de négociation internationale.

À la TSE, nous essayons de comprendre comment financer cela: il y a des financements directement en cash, d'autres sous forme de vouchers (des droits transférables), etc. Les avantages et les coûts de chaque méthode de financement font l'objet d'une réflexion économique. Nous sommes confrontés à un épineux problème économique : nous n'avons pas assez d'antibiotiques, et il faut comprendre, encore une fois, ce qu'est le service médical rendu. Ce n'est pas le service médical moyen, parce que la plupart du temps, un nouvel antibiotique ne sert à rien, mais il y a quelques cas plutôt rares où il a une valeur quasiment infinie. Il va donc falloir changer notre façon de réfléchir au modèle économique des antibiotiques.

**Éric Baseilhac** — Dans le cas de la thérapie génique, ce sont des objets qui promettent la guérison, un effet thérapeutique «vie entière», en une seule administration. C'est comme acheter une maison : on ne paie plus le loyer d'une maladie chronique, si j'ose dire. C'est une grosse dépense. En même temps, ce sont des produits qui, au moment où ils arrivent, sont grevés d'une grande incertitude, parce qu'on ne peut pas prouver, par définition, la guérison sur des études de court terme. Comment fait-on pour assumer cela dans un budget qui a ses propres contraintes, alors qu'on sait, si l'on regarde la thérapie génique et la promesse de guérison que l'on attend dans l'hémophilie sévère, que cela va provoquer une bosse budgétaire à très court terme?

Olivier Bogillot — Antibiotiques et thérapie génique, à mon avis, sont deux choses différentes. L'antibiotique est l'arme nucléaire qu'on ne veut pas utiliser mais qu'il faut quand même financer, alors que la thérapie génique, il va falloir la financer pour l'utiliser. Je rejoins le point de Philippe Bouyoux sur des fonds :

un fonds d'investissement dédié sur l'innovation qui pourrait être, lorsqu'il y a un niveau d'incertitude aussi fort que sur la thérapie génique ou la thérapie cellulaire, fléché en dehors de la contrainte de l'Ondam, aurait du sens.

Peut-on déterminer un juste niveau de croissance pour le médicament ?

**Éric Baseilhac** — C'est la croissance tranchée au niveau politique ?

Philippe Bouyoux — Pour moi, c'est un consensus sur ce qu'est la tendance, avec la sous-question : que sait-on des bosses sur le plan global ou sectoriel ? Une fois qu'on détient cette information, au niveau de la société et par choix politique, qu'est-on prêt à accepter ? Puis, comment moderniser nos outils, les élargir – soit dans le temps, soit de manière organisationnelle ?

**Éric Baseilhac** — Donc, un bon niveau d'information pour les politiques qui définiront la juste croissance.

**Dominique Libault** — Je pense qu'on ne peut pas du tout la définir a priori, mais en posant un regard global sur les besoins, les potentialités de maîtrise médicalisée, qui sont non négligeables. C'est un ensemble d'éléments dans ensemble de dépenses publiques contraintes. Face à la tendance du vieillissement de la population, est-ce que notre niveau global de dépenses de santé doit rester le même ? C'est une vraie question. On peut gagner en efficience. Est-ce que néanmoins la contrainte que l'on met sur l'ensemble du système est trop élevée ? Il faut documenter ce sujet pour le débat démocratique. Chacun, dans sa vie quotidienne, doit un jour arbitrer entre des questions de santé et d'autres sujets plus futiles, et on a tendance à dire : «La santé, c'est prioritaire. » Pour autant, parce que c'est une dépense publique, on va dire «attention», et c'est légitime. Le niveau de prélèvements obligatoires est élevé, on a des gains d'efficience, mais à un moment donné, on peut se poser la question de combien on est prêt à dépenser pour la santé.

Deuxième élément paradoxal sur la notion d'investissement : quand je discute avec des économistes de la santé, ils me rappellent toujours que quand une thérapeutique guérit une maladie, la personne continue à vivre, augmente son espérance de vie ou contracte une autre maladie. Elle a aussi une retraite plus longue, grâce au système de solidarité nationale, qui s'appelle la Sécurité sociale. Son succès engendre inévitablement son déséquilibre. C'est parce qu'il marche que notre espérance de vie est plus élevée, que l'on paye davantage pour la retraite, que l'on a des besoins de santé, que l'on est obligé de se poser des questions sur la façon de rééquilibrer cela. C'est inhérent au fait que le système marche.

Enfin, le système doit prendre en compte l'innovation, de façon très forte. Est-ce que pour autant elle doit porter tous les outils de la politique industrielle ? Je n'en suis pas convaincu. Le sujet de la désindustrialisation porte sur d'autres sujets qui ont été évoqués. Je pense qu'il y a une articulation entre des outils de politique industrielle dans un pays (qui ne relèvent pas de la Sécurité sociale) et les outils de Sécurité sociale. Il faut trouver les bons équilibres entre ces différents leviers.

Séverine Salgado — Nous consacrons déjà, bon an mal an, entre 11 et 12 % de notre PIB à des dépenses de santé. Les économistes nous disent que chaque nouvel euro injecté dans le système de santé sera moins efficace que l'euro précédent : l'efficacité marginale décroît. On est dans un univers contraint aujourd'hui, il faut rechercher des sources d'efficience, et elles existent. Par exemple, on finance une start-up dans le cadre d'un fonds à impact social, qui s'appelle Mutuelle Impact. La start-up Synapse a créé une solution puissante d'explication et d'aide à la décision dans le cadre de l'interaction médicamenteuse, et

peut faire économiser des milliers voire des dizaines de milliers d'euros par patient médicalisé. C'est déjà une première réponse. Il y a des poches d'efficience un peu partout. Peut-être qu'un peu comme le déchet, la bonne dépense de santé est celle que l'on évite. La courbe des maladies chroniques n'a rien d'inéluctable. Des États européens ont réussi à la casser. La prévention et une vraie politique de santé publique peuvent aussi avoir des impacts très puissants, qui nous permettraient ensuite d'orienter les financements vers des médicaments innovants. Mais nous avons un sujet, en France, sur la valorisation des données à cause d'une application jusqu'au-boutiste et rigoriste du RGPD (Règlement général sur la protection des données). Pourtant, d'autres États européens utilisent très bien leurs données de santé avec le même RGPD.

Olivier Bogillot — La juste croissance du médicament dépend des perspectives. Pour Philippe Bouyoux, c'est celle qui respecte l'Ondam, pour le ministre de l'Industrie, c'est celle qui permet d'investir sur le sol français... On ne peut pas avoir une juste croissance sans réconcilier les perspectives. Je pense que si la France veut être attractive, elle doit avoir de la recherche, de la production, des éléments de réglementation attractifs et un système de régulation lui permettant de générer une croissance suffisante. Est-ce que cette croissance s'élève à 3, 5, ou 7% ? Cela dépend de l'ambition pour le secteur. J'espère que la France veut investir massivement dans les industries de santé.

# En savoir + sur les intervenants du colloque



#### Jean Tirole

Président honoraire de la Toulouse School of Economics (TSE)

#### **FONCTIONS**

Président d'honneur de la Fondation Jean-Jacques Laffont/Toulouse sciences économiques et de l'IAST (Institute for Advanced Study in Toulouse), directeur scientifique de TSE-Partnership, professeur invité au MIT (Massachusetts Institute of Technology), membre de l'Institut de France.

#### **PARCOURS & DISTINCTIONS**

Prix Nobel d'économie en 2014, médaille d'or du CNRS (2007).

#### **DIPLÔMES**

École Polytechnique (promotion 1973), doctorat de 3º cycle en mathématiques de la décision à l'université Paris-Dauphine, PhD en sciences économiques au MIT sous la direction d'Eric Maskin (prix Nobel d'économie en 2007).

#### **SUJETS DE RECHERCHE**

Organisation industrielle, réglementation, finance, macroéconomie et banque, économie fondée sur la psychologie. Focus économie de la santé : travaux sur la source des défaillances du marché pour l'innovation dans les antibiotiques, et sur la régulation et l'éthique des technologies numériques dans les soins de santé.

#### **EST INTERVENU SUR**

la Toulouse School of Economics (TSE)
consacre-t-elle des travaux au médicament ?

TABLE RONDE 2 Réinventer de nouvelles
modalités de financement



#### Corinne Blachier-Poisson

Vice-présidente et directrice générale d'Amgen France, présidente de l'Agipharm

#### **FONCTIONS**

Vice-présidente et directrice générale d'Amgen France depuis janvier 2019, présidente de l'Agipharm (Association des groupes internationaux pour la pharmacie de recherche) depuis janvier 2021, chef de la famille des laboratoires américains au sein du conseil d'administration du Leem.

#### **DIPLÔMES**

HEC, master d'économie internationale de l'université Paris-Dauphine.

#### **PARCOURS**

Responsable de l'évaluation médicoéconomique à l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (Afssaps, ex-ANSM) de 1998 à 2002. Après avoir occupé diverses fonctions en organisation et marketing/vente chez Rhône-Poulenc et Novartis, elle rejoint Amgen France en 2009 en tant que directrice de la business unit Néphrologie. En 2013, elle devient directrice exécutive de l'Accès au marché et des Affaires publiques France, puis, après une mission dédiée à la transformation du groupe aux États-Unis, elle est nommée directrice générale d'Amgen Belgique et Luxembourg en 2016.

**EST INTERVENUE SUR** 

**TABLE RONDE 1** 

Réinventer la régulation du médicament



Olivier Bogillot
Président de Sanofi France
et président de la Fefis

#### **FONCTIONS**

Président de Sanofi France (depuis mars 2020), président de la Fédération française des industries de santé (Fefis) depuis 2019, administrateur du Leem, président du Comité stratégique de filière des industries et technologies de santé (CSF-ITS) et président du comité de suivi du plan Innovation Santé 2030.

#### **DIPLÔMES**

Doctorat en économie (université Lyon-I), master en économie de la santé et santé publique et diplôme en biologie moléculaire et physiologie.

#### **PARCOURS**

Avant d'entrer chez Sanofi en 2015, il a travaillé chez Merck, Amgen et Bristol Myers Squibb, en France et en Europe. En 2009, il est directeur des affaires réservées de l'Agence régionale de santé d'Île-de-France puis conseiller pour la santé, la dépendance et les politiques sociales à la présidence de la République française en 2011.

**EST INTERVENU SUR** 

TABLE RONDE 2 Réinventer de nouvelles modalités de financement



Philippe Bouyoux Président du CEPS

#### **FONCTIONS**

Président du Comité économique des produits de santé (CEPS) depuis 2020.

#### **DIPLÔMES**

École nationale de la statistique et des études économiques (ENSAE), licence de mathématiques, maîtrise en économétrie (Toulouse), programme Senior Managers in Government à la Harvard Kennedy School.

#### **PARCOURS**

Inspecteur général des finances et ministre conseiller pour les affaires économiques au sein de l'ambassade de France à Pékin, Washington, Singapour, ou encore au Brésil. Il a travaillé à l'Inspection générale des finances, pour la direction générale du Trésor et de la politique économique, au cabinet du ministre de l'Économie et des Finances, en tant que conseiller auprès du ministre (Francis Mer puis Nicolas Sarkozy), et comme conseiller technique auprès de l'ancien Premier ministre Alain Juppé.

### EST INTERVENU SUR TABLE RONDE 1

Réinventer la régulation du médicament TABLE RONDE 2 Réinventer de nouvelles modalités de financement



Jean-François Brochard
Président de Roche France

#### **FONCTIONS**

Président de Roche France depuis mai 2018, président de l'Association des laboratoires internationaux de recherche (LIR), administrateur du Leem, où il préside la commission Croissance, régulation et politique conventionnelle.

#### **DIPLÔMES**

DESS en modélisation économique et techniques statistiques, master en économie de l'université Panthéon-Assas (Paris-II).

#### **PARCOURS**

Expérience internationale en marketing et vente au sein de différents laboratoires pharmaceutiques au Mexique, aux États-Unis, en France et aux Philippines. Il entre chez GSK en 1999 en France, puis rejoint la filiale italienne. En 2012, il est nommé directeur commercial vaccins, puis directeur général de GSK Belgique et Luxembourg. Il devient président de GSK France en 2015.

#### **EST INTERVENU SUR**

#### TABLE RONDE 1

Réinventer la régulation du médicament



#### Pierre Dubois

Professeur de sciences économiques à la Toulouse School of Economics (TSE)

#### **FONCTIONS**

Professeur de sciences économiques à la TSE, fellow du CEPR (Centre for Economic Policy Research) et de l'Institut pour les études fiscales à Londres (IFS), directeur du Centre Santé de TSE.

#### **DIPLÔMES**

Doctorat en économie de l'École des hautes études en sciences sociales (EHESS) à Paris.

#### **PARCOURS**

Professeur adjoint à l'Université de Montréal, postes de visiteur à Berkeley, Northwestern University et Harvard University ; directeur scientifique de la TSE.

#### **SUJETS DE RECHERCHE**

Économie industrielle, modèles de demande, économie de la santé et du secteur pharmaceutique, alimentation, économie du développement et économétrie appliquée.

#### **EST INTERVENU SUR**

#### **TABLE RONDE 1**

Réinventer la régulation du médicament



Margaret Kyle
Professeure d'économie
à Mines ParisTech

#### **FONCTIONS**

Titulaire de la chaire Propriété intellectuelle et marchés de la technologie à Mines ParisTech, membre du Conseil national de la productivité en France (CEPR) et du groupe consultatif économique sur la politique de concurrence de la Commission européenne.

#### **DIPLÔMES**

Doctorat en économie du Massachusetts Institute of Technology (MIT).

#### **PARCOURS**

Rédactrice associée de l'International Journal of Industrial Organization, elle a enseigné à l'université Carnegie-Mellon, Duke University, London Business School et TSE.

#### **SUJETS DE RECHERCHE**

Innovation, productivité et concurrence, avec un focus particulier sur la productivité de la R&D dans l'industrie pharmaceutique : l'effet des politiques commerciales et de propriété intellectuelle sur les choix d'investissements en R&D, et les questions d'innovation et d'accès aux thérapies dans les pays en développement.

#### **EST INTERVENUE SUR**

#### TABLE RONDE 1

Réinventer la régulation du médicament



## Dominique Libault Directeur de l'EN3S

et président du HCFiPS

#### **FONCTIONS**

Directeur de l'École nationale supérieure de Sécurité sociale (EN3S) depuis 2012, président du Haut Conseil du financement de la protection sociale (HCFiPS) depuis 2018.

#### **DIPLÔMES**

Ancien élève de l'ENA, diplômé de l'Institut d'études politiques (IEP) de Paris, titulaire d'une licence en droit.

#### **PARCOURS**

Conseiller technique au cabinet de Simone Veil, ministre des Affaires sociales, de la Santé et de la Ville à partir de 1993 ; directeur de la Sécurité sociale de 2002 à 2012, conseiller d'État à partir de 2012. De 2018 à 2019, il a piloté la concertation « Grand âge et autonomie » et, depuis 2021, il est à la tête d'une mission sur la coordination des services de proximité auprès des personnes âgées et handicapées.

#### **EST INTERVENU SUR**

#### **TABLE RONDE 1**

Réinventer la régulation du médicament

TABLE RONDE 2 Réinventer de nouvelles modalités de financement



#### Olivier Nataf

Président d'AstraZeneca France et président du Leem par intérim (1er juin-5 juillet 2022)

#### **FONCTIONS**

Président France d'AstraZeneca depuis 2019, président d'Innovation100T France; administrateur du Leem, dont il a été secrétaire du bureau, président de la commission Transformation industrielle et président par intérim du 1er juin au 5 juillet 2022.

#### **DIPLÔMES**

Diplôme en biologie moléculaire de l'Université Pierre et Marie Curie et de l'université de Chicago, DEA en pharmaco-oncologie de l'École normale supérieure, titulaire d'un master de l'ESCP (École supérieure de commerce de Paris) et de l'Iris (Institut de relations internationales et stratégiques).

#### **PARCOURS**

Entré en 2001 chez AstraZeneca, il y a exercé des fonctions variées dans différentes aires thérapeutiques, avant d'être nommé directeur commercial Oncologie pour l'international puis de diriger la business unit Oncologie aux États-Unis.

Il est le cofondateur de la coalition Innovation Santé aux côtés de France Digitale, France Biotech et MedTech in France.

#### **EST INTERVENU SUR**

MOT D'OUVERTURE Relever ensemble les défis du financement et de la régulation du médicament



Séverine Salgado

Directrice générale
de la Mutualité française (FNMF)

#### **FONCTIONS**

Directrice générale de la Mutualité française depuis juillet 2021.

#### **DIPLÔMES**

Ancienne élève de l'École nationale d'administration (ENA), DESS « Banque et finances européennes » de l'Université des sciences sociales de Toulouse, diplômée de l'IEP de Toulouse.

#### **PARCOURS**

Différentes fonctions à l'administration de l'État, notamment au ministère des Affaires sociales et de la Santé. Inspectrice du Trésor public à la Direction générale des finances publiques, elle rejoint en 2008 la direction de la Sécurité sociale, où elle a été en charge des relations avec les professionnels de santé et de la division des affaires européennes et internationales. Elle a été nommée directrice santé à la Fédération nationale de Mutualité française (FNMF) en 2017.

#### **EST INTERVENUE SUR**

TABLE RONDE 2 Réinventer de nouvelles modalités de financement

## En savoir + sur les animateurs du colloque



Juliette Moisset
Table ronde 1

#### **FONCTIONS**

Directrice des Opérations économiques du Leem depuis 2020.

#### **DIPLÔMES**

Diplôme d'ingénieure de l'École Polytechnique et de la Cambridge Judge Business School.

#### **PARCOURS**

Entrée chez Novartis en 2013 en tant qu'analyste marché et ventes, elle travaille de 2015 à 2017 à la direction du budget au ministère des Finances, où elle est notamment responsable du suivi des dépenses de soins de ville, puis elle rejoint de nouveau l'industrie pharmaceutique au département Accès au marché d'Amgen.



Éric Baseilhac Table ronde 2

#### **FONCTIONS**

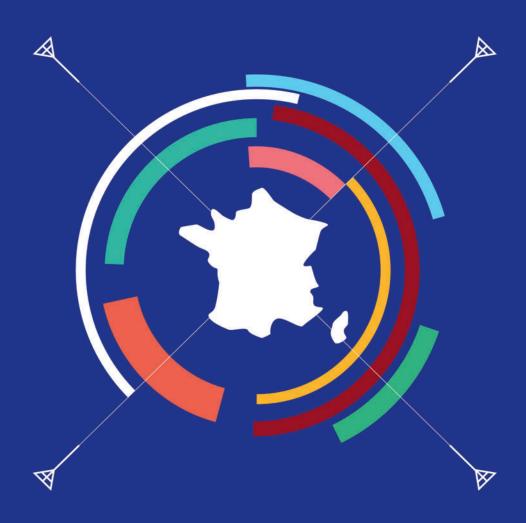
Directeur des Affaires économiques et internationales du Leem depuis novembre 2013.

#### **DIPLÔMES**

Doctorat de médecine et master en politiques de santé de Sciences-Po Paris.

#### **PARCOURS**

Il a exercé la médecine durant une dizaine d'anneés avant de rejoindre l'industrie pharmaceutique en 2003, d'abord chez Janssen, dont il devient directeur exécutif chargé de l'accès au marché, puis chez Lilly, en qualité de directeur corporate Affairs pour la France et le Benelux.



## leem

www.leem.org







