



# MINISTÈRE DE LA SANTÉ ET DE LA PRÉVENTION

*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

**Le PRME**

**fête ses**

**10  
ans**

**Direction générale  
de l'offre de soins**



**MINISTÈRE  
DE LA SANTÉ  
ET DE LA PRÉVENTION**

*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

**Le PRME fête ses**

**10  
ans**

Direction générale de l'offre de soins

# DISCOURS D'OUVERTURE

**FRANÇOIS BRAUN, MINISTRE DE LA SANTÉ ET DE LA PRÉVENTION**

**ALAIN BERNARD, PRÉSIDENT DU JURY DU PRME ET CHEF DU PÔLE CHIRURGIE  
CARDIO-VASCULAIRE ET THORACIQUE DU CHU DE DIJON**



**MINISTÈRE  
DE LA SANTÉ  
ET DE LA PRÉVENTION**

*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

**Le PRME** fête ses **10**  
ans

Direction générale de l'offre de soins

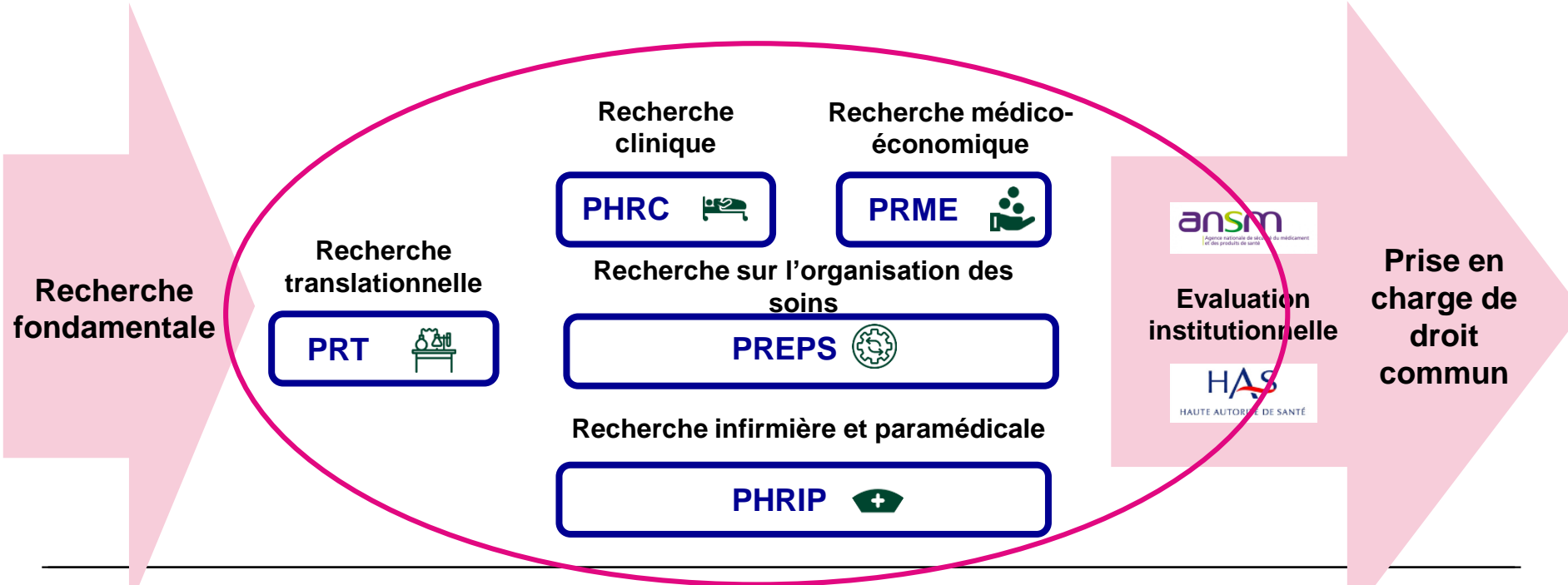
# LES CHIFFRES CLÉS DU PRME

**ALBANE MIRON DE L'ESPINAY - BUREAU INNOVATION ET RECHERCHE CLINIQUE (DGOS/PF4)**

# La place de la DGOS dans le pilotage de la recherche en santé

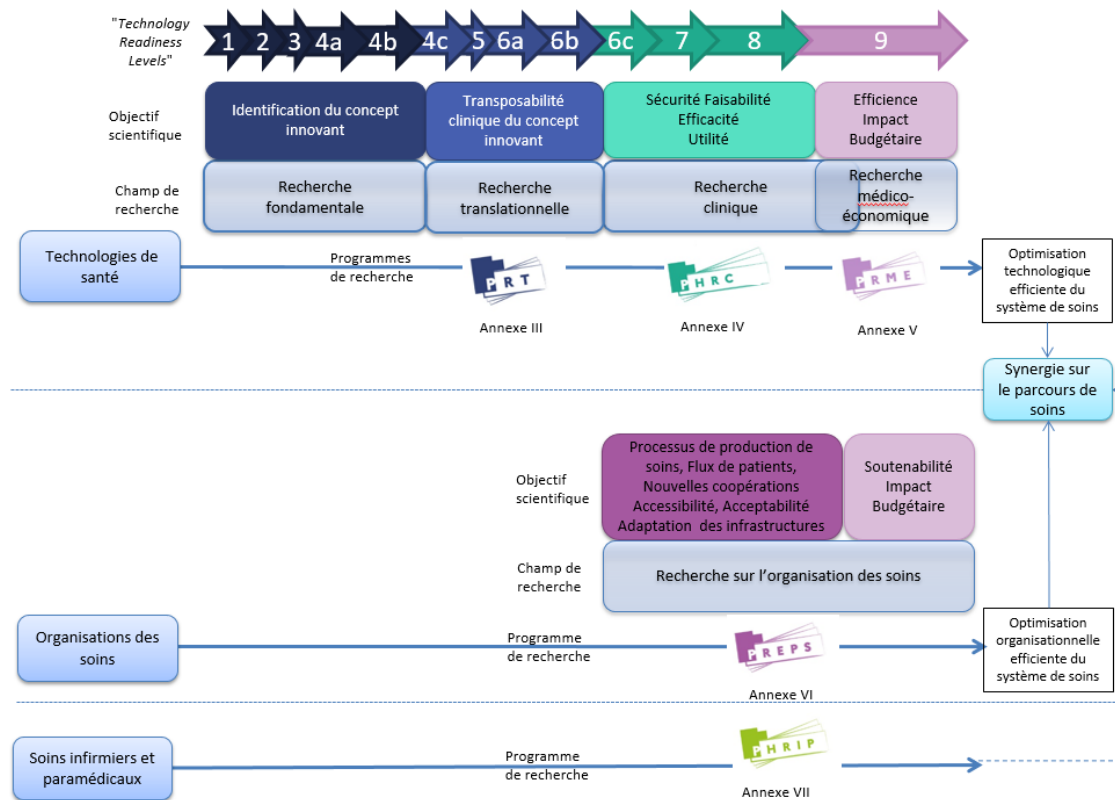


## 5 PROGRAMMES DE RECHERCHE DÉCLINÉS EN 11 APPELS À PROJETS ET 188 M€ EN 2022 *ancrés dans un continuum de la recherche en santé*

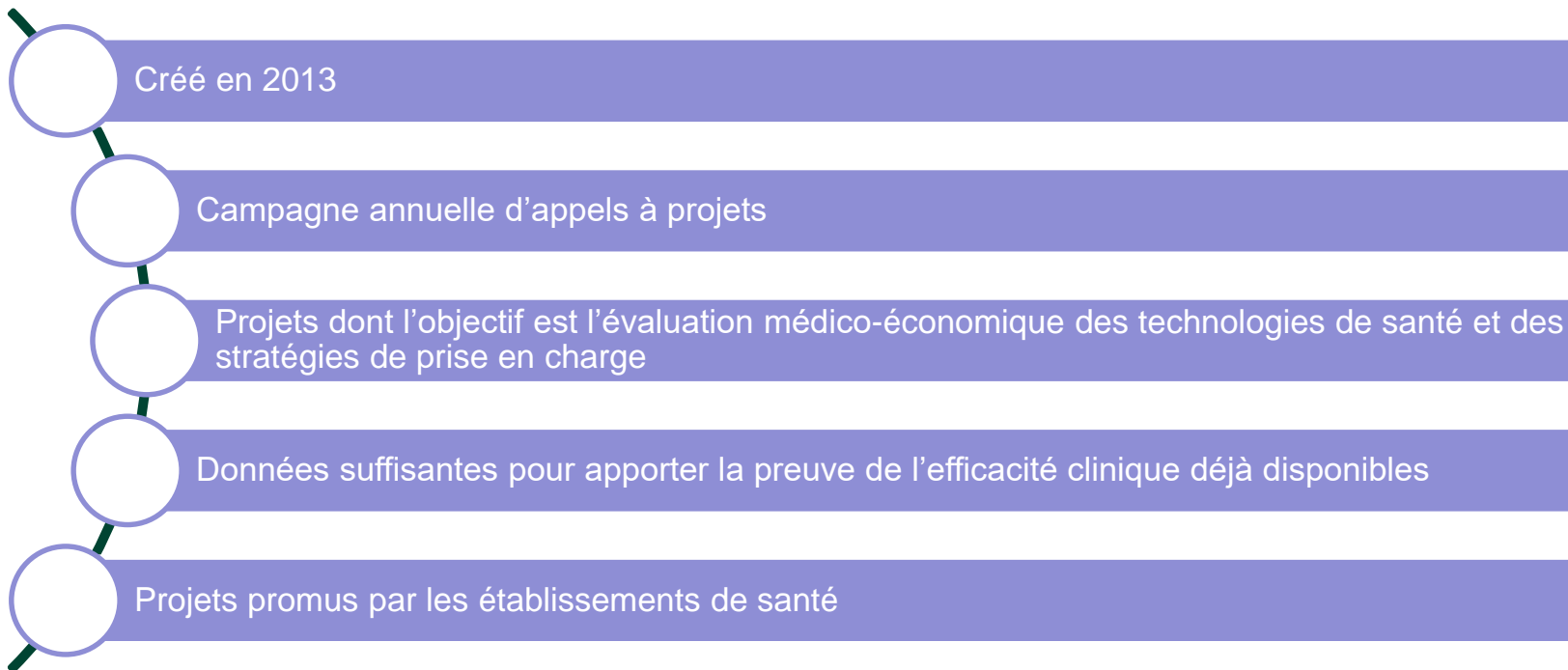


# Le PRME fête ses 10 ans

## Les programmes de recherche de la DGOS dans le continuum de la recherche en santé



# Le Programme de Recherche en Médico-Economie



# Le Programme de Recherche en Médico-Economie

Sélection en deux  
étapes



1. Présélection des  
lettres d'intention par  
un jury  
institutionnel :

- éligibilité
- pertinence de la question posée au regard des politiques publiques
- évaluation préliminaire de la méthodologie



2. Sélection des  
dossiers complets  
par un jury  
scientifique :

- pertinence des objectifs du projet,
- qualité méthodologique
- faisabilité opérationnelle
- adéquation de son budget en fonction des besoins et du niveau de qualité

Logique d'accompagnement : pas de taux de sélection maximal des candidatures

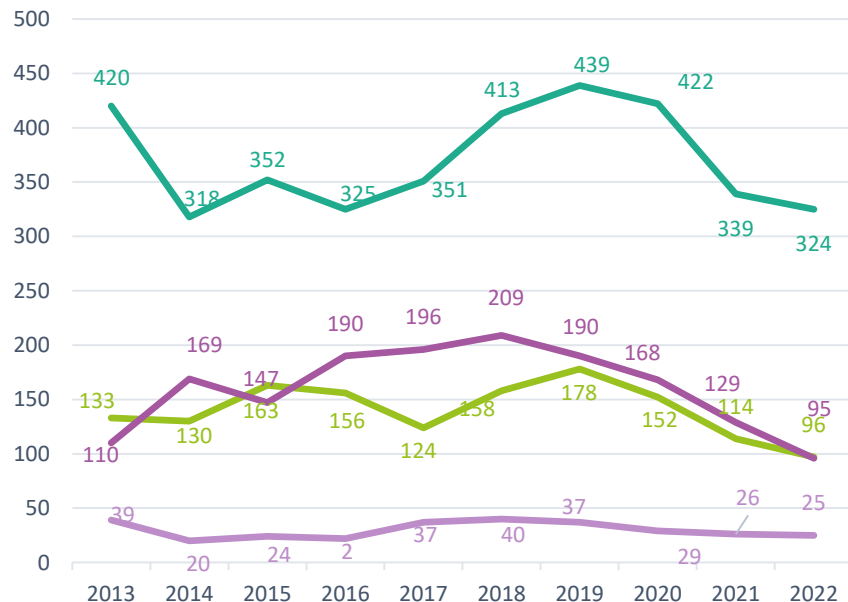




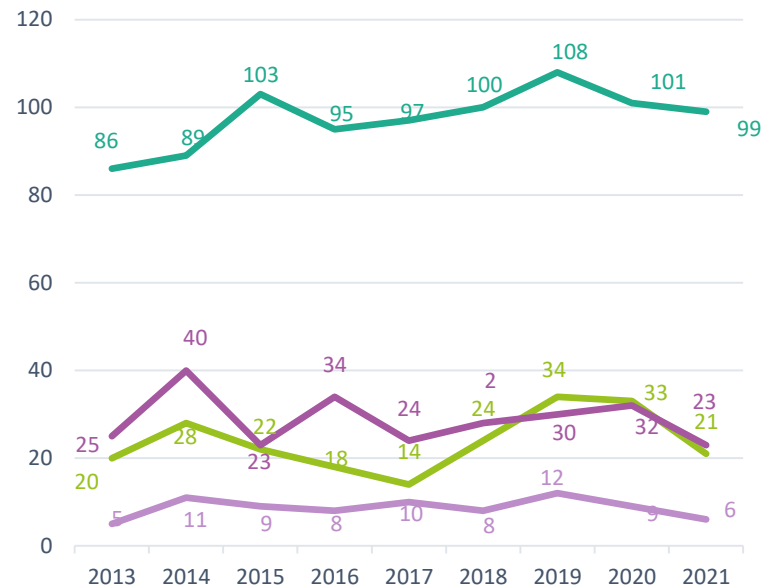
## Position du PRME parmi les 4 appels à projets nationaux 2013-2022



Nombre de projets déposés (LIC)

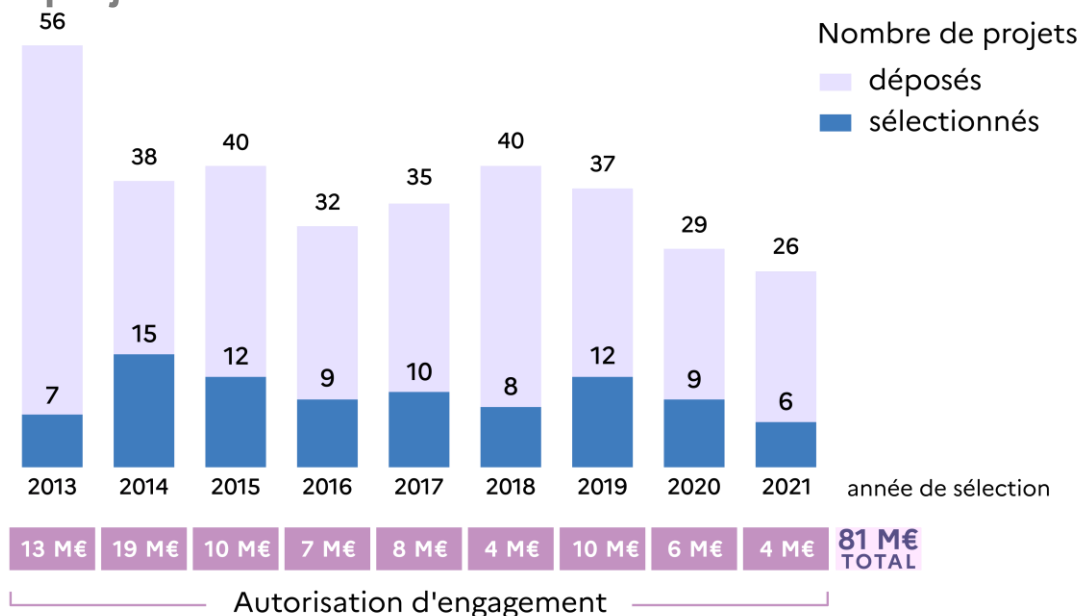


Nombre de projets financés (DC)



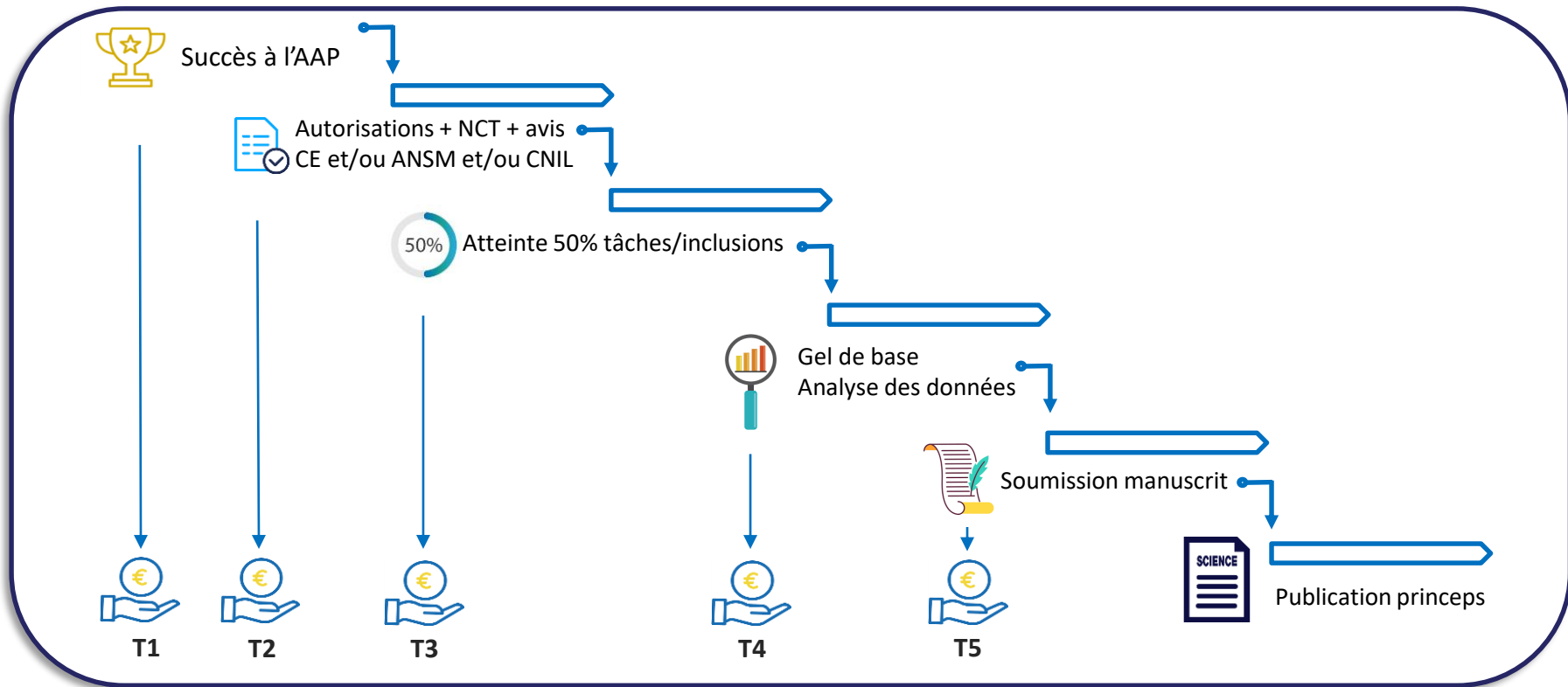
## Nombre de projets au PRME

### Nombre de projets sélectionnés et financés au titre du PRME 2013-2021



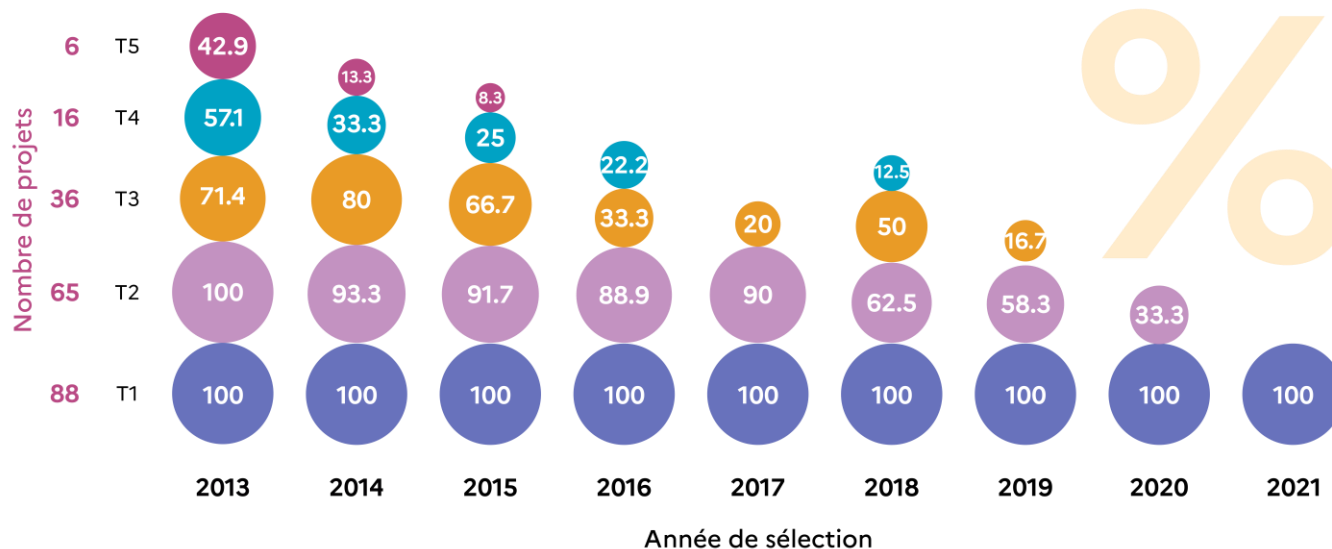
Source : tableau de suivi des projets financés (DGOS)  
Champ : 88 projets du PRME (2013-2021)

# Mécanisme de suivi et de financement des projets



# Financement

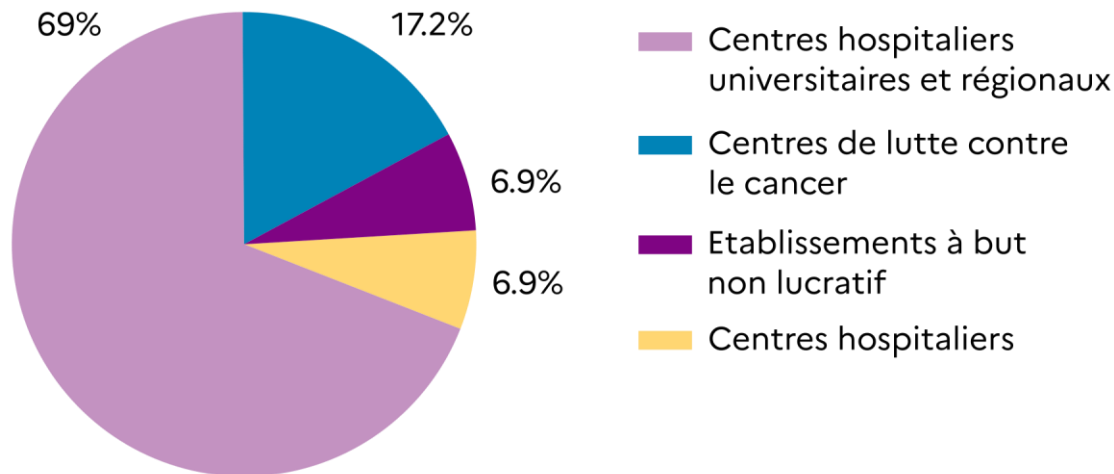
## État d'avancement des projets PRME (en termes d'obtention de tranches de financement) par année de sélection



Source : tableau de suivi des projets financés (DGOS)  
 Champ : 88 projets du PRME (2013-2021)

# Les acteurs de la recherche du PRME

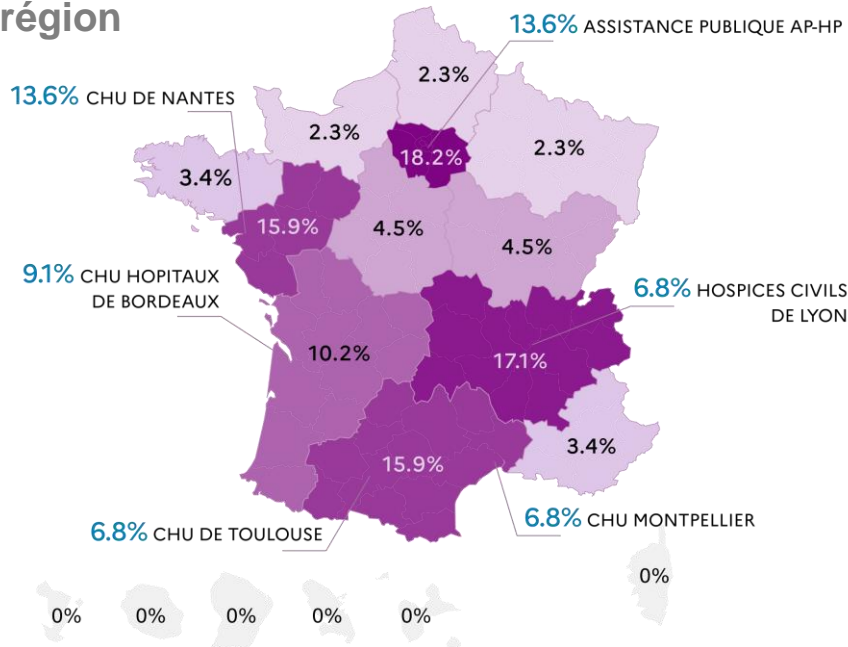
Catégorie d'établissement coordonnateur du projet de recherche



Source : tableau de suivi des projets financés (DGOS)  
Champ : 88 projets du PRME (2013-2021)

# Les acteurs de la recherche du PRME

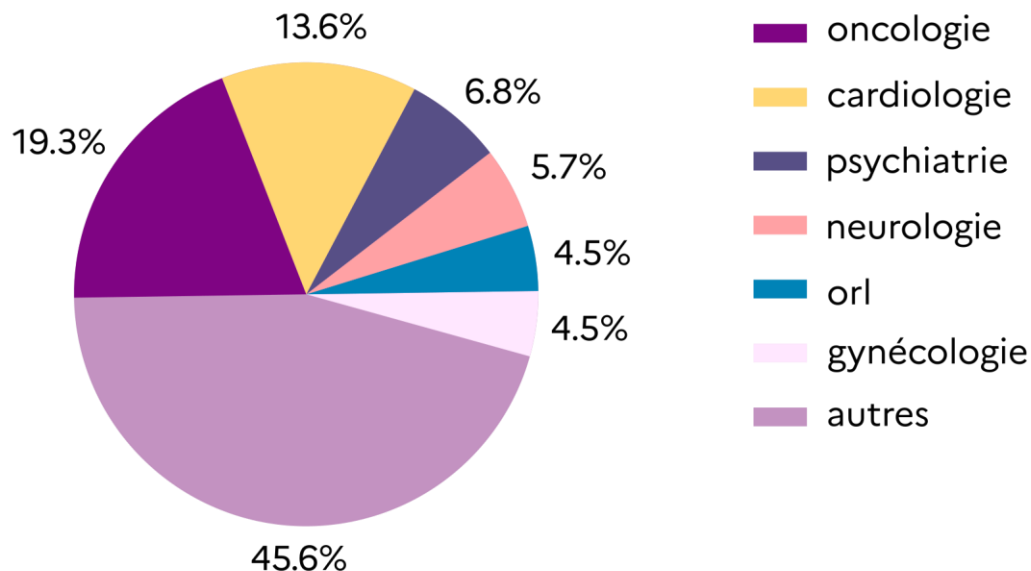
## Projets financés par région



Source : tableau de suivi des projets financés (DGOS)  
Champ : 88 projets du PRME (2013-2021)

# Focus projets

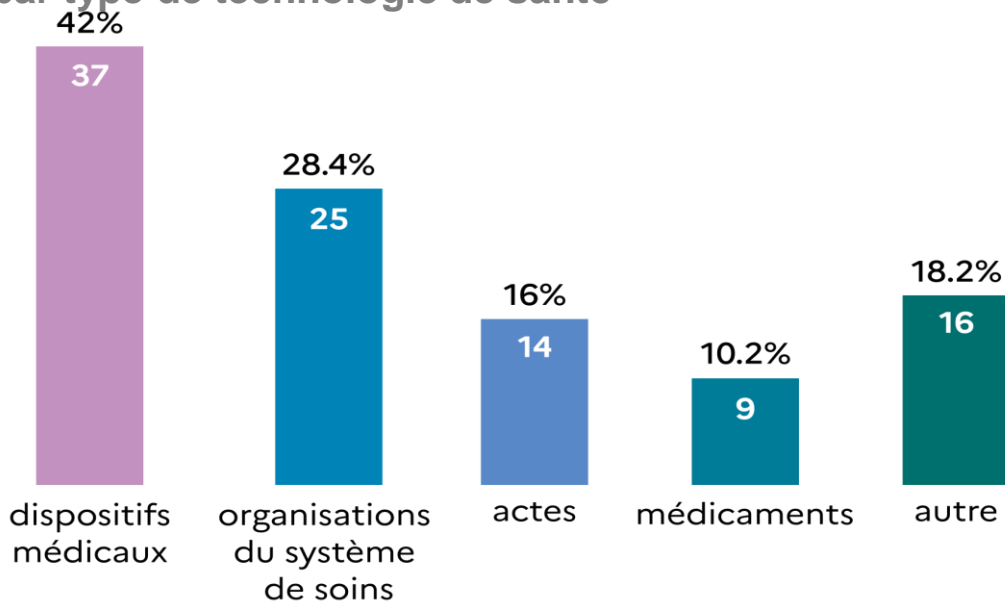
## Disciplines principales des projets



Source : Disciplines déclarées dans les lettres d'intention des porteurs de projets (DGOS)  
Champ : 88 projets du PRME (2013-2021)

# Focus projets

## Projets financés par type de technologie de santé



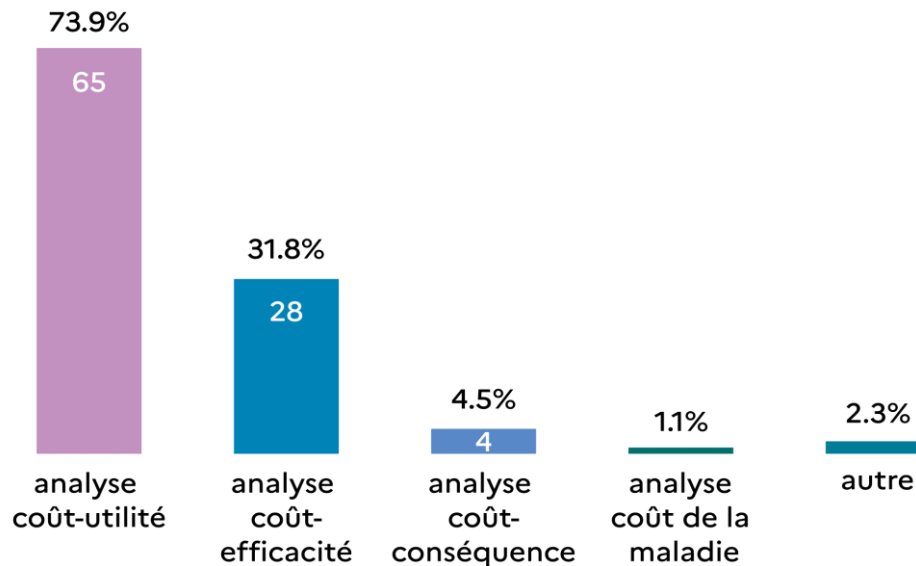
Source : Technologies déclarées dans les lettres d'intention (DGOS)

Champ : 88 projets du PRME (2013-2021) / NB : certains projets peuvent contenir plusieurs technologies



# Focus projets

## Méthodologies médico-économique utilisées



Source : méthodologies déclarées dans les lettres d'intention (DGOS)

Champ : 88 projets du PRME (2013-2021) NB : certains projets contiennent plusieurs Méthodologies médico - économique

# Résultats de l'enquête auprès des porteurs de projet PRME 2013-2020

Enquête en ligne ouverte auprès des porteurs de projets PRME.

82 projets interrogés, 61 réponses exploitables.

Taux de réponse : 75,3%

# Résultats de l'enquête auprès des porteurs de projet PRME 2013-2020

Quelle valorisation des projets financés par le PRME ?

18 projets  
41 publications  
6 principes  
(au moins)

22 projets  
97 communications  
orales

7 collaborations  
internationales

# Résultats de l'enquête auprès des porteurs de projet PRME 2013-2020

Parmi les projets qui ont donné lieu à un article dans une revue scientifique à comité de lecture et qui ont eu un impact concret auprès d'institutions

Au moins 6 projets ont donné lieu à :

- 2 recommandations HAS
- Validation des signatures génomiques / Validation des Indices
- 2 Démonstration d'économies



**MINISTÈRE  
DE LA SANTÉ  
ET DE LA PRÉVENTION**

*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

**Le PRME fête ses**

**10  
ans**

Direction générale de l'offre de soins

**MERCI BEAUCOUP POUR VOTRE  
ATTENTION**

**«Evaluation de l'utilité clinique et médico-économique du dépistage néonatal généralisé des Déficits Immunitaires Combinés Sévères (DICS) par quantification des TRECs sur cartes de Guthrie»**

**Protocole DEPISTREC**

PRME 2013, 13-0265, Clinical Trials: NCT02244450

**Coordonnateurs**

**Docteurs Marie Audrain, Sophie Mirallié et Caroline Thomas**

**Méthodologiste**

**Pr Véronique Sébille – Aurélie Le Thuaut**

**Analyse médico-économique**

**Pr Isabelle Durand- Zaleski**

**Promoteur: CHU de NANTES**



**CENTRE HOSPITALIER UNIVERSITAIRE DE NANTES**

## Contexte

**Déficit immunitaire combiné sévère (DICS)** = large spectre de maladies génétiques caractérisées par déficit profond de l'immunité cellulaire et humorale. Incidence: 1/60000 à 1/80 000.

Enfants atteints naissent asymptomatiques mais **décès infections dans la 1<sup>re</sup> année de vie s'ils ne sont pas traités** et très vulnérables aux infections secondaires liées à l'injection de vaccins vivants.

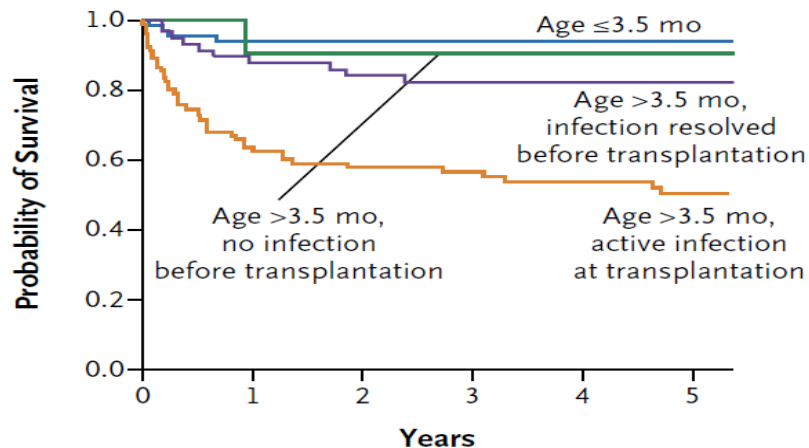
- Le traitement repose sur la greffe de cellules souches hématopoïétiques, le remplacement par un enzyme ou la thérapie génique
- Organisation de la prise en charge des DIP en France
  - Réseau CEREDIH (centre de référence)
  - Centres de compétence régionaux

Dépistage néo natal: CNCDN, CRDN



## Résultats des traitements des DICS

### D Age at Transplantation and Infection Status



**Avis du CCNE:** (18/09/2018): en faveur du dépistage néo natal généralisé des DICS

« En faveur du dépistage néonatal des déficits immunitaires, figure l'évidence d'une meilleure prise en charge ».

New England J Med, juillet 2014



## Contexte

Le DICS remplit les critères du dépistage néonatal car :

- asymptomatique à la naissance,
- fatal avant un an en l'absence de traitement,
- Le traitement existe,
- La survie est meilleure si traitement effectué avant 3,5 mois (96% de survie, contre 66% si le traitement est effectué après 3,5 mois).

Etablissement d'un diagnostic de DICS avant l'apparition des symptômes:

- bénéficierait à la plupart des enfants puisque moins de 10% ont des antécédents familiaux
- permettrait d'instaurer rapidement prise en charge en vue d'un traitement curateur.

→ DEPISTAGE néonatal = meilleure efficacité de la greffe, meilleure survie, moins de complications donc réduction de traitements annexes, et une nette amélioration de la qualité de vie. Il permet aussi de détecter d'autres lymphopénies T sévères non SCID.

---

## Quantification des TRECs : reflet de la thymopoïèse et de la présence de cellules T naïves chez l'enfant.

- Extraction ADN à partir du carton de Guthrie
- Amplification par PCR quantitative du  $\delta\text{Rec-}\psi\text{J}\alpha$
- Quantification par rapport à une courbe standard établie à partir d'un plasmide
- Quantification d'un gène référence sur le même spot (actine par ex)

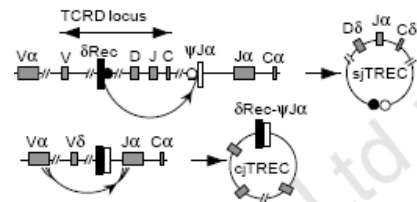
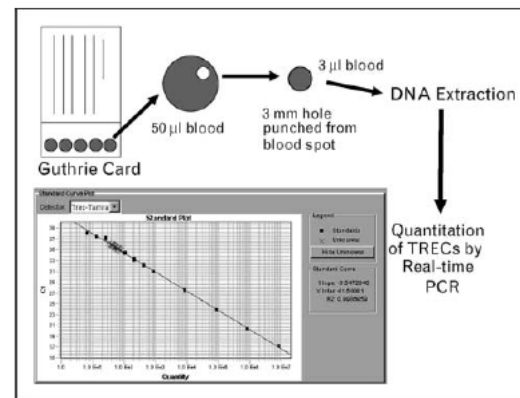
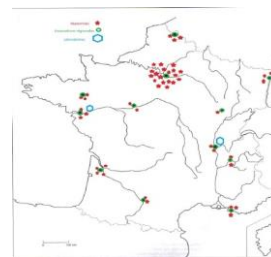


Figure 2 The T cell excision circle (TREC) assay on dried blood spots



The Guthrie card, or standard filter card used to collect heel-stick blood, is obtained routinely from every newborn. At the screening laboratory a 3 mm punch, corresponding to about 3 µl of whole blood, is submitted for DNA extraction. Quantitative PCR is performed, and the number of TRECs is determined by comparison with standard serial dilutions of a plasmid containing the TREC sequence. Genomic DNA copy number can also be measured, such as with actin-specific primers to indicate DNA quality and approximate number of nucleated blood cells.

## Méthodologie de l'étude DEPISTREC



- PRME 2013 (13-0265), clinical trial n°NCT02244450
- Etude de dépistage adossée au dépistage néonatal existant
- Multicentrique nationale: 48 maternités, 12 services d'hémo-immuno -pédiatrie, deux laboratoires de dépistage
- Contrôlée:  
Un groupe d'enfants dont le diagnostic de DICS a été porté grâce au dépistage néonatal versus un groupe contrôle d'enfants dont le diagnostic de DICS a été porté suite aux symptômes en l'absence de dépistage néonatal
  - *Groupe dépistage: 190517 nouveau-nés recrutés sur 2 ans*
  - *Groupe contrôle: 34 patients diagnostiqués non dépistés*
- Prospective
- Méthodes : coffret CE-IVD Enlite™ neonatal TREC kit (PerkinElmer) avec amplification des TREC et B-Actine

# Etude Depistrec PRME 2013, 13-0265, Clinical Trials: NCT02244450

Conduite de fin 2015 à début 2017

3 DICS dépistés sur 190517 nouveaux nés testés (1/63000)

5 décès sur 34 dans le groupe contrôle

59 Lymphopénies non DICS

Dépistage néonatal des DICS en France: faisable, calqué sur le dépistage des autres maladies

Circuit de soins: fonctionne

Intérêt médico économique: démontré sur des modèles publiés

Coût test estimé à ce jour : 3 € à 4 €

J Clin Immunol , 2019 May;202:33-39.

J Clin Immunol, 2018,38,778-786,

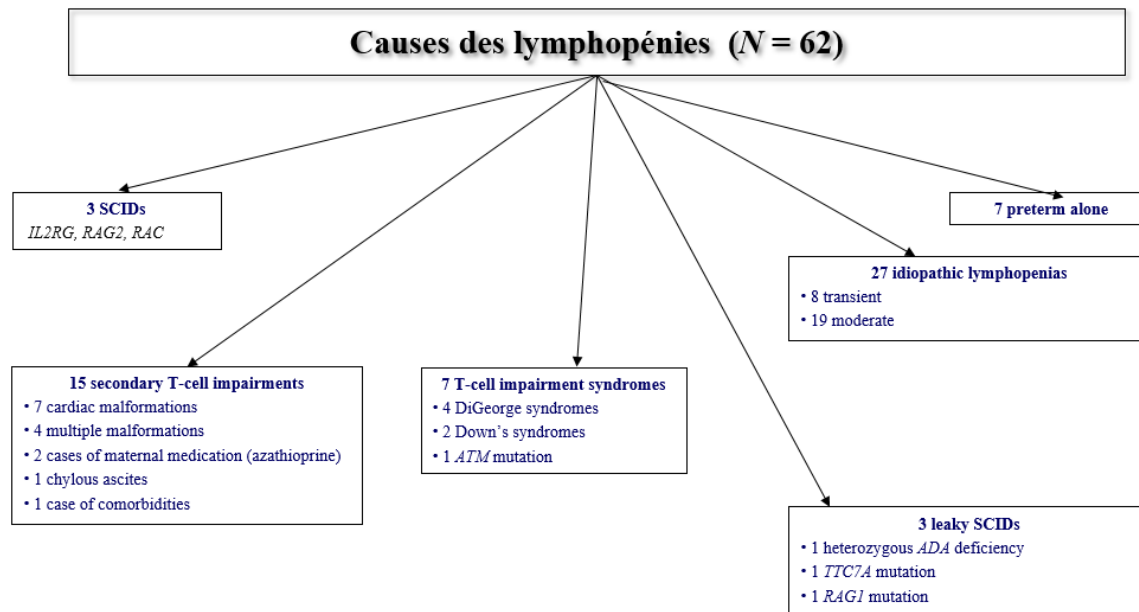
J Crohns Colitis, 2018, 12, 258-261

Arch Pediatr. 2020 Nov;27(8):485-489

## Groupe contrôle (34 bébés)

Table 2: Control group characteristics and outcomes

ID no.	Age at time of diagnosis (days)	Treatment	Age at time of HSCT (days)	HSCT	Genetics	Outcome
1	16	HSCT	57	genoidentical	<i>RAG1</i>	AW
2	40	HSCT	129	phenoidentical	<i>RAG1</i>	AW
3	430	HSCT	594	phenoidentical	<i>LIG1</i>	AW
4	107	HSCT	144	genoidentical	<i>ADA</i>	AW
5	3	HSCT	28	genoidentical	<i>JAK3</i>	AW
7	387	HSCT	496	genoidentical	<i>RAG1</i>	AW
8	115	HSCT	178	haploidentical	<i>JAK3</i>	AW
9	631	pegademase	NA	NA	<i>ADA</i>	AW
10	11	pegademase	NA	NA	<i>ADA</i>	AW
12	208	HSCT	266	phenoidentical	<i>JAK3</i>	AW
13	6	HSCT	57	phenoidentical	<i>RAG2</i>	AW
15	160	HSCT	199	haploidentical	<i>IL2RG</i>	AW
16	28	HSCT	100	haploidentical	<i>CD3E</i>	AW
17	90	HSCT	114	genoidentical	<i>IL2RG</i>	AW
18	172	HSCT	192	genoidentical	<i>JAK3</i>	AW
19	221	HSCT	287	UCB	<i>JAK3</i>	AW
22	206	HSCT	249	UCB	<i>JAK3</i>	AW
23	135	HSCT	193	UCB	<i>JAK3</i>	AW
24	129	HSCT	194	phenoidentical	<i>IL2RG</i>	AW
25	213	pegademase	NA	NA	<i>ADA</i>	AW
26	138	HSCT	198	UCB	<i>DCLRE1C</i>	AW
28	130	NA	NA	NA	<i>IL2RG</i>	died
29	161	NA	NA	NA	<i>DCLRE1C</i>	died
30	136	NA	NA	NA	<i>ADA</i>	died
31	357	NA	NA	NA	<i>PNP</i>	died
32	441	HSCT	558	phenoidentical	<i>RAG1</i>	AW
33	72	NA	NA	NA	ND	died
34	7	HSCT	56	phenoidentical	<i>DNAPK</i>	AW



*J Clin Immunol*, 2019 May;202:33-39.

*J Clin Immunol*, 2018,38,778-786,

*J Crohns Colitis*, 2018, 12, 258-261

*Arch Pediatr.* 2020 Nov;27(8):485-489

## Conclusion (1): dépistage des DICS

---

-La quantification des TreCs peut dépister des pathologies nécessitant une prise en charge urgente: DICS, DIC avec lymphopénie T , syndrome d'Omenn

-La survie des enfants greffés précocement est meilleure que la survie des enfants  
(courbe de survie au moins 20% d'écart).

-On évite des décès précoces avant greffe (5 dans l'étude DEPISTREC).

**Fréquence des DICS :**

- 1/80 000 naissances (registre CEREDIH),
- 1/63 000 (étude DEPISTREC).
- 1/58000 (USA)

## Conclusion (2): dépistage des lymphopénies non DICS

---

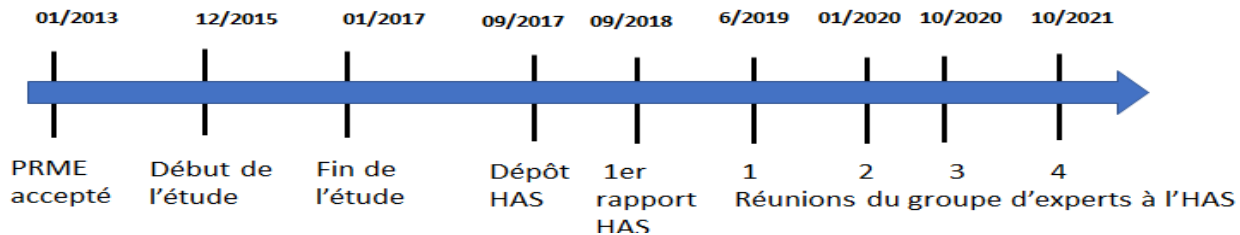
- La quantification des Trecs peut dépister des lymphopénies sévères d'autres causes:
  - Causes maternelles
  - Causes génétiques (Di George +++, autres DIP: ATM)
  - pathologie malformatives (malformations cardiaques, ascite chyleuse...)
  - prématurité
  
- Le diagnostic de lymphopénie non DICS apporte un bénéfice aux patients, et permet d'éviter des complications infectieuses précoces
  
- Le diagnostic de lymphopénie nécessite une démarche rigoureuse

### Fréquence des lymphopénies non DICS

- 1/8000 naissances (données de la littérature),
  - 1/7620 (étude DEPISTREC).
  - 1/7337 (USA)
-



## Etude Depistrec et HAS parcours de la mise en place d'un DNN



J Clin Immunol , 2019 May;202:33-39.

J Clin Immunol, 2018,38,778-786,

J Crohns Colitis, 2018, 12, 258-261

Arch Pediatr. 2020 Nov;27(8):485-489

---

RECOMMANDER  
LES BONNES PRATIQUES

---

ARGUMENTAIRE

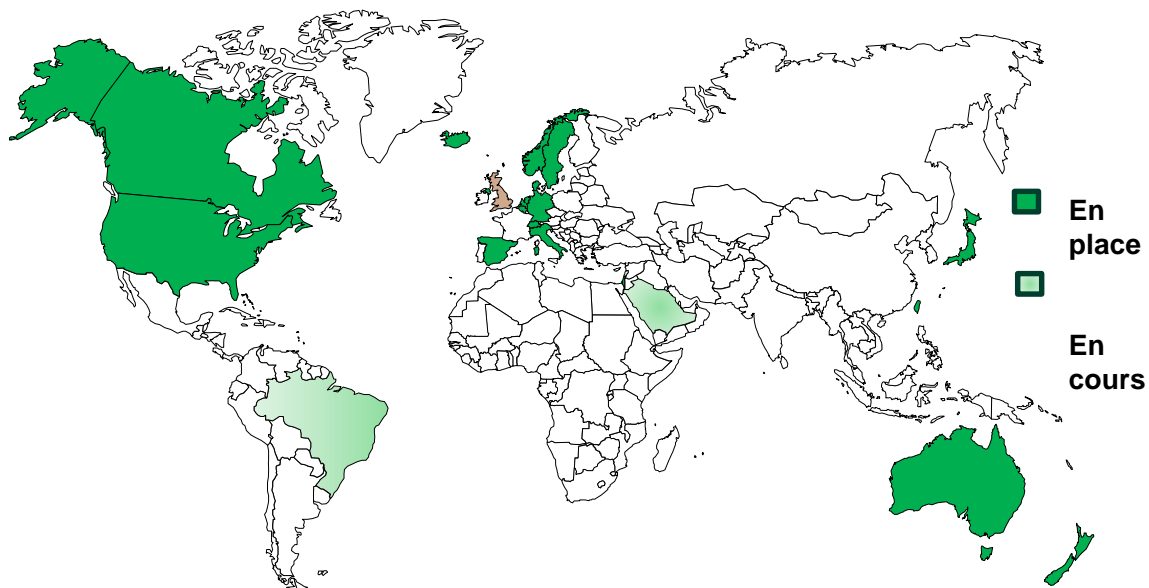
**Évaluation a priori de  
l'extension du dépistage  
néonatal au Déficit  
Immunitaire Combiné Sévère  
par la technique de  
quantification des TRECs en  
population générale en  
France**

---

Validé par le Collège le 20 janvier 2022

---

## Dépistage neonatal des DICS en 2023







MINISTÈRE  
DE LA SANTÉ  
ET DE LA PRÉVENTION

*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

Le PRME fête ses 10 ans

Direction générale de l'offre de soins

# Implantation Cochléaire Dans Les Surdités Profondes Unilatérales De L'adulte: Évaluation Coût-utilité

Mathieu MARX<sup>1</sup>, Nadège COSTA<sup>2</sup>

Pour les investigateurs du PRME CISSD

1. Service d'ORL, Otoneurologie, ORL pédiatrique, CHU Toulouse
2. Unité d'Evaluation Médico-Economique, CHU Toulouse

# Contexte

Les conséquences d'une surdit  unilat rale ou asym trique: longtemps sous-estim es

Alt ration de l'audition binaurale

W. Ronis, 1955



Acouph ne associ  (proportion?)



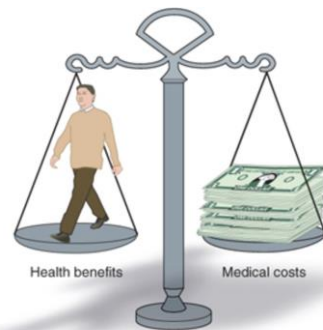
## La surdité profonde unilatérale ou asymétrique comme modèle de réflexion médico-économique

1 atteinte auditive: x  
profils de handicap

Surdité unilat. congénitale

Surdité unilat. acquise  
avec plaintes dans le bruit

Surdité asym. avec  
acouphène invalidant associé



1 atteinte auditive: 4 options de prise en charge



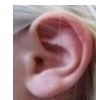
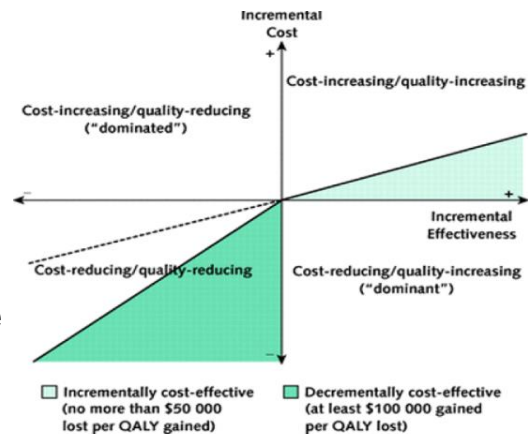
## La surdité profonde unilatérale ou asymétrique comme modèle de réflexion médico-économique

1 atteinte auditive: x profils de handicap

Surdité unilat. congénitale

Surdité unilat. acquise avec plaintes dans le bruit

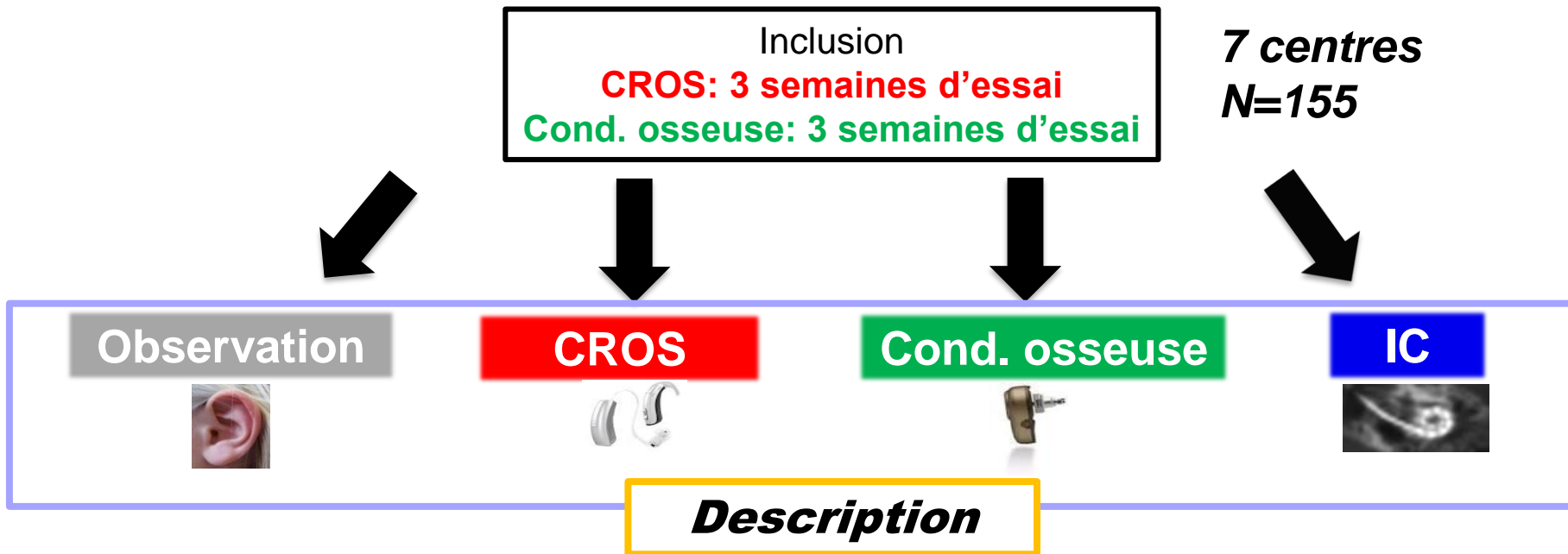
Surdité asym. avec acouphène invalidant associé

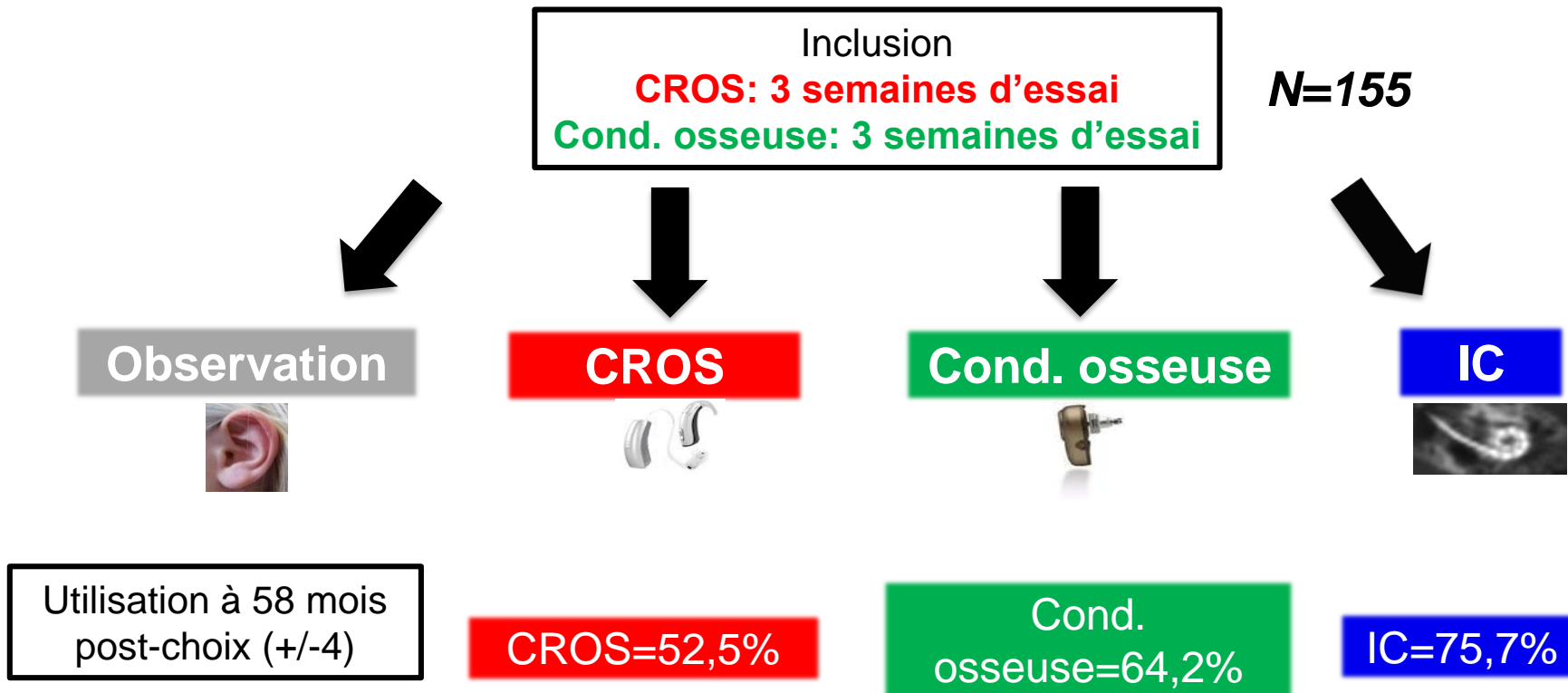


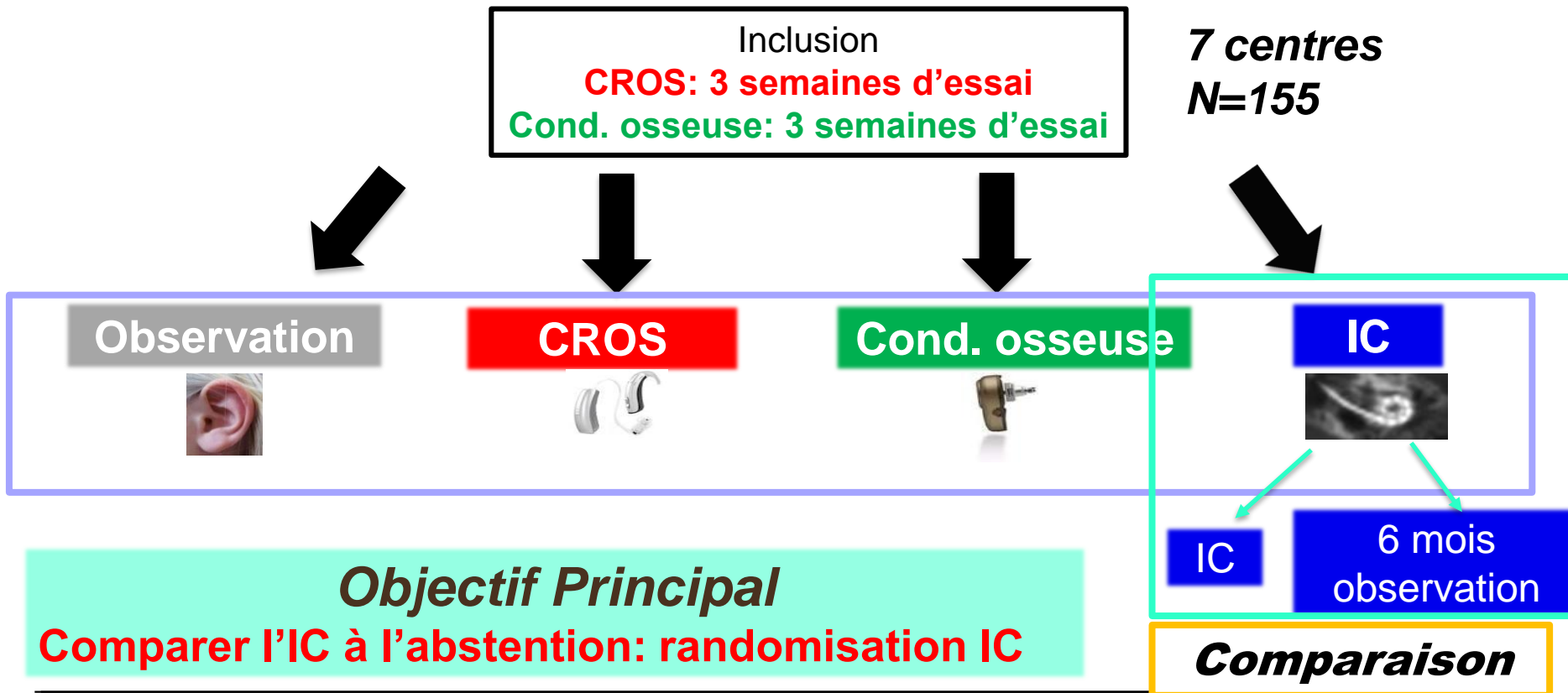
1 atteinte auditive: 4 options de prise en charge



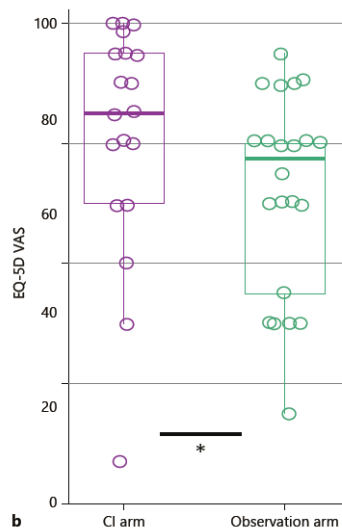
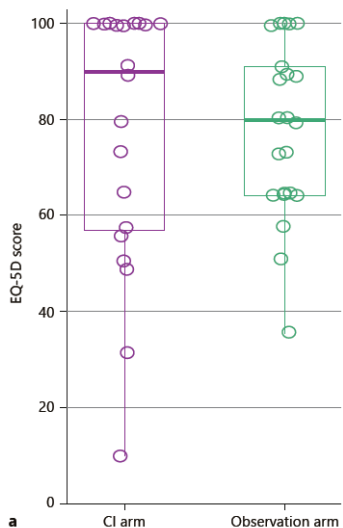




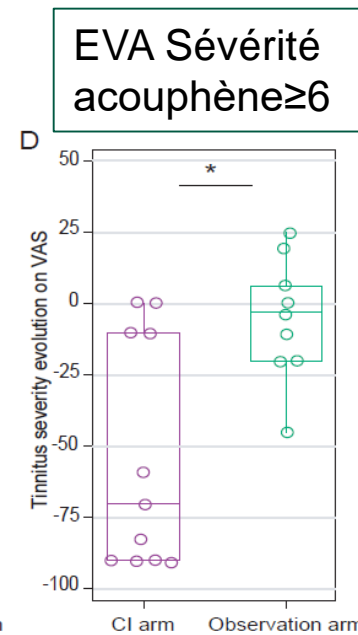
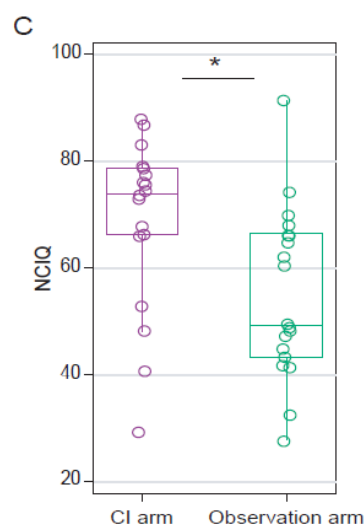




# Résultats



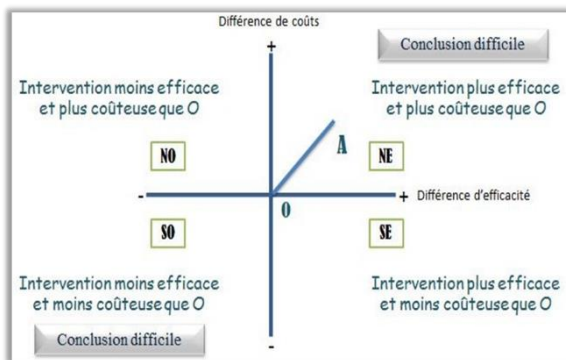
Qualité de vie générique



Qualité de vie spécifique


# Résultats médico-économiques

N=51



## Utility & Cost-effectiveness ratio (ICER) à 6 mois

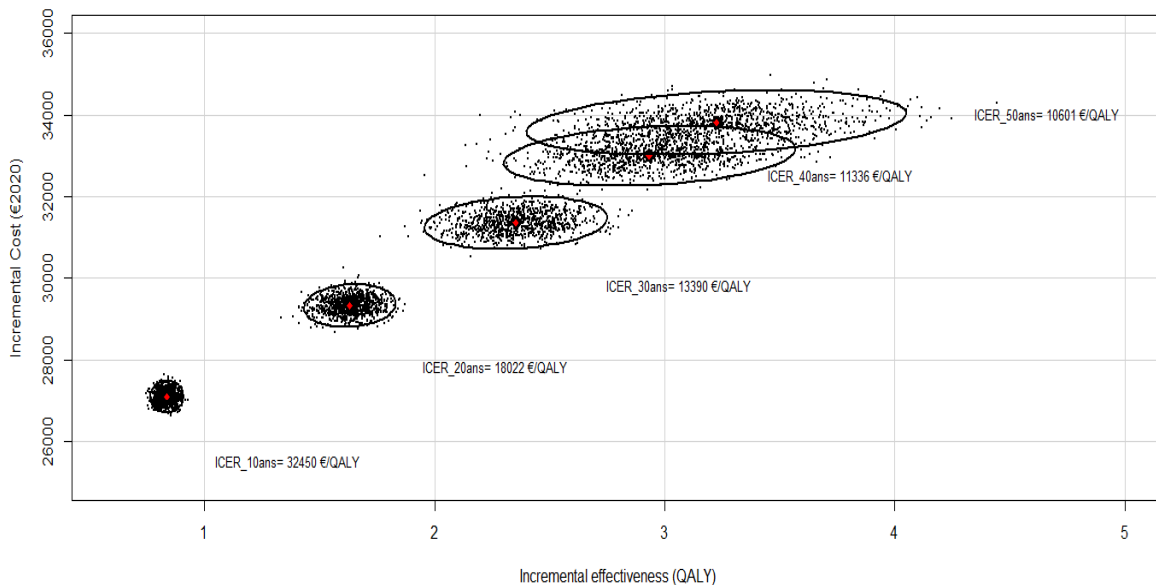
Questionnaire	EQ5D	HUI3+0,11	Mapping EQ 5D – HUI3	Δ QALY
Pop. totale	422279	173 790	278392	0,095
Acouphène sévère	390341	146512	229268	0,11
Pas d'acouphène sévère	540990	209 662	374125	0,07

ICER à 6 mois   
 Modélisation des résultats en vie entière (Markov)

# Modélisations

*ICER à long terme, âge moyen des patients inclus: 45 ans*

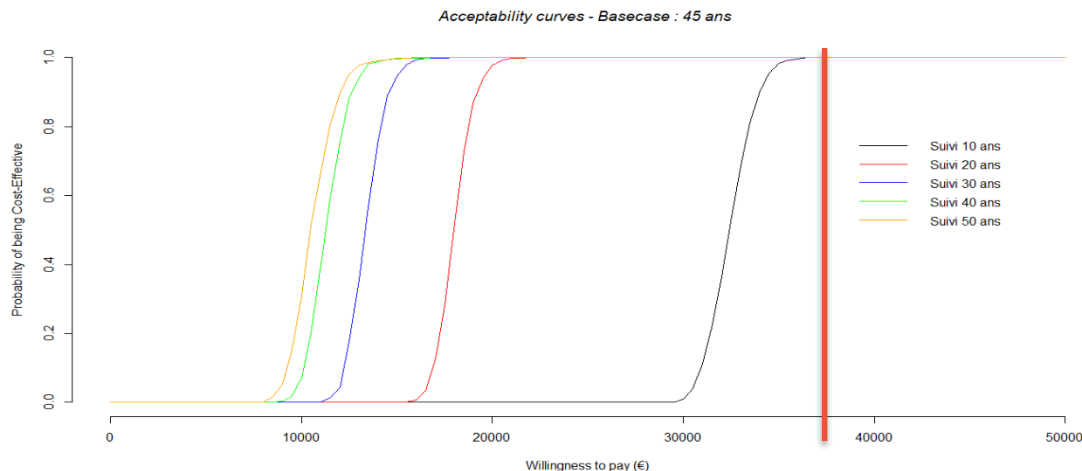
ICER with 95% confidence ellipse  
of CI group vs Non-CI group, age = 45 years



Suivi :	$\Delta$ Mean QALY	$\Delta$ Mean Cost	ICER
10 ans	0.8359	27090	32450
20 ans	1.6313	29326	18022
30 ans	2.3531	31360	13390
40 ans	2.9332	32997	11336
50 ans	3.2244	33813	10601

# Modélisations

*Acceptabilité, âge moyen des patients inclus: 45 ans*



En considérant une population d'âge moyen de 45 ans, l'IC est efficient au seuil 20000€/QALY à partir de 20 ans de suivi.

*PIB/Hab en France ≈ 38000 €*

# Synthèse

## IC dans les surdités profondes unilatérales

- Efficace sur l'acouphène
- Efficient sur le plan médico-économique à terme
- Effets sur l'audition binaurale à préciser

L'extension d'indication chez les patients avec acouphène invalidant repose sur un faisceau d'arguments concordants

- Sécurité et efficacité clinique
  - Efficience sur le plan médico-économique
-



# Retombées

- Validation de la nouvelle indication (septembre 2021)
    - Surdit  unilat rale profonde associ e   un acouph ne invalidant
    - THI>50 et/ou EVAg>6/10 ou tout autre questionnaire valid 
    - Echec des traitements conventionnels, des syst mes CROS et des syst mes   ancrage osseux
-

## PRME CISSD: étude centrale dans le dossier de demande d'extension des indications d'IC à la HAS

### Publications

- Marx M, Costa N, Lepage B, Taoui S, Molinier L, Deguine O, Fraysse B. Cochlear implantation as a treatment for single-sided deafness and asymmetric hearing loss: a randomized controlled evaluation of cost-utility. *BMC Ear Nose Throat Disord.* 2019 Feb 4;19:1.
  - Marx M, Mosnier I, Vincent C, Bonne NX, Bakhos D, Lescanne E, Flament J, Bernardeschi D, Sterkers O, Fraysse B, Lepage B, Godey B, Schmerber S, Uziel A, Mondain M, Venail F, Deguine O. Treatment choice in single-sided deafness and asymmetric hearing loss. A prospective, multicentre cohort study on 155 patients. *Clin Otolaryngol.* 2021 Jul;46(4):736-743
  - Marx M, Mosnier I, Venail F, Mondain M, Uziel A, Bakhos D, Lescanne E, N'Guyen Y, Bernardeschi D, Sterkers O, Deguine O, Lepage B, Godey B, Schmerber S, Bonne NX, Vincent C, Fraysse B. Cochlear Implantation and Other Treatments in Single-Sided Deafness and Asymmetric Hearing Loss: Results of a National Multicenter Study Including a Randomized Controlled Trial. *Audiol Neurootol.* 2021;26(6):414-424.
  - Karoui C, Strelnikov K, Payoux P, Salabert AS, James CJ, Deguine O, Barone P, Marx M. Auditory cortical plasticity after cochlear implantation in asymmetric hearing loss is related to spatial hearing: a PET H215O study. *Cereb Cortex.* 2022 May 27:bhac204
-

# Retombées

Le PRME fête ses 10 ans

≈15% des patients avec surdité unilatérale ont des performances normales dans le bruit

W. Ronis, 1955



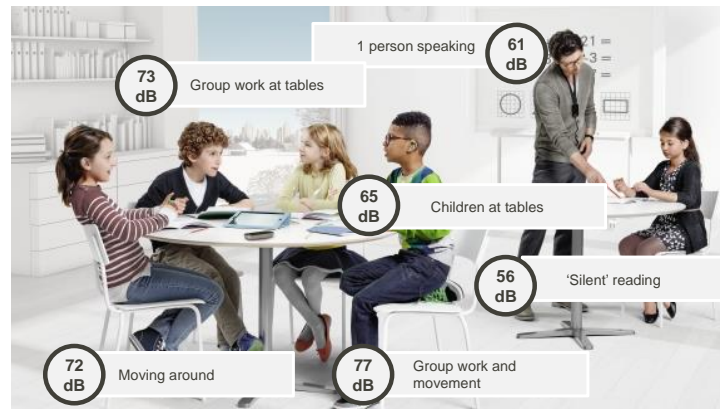
# Retombées

Le PRME fête ses **10** ans

≈15% des patients avec surdité unilatérale ont des performances normales dans le bruit



W. Ronis, 1955



***Merci de votre attention***

## Séance plénière – bilan du programme de recherche en médico-économie



**Caroline THOMAS,**  
Cheffe de service  
d'oncologie-  
hématologie et  
immunologie  
pédiatrique au  
CHU de Nantes

Projet  
DEPISTREC



**Mathieu MARX,**  
Otologiste et  
otoneurochirurgien  
CHU de Toulouse

Projet CISSD

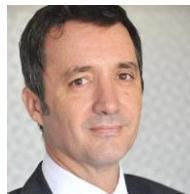


**Albane MIRON  
DE L'ESPINAY,**  
Adjointe au chef  
du bureau  
« Innovation et  
recherche  
clinique » de la  
Direction  
générale de l'offre  
de soins (DGOS)

## Table ronde n°1 : Collaboration entre institutionnels et analyse des besoins : quelles exploitations des résultats des projets du PRME par les institutions ?



**Bernard  
CELLI,**  
Vice-Président  
du Comité  
économique  
des produits de  
santé (CEPS)



**Michel  
TSIMARATOS,**  
Directeur  
général adjoint  
en charge de la  
politique  
médicale et  
scientifique,  
Agence de la  
biomédecine  
(ABM)



**Cédric  
CARBONNEIL,**  
Adjoint à la  
Directrice de  
l'Évaluation et  
de l'Accès à  
l'Innovation  
(DEAI), Haute  
Autorité de  
Santé (HAS)

## Panorama international sur la recherche médico-économique et état des lieux en France



**Lise ROCHAIX,**  
professeur agrégée des universités en sciences  
économiques, Paris 1 Panthéon-Sorbonne et Paris  
School of Economics, ancienne membre du Collège  
de la Haute Autorité de Santé



# Panorama international sur la recherche médico-économique et état des lieux en France

Lise Rochaix  
Université de PARIS 1 PANTHÉON-SORBONNE

## DECLARATION DE CONFLITS D'INTÉRÊT

### ***Actuels***

- Responsable de la chaire de recherche en économie de la santé Hospinnomics, et à ce titre, membre du consortium porté par Evangéline Pillebout sur le projet PRME 'PIC-R' et du projet OPTISARC porté par Jean-Yves Blay
- Présidente du CA de l'ATIH, en lien avec les AMI du CS sur les projets de recherche

### ***Passés***

- Membre du Collège de la HAS en charge de la mise en place de la mission médico-économique (2006-2013), en lien avec le PRME

**Aucun conflit d'intérêt financier à titre personnel**

## INTRODUCTION: DE QUOI PARLE-T-ON ?

« **L'évaluation médico-économique** consiste à mettre en regard une évaluation des bénéfices cliniques d'une stratégie de santé, d'une technologie ou d'un produit de santé et leurs coûts, en vue d'une allocation optimale des ressources disponibles. En posant les termes des alternatives envisageables, elle permet d'éclairer des choix. Mais elle ne fait pas la décision »

Source: Marine Jeantet, Alain Lopez et Nathalie Destais, 'L'évaluation médico-économique en santé', rapport IGAS 2014.

**NB:** Le qualificatif '**médico-économique**' défini dans la Loi de 2008 instaurant la mission du même nom à la HAS ne connaît pas d'équivalent :

- à l'étranger (où l'on parle d'évaluation économique en santé) ;
- ou dans d'autres domaines d'application de l'économie (comme en environnement ou en éducation) où l'on utilise le terme de **calcul socio-économique** lorsqu'une perspective sociétale est adoptée

## INTRODUCTION : PERIMETRE RETENU

- **Ciblage sur quelques pays de l'OCDE** (RU, F, ALL, AUS), principaux producteurs d'évaluation économique en santé et comparaison de leurs besoins et moyens de financement, au regard de leurs missions d'évaluation économique
- **Plus qu'un 'bilan' pour le PRME en France**, présenté précédemment :
  - Retracer les évolutions à dix ans, à l'étranger comme en France
  - Tirer quelques enseignements de l'expérience à l'étranger
  - Identifier des enjeux, notamment pour la France

## PLAN DE LA PRÉSENTATION

### 1. Quels besoins en matière de recherche en évaluation économique en santé ?

- ⇒ Comparaison des missions des structures d'évaluation de quatre quatre pays (RU, F, ALL, AUS) qui conditionnent les besoins en recherche
- ⇒ L'état des lieux à l'international, mesure des besoins et recommandations selon l'IGAS (2014)

### 2. Quels programmes de financement de la recherche en réponse à ces besoins

- ⇒ La montée en charge des programmes de financement de la recherche : le cas du NHIR au Royaume-Uni

### 3. Quels enjeux

- ⇒ Communs à tous les pays
- ⇒ Plus spécifiquement pour la France

# 1. Quels sont les besoins en recherche

# Comparaison de 4 pays (RU, F, ALL, AUS) en 2009

Un point d'ancrage utile à la comparaison avec l'étranger

**Analyse des déterminants des besoins en évaluation économique en santé**

## **'Comparative Effectiveness Research and Evidence-Based Health Policy: Experience from Four Countries'**

KALIPSO CHALKIDOU, SEAN TUNIS, RUTH LOPERT, LISE ROCHAIX, PETER T. SAWICKI, MONA NASSER, and BERTRAND XERRI

*National Institute for Health and Clinical Excellence (UK); Center for Medical Technology Policy (USA); Department of Health and Ageing (Australia); Haute Autorité de Santé (France); Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (Germany) , The Milbank Quarterly, Vol. 87, No. 2, 2009 (pp. 339–367)*

# Comparaison de 4 pays (RU, F, ALL, AUS) en 2009

Permettant d'illustrer la diversité des missions et des moyens

**Rappel du contexte et des objectifs de l'article** : comparer quatre structures d'évaluation des technologies de santé (ETS) ou Health Technology Assessment (HTA) ... pour éclairer le débat sur la pertinence de créer une instance d'évaluation des technologies de santé aux USA (*'Comparative Effectiveness Research'* - CER)  
=> Les USA ont depuis mis en place le PCORI (*Patient-Centered Outcomes Research Institute*), mais sans mission explicite d'évaluation économique (Cf. rapport du GAO 2018)

**NB:** sur le site aujourd'hui, *'PCORI is seeking new members of the Methodology Committee with expertise in the scientific fields described in the Authorizing Law, as well as new and emerging areas such as analysis of potential burdens and economic impacts to patients and caregivers, ...'*



# Comparaison de 4 pays (RU, F, ALL, AUS) en 2009

10 axes de comparaison dont 3 déterminants pour la structuration des besoins en recherche

1. **Objectifs**
2. Portée de l'évaluation
3. Processus de hiérarchisation
4. Types de recherche utilisés
5. **Relation avec la recherche universitaire**
6. Relations avec le système de soins de santé
7. Budget et sources de financement
8. **Prise en compte des coûts**
9. Statut de la production
10. Diffusion et mise en œuvre des recommandations

# Comparaison de 4 pays (RU, F, ALL, AUS) en 2009

Focus sur l'axe 1 (Objectifs) et l'axe 8 (prise en compte des coûts)

## RU:

- \* L'évaluation économique des technologies de santé peu présente dans des négociations financières entre NHS et industrie pharmaceutique mais elle contribue en revanche directement à la gestion du panier de soins pris en charge par le NHS
- \* Le *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) a introduit l'analyse coût-efficacité dans toutes les recommandations de pratique clinique et de santé publique.

**Dans les trois autres pays étudiés**, la place de l'analyse économique est moins importante (France et Australie / fixation du prix), voire absente en Allemagne

# Comparaison de 4 pays (RU, F, ALL, AUS) en 2009

## Focus sur l'axe 5 (Relation avec la recherche universitaire)

Dans un seul des quatre pays étudiés (le RU), contractualisation externe systématique avec des partenaires universitaires, dans la durée (centres d'excellence)

- => les universitaires trouvent dans ces travaux d'expertise publique une source de financement conséquente (National Institute for Health Research - NIHR)

Pour les trois autres pays, appels à contributions spécifiques auprès de chercheurs et leurs unités

**=> Les besoins de financement, les sources et la sélection des projets financés dépendent des caractéristiques des structures pour lesquelles ces recherches sont menées, en particulier la place de l'évaluation économique en santé**

# Evaluation médico-économique en santé

L'état de l'art en 2014, selon le rapport de l'IGAS (M.Jeantet, A.Lopez, N.Destais)

## Bref historique de la mise en place des programmes de soutien à la recherche en santé par la DGOS

- 1 - Programme de Soutien aux Technologies Innovantes et Coûteuses (PSTIC) en 2000
- 2 - Programme de REcherche sur la Prformance du Système de soins (PREPS) pour des projets de recherche relatifs à l'organisation de l'offre de soins en 2007
- 3 - Transformation des PSTICs en 2013 en Programmes de Recherche Médico-Economique (PRME)

# Evaluation médico-économique en santé

## Recommandations de la mission IGAS (2014)

=> se doter d'une **stratégie** en matière d'évaluation médico-économique autour de cinq axes : **une grande actualité dix ans après**

1. Développer l'utilisation de l'évaluation médico-économique dans le champ des recommandations de pratique clinique, dans la définition des parcours de soins, des stratégies de santé et de l'organisation des soins
2. Cibler les évaluations médico-économiques sur les grands enjeux de santé
3. Améliorer les méthodes et simplifier les procédures d'évaluation
4. Structurer une offre académique dans le domaine de l'évaluation médico-économique
5. Insérer la réalisation des évaluations médico-économiques dans un cadre public et transparent

## 2. Quelles modalités innovantes de financement de la recherche

# Le cas du Royaume-Uni

## Présentation du NIHR (National Institute for Health Research)

### Le NIHR (2006)

- Finance l'essentiel de la recherche en santé, dont l'évaluation économique
- Veille à la réponse, par les structures de recherche académique, aux **besoins en recherche** du **NICE**):
  - En développant des centres d'excellence universitaires ;
  - En orientant l'effort de recherche des structures académiques vers des sujets touchant concrètement aux pratiques professionnelles et aux résultats de santé

# Le cas du Royaume-Uni

## Fonctionnement du NIHR

Le NIHR finance de nombreux programmes de recherche dont :

- \* Le programme « **Health technology assessment** » (HTA): proche du PRME
  1. des revues de littérature ;
  2. des travaux de modélisation économique et de méthodologie
  3. des travaux de recherche sur des sujets peu traités par ailleurs mais présentant de forts enjeux de santé publique
  4. des essais cliniques sur des sujets non traités par l'industrie pharmaceutique (**80% du budget HTA**)
  
- \* Le programme « **Public Health research** » : proche du PREPS



# Le cas du Royaume-Uni

NIHR: Nombre of de projets finances et montants

Années	2014	2017	2020	2021	2022
HTA	113 projets (105,88 £m)	85 projets (97,7 £m)	70 projets (85,9 £m)	88 projets (131,7 £m)	80 projets (60,3 £m)

Années	2014	2017	2020	2021	2022
Public Health Research	19 projets (8,8 £m)	20 projets (13,3 £m)	49 projets (35,3 £m)	27 projets (23,4 £m)	45 projets (80,4 £m)

*Source: NIHR open data:  
funded portfolio*

# Le cas du Royaume-Uni

## Mesures d'impact, d'adéquation aux besoins cliniques et à la décision

### Le NIHR soutient :

- L'adéquation des financements aux poids respectifs des maladies (*Burden of disease*)\*
- L'impact des recherches sur la décision et sur la société: au cours des 10 dernières années, les chercheurs du NIHR ont indiqué que dans plus de 6500 cas, leurs recherches ont influencé les politiques de santé et de soins\*\*
- L'évolution constante des méthodes par la mise en place d'un comité méthodologique\*\*\*

\* **National Institute for Health Research (NIHR) Health Technology Assessment (HTA) Programme research funding and UK burden of disease**; Fay Chinnery et al, 2018

\*\* **An assessment of the impact of NHS Health Technology Assessment Programme**, Hanney S. et al. *Health Technology Assessment* Volume: 11, Issue: 53, Published in December 2007

\*\*\* **Policy Research Programme Policy Research Unit - Economic Methods of Evaluation in Health and Care Interventions** , August 2022

### 3. Quels enjeux pour le PRME?

# Enjeux du financement de l'évaluation économique en santé

## Enjeux communs à tous les pays

### Périmètre

- Couvrir de manière adéquate les différentes stratégies de santé
- Couvrir progressivement des domaines restés hors-radar (Ex: traitements non médicamenteux)

### Méthodes de l'évaluation

- Encourager la fertilisation croisée entre évaluation économique en santé et évaluation des politiques publiques (EPP) :
- ⇒ Bénéficier des avancées dans l'EPP dans la mesure d'impact
  - ⇒ Faire connaître les avancées en évaluation économique en santé (Ex: rapport France Stratégie 2022 avec B. Dervaux : environnement et santé)

### Implications

- Mutualiser les travaux entre pays producteurs
- ⇒ Constituer des bases de données des résultats de la recherche en open source
  - ⇒ Permettre ainsi à des pays émergents de bénéficier de ces travaux (ex: développements récents en Algérie, Europe de l'Est, etc.)

# Enjeux du financement de l'évaluation économique en santé

## Pour la France, et le PRME en particulier

### Périmètre

- \* Coordonner les périmètres des instances de financement de la recherche en économie de la santé (ANR, DREES, IRESP, ATIH, ARTICLE 51) pour mieux couvrir tous les champs
- \* Développer des financements mixtes PREPS/PRME lorsque les dimensions économiques et organisationnelles sont très interdépendantes

### Méthodes de l'évaluation

- Faire évoluer les méthodes d'évaluation économique par :
- Des financements dédiés au sein des financements PRME
  - Un GT méthodes pour mutualiser les avancées dans les projets et effectuer une veille
  - L'accès direct à des bases de données permettant l'usage du *machine learning (mapping studies)*

### Implications

- \* Analyser le financement de la recherche en évaluation économique en santé (montants, modalités, productions) et son utilité du point de vue des décideurs et des bénéficiaires => actualisation rapport IGAS 2014 ?
- \* Rendre publics les résultats des travaux financés
- \* Anticiper d'éventuelles évolutions des missions HAS (vers le remboursement au delà de éclairage du prix pour le CEPS) ?



**MINISTÈRE  
DE LA SANTÉ  
ET DE LA PRÉVENTION**

*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

**Le PRME fête ses 10 ans**

**10  
ans**

Direction générale de l'offre de soins

**MERCI BEAUCOUP  
POUR VOTRE ATTENTION**

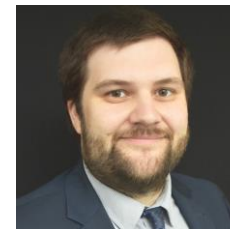
## Table ronde n°2 : Quels moyens et quelles évolutions pour accroître la diffusion du programme ? Comment susciter l'intérêt des cliniciens et des médico-économistes pour le PRME ?



**Jean-Yves  
BLAY,**  
Président  
d'Unicancer



**Julia  
BONASTRE,**  
Vice-Présidente  
du Collège des  
économistes de  
la santé (CES)



**Milan  
LAZAREVIC,**  
Commission  
« recherche et  
innovation » de  
la conférence  
des directeurs  
généraux de  
CHU



**MINISTÈRE  
DE LA SANTÉ  
ET DE LA PRÉVENTION**

*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

**Le PRME fête ses**

**10  
ans**

Direction générale de l'offre de soins

# DISCOURS DE CLOTURE

**MARIE DAUDÉ, DIRECTRICE GÉNÉRALE DE L'OFFRE DE SOINS**