

L'observatoire économique du médicament orphelin : mythe ou réalité ?

Christophe Duguet
AFM-Téléthon

Antoine Ferry
Laboratoire CTRS



Une croissance de la dépense

	2008	2009	2010	2011	2012
CA en M€	815	930	1050	1150	1200
Var annuelle	30%	14,1%	12,9%	9,5%	4,3%

Source CEPS

Des critiques croissantes sur les niveaux de prix en France et en Europe



Une augmentation des contraintes

- Perte des avantages pour les MO ayant un CA > 30 Mio €
- « Capage » pour les MO > 50 000 €/an/malade
- Inquiétudes sur les évolutions des outils d'évaluation des MO

Des interrogations sur l'utilisation de la médico-économie :

- Recevabilité du dossier
- Méthodologie de l'évaluation du médicament et modulation de son évaluation
- Problème du comparateur pertinent
- Qualité méthodologique des études (end point, statistique...)



Une opacité des données officielles

Un exemple le débat parlementaire PLFSS 2010

CEPS : « **treize** médicaments orphelins ont chacun un chiffre d'affaires annuel en France supérieur à 30 M€ pour un total de 710 M€ »

Sénat Vasselle : « **quatorze** ont réalisé, sur le seul marché national, un chiffre d'affaires supérieur à 20 M€, (...) pour un montant cumulé de 801,90 M€. »

Assemblée Bur : « **seize** médicaments orphelins ont un chiffre d'affaires supérieur à 20 M€ en France, et **douze** d'entre eux ont un chiffre d'affaires supérieur à 30 M€ »



Une absence de lieu de débat = risques

- D'amalgames
- De suspicions réciproques
- De non identification des vrais problèmes
- De ne pas apporter les réponses réglementaires et économiques adaptées aux spécificités des maladies rares
- De passer à côté de l'enjeu de la question des prix et des coûts

PNMR2: Demande refusée de création d'un observatoire

« Un groupe de travail composé notamment de représentants de l'AFSSAPS, du LEEM, des centres de référence et des centres de compétence et des associations représentant les patients sera créé à cet effet. Il procédera au recensement des utilisations hors AMM mais également à l'analyse du marché national et international des médicaments orphelins grâce à l'appui du LEEM et de l'AFSSAPS. La DREES et le CEPS seront mobilisés en tant que de besoin. Ce groupe de travail rendra compte annuellement au comité de suivi et de prospective. »



Préambule

organisation d'un débat public avec publication de documents

Outils d'évaluation de la consommation de santé

- Les différents éléments constitutifs du coût (traitements, actes annexes, nombre de patients...)
- Analyse sectorielle du coût global
 - » Par type de pathologies
 - » Par nombre de patients
 - » Par localisation géographique
- Sources de données fiables et reconnues
- Mettre en place un lieu de débat pour confronter les analyses



Outils d'évaluation des gains de santé

- Promotion d'outils méthodologiques de l'évaluation économique des pathologies avant traitement (sauf K)
- Configurer les registres pour recueillir ces données
- Promotion d'études et d'analyses sociétales sur les impacts socio-économiques pour le patient et son entourage

Outils d'analyse des marchés nationaux et internationaux

- Database des prix des produits commercialisés au moins au niveau européen
- Panorama des laboratoires commercialisant les médicaments orphelins (Nationalité / ratio OD/CA total ...)

Création du groupe ad hoc selon les modalités du plan



En conclusion

Un intérêt évident et mutuel

+

Une mise en œuvre simple

+

Des outils existants

+

Une volonté partagée par beaucoup d'acteurs des
maladies rares



Où sont les blocages ?

