



Haut Conseil pour l'avenir
de l'assurance maladie

INNOVATION ET SYSTÈME DE SANTÉ

RAPPORT 2016

TOME 1

Haut conseil pour l'avenir de l'assurance maladie

Rapport

Innovation et système de santé

Volume I

Avant-propos

De même que la croissance de long terme de l'économie est liée au progrès technique sous toutes ses formes, de même l'amélioration des performances sanitaires est liée au progrès médical.

Cela n'a pas toujours été le cas. Longtemps, l'augmentation de l'espérance de vie a été due aux progrès de l'hygiène, de l'alimentation et des conditions de vie. Nous avons voulu situer la rupture, le moment où les choses basculent, le « moment Debré », la période où s'est mis en place notre modèle contemporain. Nous l'avons situé comme un moment politique (fait de discussions et de décisions), un moment scientifique (porté par les convictions et la participation des pairs), un moment économique, dans la dynamique des « années fordistes ».

Notre sentiment est qu'après le temps de l'expansion et de la consolidation, nous avons dépensé beaucoup plus d'énergie à aménager le modèle qu'à penser sa transformation. En cela, nous n'avons guère été fidèles à Robert Debré lui-même qui, très vite, en fit l'autocritique.

Le monde a changé, la santé a changé, la forme du progrès elle-même a changé. C'est un truisme de dire que le système de régulation dans lequel s'insère le secteur de la santé s'est transformé : globalisation, financiarisation, développement des collectivités publiques et libéralisation entremêlées, décentralisation, tertiarisation, aujourd'hui numérisation des échanges et désintermédiation... Comment pourrait-on penser la régulation en santé dans les mêmes termes que par le passé?

D'autant que la santé a, elle aussi, changé. On connaît la définition de l'OMS, mille fois rappelée, parfois pour oublier aussitôt son étendue. Il ne s'agit pas seulement de lutter contre des maladies mais de concourir à un bien être multidimensionnel, considéré dans le temps... La chronicisation de certaines maladies est tout autant une victoire de la médecine qu'un défi à affronter : le vieillissement de la population récompense des décennies de progrès mais ouvre la question de l'autonomie, et ce sujet sera de plus en plus prégnant avec l'arrivée à l'âge de la dépendance des générations du *baby boom* ; la prise en charge du handicap a été justement érigée en cause nationale et portée par des textes puissants ; la santé mentale est une problématique majeure ; le bien être n'est plus détachable de la santé...

Les malades, les patients, les usagers du système, les citoyens de la « démocratie sanitaire » tant invoquée ont eux-mêmes considérablement changé : mieux éduqués, mieux informés, plus exigeants, plus mobiles, ... Et que dire des professionnels ? ...

Le « système de santé » est-il prêt à accueillir ces changements ? A-t-il les capacités d'adaptation pour assumer le changement social, technologique, organisationnel ?

Les innovations en santé, sous toutes leurs formes, ne sont pas les adjuvants d'un monde stable. On ne peut pas considérer d'un côté des équipements, des infrastructures, des normes, des ressources humaines, bref un système, qui serait simplement confronté à des bouquets d'innovations polymorphes, plus ou moins denses selon les périodes. On ne peut pas non plus opposer un monde stable à l'innovation qui vient et qu'on voudrait retenir, pour des raisons économiques ou sociales.

En même temps, les innovations de notre temps ne dessinent pas une image prédéterminée du futur. Les reconstitutions *a posteriori* sont toujours plus fructueuses que l'ébauche *a priori*. Et cela est vrai aussi pour le « moment Debré ».

Il nous faut aujourd'hui faire un effort d'élaboration analogue à celui mené alors, effort pluraliste (le HCAAM ayant la seule prétention d'y apporter sa contribution) pour appréhender le progrès dans un monde plus complexe, et penser la régulation. Si nous sommes à la veille d'une « grande transformation », les formes institutionnelles du modèle en construction méritent d'être décrites. C'est ce à quoi ce rapport s'efforce de contribuer.

Sommaire

INTRODUCTION	9
PARTIE I – LES PERSPECTIVES EN MATIERE D’INNOVATIONS EN SANTE	13
CHAPITRE 1 – LE PROGRES DES SCIENCES ET DES TECHNIQUES : VISION PROSPECTIVE	14
1. UN MOUVEMENT DURABLE D’INNOVATION	14
2. LES PERSPECTIVES DE DEVELOPPEMENT DES CONNAISSANCES SCIENTIFIQUES ET DE NOUVELLES TECHNIQUES	16
3. POUR ALLER PLUS LOIN	19
CHAPITRE 2 - LES EVOLUTIONS DES ORGANISATIONS : VISION PROSPECTIVE	20
1. DES FORMES ORGANISATIONNELLES NOUVELLES A L’HORIZON D’UNE QUINZAINE D’ANNEES	20
2. LA QUESTION OUVERTE DE L’INTEGRATION DES OFFRES DE SOINS	27
3. POUR ALLER PLUS LOIN : LES CONDITIONS DE LA TRANSFORMATION DES ORGANISATIONS	29
CHAPITRE 3 - LE NUMERIQUE AU SERVICE DE L’INNOVATION EN SANTE	31
1. D’UNE LOGIQUE DE PRODUIT A UNE LOGIQUE DE SERVICE	31
2. LES POSSIBILITES D’UNE APPROCHE PATIENT-CENTREE	32
3. L’ABONDANCE DES DONNEES ET LEUR EXPLOITATION	33
4. POUR ALLER PLUS LOIN	37
PARTIE II - D’UN SYSTEME D’INNOVATION A L’AUTRE	38
CHAPITRE 4 - LE "MOMENT DEBRE" : L’INNOVATION AU CŒUR DU SYSTEME DE SANTE	40
1. LES ELÉMENTS CONSTITUTIFS	40
2. LA CONSOLIDATION ET L’EPUISEMENT DU MODELE	46
CHAPITRE 5 - REFONDER UN MODELE CONTEMPORAIN D’INNOVATION SOIN-RECHERCHE	53
1. AU PLAN DES PRINCIPES	53
2. AU PLAN DE L’ORGANISATION	54
3. AU PLAN DES ALLIANCES ET DE LA REGULATION	56
CHAPITRE 6 - LES RESSOURCES HUMAINES ET L’INNOVATION EN SANTE	58
1. LES CARACTERISTIQUES DE L’ORGANISATION DU TRAVAIL ET LES RESSOURCES HUMAINES EN SANTE	58
2. LES ENJEUX DETERMINANTS DANS LA GESTION DES RESSOURCES HUMAINES EN SOUTIEN DE L’INNOVATION	60
3. LA RÉGULATION PROFESSIONNELLE	64
CHAPITRE 7 - L’INNOVATION ET SES ENJEUX INDUSTRIE-RECHERCHE	66
1. LES MODES D’INTERVENTION DE L’ETAT EN SOUTIEN A L’INNOVATION	66
2. L’INTERET DE RAISONNER EN TERMES DE REGULATION	70
3. LES PISTES D’ÉVOLUTION	72

PARTIE III - LA REGULATION DU SYSTEME	74
CHAPITRE 8 - LA VEILLE ET L'EVALUATION DES NOUVELLES TECHNOLOGIES	76
1. LE DISPOSITIF DE VEILLE	76
2. L'EVALUATION DES TECHNOLOGIES DOIT MIEUX REpondre A LEURS CARACTERISTIQUES ACTUELLES	81
CHAPITRE 9 - FAVORISER LA TRANSFORMATION DE L'ORGANISATION DU SYSTEME DE SOINS	89
1. UNE NOUVELLE FORME DE GRADATION DES PRISES EN CHARGE ASSOCIEE A DIFFERENTS TYPES DE SERVICES	90
2. UNE NOUVELLE APPROCHE DES INFRASTRUCTURES DE SANTE	96
3. UNE ORGANISATION DU SYSTEME DE SANTE DE NATURE A FAVORISER L'EFFICIENCE	106
CHAPITRE 10 - FINANCEMENT DES SOINS, FINANCEMENT DE L'INNOVATION	109
1. LA FIXATION DU PRIX DES MEDICAMENTS	109
2. LA TARIFICATION ET L'EVOLUTION DES PRISES EN CHARGE	115
3. LE FINANCEMENT DE L'INVESTISSEMENT ET L'ACCOMPAGNEMENT DU CHANGEMENT	118
4. UNE ARCHITECTURE FINANCIERE GLOBALE AU SERVICE DE L'INNOVATION	122
PARTIE IV - LA GOUVERNANCE	127
CHAPITRE 11 - LA DEMANDE SOCIALE ET LE ROLE DES USAGERS	128
1. LA CONSTRUCTION DE LA DEMANDE SOCIALE	128
2. LE ROLE DES USAGERS ET DE LEURS REPRESENTANTS EN MATIERE D'INNOVATION	128
CHAPITRE 12 - UN CADRE FAVORABLE AUX INITIATIVES DES INNOVATEURS	136
1. ENCOURAGER ET RENDRE VISIBLES LES INITIATIVES INNOVANTES	136
2. ACCOMPAGNER ET SOUTENIR LES INNOVATEURS	137
3. PENSER UN CADRE FAVORABLE AU DEVELOPPEMENT DES INNOVATIONS	138
CHAPITRE 13 - LA GOUVERNANCE TERRITORIALE	141
1. INNOVATIONS ET TERRITOIRES	142
2. TERRITOIRES DE SANTÉ	142
3. REPENSER LA PLANIFICATION	143
CHAPITRE 14 - LA GOUVERNANCE NATIONALE	148
1. UN CADRE DE GOUVERNANCE A AMELIORER	149
2. MIEUX STRUCTURER LE PILOTAGE NATIONAL DE L'INNOVATION EN SANTE	150
ANNEXES	153
ANNEXE 1 : LISTE DES DOCUMENTS DU VOLUME II	153
ANNEXE 2 : LISTE DES DOCUMENTS MIS SUR LE SITE DU HCAAM	153

Introduction

Rapprocher les deux termes « innovation » et « santé » dans un rapport du HCAAM est une forme de défi si l'on veut bien s'attacher au sens des mots et à leur complexité.

Bien sûr, le progrès médical, les innovations thérapeutiques, voire la « révolution thérapeutique », passée ou à venir sont sans cesse évoqués.

Bien sûr médecine, recherche et progrès ont partie liée mais cette relation a toujours été ambivalente comme nous le rappelle Joël Ménard, ancien directeur général de la santé, qui introduit d'ailleurs une distinction essentielle pour notre propos : « *La recherche porte la responsabilité de la rigueur et de l'objectivité, alors que l'innovation, facteur de croissance économique lié à la recherche, fait entrer cette dernière dans l'espace social.* »

Recherche *versus* innovation, mais aussi innovation *versus* invention, innovation *versus* (nouvelle) technologie, innovation comme donnée *versus* innovation comme processus ou comme système. Le terme « innovation » est riche de sens et d'ambiguïtés. Quand on le rapproche du mot « santé », qui renvoie lui-même à un système très complexe, on s'attelle à une œuvre périlleuse.

Pour éviter de verser dans un exercice de futurologie qui nierait la pesanteur des organisations, l'importance des actifs en place, la résistance au changement, laquelle peut d'ailleurs être légitime, bref les complications du processus de « destruction créatrice », nécessairement inséré dans le temps, un effort analytique est nécessaire, permettant de cerner ce que l'on entend par « innovation ».

Cet effort est heureusement guidé par les apports des sciences économiques et sociales.

Celles-ci proposent deux grandes approches du processus d'innovation¹.

Une première acception, la plus usuellement retenue, est centrée sur l'adoption et la diffusion de nouvelles technologies constituées, résultant d'un progrès scientifique et technique qui peut être réputé exogène. La question du choix est ici centrale : adopter ou non une nouvelle technologie à tel ou tel moment en fonction des gains attendus de son adoption. Cependant, on sent rapidement les limites d'une telle approche lorsque l'on veut rendre compte des formes complexes d'interaction entre innovation technologique et innovation organisationnelle.

Dans une seconde acception, l'innovation est vue comme un processus endogène qui conduit à l'apparition de nouvelles technologies et de nouvelles structures productives. A ce niveau, la politique publique vise à favoriser la viabilité des processus d'innovation.

Aux deux niveaux d'analyse, se pose la question de la rupture. Au premier niveau, la rupture se manifeste par une profonde reconfiguration des structures de production et des positions respectives des différents acteurs, rendue nécessaire par l'adoption d'une nouvelle technologie. Les conditions de possibilité de telles ruptures sont complexes. Leur survenue, favorisée ou non par l'intervention publique, ne suffit pas à elle seule à faire changer de modèle. Au deuxième niveau, la rupture s'exprime par l'émergence d'une configuration productive radicalement différente associée à une transformation profonde du système d'innovation. L'intervention publique permettant d'accompagner une telle rupture est globale et systémique.

Les auteurs distinguent aussi différents types d'innovation, la typologie la plus classique, inspirée par Schumpeter, identifiant cinq formes d'innovation : l'introduction de nouveaux produits, l'introduction de nouvelles méthodes de production, l'ouverture de nouveaux marchés, le

¹ Jean Luc Gaffard et Michel Quéré : « Innovation, coopération inter-entreprise et politique de la concurrence », Economie Rurale n°277-278, septembre-décembre 2003.

développement de nouvelles sources d'approvisionnement en matières premières ou en autres intrants, la création de nouvelles structures de marché au sein d'une branche d'activité.

Ils s'interrogent enfin sur les degrés d'innovation divers, en distinguant entre innovation incrémentale et innovation radicale.

Le HCAAM a choisi de situer sa réflexion dans le prolongement des théories qui soulignent la nature largement endogène du phénomène et son caractère systémique. De nombreux travaux mettent en évidence différents types de Systèmes Nationaux d'Innovation associés à des configurations économiques et sociales nationales. Ils invitent à mobiliser une approche historique pour analyser l'évolution de ces Systèmes².

Nous avons, en effet, besoin de replacer dans un cadre théorique global les innovations dans le domaine de la santé, foisonnant de nouveautés, de découvertes, de solutions innovantes, qu'il s'agisse de produits, d'équipements, d'infrastructures, d'organisations...

Ce foisonnement des possibles, ce potentiel d'innovations fait lui-même face à une diversité de problèmes à résoudre : trouver des solutions thérapeutiques, assumer les conséquences des progrès auxquels correspondent la prolongation de l'espérance de vie et la prise en charge au long cours de certaines pathologies en compensant le handicap et le vieillissement, pallier des lacunes (sectorielles, territoriales, en termes de ressources humaines), garantir la soutenabilité financière et sociale du système.

Face à cette diversité de problèmes et des solutions, l'espace de l'action publique est à situer entre l'intervention sage d'un planificateur central, omniscient et omnipotent, et les ressources très diversifiées du marché, de l'engagement désintéressé et des solutions décentralisées.

Le discours public – et l'action qui en découle – doit s'attacher à l'essentiel : les externalités du progrès médical, des considérations d'équité, d'aménagement du territoire, de gestion du long terme, de socialisation de la prise en charge. Le registre de justification est variable dans le temps en fonction de la configuration du progrès et de la prégnance des différents enjeux.

Les précédents, les ouvrages et les discours jalons témoignent de cette relativité.

On pense bien entendu à ce qu'il est convenu d'appeler la « réforme Debré », qui a bénéficié de ses auteurs mêmes d'amples explications : le rapport Debré de 1944, les travaux ayant conduit aux ordonnances de 1958, le regard réflexif du professeur Debré même au colloque de Rennes en 1973.

Si la réforme Debré apparaît comme un moment clé de l'innovation en santé, c'est parce que tout d'abord, elle reflétait une vision du progrès en santé, de la cible à atteindre (celle-ci pouvant être d'ailleurs considérée en référence à des expériences étrangères jugées plus favorables), parce qu'ensuite elle décrivait un programme de réformes complet, dans les différents champs constitutifs de ce qui n'était pas encore considéré comme un système de santé (et que la réforme Debré allait contribuer à faire advenir) et parce qu'enfin, les réformes proposées avaient beau être pour partie contingentes, elles se référaient à des principes de portée générale. Le programme insérait la santé dans la démarche globale de constitution de grands appareils nationaux en matière de recherche, d'industrie, de maillage hospitalier, de Sécurité sociale.

La réforme Debré illustre d'ailleurs les différentes acceptions de l'innovation évoquées plus haut : ensemble d'innovations technologiques et organisationnelles et approche systémique articulée autour de la figure centrale du CHU.

Elle a posé des cadres qui ont structuré l'expansion du système de santé et tout particulièrement du secteur public hospitalier pendant près d'un demi-siècle.

² Bruno Amable, Rémi Barré, Robert Boyer, *Les Systèmes d'Innovation à l'ère de la globalisation*, Economica, 1997.

S'il fallait évoquer un autre discours-jalon, il faudrait vraisemblablement retenir le rapport *Santé 2010* du Commissariat général du Plan qui, dans les années 1990, propose les évolutions nécessaires à la consolidation du modèle et à la poursuite du progrès médical.

Les enjeux identifiés par le rapport étaient multiples : enjeu financier (soutenabilité), enjeu de gouvernance (organisation de la décision au niveau central et territorial), enjeu microéconomique (rendement décroissant du progrès médical), enjeu du point de vue des ressources humaines (obsolescence des outils de régulation et cloisonnement), enjeu industriel, enjeu organisationnel (ville et hôpital), enjeu de sécurité, enjeu démocratique.

Les solutions proposées ont constitué le programme de l'action publique depuis 1990, réalisé avec plus ou moins d'intensité, de conviction et de réussite : régulation financière [Projet de Loi sur le Financement de la Sécurité Sociale (PLFSS) et Objectif National des Dépenses d'Assurance Maladie (ONDAM)], déconcentration (Agences Régionales de Santé), évolution de la Caisse Nationale d'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés (CNAMTS) et de la convention, création de la Caisse Nationale de Solidarité pour l'Autonomie, mise en place d'agences sanitaires [Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des Produits de Santé (ANSM) et Haute Autorité de Santé (HAS)...], réforme de la tarification, restructurations hospitalières, réformes relatives aux Ressources Humaines (avec de vieux outils – *numerus clausus* – manipulés de façon brutale ou avec de nouveaux concepts - émergence de la filière de médecine générale), réorganisation régionale avec la création des Agences régionales de santé, ...

Peut-on aujourd'hui bâtir un nouveau discours, à partir des enjeux contemporains de l'innovation en santé ?

Au-delà, peut-on sérier les enjeux contemporains et identifier les leviers d'action ?

- les potentialités du progrès ont changé : alliance des *data* et de la génomique, individualisation... : possibilité de retrouver de bonnes performances mais sur de petites populations cibles ;
- les enjeux épidémio-démographiques se modifient ;
- le paysage industriel est en voie de transformation complète ;
- les conditions d'émergence et de validation de l'innovation évoluent (living-lab...) ;
- le modèle économique de l'innovation intense et de sa valorisation est à rebâtir ;
- l'organisation du système d'acteurs doit se faire autour du patient et de son parcours et non pas autour des organisations industrielles de l'époque ancienne ;
- l'aménagement du territoire est beaucoup plus complexe : polarisation spatiale, spécialisation des territoires, écartèlement (domicile / territoires professionnels...) ;
- le numérique n'est pas un accessoire du changement ; il est une donnée essentielle de la mutation et des possibilités d'agir ;
- les ressources humaines ne sont pas non plus un accessoire ; elles sont au cœur de la transformation (territorialisation, flexibilité, mobilité, interprofessionnalité...).

Face à cet ensemble d'enjeux, peut-on se référer à un modèle d'organisation capable de prendre en charge les défis contemporains ?

Au-delà du modèle, il nous faut repenser les principes d'action et les outils qui, d'une part permettent d'accueillir et d'intégrer les nouvelles technologies de manière efficace et, d'autre part, rendent compte des caractéristiques attendues d'un système d'innovation agile, performant et équitable.

Le champ couvert dans son rapport par le HCAAM comprend toutes les formes d'innovation, médicale, technologique, organisationnelle essentiellement dans les domaines des soins, la prévention faisant l'objet prochainement de travaux plus approfondis du Haut Conseil.

Le HCAAM a fait le choix de situer ses réflexions à un horizon proche d'une quinzaine d'années. Cela signifie que seront considérées dans le présent rapport :

- les innovations déjà présentes, mais dont tout le parti ou les conséquences possibles n'ont pas été tirés ;
- les innovations déjà envisageables, car résultant de découvertes ou expérimentations que l'on peut déjà identifier ;
- les conditions à réunir pour que notre système maintienne, voire améliore, sa capacité à innover par-delà même l'horizon considéré.

Compte tenu de l'abondance de travaux existants dont certains assez récents, le HCAAM n'a pas engagé de travaux de prospective propre sur la nature des innovations à venir. Les développements s'appuieront donc sur les rapports de prospective et les analyses d'experts disponibles ainsi que sur quelques exemples illustratifs des processus concrets d'émergence et de mise en œuvre de l'innovation. L'analyse critique des rapports mobilisés a permis de mesurer leur assez bonne fiabilité³.

En revanche, le HCAAM s'est attaché à analyser le cadre institutionnel actuel dans lequel se situe l'innovation en France et ses possibilités d'amélioration. Il a, par ailleurs, examiné l'impact prévisible de l'innovation sur le système de santé français et il s'est attaché, s'appuyant sur l'analyse de quelques segments de la prise en charge sanitaire⁴ à déterminer les conditions qui permettraient de mettre de manière systématique l'innovation au service de la soutenabilité et de l'acceptabilité sociales, économiques et financières du système.

La première partie analyse de façon prospective les principales composantes du système d'innovation : les progrès des sciences et des techniques, l'évolution des organisations et, à la charnière de ces deux mouvements, la transformation numérique qui permet des combinaisons complexes de produits et de services et qui est susceptible de jouer dans les années à venir un rôle central dans l'évolution du système de santé.

La deuxième partie ouvre le débat sur les caractéristiques du nouveau modèle susceptible de donner à notre Système d'Innovation un élan qui lui permette de faire face aux défis du 21^{ème} siècle. Cela concerne aussi bien les conditions de production des soins que celles de la recherche et de la formation et les enjeux d'économie industrielle.

Une troisième partie s'attache à la question de la régulation du système de santé en situation d'innovation, c'est-à-dire à la fois aux dispositifs susceptibles de sérier et de promouvoir les innovations utiles (veille, évaluation, organisation, tarification) mais aussi aux qualités attendues d'un système de financement favorable à l'innovation.

La quatrième partie traite des conditions d'une gouvernance favorisant l'innovation, aussi bien au niveau territorial qu'à l'échelon central : organisation plus proche des besoins, plus agile, plus éclairée mais aussi plus démocratique, à la faveur de la montée en puissance du rôle des usagers et de leurs représentants.

³ Voir le volume II : « La présentation des rapports de prospective sur l'innovation en santé ».

⁴ Voir le volume II, les monographies sur « La prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale » et sur « La prise en charge en cancérologie ».

Partie I – Les perspectives en matière d’innovations en santé

Comment considérer l’innovation à venir ? Pour la clarté du propos, nous distinguerons :

- Les progrès des sciences et des techniques ;
- Les évolutions des organisations ;
- La question du potentiel du numérique.

Nous avons besoin analytiquement de distinguer progrès scientifique et technique, organisations, infrastructures, sans parler des ressources humaines et de la gouvernance mais nous savons aussi que les véritables évolutions, les ruptures vont mobiliser les capacités de mouvement simultané sur ces différents registres, la combinaison des transformations augmentant la part d’indétermination de l’innovation.

Nous rejoignons ici le propos de Nathalie Greenan, qui ne vaut pas seulement pour l’industrie manufacturière : *« Changements dans les machines, dans les compétences de la main d’œuvre et dans l’organisation interne des entreprises sont fortement interdépendants comme le montrent nombre d’études qualitatives, mais il est très difficile de préciser leur articulation : « (...) la relation entre la technologie et la structure de l’entreprise et de l’atelier est interactive ; la technologie influence mais ne "cause" pas une structure particulière. Les facteurs d’organisation et les décisions managériales influencent souvent l’effet d’une technologie donnée sur la structure d’un atelier et les qualifications des travailleurs. Séparer l’influence de la technologie sur la structure organisationnelle de celle d’autres facteurs et assigner un rôle causal à ce facteur sont des tâches très difficiles ».* (Cyert et Mowery⁵, 1987, p. 123). *Ainsi, la technologie peut être porteuse de certains critères d’organisation, mais inversement, son usage efficient peut aussi passer par certaines combinaisons compétences/tâches/machines qui ne sont pas inscrites dans les manuels d’utilisation. De plus, la recherche de certains objectifs comme la flexibilité ou la qualité peut inciter, à la fois, à adopter certaines technologies et à changer l’organisation de l’atelier⁶ ».*

⁵ Cyert R.M. et Mowery D.C. (1987), *Technology and Employment: Innovation and Growth in the US Economy*, National Academy Press, Washington D.C.

⁶ Greenan Nathalie. Innovation technologique, changements organisationnels et évolution des compétences. In: *Economie et statistique*, n°298, Août 1996. pp. 15-33.

doi : 10.3406/estat.1996.6152, http://www.persee.fr/doc/estat_0336-1454_1996_num_298_1_6152.

Chapitre 1 - Le progrès des sciences et des techniques : vision prospective

Comment se positionnent les futurs progrès technologiques et les progrès dans les connaissances ? Des bouleversements majeurs sont-ils attendus ? A quelles conditions ? Comment les pouvoirs publics et les acteurs du système de santé peuvent-ils se saisir de ces opportunités pour améliorer la qualité et l'efficacité du système ? Après avoir décrit les perspectives ouvertes par l'évolution des connaissances scientifiques et des technologies, nous examinerons les questions que pose leur intégration dans le système⁷.

1. Un mouvement durable d'innovation

Ces dernières années, plusieurs observateurs ont fait état d'une « panne » dans l'innovation médicale, notamment dans le domaine du médicament. Ainsi, E. Zerhouni⁸ constatait en 2011 que *« le nombre de nouvelles entités moléculaires – médicaments, anticorps, vaccins ou protéines recombinantes – approuvées par les agences de régulation n'augmente pas mais décroît. L'actuelle révolution biotechnologique n'apporte pas de solutions dont le rythme serait à la hauteur de nos besoins »*. Peuvent expliquer cette relative déception, le coût de plus en plus élevé de la recherche et développement, les difficultés liées au processus réglementaire d'admission sur le marché, les politiques de baisse de prix avec promotion du générique... Mais plus fondamentalement, il est possible qu'il faille voir dans ce phénomène *« notre manque fondamental de connaissance et le besoin d'une compréhension plus profonde de la haute complexité des systèmes biologiques normaux et pathologiques. De fait, tous les progrès accomplis nous révèlent une biologie d'un haut degré de complexité que personne n'avait encore imaginé »*.

Il est toutefois possible que cette « pause » relative soit en passe de se terminer et que d'importantes innovations arrivent sur le marché dans les prochaines années. Après le saut thérapeutique observé dans le domaine de l'hépatite C, sont annoncées en effet dans le domaine de la cancérologie de nouvelles classes thérapeutiques susceptibles de traiter avec efficacité des cancers jusqu'à présent de mauvais pronostic comme le mélanome ou le cancer du poumon. Le domaine des dispositifs médicaux est également très dynamique.

Au vu de ces promesses, nombreuses sont les voix qui annoncent une révolution thérapeutique d'envergure dans les prochaines décennies, s'appuyant sur les progrès réalisés dans la connaissance du génome, dans les applications des technologies numériques, dans le développement des sciences cognitives. Ces évolutions ont été théorisées sous le terme « NBIC », qui recouvre les nanotechnologies, les biotechnologies, les technologies de l'information (notamment l'intelligence artificielle) et les sciences cognitives, avec des phénomènes de convergence entre ces technologies maximisant leur potentiel. On observe toutefois un horizon temporel variable selon les auteurs, le bénéfice de ces progrès s'étalant entre 2025 et 2100. Il est en tout cas anticipé pour 2100 une augmentation significative de l'espérance de vie dans les pays riches, liée à ces différentes technologies, avec à l'extrême le mouvement du transhumanisme, de « l'homme augmenté », qui imagine des scénarios de dépassement de la condition humaine, tous les organes pouvant être remplacés avantageusement par des dispositifs artificiels. Cet horizon est toutefois peu opérationnel pour la plupart des personnes actuellement en vie.

⁷ Les questions relatives au numérique sont abordées dans ce chapitre mais sont plus particulièrement développées dans le chapitre 3.

⁸ Conférence inaugurale à la Chaire d'innovation technologique au Collège de France, janvier 2011.

Il est anticipé aussi, sur le plan de l'organisation des soins, une évolution drastique des métiers et des types de recours des patients, avec une plus grande participation des usagers à leur diagnostic, au choix thérapeutique ou à leur orientation sociale et médico-sociale, une délégation massive de tâches des médecins vers des infirmiers cliniciens et des systèmes logiciels experts, dans une sorte d'« ubérisation » de la médecine, la montée en puissance des prises en charge ou accompagnements à temps partiel ou à domicile et l'utilisation massive d'objets connectés convergeant sur le *smartphone*, le développement des réseaux sociaux autour de communautés de malades, la quasi-disparition du colloque singulier au profit de consultations à distance, etc.

Que peut-on dire de ces prises de position ?

Dans la mesure où l'horizon de la présente réflexion est de 10-15 ans, les innovations qui pourraient avoir un impact sur les pratiques et les organisations dans le système de santé à cette échéance sont déjà connues pour l'essentiel. Il s'agit donc de repérer lesquelles sont susceptibles de conduire à des améliorations dans le système de santé et sont à promouvoir.

Les NBIC, d'ores-et-déjà, ont fourni des applications ou sont en passe d'en fournir dans différents domaines diagnostiques et thérapeutiques. On pense en premier lieu au ciblage plus fin des traitements anticancéreux en fonction des caractéristiques génomiques de la tumeur ; on assiste aussi à des progrès rapides dans le domaine des interfaces homme-machine, permettant à des personnes handicapées de bénéficier de rééducations et récupérations sensorielles ou fonctionnelles inespérées il y a peu, avec des réapprentissage reposant sur la stimulation virtuelle et la possibilité de « commander » des bras articulés, des exosquelettes ou d'autres dispositifs d'assistance technique. Dans le champ des nanotechnologies, des pistes sérieuses sont explorées dans le domaine du diagnostic (nanocapteurs intégrés) et de la thérapeutique médicamenteuse.

Mais il faut se garder d'un optimisme excessif dans certains domaines, dont la complexité apparaît de plus en plus importante au fur et à mesure que les recherches progressent : la connaissance du génome constitue certes un pas considérable vers la possibilité de prédire des probabilités de contracter telle ou telle maladie, mais nous sommes encore loin de transformer cette connaissance en outil thérapeutique et de comprendre les interactions fines entre prédisposition génétique et facteurs environnementaux (épigénétique). En outre, il ne faut pas avoir une vision trop simpliste de la prévention dans le système de soin : il ne suffit pas d'identifier un risque pour que ce risque soit maîtrisé ; on sait que la médecine de prévention tient autant à la connaissance de la physiopathologie qu'à l'action sur les comportements individuels. L'exemple du tabagisme est là pour souligner que la connaissance d'un facteur de risque et de l'ensemble de ses impacts ne freine que modérément les consommations. Le fait de se savoir porteur d'un sur-risque génétique pour telle ou telle affection influera-t-il sur les comportements ? Rien n'est moins sûr. Pour le moment, il n'y a guère que pour le cancer du sein que des interventions préventives ont pu être proposées pour des personnes porteuses de gènes de susceptibilité.

De même, les neuroscientifiques voient plutôt l'avenir dans leur domaine comme une addition de lents progrès dans la compréhension du fonctionnement cérébral que comme une subite révolution.

A cet égard, un autre débat classique, lorsque l'on analyse l'innovation technologique, porte sur la distinction entre les innovations de rupture et les innovations incrémentales, arguant que seules les premières méritent un intérêt et sont susceptibles de provoquer des évolutions notables dans l'organisation des soins. L'observation du passé rend toutefois cette dichotomie fragile. Par exemple, P. Corvol et N. Postel-Vinay établissent la liste suivante des innovations considérées comme importantes observées ces dix dernières années :

- Connaissance et traitement des maladies monogéniques ;
- Greffe de cellules issues de la moelle ou de sang de cordon ombilical ;
- Stimulation cérébrale profonde dans la maladie de Parkinson ;

- Anticorps monoclonaux thérapeutiques, humanisés ;
- Nouveaux vaccins, en particulier pour prévenir des cancers ;
- Dans le domaine du médicament, sont aussi cités : les traitements contre l'hépatite B, la thrombolyse dans l'AVC, les inhibiteurs de la tyrosine kinase (Glivec® dans la leucémie myéloïde chronique), le traitement du myélome multiple par Velcade®, les traitements immunosuppresseurs... ;
- Médecine plus personnalisée, avec développement corollaire des tests compagnons (utilisation de la pharmacogénétique dans certaines indications) ;
- Imagerie numérique ;
- Interventions chirurgicales assistées par ordinateur ;
- Télémédecine ;
- Implants cochléaires et premiers essais de reconstruction de la vision par caméra informatique.

Si certaines de ces avancées sont incontestablement des sauts technologiques, comme la stimulation cérébrale profonde, d'autres se situent dans la suite logique de progrès continus qu'on pourrait qualifier d'incrémentaux, comme les vaccins. Toutes paraissent aussi importantes et susceptibles d'avoir un impact significatif sur la dispensation et l'organisation des soins.

Notons au passage qu'il faut prendre garde à qualifier d'innovations des nouveautés qui s'avèreront *in fine* décevantes (par exemple les pilules de 3^{ème} et 4^{ème} génération). Il faut aussi prendre garde à la terminologie qui parfois survalorise des innovations. A cet égard, il est fréquent de considérer, comme un changement de paradigme, la « médecine personnalisée » en oncologie (au sens où un produit anti-cancéreux n'est adapté qu'à une sous-population des patients atteints d'un cancer donné, en fonction du profil génétique tumoral, qu'il faut donc déterminer avant le démarrage du traitement). Mais outre que le terme ne fait que constater que la médecine s'intéresse à des personnes, ce qui n'est pas nouveau, le principe de réaliser des tests biologiques avant la prescription d'un traitement n'est pas nouveau non plus. La situation la plus fréquente est la réalisation d'antibiogrammes avant prescription d'antibiotiques.

Il peut arriver enfin que passent relativement inaperçus, ou en tout cas ne soient pas anticipés, certains progrès techniques évoluant à bas bruit et venant pourtant faire évoluer un champ thérapeutique de manière sensible, comme cela a été le cas pour les maladies cardiovasculaires par exemple et semble pouvoir être le cas demain pour la rééducation fonctionnelle et sensorielle.

Une fois ces éléments rappelés, examinons quelles sont justement les nouvelles technologies en cours de développement ou susceptibles d'émerger au sein du système de santé dans les prochaines années.

2. Les perspectives de développement des connaissances scientifiques et de nouvelles techniques

Le recensement des évolutions scientifiques et techniques pouvant avoir un impact dans le champ de la santé dans les prochaines années a été réalisé à de multiples reprises dans des rapports récents (cf. volume II, document 3), notamment ceux émanant des industriels ou du ministère de l'Industrie, ou encore des organismes de recherche.

Il est possible sur ces bases d'établir une typologie des technologies dont l'adoption est possible.

Notons que les rapports cités n'ont pas comme objectif d'analyser l'impact des technologies sur le système de soins mais d'identifier les axes porteurs sur le plan industriel, de lever les freins à la diffusion des nouvelles technologies (sachant que, parmi ces freins, figure la lenteur des procédures

de mise sur le marché et de fixation du prix par les institutions de santé), de se doter d'une stratégie à moyen terme : stratégie de recherche et/ou stratégie industrielle. Certains rapports ne retiennent en outre que les technologies pour lesquelles il existe des possibilités de réalisation par l'industrie française.

Pour autant, les réflexions qui s'y trouvent permettent d'identifier les principaux axes d'évolution technologique qui pourraient avoir un fort impact au sein du système de soins.

Dans notre horizon de 10-15 ans, sont exclus de ce recensement les éléments suivants :

- les technologies encore au stade de la recherche, non encore arrivées au stade du développement, dans la mesure où ces technologies n'auront pas le temps d'émerger dans la pratique d'ici 10 ans ;
- les réflexions élaborées à un horizon de 30 ou 50 ans, voire davantage, faisant appel à des promesses actuelles de la recherche, sans vision réelle sur le délai que le développement de ces promesses prendra ;
- les réflexions survalorisant l'impact de la connaissance du génome sur la thérapeutique : sans nier l'apport majeur du séquençage du génome, il apparaît que l'utilisation de cette connaissance prendra encore de nombreuses années de recherche pour en tirer des applications thérapeutiques susceptibles d'avoir une influence sur le système de soins ; il n'en est pas de même dans le domaine diagnostique : par exemple, l'utilisation de la génomique en oncologie est entrée dans la pratique ;
- les développements autour de ce qu'il est convenu d'appeler le « transhumanisme », dans la mesure où ce mouvement relève essentiellement de technologies des trois catégories précédentes, mais aussi parce qu'il associe un militantisme philosophique aux valeurs controversées.

Plusieurs typologies sont proposées pour répertorier les technologies nouvelles :

- approche par grand champ industriel : médicaments / dispositifs médicaux / imagerie médicale / NTIC... ;
- approche par champ technologique : ingénierie cellulaire, ingénierie tissulaire / ingénierie génomique / ingénierie du système immunitaire / biomatériaux / biologie de synthèse / biocapteurs / nanotechnologies... ;
- approche par segment du système de soins : biologie / imagerie / chirurgie / assistance à domicile... ;
- approche par pathologie : oncologie / neurosciences / cardiovasculaire / diabète...

Ces typologies ont toutes leur intérêt mais en dehors de l'approche par pathologie, elles s'articulent mal avec la réflexion menée sur l'organisation du système de soins. En outre, elles ont l'inconvénient de mal prendre en compte le phénomène de convergence des technologies.

Aussi, en fonction des objectifs poursuivis par le HCAAM, proposons-nous de retenir une typologie basée sur les finalités, avec la possibilité pour une technologie donnée de participer à plusieurs. Raisonner ainsi par finalités permet d'éviter l'écueil d'une approche trop technique de l'innovation, parfois décalée par rapport aux réels besoins et attentes des bénéficiaires finals, patients et professionnels de santé. Il s'agit bien d'adopter une approche centrée sur les problèmes à résoudre, non sur les solutions proposées *a priori*.

On peut, à partir de ce tableau (cf. ci-dessous), dresser plusieurs constats :

- Les évolutions majeures attendues devraient résulter de technologies couvrant potentiellement plusieurs finalités. Il en est ainsi des technologies numériques, susceptibles de bouleverser

l'organisation d'un grand nombre de prises en charge. L'analyse de leur rôle sera analysée dans les développements spécifiques sur le numérique (cf. chapitre 3).

- A l'inverse, pour atteindre une finalité de manière satisfaisante, il s'agit en général de combiner plusieurs technologies émergentes, compliquant d'ailleurs leur implémentation : il faut, pour bénéficier pleinement de leur apport, une mise en place coordonnée et en synergie de l'ensemble de ces techniques.

Innovations susceptibles d'avoir un impact sensible sur le système de soins dans un avenir proche

Favoriser l'autonomie, la prise en charge à domicile

- Biocapteurs, et télé-suivi de constantes physiques et biologiques
- Télémédecine (téléconsultation, télésurveillance, télé-expertise, téléassistance)
- Aides techniques pour les activités de la vie quotidienne, notamment pour la motricité
- Piluliers intelligents
- Dispositifs de rappel de tâches
- Dispositifs de stimulation de la personne
- Assistance robotique
- Domotique (détecteur de fumée, détecteur de chutes, balisage lumineux des parcours nocturnes les plus utilisés...)

Suppléer une fonction physiologique

- Biomatériaux
- Dispositifs implantables (dont dispositifs médicaux implantables intelligents comme les neurostimulateurs, la délivrance contrôlée de médicaments...)
- Interfaces homme-machine, bionique
- Transplantations, organes artificiels
- Thérapie cellulaire, ingénierie tissulaire

Faciliter, accélérer, améliorer le dépistage et le diagnostic

- Imagerie : imagerie structurelle, imagerie fonctionnelle, imagerie moléculaire, à l'aide de biosondes moléculaires, imageries multimodales
- Biomarqueurs, génomique
- Biocapteurs, Systèmes bio-embarqués communicants
- Technologies de traitement de l'information diagnostique et aide à la décision (ex : atlas probabilistes)
- Diagnostic in vitro, avec miniaturisation croissante, puces, technologies de diagnostic rapide

Faciliter, améliorer la qualité des gestes chirurgicaux et interventionnels

- Gestes chirurgicaux assistés par ordinateur, robotisation
- Interventions guidées par l'imagerie (imagerie interventionnelle)

Adapter de plus en plus la thérapeutique au patient (hors chirurgie)

- Traitements basés sur des tests de pharmacogénétique (tests compagnons)
- Délivrance des médicaments au plus près de la cible (vectorisation...)
- Rééducation par stimulation virtuelle
- Rayonnements thérapeutiques : radiothérapie, ultrasons
- Vaccinologie
- Séquençage massif (« génome entier »)

Faciliter le suivi de maladies chroniques

- Imagerie moléculaire
- Suivi post-thérapeutique (ex : télécardiologie)
- DMI intelligents
- Biomarqueurs
- Biocapteurs, Systèmes bio-embarqués communicants
- Autres types de capteurs, notamment pour la télésurveillance

Améliorer la connaissance sur les parcours, l'épidémiologie, l'efficacité des soins et la veille sanitaire

- Constitution de bases de données dans le respect des règles de confidentialité et de sécurité nécessaire ; perspectives du big data
- Développement des outils d'analyse des données de santé

3. Pour aller plus loin

Le foisonnement des progrès scientifiques et des techniques appelle une évolution sensible des conditions de suivi, d'évaluation et de remboursement des produits de santé qui seront traitées dans la troisième partie du rapport. Ces évolutions doivent répondre à différentes problématiques que les développements précédents permettent de préciser :

- la problématique de la veille qui doit être organisée et structurée de façon plus systématique afin d'anticiper les évolutions à venir et de les mettre en relation avec les besoins et finalités que l'on identifie et souhaite privilégier ;
- la problématique de l'intégration des approches qui doit corriger ou compléter la segmentation actuelle par type de produits ou d'actes, afin de favoriser les effets de levier à attendre de la synchronisation des innovations et de permettre une couverture effective des besoins identifiés lorsqu'ils mettent en jeu diverses innovations (produits, actes, technologie numérique, services...);
- la problématique de l'observation et de l'évaluation qui dans une période de fort bouleversement mettant en jeu des dimensions multiples doit privilégier au-delà des évaluations *ex ante* toujours nécessaires, l'étude dans les conditions de la vie réelle.

Chapitre 2 – Les évolutions des organisations : vision prospective

Qu'entend-on par « innovation organisationnelle » ? Quel est le périmètre ?

Le Littré donne d'« organiser » la définition suivante : « Donner à un établissement une forme, en régler l'arrangement intérieur. Organiser une armée, une administration. » Au-delà, on rappellera les prémisses de la démarche du sociologue français des organisations, Michel Crozier : « J'ai été d'abord passionné par une question bête et les questions bêtes sont toujours importantes : comment les gens peuvent-ils travailler ensemble dans une organisation quelconque avec toutes les difficultés et tous les problèmes de coopération auxquels ils sont confrontés ? Autrement dit, pourquoi ça marche ?⁹ » Michel Crozier parle d'ailleurs plus volontiers de « système d'action concret » que d'« organisation » pour bien signifier que ce qui compte dans un système humain, au moins autant que les institutions ou les individus, ce sont les relations qu'ils ont entre eux.

S'agissant des organisations ou des « systèmes d'action concrets » en matière de santé et de leur évolution, il importe de bien distinguer, comme on l'a fait pour les sciences et les technologies, ce qui est de l'ordre du dispositif nouveau de relations entre acteurs et ce que l'on peut vraiment qualifier d'innovation organisationnelle. Pour établir cette distinction, il convient de répondre à la question suivante : à partir de quand une organisation cesse-t-elle d'être innovante pour devenir une organisation installée, qui sera elle-même remise en cause par un nouveau dispositif ? A titre d'exemple, les maisons de santé pluri-professionnelles peuvent être aujourd'hui considérées comme une solution innovante. Si elles constituent demain une trame générique pour l'organisation des soins primaires sur certains territoires, elles seront à terme concurrencées par des formes d'organisation alternatives.

Quelles peuvent être les organisations de demain ?

La réponse à cette question est loin d'être évidente. Il faut dans un premier temps s'intéresser aux formes d'organisations qui pourraient émerger, moins en décrivant une organisation cible, qui serait forcément prescriptive et probablement démentie par les faits, qu'en esquissant les grandes tendances et enjeux qui formateront l'évolution des organisations actuelles.

Mais il convient également, au-delà des nouvelles organisations elles-mêmes, de s'intéresser aux formes que pourrait prendre l'intégration d'activités de nature diverses pour assurer la prise en charge concrète des patients.

Enfin, ce chapitre prospectif rappellera les conditions essentielles de réussite du processus d'innovation dans le domaine des organisations.

1. Des formes organisationnelles nouvelles à l'horizon d'une quinzaine d'années

Jusqu'à quel point les organisations existant dans le secteur hospitalier, celui de soins de ville et le secteur social et médico-social, sont-elles susceptibles de se transformer à l'horizon d'une quinzaine d'années ?

La prospective sur les organisations de demain est plus délicate à mener que celle sur les technologies qui font d'ores et déjà l'objet de recherches, de développements, d'essais. Les organisations qui pourraient émerger dépendront de l'interaction complexe entre plusieurs facteurs :

⁹ Entretien avec Michel Crozier, 5 février 2008, Sens public – Revue web : <http://www.sens-public.org/article509.html>.

les technologies disponibles, mais également la demande sociale, les orientations globales retenues en termes d'objectifs de santé, les choix d'affectation des ressources disponibles ou encore la démographie des différentes professions médicales et paramédicales.

Pour éclairer le potentiel de transformation organisationnelle du système de soins, quelques exemples, s'appuyant sur des mutations des organisations déjà engagées ou annoncées en France ou à l'étranger, sont utiles. Les publications et de premières réalisations existent préfigurant le bloc opératoire du futur, le domicile du patient connecté ou encore de nouvelles infrastructures, telles les plateformes d'analyse génétique.

Il faut néanmoins, pour engager une réflexion plus large, présenter les grandes tendances en France ou à l'étranger, tendances qui conduisent à des changements structurels d'organisation, tant pour les établissements de soins que pour la prise en charge en ville ou à domicile.

A. Questions d'organisation pour le système hospitalier et les prises en charge médico-sociales de demain¹⁰

Le modèle culturel dominant sur lequel nous vivons encore est celui de l'hôpital public où se trouvent regroupées dans un même site un ensemble d'activités : hébergement, plateaux techniques, services logistiques médicaux et non médicaux. La tendance historique en France est à l'accroissement de la taille des établissements et au regroupement en leur sein de la diversité des spécialités.

Le champ de l'hospitalisation privée comme tout le secteur médico-social diffère avec des établissements en moyenne de plus petite taille et dont certains font des choix de forte spécialisation.

La forte intégration d'une diversité de fonctions qui caractérise le modèle hospitalier pourrait être remise en cause à l'horizon d'une quinzaine d'années.

Concentration des moyens médico-techniques haut de gamme et très spécialisés, diffusion des technologies légères

Un couple de forces dans le champ médico-technique pousse :

- d'une part, à une concentration des techniques et des pratiques dans des plateaux médico-techniques à la pointe des connaissances et des savoir-faire, avec une recherche de performance, de sécurité et d'économies d'échelle ;
- d'autre part, à une diffusion de technologies légères, plus miniaturisées, communicantes, pouvant être délocalisées auprès d'équipes médicales ou paramédicales de petite taille, ou au domicile des patients.

En effet, pour les diagnostics *in vivo* ou *in vitro*, ou encore pour les techniques de traitement et de soins, on observe une poussée vers des technologies sophistiquées, avec une association au sein d'infrastructures haut de gamme d'équipements et d'activités très spécialisés, par exemple des salles de chirurgie ou de radiologie interventionnelle ou des automates de biologie (avec un regroupement des outils, des informations, et des méthodes, accompagné d'une intégration de moyens techniques et humains).

En même temps des dispositions organisationnelles sont prises pour augmenter les flux de patients (« fast-track », automatisation, normalisation des procédures, productivité des équipements, optimisation logicielle des différents flux...) et pour la prise en charge en amont (prescription informatisée, prélèvements pré-analytiques pour la biologie, consultations d'anesthésie pour la chirurgie...) et en aval (hôtels de suite et hôtels hospitaliers, recherche de solutions de sortie précoce en HAS, en places de soins de suite et de réadaptation, surveillance...).

¹⁰ Cf. sur le site les documents de la séance du 28 mai 2015 : « L'hôpital demain ».

Dans ce cadre et compte tenu de la sophistication de certaines technologies et de leur forte spécialisation, on observe une évolution des relations entre les établissements de santé, sociaux et médico-sociaux et les entreprises et fabricants pour la maintenance, la sécurité, la mise à disposition d'ingénieurs ou de personnels d'application et le développement de recherches partenariales. Les modèles économiques et financiers évoluent : vente, leasing, location à l'activité, voire prise en charge d'unités médicales complètes.

Par ailleurs, l'unité de lieu qui était la règle pour le plateau technique est remise en cause par la possibilité de dématérialiser les flux d'information et de s'affranchir de la proximité pour certaines actions (interprétation d'images, signature électronique de documents, secrétariat...) ce qui ouvre la porte à une organisation en réseau des plateaux techniques. Les logiciels d'aide à l'interprétation ou à la décision médicales sont susceptibles de modifier le rôle des professionnels de santé et d'engendrer une répartition différente des tâches entre celui qui réalise l'acte et celui qui l'analyse, l'interprète et en signe le compte rendu. L'exemple des dispositifs de transmission d'images de fond d'œil pour des patients diabétiques dans des centres spécialisés par télétransmission est à ce titre très significatif.

Enfin, la baisse du coût des matériels d'une génération à l'autre, associée à la miniaturisation électronique et mécanique, permet la pénétration des technologies dans des unités de plus petite taille.

Dans le même temps, alors que la plupart des hôpitaux IGH (immeubles de grande hauteur) construits en France dans les années 1960 arrivent au terme d'un fonctionnement optimal prévu il y a 50 ans, après les nombreux chantiers lancés en 2007, l'optimisation des patrimoines immobiliers existants est aujourd'hui de rigueur. La construction d'établissements neufs pose la question d'une anticipation à vingt ou trente ans dans un contexte d'innovation incessante supposant flexibilité architecturale et organisationnelle.

Dans ce contexte, l'identification d'activités que l'évolution technologique permet de projeter à proximité des populations qui en ont besoin, dans le cadre de structures légères (permettant de rapprocher les cycles d'obsolescence de l'immobilier, des équipements et des systèmes d'information mobilisés) est d'actualité.

Ouverture sur la ville

En lien, mais pas exclusivement, avec les évolutions technologiques évoquées plus haut, se pose la question du rapport entre l'hôpital, la ville et le médico-social : dans un cadre où il est possible d'envisager de rapprocher des services hospitaliers de la population, faut-il conserver un modèle hospitalier rassemblant tous les services de soins ou faut-il que certains services de soins se projettent en ville ?

Certains établissements de proximité évoluent vers un tel modèle de structures de soins avec un nombre très limité de lits, ouvertes et accessibles à la population 24 heures sur 24, capables d'orienter les patients en cas d'urgence, de surveiller différents paramètres physiologiques, d'anticiper de possibles décompensations de personnes à risque, de faire face à des phases pathologiques aiguës. Elles permettent, notamment, de fluidifier les pratiques ambulatoires pour les personnes âgées ou handicapées. Ces établissements se tournent vers une activité plus légère, sans plateaux chirurgicaux, mais organisent une filière transversale interne (de type court séjour de médecine gériatrique/soins de suite gériatriques/accueil de jour et hébergement médico-social) et externe en s'intégrant dans des réseaux d'établissements destinés à bien organiser le parcours de soins et peuvent aussi accueillir des consultations externes faites par des praticiens libéraux ou des centres de santé.

Au-delà de ce modèle, s'appuyant sur la reconversion de structures existantes, certains envisagent que les établissements de santé déploient de nouveaux services en ville en délocalisant auprès des lieux de vie des patients, des dispositifs de *consultations avancées* parfois en «non programmé» pour

soulager la pression sur les services d'urgence, ou encore en soutenant l'activité des centres de santé, voire en délocalisant des services hospitaliers s'appuyant sur de petits plateaux techniques, par exemple des unités de chirurgie ambulatoire ou d'exploration fonctionnelle¹¹.

Dans une vision plus large, l'ouverture des établissements de santé vers la ville peut enfin se penser comme l'évolution des établissements vers des « plateformes de santé » mises en réseau entre elles et avec les acteurs extérieurs, qu'il s'agisse des professionnels de santé libéraux ou des services sociaux et médico-sociaux. Cette conception implique la construction de partenariats, le partage de compétences, d'équipements ou de plateaux techniques, le développement de services rendus au sein de l'établissement par des acteurs qui lui sont extérieurs ou la mise en réseau des différents acteurs. Elle vise à faire de l'établissement et de ses partenaires une plateforme de services de santé (soins, prévention, coordination des parcours, services sociaux et médicaux sociaux, information, etc.) intégrée au moins dans le mode de fonctionnement et pas simplement un établissement de production de soins.

Dissociation des fonctions d'hébergement, médico-technique et de support

On ne reviendra pas sur l'éclatement et l'ubiquité possibles des fonctions médico-techniques dans un fonctionnement en réseau.

La logistique et les systèmes de « chaîne de fournisseurs » s'imposent partout favorisant l'optimisation des ressources matérielles et humaines dans les blanchisseries, la restauration, les stérilisations, les magasins d'approvisionnement et les transports. Ces structures (constituant en quelque sorte le volet « usine » d'un établissement de santé), éventuellement regroupées dans des plateformes peuvent être totalement extérieures aux établissements eux-mêmes et fonctionner pour le compte de plusieurs établissements sur un même territoire.

L'hébergement, lui, ne caractérise désormais plus qu'une fraction des séjours ou venues à l'hôpital ou dans le secteur médico-social. Pour les activités ne nécessitant pas d'hospitalisation ou d'hébergement à plein temps, la relocalisation dans des implantations bien desservies et la reconfiguration des conditions d'accueil et de circulation des usagers s'impose. La programmation des interventions et des accompagnements est la règle avec la possibilité de ne pas fonctionner le week-end. Des formules couplées avec un accueil hôtelier externalisé sont expérimentées afin d'optimiser la gestion des flux de patients ou l'accompagnement possible par l'entourage. Plus largement, la question de l'hébergement renvoie à la conception des établissements de santé et médico-sociaux en tant que lieux de soins et lieux de vie : va-t-on vers une dissociation de ces fonctions, vers une différenciation des services, et peut être des structures ou des organisations, en fonction des durées de séjour, selon que le patient a une durée de séjour courte ou qu'il est appelé à rester longtemps ?

Les décalages dans les cycles d'obsolescence des bâtiments destinés à l'hébergement, des équipements correspondant aux fonctions support et des équipements de plateaux techniques, sans parler des systèmes d'information, posent de difficiles problèmes d'anticipation. Les coûts de rénovation et de restructuration des bâtiments et des éléments de patrimoine, en fonction de leur vétusté, sont particulièrement importants, notamment du fait des réglementations concernant la sécurité, les risques d'incendie, les économies d'énergie. Ces opérations se heurtent à la complexité de transformation d'organisations existantes, cependant que les constructions neuves incitent à imaginer la pratique de la médecine à l'échéance de plusieurs décennies.

Ceci doit inciter au choix de formules de construction modulaires, permettant d'assurer l'évolution des différentes composantes du fonctionnement hospitalier ou médico-social de façon relativement

¹¹ Exemples tirés de « Quelle organisation de la santé en 2030 ? », Revue hospitalière de France, R. Caillet, Janvier février 2016.

autonome et d'intégrer facilement évolutions et renouvellements, notamment au niveau des équipements techniques.

Hôpital numérique

Cette partie est consacrée exclusivement au programme national Hôpital Numérique qui cible l'atteinte, par l'ensemble des établissements de santé, d'un palier de maturité minimum de leurs systèmes d'information (SI) sur la période 2012-2017. Il vise à améliorer la sécurité et l'usage des systèmes d'information au profit d'une meilleure qualité des soins et d'un meilleur pilotage des activités. Trois domaines constituent des pré-requis en ce qui concerne les fonctions d'infrastructures techniques et organisationnelles : identités et mouvements, fiabilité et disponibilité, confidentialité. Le programme retient cinq domaines fonctionnels prioritaires centrés sur la production de soins (résultats d'imagerie, de biologie et d'anatomo-pathologie, dossier patient informatisé et interopérable, prescription électronique alimentant le plan de soins, programmation des ressources et agenda du patient, pilotage médico-économique).

A l'horizon de quinze ans, bien au-delà des pré-requis minima aujourd'hui visés, qui sont encore malheureusement loin d'être atteints par la majorité des établissements hospitaliers, et encore moins dans le secteur médico-social ignoré par ces plans de développement numérique à ce jour, c'est à un niveau d'ambition bien supérieur qu'il convient de se situer. L'hôpital numérique ne se concevra pas comme un hôpital classique dont les processus ont été informatisés ou dématérialisés. Il en va de même pour les services à domicile et les accueils de jour sociaux et médico-sociaux.

Des exemples existent à l'étranger, des projets en petit nombre émergent aussi en France qui visent à intégrer le numérique au cœur de la conception même des bâtiments (pour la gestion énergétique, de la maintenance, des flux de malades et de personnels...), de l'espace hospitalier (de façon complémentaire de la modularité et des fonctionnements en réseau évoqués ci-dessus), de la prise en charge des tâches logistiques et de production à faible valeur ajoutée ainsi que de la communication à l'intérieur de l'hôpital, mais aussi avec son environnement extérieur.

Le tableau qui suit résume la tension entre deux visions archétypiques de l'hôpital à la croisée desquelles se situeront sans doute les structures hospitalières de demain.

Hôpital : institution ou infrastructure	
Institution	Infrastructure
Besoin de masse critique sur certaines activités	Développement du « hors-les-murs »
Attachement à l'appartenance institutionnelle des salariés	Déversement territorial (organisation du territoire à partir de l'hôpital, dissociation de l'appartenance de certains salariés...) et renforcement des parcours professionnels ville-hôpital-médico social
Lien formation / recherche /soin	Contestation de l'hôpital comme institution hégémonique
Logique propriétaire dans le cadre d'une planification graduée des infrastructures	Souci d'efficience dans le juste dimensionnement et l'utilisation d'infrastructures coûteuses
Développement d'activités d'« hôpital couché » ou d'hébergement médico-social à plein temps	Place progressivement majoritaire des activités d'« usager debout et nomade » Développement d'alternatives aux urgences et aux autres fonctions qui alimentent les entrées à l'hôpital (équipes mobiles de gériatrie, HAD, dialyse hors centre, SSR, équipes mobiles de soins palliatifs, USLD, plate-formes sociales et médico-sociales diversifiées...)

B. Questions d'organisation pour les soins de ville demain

En miroir de l'organisation de l'hôpital, le modèle historique d'organisation des soins de ville connaît des évolutions vers une plus grande structuration qui préfigurent les questions qui se poseront à moyen terme pour l'ensemble des acteurs de la médecine de ville : quelles formes d'exercice collectif ? Quels niveaux d'équipement ? Quels services ? Quelle organisation autour du domicile ?

Le développement de formes organisées de prises en charge en soins primaires

L'orientation portée depuis de nombreuses années qui vise à la constitution d'une ligne de prise en charge de premier niveau obéissant à une logique de soins primaires et de médecine communautaire bien insérée dans les territoires trouve aujourd'hui sa traduction avec l'émergence de structures d'exercice pluri-professionnelles aux formes d'organisation et statuts divers.

Les exemples étrangers et les expériences françaises montrent qu'une diversité de formes d'organisation est ici possible :

- centres de santé employant du personnel salarié ou structures, maisons ou pôles privilégiant des formes d'exercice libéral, équipes pluri-professionnelles fonctionnant de façon coordonnée,
- structures dans lesquelles la présence des médecins est prépondérante ou regroupement à prédominance paramédicale et notamment infirmière,
- regroupements ou réseaux internalisant ou non la prise en charge de dimensions administratives, sociales et médico-sociales ou de besoins de réponses continues pour des urgences non vitales.

Ces nouvelles organisations sont centrées sur l'intervention coordonnée du médecin généraliste, de l'infirmier ou d'autres paramédicaux et du pharmacien. Mais le périmètre des activités couvertes est variable. Dans ces nouvelles organisations certaines spécialités médicales peuvent être représentées.

De telles structures devraient, à l'horizon considéré, constituer une offre alternative de l'offre hospitalière pour l'accueil et la prise en charge des urgences non vitales, grâce à l'élargissement des plages d'accueil, la capacité à gérer des venues sans rendez-vous, ainsi que l'accès à un plateau médico-technique de premier niveau.

Le développement de regroupements pluri-professionnels dans le champ des soins spécialisés

La tendance au regroupement des professionnels qui s'observe au niveau des soins primaires s'observe aussi au niveau de la médecine spécialisée. Là aussi, elle se fait d'abord sous la forme de regroupements mono-disciplinaires avec la mise en commun de moyens.

Une prise en charge organisée de malades chroniques en ambulatoire suppose de concevoir des formes structurées articulant les interventions hospitalières, les soins spécialisés en ville, les interventions médico-sociales, en liaison avec la ligne de soins primaires.

Ceci suppose un double mouvement :

- une porosité plus forte entre hôpital, ville et médico-social au niveau des soins spécialisés, avec le développement pour les professionnels, médecins et paramédicaux, de formes à définir d'exercices mixtes (hospitaliers et libéraux) ou de circulation d'un exercice à un autre, avec, le cas échéant, le partage de l'accès à certains moyens techniques,
- une organisation plus structurée des soins de ville dans des structures associant médecins, paramédicaux et techniciens, pour contribuer à la prise en charge sur un territoire de pathologies ou ensemble de pathologies ou de populations particulières. Quelques exemples ou projets existent : maison du cœur ou cœur-poumon, autour de maladies métaboliques, maison des spécialistes... Les modèles restent à préciser et à éprouver.

Le développement de structures dotées de moyens techniques de proximité ?

La structuration des soins primaires et des soins spécialisés posera la question des moyens techniques disponibles à proximité des lieux de vie des patients. Comme évoqué plus haut, l'idée de délocaliser des plateaux hospitaliers est l'une des options envisageables pour fournir des moyens de prise en charge technique aux acteurs des soins primaires.

Mais il est également possible, dans un mouvement inverse, d'imaginer que des structures de soins primaires soient dotées de plateaux techniques légers de biologie, d'imagerie et de petite traumatologie, comme c'est le cas pour les MVZ allemandes¹².

S'il est difficile de trancher *a priori* sur la pertinence médicale ou économique de l'une ou l'autre de ces approches, d'autant plus que cette pertinence dépend sans aucun doute de considérations territoriales, on peut retenir qu'elles constituent une réponse à un besoin qui dans un cas comme dans l'autre modifiera l'organisation tant des soins de ville que des établissements de santé et médico-sociaux.

Ainsi, on constate à l'étranger, au rebours de la tendance à la concentration des moyens techniques dans de grandes structures, l'expansion de petites structures de proximité dotées de moyens techniques de plus ou moins grande ampleur (*Intermediate care clinic* et *Maggie centers* (cancérologie) au Royaume Uni, les *Centros de atencio primara* en Catalogne, les *Independent treatment centers* (ZBC) en Hollande, les *Cancer Healthcare Centre* au Danemark, les *Medizinische Versorgung Zentren* (MVZ) en Allemagne ou encore les *Patient Center Medical home* (PCMH) aux Etats-Unis.

Le développement des interventions à domicile

Le développement des pathologies chroniques et le vieillissement de la population imposeront à l'horizon d'une dizaine d'années une considérable expansion des interventions à domicile, facilitée par la miniaturisation des équipements et les possibilités ouvertes par le numérique.

Aujourd'hui déjà, les acteurs du domicile organisent des prises en charge centrées sur le lieu de vie du patient, une tablette pouvant contenir les éléments nécessaires à son suivi ou permettre une télé-expertise, et des smart-phones utilisés par les professionnels facilitant le lien avec une structure de coordination. L'installation d'équipements sophistiqués grâce auxquels sécurité, assistance et maintenance sont assurées au domicile est déjà une réalité pour nombre de malades chroniques.

Des formes diverses d'organisation sont possibles pour assurer ce type d'interventions qui supposent une forte coordination d'interventions professionnelles (et non professionnelles) et dans un certain nombre de cas la mise en place et le fonctionnement de matériels et d'équipements au domicile. Cette problématique de coordination est d'ores et déjà au cœur des évolutions qui concernent l'intervention des infirmiers et professionnels de la rééducation libéraux, des services de soins infirmiers à domicile (SSIAD) et services polyvalents d'aide et de soins à domicile (SPASAD), des services d'éducation spécialisée et d'accompagnement à domicile (SESSAD), des services d'accompagnement médico-social d'adultes handicapés (SAMSAH), des services d'aide à domicile (SAD), des services d'accompagnement à la vie sociale (SAVS), ou pour revenir au champ sanitaire de l'hospitalisation à domicile (HAD). A l'instar des «cliniques gériatriques» sachant associer court séjour, SSR gériatriques et hébergement médico-social, nombre d'organismes, le plus souvent privés non lucratifs, ont innové sous la forme de synergies sanitaires et médico-sociales à domicile, en associant HAD et SSIAD par exemple, ou dans une logique de plate-forme transversale domicile-établissement (IME ou ITEP et SESSAD, MAS ou FAM et SAMSAH)

¹² MVZ (*Medizinische Versorgung Zentren*), structures composées de professionnels de santé de ville (salariés et non-salariés) et d'un plateau technique de premier recours (IRM, Scanner, échographe...), cf. sur le site le document de la séance du 28 mai 2015 : « Perspective organisationnelle et technologies de l'hôpital ».

Les possibilités de téléconsultation au domicile (une question déjà prégnante dans les établissements d'hébergement pour personnes âgées dépendantes -EHPAD-) seront à envisager à l'horizon considéré ; dans quel cadre organisationnel les situer ?

Le tableau qui suit résume la tension entre deux visions archétypiques de la coordination ou de l'intégration de prises en charge en ville ou mixtes à la croisée desquelles se situeront sans doute les formes d'organisation de ces prises en charge demain.

Prise en charge de ville : modèle de la firme (intégré) ou réseau	
Firme	Réseau
Engouement générationnel pour le modèle collectif intégré	Inadaptation territoriale du modèle intégré (dans des contextes variés) / plasticité et capacité de projection du modèle en réseau
Incapacité à gérer les coûts de transaction d'un modèle disséminé dans un contexte de montée des interdépendances	Constitution de systèmes d'information et de télésanté performants
Visibilité du modèle intégré comme gage de prise en compte des problèmes (par les élus et les régulateurs)	Recherche d'efficience qui suppose de comparer l'organisation en réseau et l'organisation intégrée
Capacité de diffusion du modèle intégré (en interprofessionnel, en mêlant généralistes et spécialistes...)	Insatisfaction par rapport à la demande sociale du modèle intégré : liberté de choix, compérage...

2. La question ouverte de l'intégration des offres de soins

Si les tendances évoquées plus haut se confirment, avec une structuration des soins de ville et l'ouverture sur la ville des services hospitaliers, la question des modalités et des degrés d'intégration, surmontant le cloisonnement actuel entre prises en charge de ville et prises en charge dans les établissements deviendra un enjeu central.

La perspective d'un « *virage ambulatoire* », esquissée dès le milieu des années 1980, est aujourd'hui devenue un axe structurant de la transformation de notre système de santé.

Une des difficultés à laquelle se heurtera ce mouvement à un horizon de moyen terme est le passage de prises en charge globales, mais centrées sur des épisodes de soins, aujourd'hui assurées dans le cadre des établissements de santé, à des prises en charge au long cours assurées par une multiplicité d'acteurs dans le cadre des soins de ville, et avec des niveaux de prise en charge des patients par les assurances de base et complémentaires qui peuvent être plus faibles.

Jusqu'à aujourd'hui, l'intégrateur principal est l'établissement (l'hôpital et parfois sa projection sur l'interface ville-hôpital à travers des réseaux thématiques et la clinique, intégratrice par la mise en commun de moyens humains et techniques).

L'intégration des offres de soins
L'intégration des activités et des prises en charge dans le secteur de la santé est, en premier lieu, le fruit des ajustements entre professionnels déterminés par la standardisation des qualifications acquises au cours de la formation initiale qui intègrent les connaissances nécessaires à la coordination en situation de travail sans que celles-ci soient décrites dans des procédures de travail ou définies par des objectifs de résultats. On reviendra sur cette dimension dans le chapitre 6. A cette dimension, s'ajoutent une dimension organisationnelle et une dimension financière : - une dimension organisationnelle qui renvoie à la façon dont les différents besoins d'un patient sont pris en charge par les acteurs. Dans ce cadre le degré d'intégration peut aller de la simple intégration technique, s'appuyant sur le partage d'outils de travail facilitant la collaboration et l'information partagée (référentiels, formation, outils de communication, etc.), à la coordination ponctuelle des interventions par les acteurs eux-

mêmes ou par un acteur spécialisé, ou encore à des prises en charge conçues et organisées dans le cadre de filières concernant une ou plusieurs pathologies (par exemple filière ophtalmologique ; filière MCO-SSR-EHPAD-SSIAD (gérontologique) ou concernant une population (plate-forme diversifiée pour enfants et adolescents en situation de handicap) ;

- une dimension financière qui renvoie à la façon dont les offreurs de soins ou de services voient leurs activités rémunérées : quel est le périmètre de la prestation qui doit faire l'objet d'une rémunération ? Comment faire s'il concerne plusieurs acteurs ?

Ces deux dimensions sont étroitement liées et influencent grandement le type de structures et d'organisation qui émergeront demain.

Demain, il sera vraisemblablement nécessaire de concevoir des formes d'intégration fonctionnelles, dépassant le niveau de la simple coordination ponctuelle autour d'un malade, et permettant la prise en charge de groupes de patients ou de populations sur un territoire au titre de la prévention, du suivi et du traitement de pathologies identifiées, ou des problématiques de dépendance.

De multiples formules sont concevables. Des formes d'articulation particulières pour certaines pathologies ou les soins à domicile en témoignent.

Des formes plus récentes d'intégration se développent sur certains segments (l'hospitalisation à domicile, les SPASAD ou encore les organisations qui proposent des bouquets de services sur certains territoires rassemblant HAD, SAD, EHPAD au sein d'un organisme unique), les Maisons et pôles de santé pluri-professionnels.

Cette question de l'intégration gagnerait à devenir un objet d'étude et de discussion, au-delà même des travaux entourant la mise en place des Groupements hospitaliers de territoire, les regroupements de structures privées non lucratives ou privées de statut commercial, le déploiement des Maisons et pôles de santé pluri-professionnels, les centres de santé.

Elle comporte des dimensions organisationnelles, techniques et économiques qui devraient être étudiées concomitamment aux travaux visant à faire évoluer les tarifications. Des questions afférentes aux modèles économiques permettant d'assurer la viabilité des différents intervenants et le développement des infrastructures nécessaires doivent être instruites. Il est illusoire de penser que la mise en œuvre de tarifs forfaitaires ou intégrés (tels les paiements à l'épisode évoqués plus loin) suffise à susciter par elle-même l'émergence d'une offre structurée ou de consortiums permettant de répondre aux besoins de nouveaux types de prise en charge.

Si l'on considère les exemples étrangers, trois modèles archétypiques peuvent être identifiés¹³ :

- le modèle du NHS au Royaume Uni dans lequel la responsabilité de l'organisation des soins sur le territoire est confiée à la communauté des médecins généralistes qui gèrent les nouveaux *Clinician Commissioning Groups* chargés « d'acheter » les soins spécialisés aux établissements hospitaliers ;
- le modèle de certaines corporations hospitalières qui, aux Etats-Unis, ont créé des systèmes locaux de santé au sens d'une seule organisation de services de premier recours, de second recours et d'hospitalisation ;
- le modèle, toujours aux Etats-Unis, de systèmes intégrés créés par des assureurs comme les Vétérans ou *Kaiser permanente*.

D'autres modèles sont probablement envisageables et il est difficile de déterminer quelles seront les formes d'intégration les plus pertinentes à l'avenir dans le cadre du système français.

La question reste donc ouverte : dans le prolongement des réformes récentes du système de santé en France, quelles formes d'intégration construire à l'horizon de quinze ans au-delà du

¹³ Cf. sur le site le document de la séance du 22 octobre 2015 : « L'organisation de parcours de soins : l'apport des expériences étrangères pour passer du concept aux actions », contribution de David Bernstein.

développement des Maisons et pôles de santé, de la mise en place des Groupements hospitaliers de territoire et des Communautés professionnelles de territoire ?

3. Pour aller plus loin : les conditions de la transformation des organisations

A l'instar d'une technologie, une organisation nouvelle et semblant pertinente ne parvient pas systématiquement à s'imposer. En effet, les innovations peinent parfois à émerger dans certains segments parce que leurs effets positifs ne sont susceptibles de se révéler pleinement qu'à condition que le reste du système se transforme, conduisant à des évaluations qui peuvent paraître décevantes. D'autres, en revanche, peuvent réussir sans pour autant être positives du point de vue de l'évolution d'ensemble que l'on pourrait souhaiter. Cela vaut particulièrement pour celles qui s'imposent sous l'impulsion d'une partie des acteurs et qui peuvent aboutir soit à des solutions partielles qui ne sont pas optimales, soit à une accentuation de cloisonnements en définitive bloquants, soit encore à une orientation des moyens contestable.

L'échec de la mise en place des réseaux pourtant encouragés par les pouvoirs publics pendant de nombreuses années en est l'illustration. Pour mieux organiser et intégrer des prises en charge hospitalières et ambulatoires, sanitaires et sociales, préventives et curatives centrées sur le malade, des dispositifs de coopération dénommés « *réseaux* » ont vu le jour. Expérimentations portées par quelques professionnels, dispositifs dérogatoires encouragés par les pouvoirs publics, certains caressaient même l'idée d'être des formes de HMO (*Health Maintenance Organization*) à la française, susceptibles de contractualiser avec les organismes financeurs. Le terme de réseau a ainsi correspondu à des réalités extrêmement diverses : réseau de santé communautaire (Lubersac santé qui regroupait professionnels de ville, patients et collectivités locales), centre de santé communautaire (Saint-Nazaire), réseaux gérontologiques initiés par la Mutualité sociale agricole, réseaux ville-hôpital, réseaux thématiques (addictologie, diabète, cancer, soins palliatifs, etc.). Aujourd'hui les réseaux les plus nombreux sont des réseaux d'origine hospitalière, financés par le Fonds d'Intervention Régional des ARS. Leur cloisonnement disciplinaire excessif a conduit la DGOS (Direction générale de l'offre de soins) dans une circulaire de 2012 à prévoir leur évolution vers une forme transversale et des missions centrées sur un rôle de coordination.

Dans tous les cas, les réseaux, malgré leur intérêt et l'indéniable utilité d'un certain nombre d'entre eux, n'ont jamais dépassé le stade de prototypes ou de dispositifs dérogatoires, faute d'une doctrine partagée par les professionnels de santé, les différentes administrations et l'assurance maladie sur les services attendus et les perspectives de généralisation.

La prospective sur les organisations doit donc se préoccuper des conditions nécessaires pour que les évolutions ou tendances envisagées se concrétisent dans la durée et portent les effets attendus. Se tourner vers le passé, ou vers les expériences étrangères, permet de guider l'action présente et de cerner les conditions qu'il conviendra de remplir pour que les innovations organisationnelles considérées comme souhaitables se concrétisent sur l'ensemble du territoire.

Dans cette approche, dès lors que les objectifs sont clairement définis, les organisations qui s'imposent sont celles qui :

- sont portées par une large communauté de professionnels ;
- sont accompagnées par des logiques économiques ou techniques fortes ;
- font l'objet d'une vision partagée des tutelles et des financeurs et sont soutenues dans la durée, hors d'un cadre expérimental ou dérogatoire ;
- donnent lieu à la mise en place de tous les outils nécessaires, juridiques, financiers, techniques y compris le développement de systèmes d'information adaptés ;

- font l'objet d'évaluations multidimensionnelles ;
- inscrivent dans une vision systémique l'identification stable et partagée de la position des différents professionnels et structures et leurs rôles respectifs, vision qui doit aussi trouver sa traduction dans les formations.

Enfin, toute réforme ou toute innovation organisationnelle doit tenir compte de la réalité du système d'acteurs en présence autant que du potentiel des technologies, si elle entend prospérer. Ainsi :

- la demande sociale peut être dispersée, difficile à appréhender ou contradictoire (proximité/sécurité par exemple) ;
- les pouvoirs publics sont eux aussi dispersés horizontalement (Etat/assurance maladie/collectivités locales) et verticalement ;
- les communautés professionnelles porteuses ne sont pas forcément homogènes (quant aux diagnostics ou aux solutions proposées) ;
- les infrastructures existantes et les communautés professionnelles impliquées ont plus ou moins de rigidité, d'inertie, de capacité de faire obstacle ou de se mouvoir.

La prospective sur l'innovation organisationnelle renvoie en définitive à l'analyse des leviers à activer, des réformes à engager, des acteurs à convaincre, des méthodes et institutions à mobiliser pour favoriser un changement cohérent avec les objectifs du système de santé. On voit là que l'innovation organisationnelle doit s'envisager dans une approche systémique.

Cette approche doit inclure les potentialités des innovations technologiques décrites au chapitre 1.

Dans cette démarche, un élément commun, transversal aux technologies nouvelles et aux organisations innovantes évoquées dans les deux premiers chapitres apparaît comme capital et nécessite, compte tenu de son caractère structurant, qu'on s'y intéresse en soi. Il s'agit du potentiel de transformation des technologies numériques. Un grand nombre de progrès technologiques s'appuie dessus et aucune organisation innovante ne pourra faire l'impasse sur cet élément.

Chapitre 3 - Le numérique au service de l'innovation en santé

Le numérique est à juste titre souvent abordé comme un instrument clef au service d'un système de soins efficient ou encore une innovation nécessaire pour améliorer la qualité des soins et leur coordination, devant dès lors constituer l'une des priorités des pouvoirs publics. Cette approche ne souligne pas assez la propriété la plus importante des nouvelles technologies de l'information et de la communication (NTIC) : leur capacité à contribuer radicalement à la transformation du système de soins et de son organisation.

Dans le domaine de la santé, comme dans le reste de l'industrie et des services, le numérique est un élément dont les effets dépendent des caractéristiques de l'organisation ou du système dans lequel il se déploie (objectifs, cadre économique, cadre juridique, valeurs, stratégies des acteurs, etc.) mais qui, dans le même temps, contribue à restructurer, redistribuer ou modifier cette organisation et ses caractéristiques. Penser le numérique sans penser la transformation de l'organisation, tout comme l'inverse, n'a que peu d'intérêt. Cela ne peut mener qu'à des gains limités, alors même que des efforts conséquents seraient engagés.

Il est nécessaire de considérer les NTIC comme l'outil central pour la restructuration du système. C'est d'autant plus le cas que les caractéristiques des NTIC sont assez clairement congruentes avec les objectifs de transformation affichés, notamment l'ambition de prendre en charge en ville et à domicile de plus en plus de patients, en particulier poly-pathologiques ou touchés par des affections impliquant aujourd'hui encore une prise en charge en établissement, avec l'idée que le patient doit être mieux inclus dans le système de soins, ou encore avec la notion de parcours de soins.

Le « décentrage » du système de soins sous l'influence et grâce au numérique peut être envisagé sous trois angles : l'évolution vers un système où l'intégration passe moins par le produit que par les services ou les solutions proposées, le passage à un système centré sur les patients, et l'apparition d'un cadre où la valeur du service reposera encore plus qu'avant sur la création, l'exploitation l'échange et l'accès partagé aux données.

1. D'une logique de produit à une logique de service

Le numérique permet d'imaginer une organisation décloisonnée, plus efficiente, où l'intégration de l'offre de soins ne se fait pas par la production de soins au sein d'une structure mais par la constitution d'offres mixtes, combinées et intégrant ainsi plusieurs types de services : des soins de différentes natures, des prises en charges médico-sociales, voire sociales.

Le numérique peut autoriser une coordination rapide et simple des différents acteurs au sein d'un même niveau de soins et entre les différents niveaux si les conditions de son bon développement sont réunies. Il peut faciliter ainsi la prise en charge coordonnée et pluri-professionnelle des patients tout au long du parcours de soins. Alliés au développement des technologies de suivi et de surveillance à distance, les outils de coordination faciliteront également le maintien à domicile. A terme, certains experts parlent même d'une prise en charge globale de l'individu, la prise en charge de la santé dépassant largement le curatif pour prendre en compte la prévention, le concept de parcours de vie se substituant à celui de parcours de soins¹⁴. Le numérique permet ainsi d'envisager l'apparition d'une nouvelle conception du système de soins à la fois élargi à l'ensemble des problématiques de santé et plus personnalisé.

¹⁴ Voir « Santé numérique, enquête sur une révolution annoncée », E. Minvielle, Le Libellio, vol 11, n°2, Été 2015.

Dans cette hypothèse, le potentiel du numérique dépasse la simple amélioration du système existant. Son développement peut permettre de modifier le système lui-même, le rôle des producteurs de soins, leurs méthodes de production, les effets de concurrence ou de collaboration qui existent entre eux. Il devient théoriquement possible aux offreurs de soins et d'accompagnement social et médico-social de bâtir collectivement des offres de services globales et intégrées dans lesquelles chaque producteur apporte ses compétences et capacités. L'intégration peut se faire non pas au travers de la prise en charge d'un patient par une structure de soins proposant plusieurs services plus ou moins spécialisés ou orientant le patient dans le système de soins, mais au travers de la prise en charge de la santé d'une personne, dans toutes ses dimensions, grâce à une palette de services adaptée, fournie par divers producteurs de soins et services intégrés dans un réseau.

Quelques exemples de technologies numériques utilisées dans le secteur de la santé

- Capteurs intégrés à des objets et communiquant des données sur l'état de santé du patient (poids, glycémie, température, etc.), le fonctionnement d'un dispositif médical (défibrillateurs) ou encore la situation du patient (dispositifs de surveillance) ou le suivi de son traitement (observance), soit au patient lui-même (smartphone), soit à un système d'information (industriels, services médicaux).
- Dispositifs d'échange de données en temps réel entre professionnels de santé et/ou avec le patient (messagerie sécurisée, internet mobile, prescriptions électroniques).
- Dispositifs de stockage et de partage de données (imagerie, annuaires, dossier médical informatisé, examens de biologie, dossier pharmaceutique).
- Applications et logiciels de gestion de l'interface entre patients et professionnels (prise de rendez vous en ligne).
- Logiciels et dispositifs d'optimisation de la gestion des structures de soins (stocks, flux, ressources, planification : sont ici concernés tous les éléments permettant par exemple d'organiser des prises de rendez vous coordonnées au sein d'une structure ou entre structures, la gestion des plannings d'intervention, la gestion des équipements, la gestion des équipes, des matériels, etc.).
- Applications et logiciels d'information pour les patients ou les professionnels de santé (sites internet, applications mobiles de géo-localisation des services de santé, applications donnant des indicateurs d'attente en temps réel aux urgences, logiciels et applications d'orientation des patients).
- Applications et outils de formation des professionnels ou d'éducation thérapeutique des patients (« serious games », outils de simulation).
- Logiciels et dispositifs de soins ou de diagnostic à distance (robots chirurgicaux, cabines de télé santé, etc.).
- Dispositifs et logiciels de collecte, de stockage et d'exploitation de données de santé (PMSI¹⁵, SNIIRAM¹⁶, bases de données cliniques, registres, bases de données génomiques, etc.).

2. Les possibilités d'une approche patient-centrée

Les prises en charge ne seraient plus conçues comme rattachées à une seule offre de soins, le patient passant de structure en structure, tout au long d'un « parcours », mais comme une offre intégrée permettant de répondre aux besoins du patient selon l'évolution de ceux-ci en gravité et en « temporalité ». Par exemple, le suivi d'un diabète pourrait être en soi un service de santé, construit entre un médecin généraliste, un spécialiste de ville, un service hospitalier, un industriel offrant ensemble une solution globale et intégrée. L'alliance s'élargirait à d'autres acteurs en cas d'apparition de nouvelles pathologies.

Le numérique a un autre effet systémique potentiel, qui est en fait un complément du premier : il peut permettre de mettre réellement le patient et ses besoins, dans toutes ses dimensions, au centre du système, de devenir la base de la structuration de l'offre de soins proposée.

¹⁵ PMSI : programme de médicalisation des systèmes d'information.

¹⁶ SNIIRAM : système national d'information inter-régimes de l'Assurance maladie.

L'émergence du numérique est en effet porteuse de progrès dans l'interface matérielle entre les patients, les professionnels et établissements de santé et les organismes payeurs. Qu'il s'agisse des prises de rendez-vous, y compris coordonnées, des échanges d'information, des modalités de paiement et de remboursement, de production de données de santé (objets connectés), d'accès aux soins (télésanté), elle permet le développement de dispositifs modernes, s'appuyant sur les possibilités ouvertes par les applications de l'informatique grand public. Elle est également porteuse d'une profonde transformation de la relation entre patients et soignants grâce à une meilleure information des patients sur les thérapies proposées, leurs résultats attendus et leurs effets secondaires, le développement d'outils d'aide à la décision thérapeutique, et plus largement, d'aide au dialogue entre professionnels de santé et patients, comme cela existe déjà dans les pays anglo-saxons¹⁷. Globalement, pour peu qu'un souci constant soit apporté à la dimension humaine qui doit demeurer au cœur des relations entre les patients et les intervenants du monde de la santé ainsi qu'à l'égalité d'accès au système pour tous, le numérique peut favoriser une plus grande participation des usagers à leur santé. Cette évolution serait cohérente avec une organisation où le patient n'est plus simplement un sujet dont il faut organiser le parcours, mais est intégré à un réseau auquel il participe pleinement.

Le numérique a enfin un impact potentiellement systémique, ou à tout le moins potentiellement déterminant, sur l'état de santé de la population et les progrès thérapeutiques.

Cet impact peut résulter de la meilleure implication des patients évoquée plus haut. Il résultera également de la meilleure information des soignants (accès aux données patients, suivi à distance et en continu de leur situation par exemple) et de l'amélioration des processus de coordination et de coopération. Il dépendra enfin du ou des modèles économiques mis en place pour son développement. Le numérique contribuera ainsi à améliorer la pertinence, la qualité et la sécurité des soins.

3. L'abondance des données et leur exploitation

Mais la transformation qui pourrait modifier à terme la façon de faire de la médecine et de prendre en charge les patients réside dans le passage d'un monde où les données sont rares, coûteuses, parfois peu fiables, difficiles à exploiter à une situation où, du moins potentiellement, ces données de santé seront abondantes, précises, peu coûteuses à constituer et exploitables grâce aux capacités de traitement de l'information des SI modernes.

Là réside donc, au-delà de la construction des outils de communication, l'enjeu des années à venir : la constitution et l'exploitation de bases de données médicales codées et structurées utilisables par les professionnels de santé ou d'autres acteurs.

Sur le plan des usages collectifs, et sous réserve que les conditions techniques et éthiques, dans le respect des droits des patients nécessaires soient remplies, l'analyse des données autorisée par les nouvelles technologies permet d'améliorer les systèmes de surveillance (épidémiologie, matériovigilance, pharmacovigilance) et ainsi d'accroître la réactivité et la pertinence de la réponse apportée par les pouvoirs publics. L'exploitation de ces données permet également de réaliser des travaux de recherche et d'évaluation, se fondant sur les résultats réellement constatés de diverses stratégies thérapeutiques. Sur le plan des usages individuels (du point de vue du patient), elle peut également permettre d'améliorer les décisions thérapeutiques en consolidant, d'une part, les recommandations pour la pratique clinique (RPC) sur la base d'études en « vie réelle », et en procurant, d'autre part, aux praticiens des analyses fondées sur la comparaison entre la situation de leur patient et les effets constatés de telle ou telle décision médicale sur des patients similaires. Le

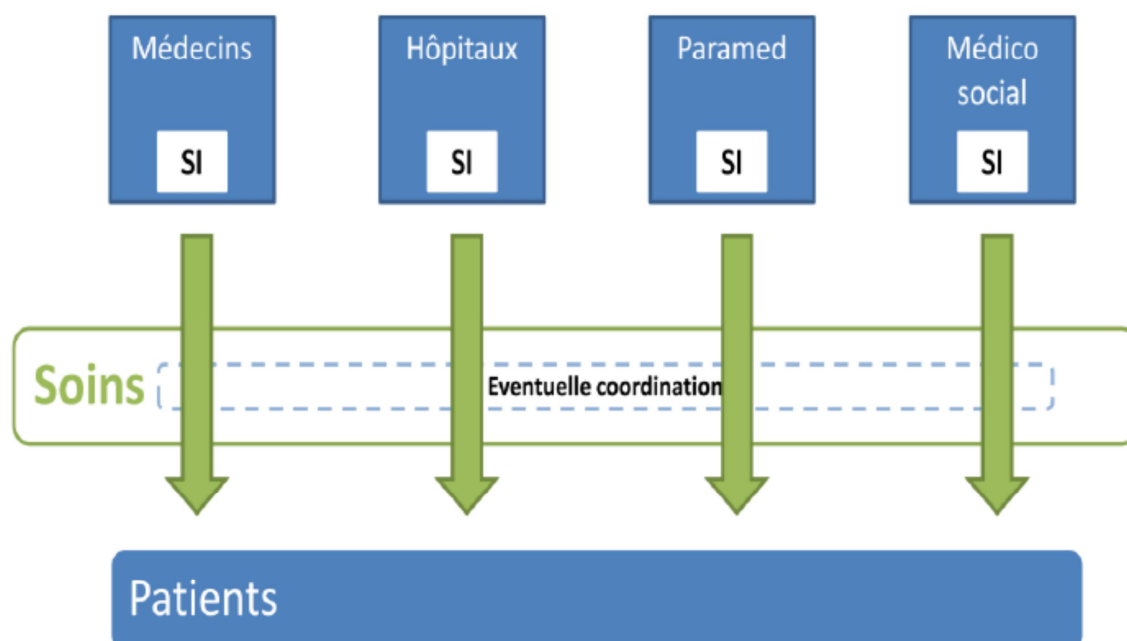
¹⁷ Coulter A., Parsons S. et Askham J. (2008) « Où sont les patients dans la prise de décisions concernant leurs propres soins de santé ? », Observatoire européen des systèmes et des politiques de santé.
www.euro.who.int/data/assets/pdf_file/0006/79215/E93675.pdf.

lien entre usages collectifs et usages individuels constitue en fait une boucle vertueuse. Les bénéfices individuels nécessitent un investissement préalable et collectif dans la recherche tandis que les résultats individuels viennent alimenter les données nécessaires à une recherche plus performante.

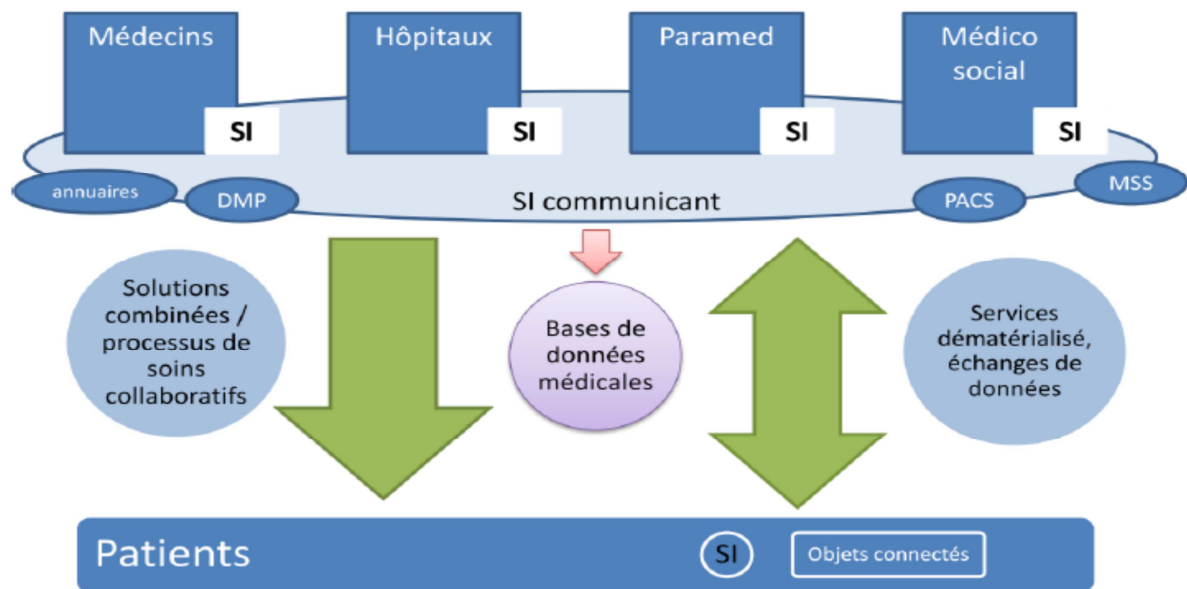
La question des données est également essentielle dans la mesure où elle implique, et pourrait de plus en plus impliquer, des acteurs n'appartenant pas au champ de la santé, à même de proposer de nouveaux services et de compléter, ou concurrencer, l'offre des acteurs installés. Des industriels s'appuyant sur une expertise développée dans d'autres champs (intelligence artificielle, big data), sur la multiplication des données issues d'objets connectés, la possibilité d'accès à des données de santé personnelles librement transmises, d'accès à des données issues de bases publiques ou privées, françaises ou étrangères, travaillent d'ores et déjà sur des propositions de services innovants, notamment en matière de prévention, de suivi, de conseil et d'aide aux professionnels. Ce mouvement, qu'on le considère comme porteur de risques (« l'ubérisation » de la santé) ou d'opportunités (nouveaux services, efficacité, développement économique et compétitivité), ne doit pas être ignoré : si l'exploitation en masse des données de santé pour produire de la science et du progrès médical nécessitera du temps et des investissements, l'exploitation de ces données dans d'autres buts (bien être, accompagnement, confort, sécurité, information) pourrait bien être plus rapide et questionnera le modèle actuel.

En définitive, le développement du numérique peut potentiellement transformer un système essentiellement organisé en silos, où chaque acteur conduit son activité de soins dans son périmètre, en un système où des offres combinées de soins et de services peuvent être produites par les différents offreurs en fonction de la situation et des besoins des patients. Dans cette hypothèse, la production commune de soins a des périmètres variables et souples : diversité de services, d'acteurs impliqués, de technologies mobilisées. Les objectifs poursuivis peuvent être individuels (soigner un patient, améliorer l'efficacité de sa structure) tout en contribuant à des objectifs collectifs (production et exploitation de données, amélioration de la qualité ou de la sécurité du système de soins, accessibilité, etc.). Le patient est intégré à ce système en tant que bénéficiaire des soins et services mais également en tant que producteur d'informations.

Système initial



Système potentiel



Cette représentation d'un nouveau système issu de la transformation du système actuel par le numérique reste schématique et globale. Elle est bien évidemment incertaine, il s'agit simplement d'une potentialité, d'autres évolutions sont possibles. Mais ce type d'organisation (et surtout les technologies qui vont avec) est déjà proposé, à des échelles plus petites, opérationnelles, aux acteurs qui souhaitent repenser leur propre système d'information et leur propre organisation pour être en mesure de participer effectivement à l'invention et la mise en œuvre de nouveaux processus plus collectifs.

C'est à ce type de démarche que correspondent des solutions d'organisation proposées par certains industriels, qui visent à tourner vers l'extérieur l'activité hospitalière pour l'insérer dans un réseau centré sur le patient, en particulier pour la prise en charge des maladies chroniques.

Exemple d'organisation hospitalière pour la gestion de maladies chroniques proposé par Huawei

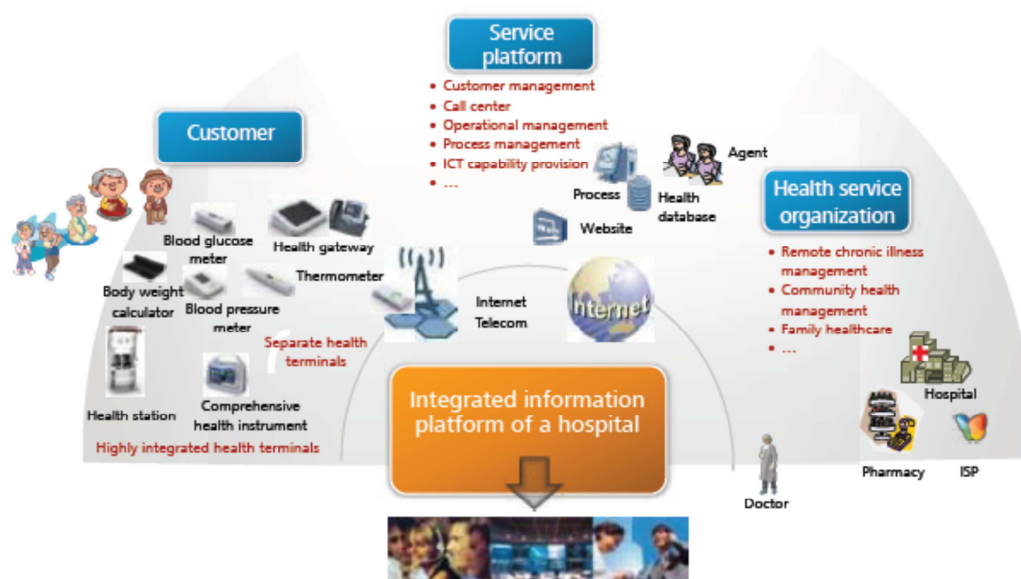


Figure 9-1 Overview of the Huawei Chronic Illness Management Solution

Les exemples de Kaiser Permanente aux Etats-Unis et du système danois montrent également le potentiel d'intégration et de transformation du numérique dans des systèmes et des environnements très différents, mais avec l'objectif de couvrir des populations importantes. Le premier montre comment le numérique peut structurer l'offre en vue de produire des services intégrés dans un contexte où un acteur unique et intégré juridiquement pilote le système, est assureur et producteur de soins ; le second comment le numérique peut contribuer à décloisonner l'offre entre ville et hôpital à l'échelle d'un pays.

Kaiser Permanente, un exemple d'organisation qui se veut « patient centrée » et s'appuyant sur le numérique pour fournir des services intégrés

Kaiser Permanente s'appuie sur une série d'outils numériques dont la base est « HealthConnect », conçu entre 2005 et 2008 à l'initiative d'un groupe de médecins souhaitant disposer d'une plateforme technologique d'échange d'information intégrée. Elle combine les deux axes métier et management de leur activité. Un ensemble d'applications a été développé et est utilisé par les différentes structures : les dossiers médicaux électroniques sont accessibles à l'ensemble des professionnels de santé, le portail patient « MyHealthManager » est accessible sur internet ou sous forme d'application mobile, la gestion des ressources s'appuie sur le logiciel « OneLink », etc.

L'ensemble des assurés de Kaiser Permanente a accès au portail « MyHealthManager », dont on recense 4,4 millions d'utilisateurs (pour 10,2 millions d'assurés), qui permet aux patients d'accéder à différents services. Chaque mois 2,9 millions de résultats d'analyses sont consultés en ligne, 1,2 million d'emails sont envoyés à des professionnels de santé, 1,2 million d'ordonnances médicales sont retranscrites en ligne, 300 000 rendez-vous médicaux sont pris en ligne. Chaque année, Kaiser Permanente réalise 20 millions de téléconsultations. Par ailleurs, les attentes des patients envers l'organisation sont identifiées à partir d'un processus systématique de retours d'expérience des patients, intégré aux processus de conduite du changement.

Kaiser Permanente développe également des projets innovants dans l'utilisation des objets connectés et s'engage dans la constitution et surtout l'exploitation de ses bases de données médicales. Il s'est récemment engagé dans la mise en place de « centres de santé du futur » qui ambitionnent de fournir des services de santé de proximité, y compris des actions de prévention et d'éducation à la santé, à moindre coût grâce à un travail sur l'efficacité de ces sites, tout en étant centré « patient » (qualité de l'accueil, de l'environnement physique, délais d'attente, information, etc). Cette initiative s'inscrit dans une série de plans qui visent à déplacer hors de l'hôpital (en ville et au domicile) le plus de services de soins possibles. Ces plans comprennent notamment la mise en place de petits services d'urgence infirmiers, ou d'actions de prévention (tabac, alcool et obésité).

Pour accompagner cette évolution vers une médecine prenant en charge les patients de façon plus intégrée, plus globale et en même temps plus personnelle (ou communautaire), Kaiser Permanente entend aujourd'hui ouvrir sa propre école de médecine.

Sources : <http://www.fastcoexist.com/3057404/world-changing-ideas/kaiser-permanente-designed-a-health-center-that-puts-patients-first>; share.kaiserpermanente.org ; <http://servicespublics.bearingpoint.com/sante-et-innovation-kaiser-permanente-un-coloisse-du-si-sante-aux-pieds-dargile/>

Un système en réseau : l'exemple du Danemark¹⁸

Depuis une décennie, le Danemark se situe en tête des pays européens en ce qui concerne l'utilisation des services de santé numérique (e-health) dans les hôpitaux¹⁹. En 2014, tous les médecins généralistes libéraux enregistrent les données des patients – de nature administrative et médicale – en format électronique, utilisent la prescription électronique et reçoivent les résultats des laboratoires d'analyse par voie électronique²⁰. Plus de 9 sur 10 procèdent également à des transferts de données de leur patient vers d'autres professionnels de santé, en particulier entre soins primaires et soins secondaires (par exemple, documents de sortie, ordonnances électroniques, remboursements). L'ensemble des structures de soins primaires et de soins secondaires (hôpitaux, pharmacies, municipalités, médecins généralistes et près de 85% des médecins spécialistes) sont

¹⁸ Cf. sur le site le document de la séance du 23 avril 2015 : « Le Danemark, un exemple de stratégie de déploiement des outils de télésanté et de prise en charge globale des personnes âgées ».

¹⁹ Cf. Sabes-Figuera R. (2013) « *European Hospital Survey : Benchmarking Deployment of e-Health Services (2012-2013)* », Commission européenne, JRC scientific and policy reports.

²⁰ D'après l'enquête réalisée au niveau européen : (2014) « *Hospital EHealth Survey* », Country report, Danemark.

ainsi interconnectées et peuvent échanger des informations et des données concernant les patients dans le cadre d'un réseau sécurisé²¹. Par ailleurs, l'échange de données ou d'information via internet avec le patient est aujourd'hui une pratique courante au Danemark : plus de 9 médecins généralistes sur 10 disposent d'une page internet (contre 1 sur 4 en 2002) ce qui permet au patient de prendre rendez-vous pour une consultation, d'avoir accès à un renouvellement de prescription ou plus généralement d'échanger des informations avec son praticien. Le citoyen a également accès au portail sundhed.dk qui est son deuxième point d'entrée dans le système de santé (après son médecin généraliste, et avant les services d'urgences). Ce portail est un service public créé en 2003 conjointement par les régions, le Ministère de la santé et de la prévention et l'association des pharmacies danoises. Il propose deux entrées sécurisées distinctes, l'une pour les professionnels de santé, l'autre pour les patients. Les professionnels de santé peuvent trouver sur ce site un accès aux références médicales actualisées, aux articles scientifiques, aux recommandations de pratiques cliniques, mais également aux temps d'attente dans les hôpitaux, aux prises en charge proposées par les différents établissements, etc. Ils peuvent également avoir accès aux résultats biologiques de leurs patients. Les usagers trouvent sur ce site des informations générales sur la santé et les options thérapeutiques possibles, ainsi qu'un accès à leurs données personnelles de santé, avec un historique de leurs rendez-vous médicaux, de leurs prescriptions, etc. Le citoyen dispose également d'informations sur l'accès concret au système de santé (professionnels de santé, hôpitaux, qualité des soins, coûts des prises en charge, possibilités de prise de rendez-vous en ligne, etc.). Ce site fait référence au Danemark : 88% des Danois le consulteraient au moins une fois dans l'année (sachant que 90% des Danois auraient recours à internet pour chercher des informations en santé et que 95% des Danois ont un accès à internet).

4. Pour aller plus loin

Le contexte français est bien différent de l'organisation américaine ou danoise des soins. Aussi, si les instruments et les outils mis en œuvre sont les mêmes, si les objectifs et les ambitions peuvent être similaires, l'organisation globale d'un système français tirant tous les bénéfices et toutes les conclusions du potentiel de restructuration du numérique ne saurait être identique (cf. chapitre 9).

Néanmoins, à l'instar des pays qui savent en tirer parti, il faut :

- considérer le numérique dans une approche globale, ne se réduisant pas à une simple problématique instrumentale,
- le traiter comme un objet d'abord organisationnel avant d'être technologique,
- être pleinement conscient de la puissance des effets transversaux aux secteurs et aux problématiques du système dont il est porteur.

Comme nous le verrons plus tard, cela suppose de régler :

- les problèmes de gouvernance publique de ce secteur,
- de définir des priorités transversales en fonction des finalités identifiées,
- de tenir compte du rôle central des données,
- de définir et gérer les implications du numérique pour le système des acteurs concernés et notamment le modèle économique de chacun.

²¹ Larsen O., 2010, « Les Technologies de l'Information au Danemark : une culture de responsabilité publique », conférence de l'IASI CUSM. <http://www.forumdinnovationensante.org/fr/article/health-it-in-denmark-a-culture-of-public-responsibility/>

Partie II – D'un système d'innovation à l'autre

L'amélioration de l'état de santé qu'a accompagnée l'augmentation des dépenses de santé depuis plus de 60 ans en France²² n'aurait pas été possible sans une transformation profonde de l'organisation du système de santé dont les bases ont été jetées au cours des années 1960 à 1970.

Les réformes intervenues au cours des années 1960 à 1970, à la suite des travaux du comité interministériel présidé par Robert Debré, sont exemplaires d'une approche systémique, embrassant l'organisation des soins, les conditions de formation et la recherche, pour opérer une révolution du système de santé français au service d'une modernisation qui devrait favoriser le progrès et l'innovation.

Il fallait, en effet, pour faire bénéficier la population des avancées de la médecine moderne réorganiser complètement le système de santé français : d'une part, concentrer les moyens techniques, les ressources humaines spécialisées dans des centres de diagnostic et de traitement, d'autre part, donner accès sur l'ensemble du territoire à des médecins bien formés susceptibles de conjuguer les investigations cliniques et la mobilisation d'examen complémentaires.

Cette réorganisation a matérialisé une rupture en installant la médecine scientifique à l'hôpital et plus largement dans l'ensemble du système de santé. Ce faisant, elle a été accompagnée, ce qui est capital, par la mise en place d'un nouveau Système d'Innovation centré sur les Centres Hospitaliers et Universitaires. La forte croissance des investissements dans la recherche, l'intensification des échanges entre le laboratoire et la clinique ainsi que la diffusion des savoirs favorisés par ce système nouveau ont ouvert la voie à des décennies glorieuses où le progrès médical ne s'est pas démenti, en prise avec les transformations des sciences biologiques et l'évolution de la société.

C'est ce modèle qui continue de structurer le système de santé français. C'est par rapport à lui que se pose la question d'une rupture éventuelle ou du moins d'une transformation profonde que justifient non seulement les potentialités ouvertes par les technologies nouvelles, mais aussi la transformation des besoins de santé et celles du contexte économique et social en ce début de 21^{ème} siècle. Il s'agit dès lors, d'identifier les catégories pertinentes permettant de structurer l'action publique dans cette perspective, les invariants à préserver et les ruptures à rendre possibles. Le Système d'Innovation fondé sur des modalités particulières d'articulation entre soins, enseignement et recherche doit être au cœur de la réflexion.

Les systèmes nationaux d'innovation (SNI)²³

L'approche par les Systèmes Nationaux d'Innovation (SNI), proposée par Lundvall (1985), s'intéresse à l'analyse du rôle joué par le contexte institutionnel dans la création des conditions favorables à l'innovation et la maîtrise de la technologie. Elle met en exergue les interactions entre les firmes publiques, privées, universités et institutions (c'est-à-dire les acteurs de l'innovation) qui facilitent la production de la science et de la technologie au sein des frontières nationales (environnement de ces acteurs) [...].

Dans les pays industrialisés, c'est souvent la définition qu'en donne l'OCDE qui est retenue. Elle considère le SNI comme « *un système interactif d'entreprises privées et publiques (grandes ou petites), d'universités et d'organismes gouvernementaux en interaction axés sur la production scientifique et technologique sur un territoire national.* »

L'interaction de ces unités peut être d'ordre technique, commercial, juridique, social et financier, du moment que le but de celle-ci soit de développer, de protéger, de financer ou de réglementer de nouvelles activités de

²² Cf. sur le site le document de la séance du 24 septembre 2015 : « Rétrospective des dépenses, des progrès en matière de santé et du progrès médical ».

²³ Mohieddine Rahmouni, Murat Yildizoglu, « *Motivations et déterminants de l'innovation technologique : un survol des théories modernes* » (2011) HAL Id: halshs-00573686 <https://halshs.archives-ouvertes.fr/halshs-00573686>.

science et de technologie » [...].

[Deux conceptions différentes des systèmes d'innovation sont souvent distinguées] : une conception étroite qui se limite aux domaines de la science, la recherche, la technologie et, dans certains cas, l'éducation (conception utilisée généralement pour les pays industrialisés) ; une conception large qui s'étend à toutes les structures économiques et institutionnelles qui impactent le système de production (conception peut être adaptée au contexte des pays en développement).

Chapitre 4 - Le « moment Debré » : l'innovation au cœur du système de santé

1. Les éléments constitutifs

A. Comblant le retard français : l'adoption du modèle de la médecine scientifique et technicienne

« Au cours des années qui précèdent et qui suivent la Seconde Guerre Mondiale, la victoire est assurée contre l'infection et, la physiologie et la biologie en pénétrant la médecine donnent une puissance diagnostique et thérapeutique jusque-là insoupçonnée » comme a pu l'écrire Robert Debré dans ses mémoires²⁴.

Une quinzaine d'années avant les réformes qui allaient structurer notre système de santé pour longtemps, la comparaison avec l'Allemagne et surtout les Etats-Unis est sans appel : la médecine française marque un retard profond, loin de sa domination clinique de la fin du 19^{ème} siècle.

Dans un rapport présenté en janvier 1944 au Comité Médical de la Résistance, Robert Debré, se faisant l'interprète du réseau des médecins engagés dans la Résistance, dresse un constat sévère sur la situation de la médecine française²⁵.

Le système de santé français se caractérise par un très grand émiettement. Les formes de l'exercice médical sont multiples, opposant la médecine de famille réservée aux ménages les plus aisés à d'autres formes plus collectives et alors moins respectueuses des personnes, médecine hospitalière et médecine sociale, bien souvent communale, médecine d'usine... Les moyens techniques dont disposent les médecins sont extrêmement inégaux et dispersés. L'hôpital qui a continué d'exercer les fonctions de l'hospice est vétuste et l'on ne s'y rend que lorsque l'on ne peut faire autrement.

La qualité de la formation d'un grand nombre de médecins est insuffisante, difficilement dispensée par un corps de professeurs accaparés par de multiples activités. Les diplômes français ne sont pas reconnus, à la différence des diplômes allemands, dans les grandes universités américaines.

L'articulation entre la science et la clinique est difficile. La recherche biologique est alors partagée entre des centres dépendant du secteur de la recherche, de l'Education nationale et des hôpitaux. La recherche la plus prestigieuse se fait dans les grands centres de l'Institut Pasteur, du Collège de France, des facultés des sciences... dans lesquels n'interviennent que peu de médecins et de façon aléatoire.

Reprenant pour une grande part les idées déjà formulées dans le rapport de 1944, la réforme entreprise à la fin des années 1950 entend répondre aux différents maux de la médecine française. Préparée par les travaux d'un comité interministériel présidé par Robert Debré, elle est portée par une génération de jeunes cliniciens qui, pour la plupart, avaient bénéficié de bourses d'études aux Etats-Unis et souhaitaient installer la médecine scientifique à l'hôpital²⁶.

²⁴ Robert Debré, *L'honneur de vivre*, Editions Stock, 1974.

²⁵ Rapport remis par Robert Debré au Comité Médical de la Résistance - Organisation de la profession médicale et de la réforme de la médecine – *in* Médecine, santé publique, population, Editions du médecin français, janvier 1944.

²⁶ Sur cette approche historique, on se reportera utilement à l'ouvrage de Jean-François Picard et Suzy Mouchet, *La métamorphose de la médecine*, INSERM, PUF, 2009.

Cette réforme intervient dans un contexte de modernisation de la société française, à l'aube de la longue période de croissance des Trente Glorieuses. Sortis d'une ère de pénurie, les Français allaient connaître une extraordinaire amélioration de leurs conditions de vie et l'accès à des biens et des services largement diffusés dans toutes les couches de la société. Le choix de faire bénéficier tous les Français de la médecine de famille, jusque-là réservée à peu de ménages, au rebours du choix de la médecine sociale à la même époque au Royaume-Uni, participe de la construction du modèle social d'après-guerre.

Dans le même esprit, la réforme fait le pari de donner un nouvel élan à l'hôpital, jusque-là lieu d'accueil de toutes les misères, en le transformant en un établissement moderne fréquenté par toutes les catégories sociales. Il s'agit de moderniser dans un esprit d'égalité. La Sécurité sociale créée en 1945 fournit les ressources nécessaires pour financer l'accès de tous à une offre dont elle accompagne le développement et la modernisation. Le processus économique bien souvent décrit²⁷ est vertueux. La croissance est tirée par de grandes entreprises nationales qui se développent sur le modèle de la firme, innove et réalisent d'importants gains de productivité favorisant l'investissement et la croissance des salaires. Cette dernière alimente la consommation qui dans une économie encore largement fermée stimule à son tour la croissance économique. Le secteur de la santé s'inscrit dans ce mouvement avec la constitution de grands centres hospitaliers et le développement de l'industrie pharmaceutique.

B. Une réforme globale traitant de la recherche, des soins et de l'enseignement

La constitution de Centres Hospitaliers et Universitaires, où des médecins à temps-plein exercent la triple fonction (recherche, soin, enseignement), joue un rôle central dans l'organisation et le Système d'Innovation mis en place.

La recherche

La mise en place d'une véritable coopération organique entre les facultés de médecine et les hôpitaux doit permettre de surmonter l'antagonisme traditionnel entre les cliniciens et les biologistes. Les activités de recherche occupent cependant initialement une place modeste dans les CHU.

La création de l'INSERM en 1964 favorise le rapprochement entre la recherche médicale et les sciences de la vie qui, sous l'impulsion de la DGRST, privilégient depuis le milieu des années 1950 la démarche réductionniste dans les sciences du vivant. Les grands Instituts de recherche se développent avec le soutien de l'Etat ou de fondations. Dans cette dynamique d'expansion de la recherche, les sciences du vivant jouent un rôle central, portées par un mouvement de convergence entre biochimie, biophysique et physiologie cellulaire. Les évolutions technologiques dans l'instrumentation de la recherche contribuent également à en bouleverser le contenu et les conditions. La médecine en tire d'importants bénéfices avec l'essor de l'immunologie, de la génétique ou encore des neurosciences. Une nouvelle génération de médecins chercheurs voit le jour.

Dans le même temps, les entreprises du secteur des produits de santé (pharmacie et équipements médicaux) bénéficient des progrès de la physique, de la chimie, de la bactériologie et de la physiologie. Ils accroissent leurs moyens de recherche et de développement. L'articulation des deux univers autour des essais cliniques se fait dans le cadre des CHU. La brevetabilité des médicaments introduite à la fin des années 1950 est un élément structurant des enjeux d'appropriation des savoirs et des techniques et de l'articulation entre recherche publique et privée.

²⁷ Robert Boyer « La théorie de la régulation, 1. Les fondamentaux », La Découverte, collection Repères 2004.

Les soins

Les CHU bénéficient d'un effort important et continu d'investissement leur permettant de constituer des infrastructures de blocs et de plateaux techniques modernes. Ils concentrent aussi des moyens humains de plus en plus spécialisés.

La dynamique de l'innovation s'y fait selon le modèle caractéristique des Trente Glorieuses par la constitution d'organisations de grande taille qui en incorporent les effets par la reconfiguration des équipements et des ressources humaines qu'ils mobilisent. La construction des nouveaux hôpitaux évoluant du modèle pavillonnaire inspiré par l'approche hygiéniste de la fin du 19^{ème} siècle au modèle des tours organisées autour des blocs et des plateaux techniques illustre cette évolution. Il en est de même du mouvement de spécialisation qui accompagne les progrès scientifiques et techniques aussi bien dans le champ de la médecine que dans celui de la chirurgie avec l'apparition de nouvelles spécialités et une technicisation croissante des prises en charge. La place occupée par des infirmières de mieux en mieux formées se développe, structurant une division des tâches au sein de laquelle elles assument la coordination de processus d'une complexité croissante, contribuant à leur normalisation et elles s'engagent, pour certaines d'entre elles, dans des activités spécialisées en lien avec les progrès techniques.

Dans ce cadre, les innovations organisationnelles, étroitement liées aux évolutions technologiques et à la recomposition des métiers, sont multiples, permettant des progrès thérapeutiques majeurs. On peut citer la transformation des prises en charge chirurgicales liées aux progrès de l'anesthésie et à la lutte contre les infections ou le développement de techniques d'intervention moins invasives. Les CHU jouent un rôle central dans l'organisation des soins et y ont un fort pouvoir modélisateur. La loi hospitalière de 1970 jette les bases de l'organisation hospitalière qui doit permettre un maillage fin du territoire par différents niveaux d'établissements dont le fonctionnement reproduit assez largement la logique des CHU. La médecine de ville elle-même qui doit, selon les critères de la médecine de famille, constituer le deuxième pilier du système de santé voit l'évolution de son contenu fortement déterminée par la formation dispensée dans le cadre hospitalo-universitaire. Bénéficiant de la réforme des études médicales, les médecins peuvent mettre en œuvre dans leur pratique un enseignement où la clinique toujours valorisée est complétée par des connaissances scientifiques.

La spécialisation hospitalière se prolonge par le développement d'exercices spécialisés en ville fondés sur de nouveaux savoirs et la mobilisation d'équipements de plus en plus complexes. Le diagnostic peut désormais s'appuyer sur des examens complémentaires de plus en plus performants, qu'il s'agisse des examens radiologiques, biologiques ou d'exploration fonctionnelle. Le développement des traitements médicamenteux issus de la synergie entre recherche et industrie est facilité par la mise en place d'un réseau de pharmaciens dont les études ont évolué (par fusion de la pharmacologie hospitalière et officinale) et qui interviennent dans le cadre des hôpitaux et dans le cadre ambulatoire.

L'enseignement

La réforme des études médicales est un élément majeur du dispositif.

La fonction de formation théorique et pratique est confiée, sous l'égide de l'Université, à un corps nouveau de médecins ayant un statut hospitalo-universitaire à temps plein et dont l'activité de soins se déroule dans les CHU. Le niveau de formation intégrant les dimensions clinique et biologique de la médecine est fortement amélioré avec notamment la généralisation de l'externat. Significativement, la première année de formation est confiée aux Facultés des sciences.

Ce positionnement de l'activité de formation des médecins au niveau des CHU contribue à une certaine orientation des études et des filières de formation. Elle accompagne et alimente notamment le processus de spécialisation associé au progrès des connaissances et à la technicisation des prises

en charge. Malgré les intentions initiales, la dimension psychosociale de la santé est peu prise en compte dans le modèle, de même que l'approche de santé publique.

L'exercice des activités paramédicales se professionnalise avec la mise en place de formations spécifiques organisées dans le cadre d'écoles professionnelles, adossées dans un certain nombre de cas aux structures hospitalières.

C. Caractériser le modèle d'organisation et le Système d'Innovation mis en place

Le modèle choisi doit être analysé par rapport aux objectifs poursuivis : la mise en place d'une organisation permettant de rendre accessibles à l'ensemble de la population les possibilités offertes par la médecine moderne et, au-delà, redonner son rang à la médecine française. Le projet de transformation du système concernait aussi les conditions de production des savoirs et du progrès scientifique et technique dans le champ de la médecine, dont la place est centrale au sein des sciences du vivant. Ce projet s'intégrait dans la politique de la recherche alors conduite qui faisait de l'Etat un entrepreneur des sciences²⁸.

Pour identifier ce modèle, il est possible de distinguer les principes qui le caractérisent, l'organisation qui en est la traduction ainsi que les alliances et types de régulation sur lesquels s'appuie sa mise en œuvre.

Tout d'abord au plan des principes

Quelques principes caractérisent le modèle mis en place à la fin des années 1960, en rupture avec le système préexistant.

Premier principe, un principe de **rationalité scientifique et technique**, c'est même un des principaux objectifs affichés de la réforme. Il s'agissait de « *faire entrer la médecine scientifique à l'hôpital* ». Ce choix qui contribue au développement futur de l'« *evidence based medicine* » ou médecine fondée sur les preuves clôt résolument le vieux débat opposant art et science médicale (confondu parfois de manière abusive avec d'autres débats portant sur le traitement des écarts à la norme, sur la place de la clinique ou encore sur la prise en compte de la dimension psychosociale, tous débats qui sont bien sûr toujours d'actualité). Même si cette approche scientifique n'est plus frontalement contestée, elle est encore loin d'avoir gagné la partie comme en témoignent les fortes disparités qui subsistent dans les pratiques médicales au-delà de ce que la diversité des cas individuels permet de justifier et les débats qui entourent le principe d'application de référentiels médicaux.

Deuxième principe, celui d'une **délégation au corps médical** le soin de définir les réponses à apporter aux problèmes de santé, sur le périmètre de leur activité. C'est une délégation qui s'effectue dans le registre de l'expertise et dans celui de la construction d'un champ professionnel. A la différence du médecin du XIX^{ème} siècle, médecin engagé dans les affaires de la Cité dans le cadre des politiques d'hygiène et d'urbanisme ou de la lutte contre la misère et les grands fléaux sociaux, le médecin de la seconde moitié du XX^{ème} siècle devient un spécialiste de la santé vue sous un angle technique. Son rôle s'exerce dans une sphère de délégation particulière. La professionnalisation des autres métiers de la santé, qui se définissent par rapport à l'exercice médical, s'inscrit dans la même perspective.

Troisième principe, un **principe d'égalité**. Le système mis en place est conçu pour donner accès à tous aux mêmes services et aux mêmes soins, qu'il s'agisse de soins hospitaliers modernisés ou de la médecine de famille, jusqu'alors réservée aux plus aisés. L'innovation doit être accessible effectivement à l'ensemble de la population. L'accès aux activités de pointe est assuré dans le cadre des CHU et intégralement solvabilisé par les régimes d'assurance maladie de base. Le développement des traitements médicamenteux et des examens complémentaires qui favorisent une médecine de

²⁸ Sous la direction de Dominique Pestre « Histoire des sciences et des savoirs », collection Sciences Humaines, Seuil, 2015.

masse est facilité par la combinaison des prises en charge des assurances maladie de base et complémentaire.

Ensuite au plan de l'organisation et des institutions

L'organisation mise en place est structurée par le développement de **grandes organisations** (sur le modèle de la firme) qui produisent et intègrent les progrès des sciences et des techniques, les CHU. Elles sont le lieu de concentration des moyens spécialisés et de développement des grandes infrastructures techniques. En leur sein s'opère une division du travail selon un modèle hiérarchique qui favorise les gains d'efficacité. Le modèle est un modèle professionnel fondé sur une forte hiérarchie médicale. Ces organisations sont à l'origine de la création de valeur que matérialise la part croissante prise dans le système par la rémunération des activités techniques et spécialisées, ainsi que les dépenses de produits de santé et d'examen largement diffusés.

Les entreprises du secteur des produits de santé se développent sur le même modèle dans lequel les différentes fonctions allant de la recherche à la commercialisation sont fortement intégrées. La plus value y résulte également d'une concentration de moyens favorable à l'industrialisation des processus de production et de conditionnement des produits et au développement d'activités de R&D que sanctionne l'obtention de brevets.

Le secteur de la recherche connaît la même évolution avec la montée en charge de grands organismes favorisant la constitution d'équipes de masse critique suffisante, dotées de moyens importants et susceptibles de s'inscrire dans des démarches pluridisciplinaires.

Le système est **hospitalo-centré**, avec un partage d'activités réservant les pathologies lourdes aux établissements de santé fonctionnant sur le modèle de la grande organisation et les soins courants aux professionnels de ville exerçant dans le cadre d'un exercice libéral individuel. Peu d'interactions existent entre les différents secteurs d'activité. Dans un contexte où dominent les pathologies aiguës les besoins de coordination restent limités. Cependant, la cohésion du système est assurée de façon organique par la diffusion dans l'ensemble du système d'un savoir médical commun et de normes professionnelles et techniques largement déterminées dans le cadre hospitalier, ainsi que par le déploiement des produits de santé et des technologies médicales.

La consommation médicale est une **consommation de masse** dans laquelle la standardisation des prises en charge opérée par le développement des traitements médicamenteux et des explorations complémentaires joue un rôle central. La spécialisation associée au développement de la médecine d'organe ou de fonction y contribue également. Le contact des patients avec le système se fait de façon ponctuelle, pour des séquences de soins brèves. La prise en charge des dépenses de soins par les assurances de base et complémentaire favorise le développement de cette consommation.

La relation entre les patients et le système de soins, que ce soit en ville ou même dans les établissements de santé, reste néanmoins une **relation individuelle** fortement structurée par le principe du **colloque singulier** entre le patient et son médecin. La notion d'équipe des soins est absente en ville. Si elle a une forte consistance dans les établissements, il n'empêche que le modèle de la prise en charge **individualisée** y reste structurant.

Dans le système, **le CHU joue un rôle central à l'intersection de la sphère** de la production et **de la distribution des soins** (le système de santé articulant les hôpitaux et la ville) et **de la sphère de la production des progrès scientifiques et techniques** (s'appuyant sur l'articulation des grands établissements de recherche avec les équipes universitaires et la recherche et développement conduite dans le cadre de l'industrie).

L'innovation produite dans le système résulte de cette synergie, mais aussi des initiatives décentralisées que favorise le caractère pluriel de l'offre existante (établissements de santé publics, privés non lucratifs, cliniques chirurgicales, professionnels libéraux).

Enfin, au plan des alliances qui le fondent et des mécanismes de régulation

Le modèle est fondé sur une alliance centrale de l'Etat avec les grandes organisations qui portent le Système d'Innovation mis en place, grands établissements de recherche, CHU et Industrie des biens de santé qui fonctionnent en synergie dans un cadre essentiellement national.

Les interactions entre ces acteurs nourrissent la dynamique de l'innovation. De manière corrélative, l'alliance nouée autour de l'assurance maladie entre les partenaires sociaux, les représentants des professionnels de santé libéraux et l'Etat, fondée sur le souhait partagé de voir améliorer la prise en charge des problèmes de santé et se développer l'offre de soins, permet le financement des dépenses.

La représentation des usagers ou des patients est médiatisée par l'Etat, les partenaires sociaux, voire les professionnels de santé qui se font les interprètes de leurs besoins.

Le secteur de la santé est un secteur où se croisent régulations étatiques et régulations de marché, puisque l'offre de soins se partage entre offre publique et offre privée. Cependant c'est la régulation étatique qui prédomine, que ce soit dans le cadre de la politique de la santé, de la politique de la recherche ou de la politique industrielle et s'effectue essentiellement sur le mode de la planification et de la gestion publique directe, mode particulièrement adapté à une période de constitution d'une offre nouvelle.

Approche systémique		
On a besoin d'un cadre global pour penser les caractéristiques propres à chaque époque (appelons-le « mode de régulation »), les composantes de ce cadre (appelons-les « formes institutionnelles »), sa déformation (à travers des chocs exogènes ou endogènes, à la faveur de crises et de réformes...), les perspectives d'évolution (du mode de régulation d'ensemble et de chacune des formes institutionnelles). La démarche prescrite par l' <i>Ecole de la régulation</i> peut ici être très riche. Il s'agit en effet d'identifier les formes institutionnelles, d'en expliciter la logique, d'en tester le champ de validité, d'analyser la cohérence d'un mode de régulation, de diagnostiquer les sources de crises structurelles et d'analyser enfin les processus de sortie de crise. Cette analyse permet aussi d'organiser la comparaison internationale de façon un peu systématique.		
Le « moment Debré » ou l'époque de la constitution (1960-1990)		
Ouverture internationale	Relations entre les professions	Financement / gouvernance Formes de tarification
Circulation limitée des professionnels Faible division internationale des processus productifs (DIPP) pour ce qui est des produits Existence d'une industrie nationale s'agissant des équipements Faible circulation des patients	Séparation médical/paramédical Prescription Division du travail accélérée Hiérarchie / stabilité	Cotisations / Gouvernance duale Acte / budget global Tarification administrée accompagnant le processus de constitution de l'offre nouvelle
Organisation territoriale	Relations avec les usagers	Formes de la production
Hiérarchisée mais disséminée Multi-échelons tutélaires Rôles disparates des collectivités locales	Principe d'autorité médicale	Actes / séjours Duale : ville/hôpital, généraliste/spécialiste, médicaux / paramédicaux
Formes de la concurrence	Rapport à la connaissance	Place du numérique
Limitées, corporatistes	Primat des CHU et de l'Inserm Prégnance très forte sur les hiérarchies professionnelles Ouverture internationale limitée	Forme institutionnelle en émergence Des succès, des « éléphants blancs » et des échecs complets

« Les Trente Glorieuses, que certains ont pu qualifier de décennies glorieuses de la recherche biomédicale, se sont ainsi caractérisées par une forte croissance des investissements dans la recherche nourrie par l'Etat, l'industrie et des fondations. Elles ont renforcé la dimension instrumentale des procédures et des interventions, faisant du séjour à l'hôpital la voie d'accès aux technologies médicales de pointe. En prise sur les transformations des sciences biologiques, les nouveaux savoirs ont délocalisé la lésion au niveau de la cellule ou de la molécule. Cette période se caractérise par une circulation intense entre le laboratoire et la clinique, les progrès des traitements contribuant à redéfinir les contours du pathologique²⁹ ».

2. La consolidation et l'épuisement du modèle

A. La consolidation

Jusqu'à la fin des années 1980, les évolutions du système de santé et de la recherche ont tendu au déploiement et à la consolidation du modèle décrit ci-dessus.

Le système mis en place à la fin des années 1950 n'était pas parfait.

Son orientation vers les soins appelait des compléments dans le champ de la santé publique et de la médecine populationnelle et sociale. Les progrès de l'approche épidémiologique développée notamment dans le cadre de l'INSERM et ceux de la démarche de santé publique inspirée des exemples étrangers trouvent leur traduction dans un développement de la discipline assez tardif en France qui, de même que les actions de promotion de la santé et de prévention développées dans leur forme organisée et collective, sont plus juxtaposées que véritablement articulées avec l'activité courante du système de soins.

Le rapprochement des biologistes et des cliniciens n'était pas chose facile, comme en témoigne la faiblesse initiale de la recherche au sein des CHU et l'initiation des nouveaux développements des sciences du vivant dans les centres de recherche de l'INSERM, du CNRS, de l'Institut Pasteur... Dès les années 1970, cependant, de premiers essais cliniques randomisés sont réalisés en cancérologie. La démarche ne se développe pas immédiatement et il faut attendre l'épidémie de SIDA pour la voir s'imposer sous l'égide de l'Agence nationale de la recherche sur le SIDA, dans des conditions assez sensiblement déterminées par l'intervention active des associations de malades. Cette époque marque un tournant, avec le développement de la recherche clinique dans un cadre hospitalier, encouragée par des financements attribués au titre de Plans hospitaliers pour la recherche clinique (PHRC), dont le premier date du début des années 1990.

Le nombre d'unités mixtes de recherche s'accroît de façon très importante. 85% des unités de recherche de l'INSERM sont aujourd'hui implantées dans des CHU ou des CLCC, participant souvent aux centres d'investigation clinique.

Cependant, l'interruption de la longue période de croissance économique par le second choc pétrolier, rompt le cercle vertueux qui permettait le financement sans douleur d'un système de protection sociale et de santé en constante expansion.

Le système est ébranlé par le scandale du sang contaminé puis de l'hormone de croissance.

A partir de cette époque, diverses réformes interviennent qui marquent de sensibles évolutions du système sans en modifier la logique centrale.

Elles s'articulent autour des deux problématiques qui structurent alors l'action publique dans le champ de la santé :

²⁹ Jean-Paul Gaudillère, *La médecine et les sciences - XIX^{ème}-XX^{ème} siècles*, Col. Repères, La Découverte, 2006.

- une première problématique est celle de la régulation économique et médicale d'un système arrivé à maturité. La régulation est désormais formulée sous l'angle de la maîtrise des dépenses et de l'efficacité. La « maîtrise médicalisée » exprime l'effort de synthèse entre l'approche financière et l'approche médicale. Elle produit de nouveaux dispositifs et outils qui connaissent un succès variable, des références médicales opposables en passant par les objectifs de dépenses fixés dans le cadre des lois de financement de la Sécurité sociale ou la tarification à l'activité ;
- une seconde problématique est celle de la sécurité sanitaire qui conduit à la création d'Agences destinées à assurer la régulation technique du système du point de vue de la sécurité et de la gestion des crises, dans un contexte profondément bouleversé par l'évolution de l'appréhension des risques et du principe de précaution.

Approche systémique (bis) Le temps de la consolidation		
Ouverture internationale	Relations entre les professions	Financement/ gouvernance Formes de tarification
Ouverture tous azimuts : - professionnels - patients - fabrication : DIPP³⁰ croissante - équipements - recherche	Poursuite de la division du travail accélérée et tentative de constituer un continuum Tension entre spécialisation et approche globale Hiérarchie et coordination Prescription et délégation Aspiration à la mobilité Féminisation du corps médical	Cotisations / impôts Gouvernance duale Acte / forfait / performance T2A et convergence partielle
Organisation territoriale	Relations avec les usagers	Formes de la production
Restructurations hospitalières, formes de déprise, concurrence sur les parts de marché Régionalisation tutélaire Pas de rôle assigné de façon claire aux collectivités locales	Affirmation des droits des malades Diffusion massive de l'information	Actes / séjours / prestations en continu Incertitudes identitaires
Formes de la concurrence	Rapport à la connaissance	Place du numérique
Installation par l'Etat d'une concurrence par comparaison public/privé (T2A) et en même temps de coopération Gains de parts de marché par le privé lucratif ou par le secteur public selon les segments Ouverture globale à la concurrence s'agissant des produits et des équipements Préservation d'une organisation corporatiste sur de nombreux segments	Globalisation de la connaissance et insertion internationale des équipes de recherche Hiérarchisation interne des équipes de recherche (selon l'insertion internationale et les performances mesurées) En même temps, dissémination en ville et « profane »	Forme institutionnelle devenue de plus en plus structurante : système d'information, objets connectés, investigation et monitoring, big data et évaluation Approche encore segmentée

Ces diverses réformes ne remettent pas en cause le cloisonnement du système et la gradation organisée entre secteur hospitalier et secteur de ville. L'évolution du secteur hospitalier est essentiellement tirée par une tendance à la concentration de moyens dans des établissements de grande taille posant les problèmes classiques d'efficacité propres aux grandes organisations. Dans le

³⁰ DIPP : division internationale des processus productifs.

secteur de ville, l'attention se focalise sur la régulation des prescriptions et des actes techniques et sur les moyens de corriger les effets de déstabilisation de la ligne de premier recours (résultant de la montée en charge de la spécialisation) en repensant le rôle et la place du médecin généraliste.

L'engagement de l'Etat est réaffirmé au début des années 1980 dans le champ de la recherche avec l'expression d'une stratégie qui s'inscrit dans le prolongement des grandes politiques publiques antérieures.

B. L'épuisement du modèle

Le modèle, malgré les efforts d'adaptation entrepris, connaît un désajustement de plus en plus flagrant nourrissant la mise en doute de sa capacité à répondre aux besoins et aux aspirations de la société contemporaine.

Mais, en même temps, son caractère autoentretenu rend extrêmement difficile toute évolution radicale. Sa force d'intégration explique la difficile appropriation d'innovations technologiques ou organisationnelles qui le déstabiliseraient, conduisant à leur échec ou à leur réinterprétation dans le cadre existant.

L'action publique se pose, en outre, dans des termes totalement différents dans un contexte d'internationalisation de la recherche et de mondialisation de l'économie.

La mise en cause des principes qui caractérisent le modèle

L'approche scientifique de la médecine. Le caractère scientifique de la médecine constitue un acquis de même que le recours massif à la recherche expérimentale pour identifier les cibles de l'intervention médicale et mettre au point les nouvelles techniques. Alors même qu'elle n'a jamais autant qu'aujourd'hui remporté de succès tangibles qui se mesurent en vies sauvées et en années gagnées, cette approche est cependant paradoxalement confrontée à une crise de confiance qui touche plus largement les fondements rationnels de nos sociétés. Les difficultés rencontrées aujourd'hui par la mise œuvre de la politique vaccinale en attestent, de même que le développement de pratiques aux marges de la médecine sans parler des médecines parallèles. Elles illustrent les tensions qui existent entre une tendance à la médicalisation croissante des problèmes et l'existence permanente d'une contestation des savoirs médicaux établis.

La délégation de pouvoir et d'expertise au médecin qui a d'ailleurs pour corollaire la stricte coïncidence du périmètre de la santé avec l'activité des professionnels de santé. Cette construction est aujourd'hui mise en cause par une intervention de plus en plus forte des régulateurs publics qu'il s'agisse de l'Etat ou de l'Assurance maladie par l'édition de recommandations de bonnes pratiques, de référentiels et d'indicateurs visant à encadrer les différentes dimensions de l'exercice médical que ce soit de façon unilatérale ou dans un cadre contractuel.

Dans le même temps, l'aspiration à la liberté individuelle et à l'autonomie bouleverse la relation entre patients et médecins. Le patient mieux informé souhaite désormais participer aux choix qui le concernent. La chronicisation des pathologies constitue d'ailleurs une nouvelle donne faisant d'une partie de la population plus qu'un usager ponctuel du système, dénué de savoir propre et d'expérience vis-à-vis de la maladie.

Les questions éthiques que peuvent poser les problématiques de plus en plus présentes telles que celles de la transplantation ou des décisions à prendre face à des situations formulées en termes de risque constituent également un élément de déstabilisation d'une relation entre soignants et soignés qui ne peut se réduire au paternalisme ancien pas plus qu'à une délégation technique à des professionnels qui seraient en charge du « psychologique ».

Au-delà, la définition de la santé correspondant à l'absence de maladie ou à la gestion des maladies par un système de plus en plus performant se trouve concurrencée par une vision véhiculée par une représentation hédoniste qui tend à voir la santé comme un capital que l'on fait prospérer et qui se

mesure par la performance du corps et la surveillance large des risques. Un fossé se constitue ainsi entre des attentes multiples, allant du soin à la quête de l'immortalité en passant par une idée de la bonne santé alimentée par des offres en grande partie extérieures au monde de la santé mais en forte expansion.

L'égalité. Alors même que les couvertures maladie de base et complémentaire sont devenues universelles, la question des inégalités sociales de santé demeure paradoxalement une question centrale à laquelle notre système ne parvient à apporter de réponse satisfaisante ni dans le champ des soins, ni dans celui de la prévention. La dimension des inégalités territoriales est devenue une dimension structurante du débat sur la santé. La place logiquement prise dans les remboursements par les dépenses relatives aux pathologies chroniques est source d'interrogations exprimées par certains, sur une possible réinterprétation des principes de redistribution mis en œuvre par l'assurance maladie. Une interrogation se fait jour sur sa capacité à continuer d'assurer l'accès de tous à l'innovation.

La mise en cause de l'organisation et des institutions

L'organisation mise en place dans les années 1960 et 1970 était très adaptée pour le traitement des pathologies infectieuses et des interventions chirurgicales au cours de séquences de soins courtes pour lesquelles il n'était nul besoin de fortes coordinations entre acteurs du système. Elle a permis avec succès le déploiement de moyens diagnostiques et thérapeutiques qui ont favorisé la prise en charge à grande échelle des facteurs de risque et le traitement de pathologies jusque-là fatales, générant une chronicisation de celles-ci pour un grand nombre de patients. Une part croissante de la population relève ainsi désormais de traitements permanents cependant qu'à la faveur du vieillissement, les situations de pluri pathologie deviennent courantes.

Le recours ponctuel au système pour des séquences courtes partiellement inopérant

Face à ce que l'on qualifie parfois d'épidémie de maladies chroniques, l'organisation actuelle s'avère inadaptée pour mettre en place les prises en charge nécessaires, caractérisées par une articulation étroite de l'intervention de différents professionnels et structures dans le cadre de processus ou de parcours fortement intégrés, privilégiant l'ambulatoire voire le domicile plutôt que l'hospitalisation, et impliquant les acteurs des champs médicosocial et social pour ce qui concerne les personnes âgées en perte d'autonomie. La dimension psychologique et sociale ne peut plus être ignorée tant elle conditionne l'inclusion des patients dans les bons processus de prise en charge et l'observance des traitements. Le besoin de prise en compte de la personne dans sa globalité et dans son environnement, pierre d'achoppement d'une médecine dont la spécialisation technique n'a cessé de se renforcer se traduit dans l'effort de redéfinition de la ligne de premier recours.

Malgré son orientation curative, le système de soins a joué avec succès un important rôle en matière de prévention que ce soit par la vaccination, par la surveillance de constantes biologiques (mesure de la pression artérielle, suivi du taux de cholestérol...) associée à des traitements régulant les facteurs de risques pathologiques ou encore par le développement des dépistages que favorisent les progrès de la biologie et de l'imagerie. Ces succès sont cependant contrebalancés par une orientation biaisée des actions (mauvais ciblage de certains dépistages, difficulté à toucher certains publics, forte médicalisation des problèmes) que le développement complémentaire d'actions collectives de prévention et de santé publique ne suffit pas à corriger.

Il résulte de cette situation une tension paradoxale entre la nécessité de faire évoluer une médecine susceptible d'apporter avec efficacité des réponses satisfaisantes pour un grand nombre de situations courantes et d'épisodes de soins aigus et le besoin de mettre en œuvre un autre type de prises en charge qui suppose le développement de nouveaux savoirs³¹, une reconfiguration des

³¹ Référentiels de prise en charge de situations de poly-pathologie, analyse de l'effet des traitements dans les conditions de la vie courante, conditions de prise en compte de facteurs de fragilité des personnes, etc.

métiers et organisations professionnelles, ainsi que la mobilisation de nouveaux moyens techniques³².

La concentration de moyens dans des organisations toujours plus grandes source d'inefficience

La tendance à la concentration de moyens humains spécialisés et d'équipements lourds dans de grands centres hospitaliers caractérise le système mis en place, même si le mouvement a été tempéré par des préoccupations d'aménagement du territoire et l'existence d'un secteur hospitalier privé historiquement composé en majorité d'établissements de taille moyenne ou modeste. Cette tendance se poursuit, accentuant l'effet de superposition entre établissements de très grande taille, grands équipements, infrastructures techniques et compétences spécialisées. Il en résulte divers problèmes.

La concurrence entre établissements (et professionnels) pour la détention en propre des équipements ou personnels spécialisés est un facteur permanent de déstabilisation et d'inadéquation de l'offre.

Le progrès qui conduit au raccourcissement des durées de séjour et au développement de l'hospitalisation de jour met en péril le modèle organisationnel et économique hospitalier, en conduisant à une contradiction entre d'une part la nécessité de l'accroissement des activités pour assurer l'équilibre financier d'établissements de grande taille et d'autre part la logique de recentrage de leurs activités.

De même, la contradiction est croissante entre des logiques d'investissement cloisonnées et cantonnées dans le cadre des organisations classiques et les besoins de mutualisation ou de fonctionnement en réseau, notamment dans une approche territoriale.

La concentration des moyens pose enfin la question de l'accessibilité de tous les patients aux ressources les plus spécialisées.

Le rôle central du CHU dans le Système d'innovation à revoir

Dans le domaine de la recherche la poursuite du modèle sur son erre se heurte à une double difficulté.

Le dimensionnement des activités de recherche dans le cadre des CHU ne correspond pas aux besoins de constitution de masses critiques importantes de chercheurs engagés dans une forte interdisciplinarité et mobilisant des plateformes techniques lourdes, besoins qui ont justifié la constitution des IHU. La superposition des cadres réglementaires de l'Université, de l'Hôpital et de la Recherche rigidifie et entrave l'évolution de ces organisations, ainsi que leur pilotage. La place respective des activités de soins, de formation et de recherche mériterait d'être mieux définie.

Dans le même temps, la transition épidémiologique appelle le développement d'une recherche s'appuyant sur l'observation de la maladie et mobilisant de nouveaux savoirs qui devraient se construire hors d'un cadre strictement hospitalier.

L'orientation des activités des CHU vers des activités de pointe retentit sur l'ensemble du système, du fait du rôle des CHU dans la formation médicale, donnant aux connaissances transmises une orientation en partie décalée par rapport à l'exercice futur de beaucoup de médecins et concourant à une définition des spécialités fortement déterminée par les besoins de ces centres. Elle conduit à promouvoir dans tous les segments du système un certain style d'innovation.

Dans ce modèle, les activités spécialisées mobilisant d'importants moyens techniques sont les plus prestigieuses et les mieux rétribuées. Depuis plus de trente ans, la sous-valorisation de l'acte intellectuel par rapport aux actes techniques est un thème récurrent de débat dans le secteur de la

³² Outils numériques de partage de données, objets connectés, etc.

santé, sans qu'il soit possible de remettre en cause une hiérarchie qui fait de ce secteur une exception.

Pourtant, les besoins nouveaux résultant de la transition épidémiologique requièrent des professionnels susceptibles d'approches globales qu'ils soient généralistes ou spécialistes cliniciens, paramédicaux ou pharmaciens, aussi bien dans le champ de soins que dans celui du « prendre soin » et de l'accompagnement au long cours, notamment social et médico-social. Paradoxalement d'ailleurs, l'irruption de nouveaux rôles et le besoin de développement de métiers techniques (manipulateurs, informaticiens, ingénieurs méthodes...) et de niveaux de qualification intermédiaires sont dans le même temps difficilement pris en compte.

Le caractère autoentretenu du modèle est ici manifeste. La difficulté à inverser la tendance à une toujours plus grande sophistication est accentuée par l'explosion de l'innovation scientifique et technique qui rend aujourd'hui difficile aux acteurs particuliers d'appréhender l'ensemble.

Les alliances et les régulations mises à mal

Enfin, la régulation économique et étatique vertueuse qui a favorisé le développement du système de santé est aujourd'hui mise en péril par le ralentissement de la croissance économique dans un contexte de mondialisation qui remet de plus en cause les alliances anciennes qui avaient pu se nouer entre Etat et industries des biens de santé.

Les éléments de déstabilisation sont à la fois internes et externes.

La croissance de l'activité du système de santé que justifient à la fois l'épidémiologie et les possibilités de prise en charge préventives et curatives, alimente une tendance permanente à la hausse des dépenses que ne compensent que partiellement les gains d'efficacité spontanément réalisés par le système. Cette évolution crée des tensions sur son financement d'autant plus fortes que la croissance économique est ralentie. Or, chacun s'accorde sur le fait que des gains plus importants seraient possibles, par l'amélioration des organisations et une meilleure utilisation des outils disponibles (numériques notamment). Cependant, l'absence d'accord sur la façon de réaliser ces gains est à l'origine de situations conflictuelles et de mesures diverses qui mettent le système sous tension et déstabilisent les relations de l'Etat et de l'Assurance maladie avec les professionnels et établissements de santé. Ces conflits prennent une dimension nouvelle, s'agissant des biens de santé pour lesquels les entreprises sont en concurrence et développent des stratégies au niveau mondial. Dans ce contexte, le système se fragmente sous l'effet d'une exacerbation de la concurrence entre secteurs d'activité, entre disciplines et entre professions pour la mobilisation des moyens disponibles.

Les conditions d'articulation entre recherche publique et privée évoluent cependant que les problématiques de la recherche deviennent mondiales et que l'internationalisation de l'économie ne permet plus de concevoir la politique industrielle à travers la planification des moyens et la promotion de champions nationaux.

Dans le même temps, les possibilités ouvertes par l'évolution de la société et des nouvelles technologies suscitent des initiatives privées qui se déploient sur des segments où apparaît la possibilité de nouveaux services ou de production à moindre coût des services existants (éventuellement à l'étranger) : ce peut être des prises en charge « low cost » dans les domaines de l'optique et des prothèses dentaires, la délivrance d'informations via des plateformes en ligne, comme plus classiquement la mobilisation des gains d'efficacité possibles dans le cadre d'organisations particulières (activités hospitalières d'un jour).

Au-delà, la possibilité de collecter des données de santé (avec l'accord des usagers ou patients) à l'occasion de la délivrance d'un service ouvre des perspectives de développements ultérieurs pour des acteurs entrés dans le champ via des activités d'intermédiation ou de production de base. Ces initiatives, qui s'appuient sur l'utilisateur en captant des insatisfactions ou en suscitant des besoins,

constituent des éléments de déstabilisation potentielle du système, tempérés jusqu'à présent par les barrières qui résultent de son fort encadrement juridique.

Les régulations nouvelles à mettre en place pour favoriser la poursuite de l'innovation et la transformation du système ne sont pas aisées à concevoir.

L'action publique ne peut plus se décliner sous la forme de la planification, de l'organisation et de l'administration directe. Il s'agit d'identifier dans le cadre de nouveaux registres d'action intégrant la dimension internationale, les points d'application pertinents pour l'action publique à associer aux Stratégies Nationales de Santé et de Recherche.

Chapitre 5 - Refonder un modèle contemporain d'innovation soin-recherche

Les éléments de déstabilisation et de crise précédemment décrits justifient l'évolution vers un nouveau modèle de référence, dont les réformes en cours constituent les linéaments. Comment caractériser ce modèle et le Système d'Innovation associé ? Nous ne nous proposons pas de décrire un modèle en devenir. Il est cependant possible d'identifier les défis auxquels il lui faut répondre, les ressources d'ordres divers qu'il peut mobiliser et de clarifier le jeu des contraintes dans lequel il lui faut s'insérer. Nous conduirons cette analyse en reprenant la grille qui nous a permis de présenter le modèle historique.

Dans cette perspective, comment poser la question de la transformation de l'organisation du système articulée avec l'innovation technologique à l'horizon d'une quinzaine d'années retenu par le HCAAM ? Il ne s'agit certainement pas de décrire une organisation que l'on jugerait optimale et qu'il appartiendrait aux pouvoirs publics de faire advenir. Il s'agit bien plutôt de définir les conditions favorisant la viabilité des processus d'innovation adaptés au contexte contemporain et tenant compte de finalités collectivement définies. Ces conditions sont diversifiées :

- prise en compte du nouveau contexte caractérisant le modèle en devenir (parcours et territoires, place nouvelle du patient, place des communautés professionnelles, etc.) ;
- mise en place d'un cadre rationnel commun permettant la gradation des prises en charge associées à différents types de services ;
- desserrement des contraintes, introduction de souplesses permettant à des formes d'organisation et de mobilisation des technologies nouvelles d'émerger dans ce cadre ;
- redéfinition des moyens et infrastructures à favoriser pour permettre le maintien de la capacité à innover et l'efficience.

1. Au plan des principes

Les principes en vigueur depuis les années 1950 doivent être réaffirmés et réinterprétés.

Le principe de rationalité scientifique est essentiel. Si l'on souhaite éviter des évolutions qui pourraient être tragiquement récessives pour la santé de la population et plus généralement pour la société, c'est un enjeu qui doit être pris très au sérieux dans le cadre d'une action collective qui n'est pas du seul ressort de l'Etat, même s'il lui appartient d'en assurer l'impulsion générale. Elle concerne aussi bien l'école que les médias ou encore l'information délivrée par les acteurs du système de santé. Elle suppose de donner une forte priorité au développement d'outils d'information accessibles et interactifs à la disposition des usagers et des patients. Elle nécessite de favoriser des débats transparents et l'expression des points-de-vue dans des cadres favorisant une élaboration et une appropriation collective.

Le principe de délégation d'expertise aux médecins. Sans remettre en cause le rôle nécessairement central de ces derniers, il est aujourd'hui essentiel de repenser les conditions du colloque singulier pour évoluer vers des formes de relations plus diversifiées et équilibrées intégrant une nouvelle figure du patient informé et désireux de jouer un rôle actif dans la prise en charge de ses problèmes de santé. Le caractère collectif de l'exercice médical doit se développer dans le cadre de

communautés organisées à dimensions variables et dans un registre de plus en plus souvent pluridisciplinaire et pluri-professionnel.

Le principe d'égalité. Il convient d'expliciter les différentes dimensions des inégalités pour mieux les prendre en charge et dépasser l'expression formelle du principe d'égalité. Ainsi, le HCAAM en 2012 estimait que l'assurance maladie devait fondamentalement assurer la solidarité des bien-portants avec les malades, mais que des dispositifs particuliers devaient compléter le système pour répondre à un principe d'accessibilité. Ce principe d'accessibilité doit être décliné concrètement dans ses différentes dimensions, aussi bien financière que culturelle, sociale ou encore géographique.

2. Au plan de l'organisation

Raisonnement en termes de modèle ne signifie pas que l'on entende planifier la mise en place d'une organisation particulière mais bien plutôt que l'on souhaite à partir des caractéristiques ou services attendus du système fixer quelques objectifs et mettre en place un cadre laissant place à une part importante d'indétermination et à l'initiative des acteurs sans laquelle aucune innovation ne serait possible.

A. La recherche

La pratique a fait évoluer l'organisation de la recherche ce qui permet d'envisager dans le futur un continuum de la recherche, allant de la recherche la plus fondamentale assurée dans de très grands centres de recherche associés aux autres disciplines fondamentales, à une recherche mobilisant les sciences humaines et sociales dans le cadre d'une approche populationnelle de la santé, en passant par une recherche clinique diffusée largement dans tous les segments du système de santé.

La création des IHU a permis d'identifier des pôles d'excellence (parmi d'autres) de la recherche biomédicale française sur des thématiques précises développées au sein des CHU et des universités.

La nécessité qui a conduit à la création de ces Instituts, au sein même des CHU mais en partenariat avec d'autres institutions dans un esprit fédérateur, tend à indiquer que le CHU seul n'arrive pas (ou plus) à développer des axes de recherche ambitieux avec les moyens importants qui doivent de nos jours être mobilisés. La recherche médicale fondamentale a en effet dans de nombreux domaines changé d'ère, demandant dorénavant de lourds investissements, en termes d'équipements d'acquisition de données, ainsi que de traitement et d'interprétation des données (entrant dans le domaine des « big data »), et de plus en plus de pluridisciplinarité. La notion de masse critique, longtemps absente des laboratoires de recherche biomédicale, tend à s'imposer.

Le rapport du Pr Marescaux, à partir duquel a été conduite la réflexion menant aux IHU, indiquait ainsi en 2009 : « *En matière de recherche, malgré des poches d'excellence reconnues, la production scientifique biomédicale française stagne et est en retrait vis-à-vis de nos voisins, le dépôt de brevets est en déclin. En dépit d'une priorité publiquement affichée, la France a insuffisamment soutenu la recherche en sciences du vivant (les Etats-Unis y investissent aujourd'hui quatre fois plus par habitant que la France). Par ailleurs, le système de recherche biomédicale français est complexe, insuffisamment coordonné et lisible* ».

Cette réflexion sur les CHU n'est pas exclusive de la nécessité de faire sortir la recherche clinique des murs des établissements universitaires et d'enrichir l'ensemble du système de soins par une approche de recherche et d'innovation, incluant le champ de la recherche sur le système de santé (*Health Services Research*).

Le domaine des soins primaires a désormais un discours en faveur de la structuration de la recherche et se mobilise en ce sens, recourant pour une grande part aux sciences humaines et sociales, pour analyser les pratiques, les organisations, les parcours de soins, etc. Ce type de recherche sur les soins ambulatoires, aussi bien que pour les interventions à domicile, n'est pas (ou peu) mené au sein des

CHU et paraît pourtant essentiel à l'heure où l'accent est mis sur la gestion des maladies chroniques et l'amélioration des parcours.

Il ne s'agirait pas en médecine de ville ou dans les soins à domicile de mener des projets de recherche clinique au sens usuel, axés sur les essais médicamenteux, mais de mener des projets plus ambitieux sur les pratiques de soins et les organisations les plus efficaces pour la gestion et le suivi de pathologies chroniques par exemple.

Il est d'usage, dans ce domaine, de lancer des appels à projets pour financer de tels programmes (via notamment l'IRESP (Institut de recherche en santé publique), l'Assurance maladie, l'ANR), mais il serait aussi important de favoriser la constitution de véritables équipes de recherche pérennes, l'appel à projets n'étant pas une très bonne manière de structurer un tissu de recherche sur le long terme lorsqu'il n'y a pas d'équipes en nombre suffisant au préalable. On observera d'ailleurs que la France est particulièrement en retard dans ce domaine par rapport à ses voisins.

Une autre voie de recherche et d'évaluation prometteuse en médecine de ville réside dans la collecte en continu de données médicales à des fins d'observation des pratiques réelles. La Société française de médecine générale avait dans cet esprit mis en place un observatoire de la médecine générale pendant 15 ans, avec recueil de données épidémiologiques dont l'appariement avec les données du SNIIRAM a été testé avec succès. Ce type de travaux serait maintenant grandement facilité par l'informatisation quasi complète des dossiers médicaux au sein des cabinets médicaux.

B. Les soins

Le système de demain doit prendre en charge de façon efficace une partie des soins courants ou non qui n'occasionnent que des contacts ponctuels avec le système de santé mais aussi développer la prise en charge de parcours plus intégrés concernant en particulier les patients chroniques, les personnes handicapées et les personnes âgées. A côté des prises en charge individuelles, il doit favoriser des approches collectives de la santé sur le territoire dans le cadre de la prévention ou du suivi et de l'accompagnement des patients chroniques et des personnes âgées.

Il doit prendre acte du raccourcissement des durées de séjour et du développement d'hospitalisations de jour qui résultent de l'évolution des sciences et techniques et ont vocation à être un des moments d'une séquence de soins sans en être nécessairement le moment central. Il doit aussi prendre acte des gains d'efficacité et des possibilités de développement de nouveaux services qui peuvent être favorisés par la combinaison de nouveaux outils, numériques notamment, et de nouvelles formes de partage des rôles et d'organisation du travail entre professionnels. Enfin, il doit prendre en compte l'accroissement de la diversité des activités et des spécialisations qui résultent des progrès scientifiques et techniques ainsi que le besoin corrélatif de coordination et d'approche transversale et globale.

Il s'agit de substituer à la hiérarchisation des prises en charge entre la ville pour les soins courants et l'hôpital pour les soins complexes, une gradation de niveaux de prise en charge en fonction de services attendus, services produits conjointement par des acteurs de ville et de l'hospitalisation, au fonctionnement articulé en réseau. Les prises en charge à domicile doivent être développées et faire l'objet d'un traitement spécifique (cf. infra la description de cette organisation graduée).

La question des infrastructures nécessaires et de la répartition des équipements doit être repensée par référence à cette approche, de même que les modèles économiques de chacun des acteurs à faire émerger.

Dans le système, le territoire et les communautés professionnelles deviennent des institutions structurantes, de même que le numérique utilisé comme un moyen mais aussi comme une ressource pour la transformation du système.

3. Au plan des alliances et de la régulation

Les alliances anciennes sont bouleversées. L'enjeu est de reconstruire des alliances permettant un cheminement du système dans lequel chacun trouve sa place en tenant compte de dimensions nouvelles qui n'étaient pas prises en charge par le modèle historique, au premier rang desquelles la dimension internationale mais aussi la dimension territoriale.

Un modèle et des sous-modèles imbriqués ? Il est probable que le modèle futur doive être conçu de façon moins intégrée ou unifiée que le modèle historique, mais davantage comme résultant de l'articulation de plusieurs sous-modèles reflétant la diversification des services offerts par le système de santé et des objectifs poursuivis. Assumer cette diversité permettrait sans doute de clarifier la façon d'envisager les équilibres, enjeux et acteurs à mobiliser dans chaque segment. Ils sont certainement différents selon la place plus ou moins importante de la dimension territoriale et la nature des services attendus, dont la combinaison avec d'autres (services sociaux et médico-sociaux notamment) devient de plus en plus diverse.

Dans ce cadre, le rôle des CHU doit probablement évoluer pour répondre à cet objectif de diversification des prises en charge et des formes d'organisation, tant de la recherche que du soin. Il faut envisager des structures plus souples, à fois pour constituer avec les IHU des pôles de recherche d'excellence, mais également des pôles de référence pour le développement, la diffusion et l'évaluation des produits et des pratiques professionnelles innovants. Cela pourrait passer par la reconnaissance du statut « recherche » et « formation » au niveau des services ou encore au niveau de communautés professionnelles pouvant regrouper des professionnels hospitaliers de différents établissements et des professionnels de ville.

De telles formes d'organisation associant professionnels hospitaliers, médico-sociaux et professionnels de ville au niveau de la recherche et de la formation pourraient en effet favoriser le développement des évaluations cliniques en vie réelle jugé aujourd'hui de plus en plus nécessaire avec l'accélération des techniques et la multiplication des multi-technologies (cf. chapitre 8 sur l'évaluation) et constituer un levier essentiel pour la construction de parcours de soins décloisonnés. Dans un processus visant à généraliser les coordinations entre professionnels, *« l'évaluation et plus généralement la recherche doivent [pouvoir] jouer un rôle essentiel notamment pour le pilotage de ce processus, mais également dans une démarche réflexive d'apprentissage sur les pratiques et les organisations les plus efficaces et efficientes en lien avec les processus de formation initiaux et continus »*³³.

Ces évolutions doivent être pensées à la fois au niveau national et au niveau régional. Elles doivent prendre en compte les contraintes que comporte une recherche d'excellence reconnue au niveau international (moyens à mobiliser, masse critique,...) et les réalités territoriales liées à l'organisation du système de prise en charge et des possibilités de coordination existantes entre les acteurs.

Elles doivent en outre s'inscrire dans une démarche plus large, comme on l'a vu plus haut, dans laquelle l'ensemble des leviers de politique publique sont mobilisés au développement du nouveau système national d'innovation : que ce soit la formation, la politique d'organisation et de soutien à la recherche et au développement, les politiques tarifaires et de régulation, les modalités de la gouvernance (cf. encadré). Ces questions font l'objet des chapitres suivants.

³³ Cf. sur le site l'étude de Yann Bourgueil présentée à la séance du 23 avril 2015 : « Ressources humaines et organisation du travail en santé : constats et conditions pour l'émergence et la généralisation des innovations organisationnelles ».

Les modèles nationaux d'innovation

(rapport OCDE de 2014 sur les politiques d'innovation en France)

Le rôle essentiel de l'innovation dans la croissance économique et l'augmentation du bien-être est aujourd'hui largement reconnu. Des entreprises et des institutions publiques fournissent des produits nouveaux qui accroissent le niveau de vie des consommateurs et permettent des créations d'emploi. En vue de soutenir ce processus, les autorités publiques visent à maintenir un cadre général propice à l'innovation et investissent dans des institutions spécifiques qui peuvent faciliter celle-ci.

La théorie des systèmes nationaux d'innovation (SNI) conceptualise les acteurs, les activités et les résultats en lien avec la recherche et l'innovation. Il existe entre les différents acteurs, activités et résultats des relations multiples et complexes qui justifient une analyse en termes de « système » (voir le graphique 1).

Les acteurs sont les individus, caractérisés par leurs compétences et leurs motivations, les universités, les organismes publics de recherche, les organismes de transfert, les entreprises, les *start-ups* (type spécifique d'entreprise qui mérite un examen séparé), l'État dans toutes ses composantes (gouvernement, agences, autorités territoriales) et les acteurs étrangers, qui dans un monde ouvert exercent une influence forte sur le système national. Les interactions entre ces acteurs sont de nature multiple : transferts de connaissances, coopérations pour la production de connaissances nouvelles, transactions commerciales de différentes sortes, liens de pouvoir, etc.

Ce sont les comportements des acteurs – fonctions de leurs capacités et des incitations auxquelles ils font face – et les interactions entre ces acteurs qui déterminent la performance globale du SNI, c'est-à-dire sa capacité à produire la science, l'innovation et les compétences qui peuvent servir la croissance économique et fournir la réponse aux défis sociétaux. Une étude du SNI consiste donc à analyser les différents acteurs, leurs capacités et leurs incitations à réaliser certaines activités, les relations qui les lient et les mesures institutionnelles et politiques qui déterminent ces comportements, ces liens et ces résultats. L'étude vise notamment à identifier les goulots d'étranglement ou les dysfonctionnements au sein du système qui réduisent ses performances et à examiner les solutions politiques qui pourraient améliorer son efficacité.

Les principales questions abordées sont habituellement les suivantes, bien que leur degré de priorité varie d'un pays à l'autre, selon les « goulots d'étranglement » du système :

- Ressources humaines (RH) : dans quelle mesure les RH disponibles correspondent-elles au SNI existant et au SNI futur, tel qu'il devrait évoluer en fonction des stratégies actuelles pour l'innovation ? Le système d'éducation en place, et notamment l'enseignement supérieur, est-il apte à produire les RH dont le système a et aura besoin ?
- Recherche publique : les OPR (opérateurs publics de recherche) et les universités produisent-ils de la recherche d'excellence (de base ou appliquée) ? Dans quelle mesure la recherche publique répond-elle à la demande de la société et de l'économie ? Quels sont les facteurs qui dans leur organisation limitent éventuellement la qualité de la production de la recherche publique et sa proximité avec la demande ?
- Transferts de connaissances entre secteur public et entreprises : quels sont les volumes de connaissances transférées selon les différents canaux existants (recherche contractuelle et collaborative, propriété intellectuelle, mobilité des personnes, création d'entreprises, etc.) ? L'organisation du système de transfert est-elle optimale ? Le système bénéficie-t-il également à tous les acteurs selon leurs capacités ?
- Innovation dans les entreprises : comment le secteur des entreprises se positionne-t-il en termes d'innovation et en quoi l'innovation contribue-t-elle à leurs performances en matière de productivité et de compétitivité ? Dans quelle mesure les différents dispositifs publics de soutien (crédit impôt recherche, financements directs, marchés publics) et les organismes publics contribuent-ils à l'innovation dans les entreprises ? Quelle cohérence y a-t-il entre les stratégies gouvernementales et la structure sectorielle de l'économie actuelle ou projetée ?
- Entrepreneurat innovant : le nombre des entreprises innovantes créées est-il élevé et quelle proportion parmi celles-ci connaissent-elles une croissance importante ? Quels sont les facteurs politiques (taxes, politiques d'entrepreneuriat) ou structurels (l'accès au financement, par exemple) qui favorisent ou inhibent l'activité entrepreneuriale ?
- Gouvernance d'ensemble : quels sont les principes et les stratégies qui guident les politiques de recherche et d'innovation ? Quelle est la contribution des différentes composantes de l'État (ministères, agences, autorités locales, etc.) à la politique d'innovation et comment ces composantes se coordonnent-elles ?

Chapitre 6 – Les ressources humaines et l'innovation en santé

« Dans un système de production en évolution accélérée, la capacité d'innover devient la qualité première par rapport à la capacité de rationalisation. [...] Ce qui va donner le succès, c'est la capacité à innover à la fois dans le produit, dans la technique et dans le rapport au client. Pour maintenir cette capacité, il faut gérer autrement les ressources, et plus particulièrement les ressources humaines. La rationalisation acquise aux dépens de la capacité de réponse et d'initiative des hommes devient contre-productive³⁴ ».

L'ambition d'améliorer la formation des médecins était un moteur essentiel de la réforme des années 1960. Les attentes sont aujourd'hui fortes vis-à-vis d'une évolution des formations qui concerne l'ensemble des professions de santé médicales, pharmaceutiques et paramédicales, ainsi que du champ médico-social et social.

C'est, en effet, aujourd'hui un ensemble de professions médicales, paramédicales, voire sociales, nombreuses, fortement différenciées, mais dont les activités sont solidaires, qui sont parties prenantes de la transformation du système de santé.

Dans le secteur de la santé, comme dans tout autre, favoriser l'innovation suppose de promouvoir un cadre propice à l'intégration de cultures qui demeurent largement segmentées et à la production de nouveaux savoirs, de nouveaux procédés, de nouvelles formes d'organisation. Sont en jeu ici aussi bien les conditions de formation, que l'évolution des compétences et des métiers, les cadres d'exercice, autant que la transformation des pratiques et des parcours professionnels. En effet, la dimension des ressources humaines est essentielle si l'on veut surmonter un certain nombre de dilemmes au cœur d'une dynamique d'innovation :

- tension entre l'aspiration à la stabilité, à la sécurité des professionnels (dans la définition des identités professionnelles, des rôles, des organisations...) et les recompositions induites par une dynamique de transformation ;
- tension entre la part routinière, normalisée des activités et des pratiques et les latitudes nécessaires pour permettre d'innover ;
- tension entre les attentes et aspirations des individus et une dimension nécessairement collective du processus d'innovation.

Les particularités du fait professionnel dans le champ de la santé doivent être prises en compte pour appréhender cet ensemble de dimensions.

1. Les caractéristiques de l'organisation du travail et les ressources humaines en santé³⁵

A. Chacun sait ce qu'il peut attendre des autres par ce qu'il a appris

Dans le champ de la santé, l'organisation du travail et le mécanisme de coordination propre à l'activité de soin relève principalement de la coordination par la standardisation des qualifications. Acquises au cours de la formation initiale et le plus souvent produites et transmises par les membres de la profession eux-mêmes, au cours de formations théoriques et pratiques longues, les

³⁴ Michel Crozier, *L'entreprise à l'écoute*.

³⁵ Cette partie emprunte à la note de Yann Bourgueil mise sur le site, et aux travaux de la *Grande conférence de la santé*.

qualifications intègrent les connaissances nécessaires à la coordination en situation de travail, sans que celles-ci soient décrites dans des procédures de travail (impossibles à établir en détail) ou définies par des objectifs de résultats (si difficiles à définir et mesurer, d'autant plus que ces objectifs sont souvent co-conçus et coproduits avec les patients).

Dans les faits, les professionnels ont une grande autonomie de travail et une grande latitude sur le contrôle de leur travail. L'activité de soigner, en effet, est complexe et doit faire face à de nombreux aléas, ce qui explique l'autonomie des opérateurs et leur longue qualification, composée de formation (transmission de savoirs programmés et formalisés), mais également de socialisation au cours de périodes d'apprentissage plus ou moins longues selon le niveau d'expertise. Les normes et les procédures, généralement élaborées en dehors des organisations elles-mêmes, par les organisations professionnelles (sociétés savantes, universités, agences comme la HAS) sont ainsi internalisées par les opérateurs. Chacun sait ainsi ce qu'il peut attendre des autres par ce qu'il a appris.

Les différents mécanismes de coordination

(Y Bourgueil)

Classiquement, Mintzberg distingue cinq mécanismes principaux de coordination qui correspondent schématiquement à des idéaux types d'activité et d'organisation (l'ajustement mutuel, la supervision directe, la standardisation des processus, la standardisation des résultats et la standardisation des qualifications/savoirs).

- L'ajustement mutuel réalise la coordination par la communication informelle. Ce processus est présent dans toutes les formes d'organisation, caractéristique des situations de travail les plus simples mais également lorsqu'aucune standardisation n'est possible pour les situations les plus complexes.
- La supervision directe (quand une personne, le plus souvent en situation hiérarchique répartit les tâches au sein d'une équipe ou d'une organisation).
- La standardisation qui peut porter sur :
 - Les processus de travail, en spécifiant les procédés de travail de ceux qui doivent réaliser des tâches indépendantes (ces spécifications sont en général réalisés par les bureaux des méthodes - par exemple la définition du travail à la chaîne, où les opérateurs sont très spécialisés et très peu qualifiés),
 - Les résultats, ces derniers assurent la coordination en étant définis *a priori* aux unités (les résultats objectifs à atteindre pour des unités de production, spécifications des caractéristiques d'un produit)
 - Les qualifications et les savoirs (c'est principalement par le processus de formation spécifique de celui qui exécute le travail que la coordination est réalisée). Par exemple, entre un chirurgien, un anesthésiste qui doivent collaborer au cours d'une intervention chirurgicale.

L'ensemble de ces mécanismes de coordination sont présents dans toutes les organisations, certains étant plus spécifiques à certains types d'organisations.

Les quatre autres mécanismes de coordination que sont l'ajustement mutuel, la supervision directe, la standardisation des processus et des résultats (*cf.* encadré) se retrouvent également dans l'activité de soins mais à des degrés moindres et de façon plus récente pour les deux derniers avec des résultats aujourd'hui discutés en termes d'implantation et d'efficacité. Le mouvement de déploiement des recommandations de bonnes pratiques fondées sur les preuves, « *evidence base medicine* », surtout quand il s'étend aux parcours de soins peut s'apparenter à une démarche de rationalisation externe de l'organisation du travail et viser ainsi la bonne coordination par la standardisation des processus de travail. Le paiement par objectif initié par la ROSP (Rémunération par Objectifs de Santé Publique), peut également être considéré comme une démarche de standardisation des résultats, les professionnels de santé ayant toute liberté pour s'organiser afin d'atteindre un objectif défini et mesurable.

B. Le fait professionnel en santé

Le domaine de la santé est caractérisé par l'existence des professions³⁶ et des mécanismes de régulation propres qui lui sont associés.

En France, les médecins sont les seuls à disposer d'une habilitation générale à intervenir sur le corps humain³⁷. Toute personne non autorisée qui le fait peut être poursuivie pour exercice illégal de la médecine. Une profession est ainsi définie par la détention d'un monopole, la maîtrise de la production et de la transmission des savoirs par elle-même ainsi que la reconnaissance d'un domaine spécifique de régulation par les pairs (un conseil de l'ordre et un code de déontologie). Elle constitue alors un groupe social autonome. La justification principale de ce processus de régulation est la protection des malades.

L'organisation de l'ensemble des professions de santé et notamment des paramédicaux se conçoit à partir du même modèle (la création récente des Ordres professionnels va d'ailleurs dans le sens de la reconnaissance des métiers de la santé comme professions).

Les différentes organisations professionnelles visant généralement la conquête d'un espace propre d'autonomie cherchent à se différencier les unes des autres par des logiques de spécialisation. Ces phénomènes de spécialisation et donc de division du travail sont également très présents au sein de la profession médicale elle-même.

Le processus d'innovation organisationnelle peut d'ailleurs être mis au service de stratégies professionnelles, voire institutionnelles de spécialisation (apport de métiers extérieurs au domaine du soin, etc.).

2. Les enjeux déterminants dans la gestion des ressources humaines en soutien de l'innovation

A. Inscrire les formations de l'ensemble des professions dans un cadre universitaire

L'ensemble des professions souhaitent voir leur formation évoluer dans le cadre de l'Université. C'est une opportunité majeure pour assurer une intégration des savoirs et des apprentissages dans un cadre cohérent pour des professions parties prenantes d'une même transformation. L'aspiration à l'intégration de la pluri professionnalité comme une dimension centrale des enseignements est largement partagée, ouvrant la voie à la généralisation du travail en équipe dans tous les segments du système de santé. Pour certaines professions, se pose le problème de la constitution de corps d'enseignants chercheurs au sein de l'Université et d'une pluralité de carrières favorisant la contribution de toutes à l'innovation, son appropriation et sa diffusion dans un modèle moins hiérarchisé que par le passé.

La relance du processus d'universitarisation et de constitution de corps d'enseignants-chercheurs pour les professions paramédicales sont, à cet égard, prometteurs.

La nécessité d'assurer la cohérence entre formation et réalité de prises en charge qui devraient être de moins en moins centrées sur les prises en charge en établissement (notamment les plus spécialisées) conduit à une évolution des lieux de formation théorique et pratique hors des murs du CHU, notamment dans d'autres établissements et en ville.

³⁶ La profession est ici entendue au sens d'Eliot Freidson, à savoir la détention par un groupe professionnel d'un monopole qui lui est accordé par la société et s'exprimant dans la loi.

³⁷ Les odontologistes et les sages-femmes disposent d'une habilitation spécialisée, et les professions paramédicales ne peuvent pratiquer que des actes figurant sur une liste préétablie dans le cadre de leurs décrets de compétences.

L'articulation des formations initiale et continue avec l'évolution du système de santé nécessite une identification des services attendus des professionnels de santé, de leurs compétences et de leurs métiers. Sur ce terrain, la réflexion est encore émergente et trop souvent conduite en silo, par profession, à l'opposé des évolutions qui ont pu être conduites pour les métiers de techniciens et d'ingénieurs dans d'autres secteurs. Il est certain que l'innovation appelle une concentration et un développement du rôle des médecins sur des activités d'expertise et de synthèse associées à la montée en charge d'interventions soit très techniques et standardisées, soit de l'ordre du *care*, assurées par des professions intermédiaires, professions paramédicales ou techniciens. Ce chantier est un chantier majeur.

B. Raisonner davantage en termes de compétences professionnelles

La définition des compétences renvoie à la capacité à agir, à la nécessité de mobiliser des capacités diversifiées en les adaptant à un contexte donné, aux acquis de l'expérience, qui ne portent pas seulement à la reproduction, mais permettent l'adaptation au changement. Les compétences sont aussi synonymes de performance dans les organisations de par leur adaptabilité.

Cette définition conditionne ainsi les possibilités d'évolution des rôles des différentes professions. Elle résulte cependant, dans le champ de la santé, de mécanismes anciens qui devraient être revus. Pour les médecins, la réforme en cours du 3^{ème} cycle des études fait évoluer les conditions de la spécialisation. Le mouvement est, par ailleurs, engagé en faveur d'une construction progressive des parcours d'études et des compétences dès avant le 3^{ème} cycle.

Une partie des professions paramédicales, infirmière notamment, développe des « pratiques avancées³⁸ » comme le prévoit désormais la loi, à la faveur de l'acquisition des compétences correspondantes, voire acquiert une formation de plus haut niveau encore (doctorat), à la faveur d'un investissement plus soutenu en matière de recherche.

L'espace pour le développement du rôle de ces professions existe (en particulier dans le cadre de nouvelles modalités de prise en charge, pluri-professionnelles, graduées...). Il y a aussi un espace pour les recherches en soins infirmiers et en soins primaires, à condition d'organiser ces recherches et d'en établir le cadre.

Cependant les conditions de reconnaissance de la capacité à agir des professions non médicales, en particulier pour faire face aux nouveaux besoins de prise en charge est délicate.

D'un côté, sur le plan de la définition strictement juridique des compétences, l'attachement reste fort aux décrets d'actes et à leur actualisation (course sans fin, face aux progrès de toute nature), même si elle a pour contrepartie leur obsolescence, dès lors que l'encadrement juridique limite les responsabilités et protège les situations, face aux « nouveaux métiers » et à la prétention des professions moins qualifiées de grignoter des parts de marché. Compte tenu de la persistance du cadre juridique, la logique est ici de plaider pour l'émergence de fonctions interstitielles dédiées à la coordination et de soutenir les situations dérogatoires pour autant qu'elles demeurent expérimentales *ad aeternam*.

D'un autre côté, l'adaptation au changement (que celui-ci soit rendu nécessaire par les évolutions démographiques ou épidémiologiques ou stratégiques, en termes de modalités de prise en charge) suppose de raisonner sur des compétences, au sens où nous définissons cette notion en préambule, c'est-à-dire en termes de capacités diversifiées permettant l'adaptation à l'environnement, des réponses flexibles, non adverses à l'incertitude... Dans cette logique, il convient de travailler au déverrouillage juridique des possibilités de coopération : raisonner en compétences ou en missions plus qu'en actes, concevoir des formes de gestion globales plutôt que des fonctions parcellisées.

³⁸ A côté des compétences spécifiques déjà développées sur des métiers particuliers : IBODE, IADE, cadres de santé.

La formation devra permettre parallèlement l'acquisition de compétences informelles, dites de « soft skill » (capacité d'adaptation, empathie, écoute...).

C. « Former à l'innovation »

Quelle est au juste la part de la recherche dans la formation des professions médicales et pharmaceutiques et, au-delà, de l'ensemble des professions de santé ?

Les caractéristiques de la formation médicale initiale sont particulières : formation classante dans un premier temps, inculcation des fondements scientifiques dans un second temps et très vite formation en alternance, compagnonnage. Si on se forme par la recherche dans les professions médicales, où le fait-on ? Dans les amphis ? Aux paillasses des labos ? Cette dimension n'est développée que pour autant que le parcours étudiant le permette. Dans les services hospitaliers ? Incontestablement, mais il faut bien considérer les particularités et les limites de cette « formation à la recherche en alternance » à l'hôpital : la nature des activités, leur diversité, la qualité des équipes d'accueil, leur degré d'innovation seront bien entendu des caractéristiques majeures.

Préserver et favoriser des parcours de recherche, construits précocement et s'appuyant, le cas échéant, sur des doubles cursus est essentiel pour développer le potentiel de recherche français.

Dans la plupart des cas, la formation, incluant une dimension recherche, va, en outre, permettre aux intéressés d'appréhender dans de bonnes conditions le progrès technique en santé (particulièrement lorsque cette formation s'est faite au sein d'équipes innovantes). Elle leur permet également d'acquérir les bases du raisonnement scientifique et de développer des capacités d'analyse critique. La formation à la recherche permet de développer les capacités permettant d'apprendre à apprendre.

Le progrès technique est aussi une épreuve. Dans le domaine de la santé comme dans le monde industriel, il frappe d'obsolescence des savoirs, des techniques, des protocoles, des stratégies de prise en charge, des métiers.

Premier aspect : les professionnels doivent avoir les moyens, de par leur formation, d'appréhender le changement et d'en tirer tous les bienfaits ou d'éviter certains effets latéraux (iatrogénie notamment). Cette question n'est pas théorique : elle se traduit en gain ou en perte de chance pour les patients. Le progrès technique en effet creuse les inégalités, parce qu'il est hautement discriminant quant aux pratiques, efficaces ou pas.

Deuxième aspect : la formation continue en santé doit permettre de suivre le rythme du changement et de réduire les écarts entre "bonnes pratiques" et pratiques devenues plus discutables ou obsolètes.

Troisième aspect : le progrès technique déplace en permanence les frontières de l'expertise, de la division du travail homme-machine et entre les professions. Il faut préparer les professionnels à leur rôle en tenant compte des avancées de la technique et accompagner par la formation l'évolution de la division du travail, pour ne pas entraver les déplacements éventuels. Qu'il s'agisse de développer les pratiques coopératives dans les maisons de santé (on est du côté de l'innovation organisationnelle) ou d'apprendre à pratiquer la médecine à distance (innovation en termes d'équipement et d'organisation), il y a là deux motifs parmi bien d'autres à diversifier les apprentissages pratiques.

Métiers, numérique et formation

La problématique du numérique en santé est, on l'a dit, générale, évolutive et doit être intégrée dans tous les champs de la formation, des compétences et de l'exercice des métiers de la santé. Le « patient empowerment » et le « student empowerment », à la faveur du développement du numérique, sont des réalités, que l'Université et le monde des professions de la santé doivent intégrer.

L'impact sur le besoin en professionnels de santé, et singulièrement en médecins, de l'essor de la e-santé est aujourd'hui particulièrement débattu. Il fait entrevoir à certains l'avènement d'une médecine « sans médecins »

ou du moins le développement de formes de substitution à l'activité médicale. Pour d'autres, l'apparition de ces nouveaux outils aura surtout pour effet de faire évoluer le contenu des prises en charge cliniques, davantage centrées sur des fonctions de synthèse et de suivi individualisés.

Il est, dès lors, important de faire évoluer les formations, d'adapter en particulier la pédagogie aux publics actuels, qu'ils soient étudiants, professionnels de la santé en exercice ou patients, sans parler du grand public.

Le numérique favorise en effet les échanges pluridisciplinaires et interdisciplinaires en santé et permet de décloisonner les expertises en présence et à distance (télésanté et télémedecine). Il permet de connecter les étudiants, mais aussi les professionnels et les patients entre eux. Le numérique aura un rôle structurant en termes d'organisation des soins et d'amélioration de la coordination des parcours de soins, à travers la fourniture de solutions « agiles » de mise en relation des professionnels de santé ou de portage sécurisé des données de santé.

Quant aux outils et systèmes très variés de simulation numérique, ils occupent et occuperont une place de plus en plus importante dans les études de santé.

Il ne faut pas cependant ignorer les inquiétudes éthiques relatives au numérique (menaces sur les libertés individuelles et le secret médical, profilage des patients ou du public en vue de stratégies de ciblage marketing, menace « assurantielle », etc.) et il convient d'insérer ces problématiques dans les formations de l'ensemble des professionnels.

D. Diversifier les terrains de formation

La question de l'hôpital est évidemment centrale lorsqu'on évoque les ressources humaines en santé : l'hôpital concentre entre ses murs une part importante des professionnels de santé, variable selon les professions ; il joue un rôle majeur en matière de formation : cela vaut pour les médecins comme pour les autres professions de santé. Ce rôle est contesté non pas quant à la légitimité de l'hôpital à pourvoir à la formation des professionnels, mais en raison de la part réduite laissée aux autres lieux d'apprentissage que les services MCO (médecine-chirurgie-obstétrique). L'hôpital est en restructuration en continu, par nature dira-t-on s'agissant d'une institution centrale dans la prise en charge en santé, du fait des évolutions des besoins, des innovations techniques ou organisationnelles, des choix de la régulation publique aussi. Ces restructurations sont évidemment lourdes de conséquences sur les effectifs soignants, leur localisation, l'activité même des professionnels, leurs interrelations, les valeurs et les hiérarchies professionnelles.

Il paraît nécessaire de diversifier les terrains de formation et de favoriser des formations en établissements et en ville, au-delà du cadre du CHU, dans le cadre de conventionnement avec l'Université. Il importe, notamment, s'agissant de la médecine générale de développer un tissu de formation ambulatoire grâce au maillage territorial par les maîtres de stage.

Au demeurant, la question du lien hôpital-Université-territoire en matière de formation ne concerne pas seulement les médecins : la place respective de l'hôpital, des écoles et des institutions universitaires est, en effet, au cœur de la problématique de l'« universitarisation » des professions paramédicales et la dimension territoriale n'y est pas moins prégnante.

E. S'appuyer sur les aspirations des professionnels

Il s'agit tout à la fois de voir en quoi les professionnels peuvent être porteurs de changements et dans quelle mesure les innovations envisagées prennent en charge leurs attentes et leurs aspirations. Il s'agit aussi de tester les capacités de régulation en situation d'innovation à l'aune de ces aspirations.

L'aspiration à la mobilité est un leitmotiv chez les professionnels, les jeunes en particulier, mobilité tant géographique que disciplinaire ou statutaire. Il y a sans doute là les conséquences d'un ancrage générationnel. Les jeunes professionnels de santé ne sont guère différents des autres jeunes de leur génération. On ne voit pas ce qui pourrait venir restreindre ce désir de mobilité à l'avenir. Les études de santé semblent même en retrait en termes de mobilité internationale des étudiants et cet aspect-là de la mobilité mérite d'être soutenu.

Le fait est que ces aspirations à plus de mobilité, cette labilité, ou autre façon de le dire le refus de se voir assigner à vie à un territoire, un statut, une spécialité, déjouent pour une part les stratégies de planification, même quand celles-ci sont documentées en termes d'adéquation aux besoins. Les jeunes médecins multiplient les séquences transitoires (sous différents statuts) avant de « poser leur plaque » pour ceux qui finissent par le faire ; une part non négligeable des jeunes formés à la médecine générale valorise leur polyvalence en s'employant à autre chose qu'à la médecine générale ; les choix d'implantation professionnelle dépendent partiellement du lieu d'étude mais aussi de quantité d'autres facteurs (disponibilité des places en post internat pour les internes qu'on s'est évertué à bien positionner sur le territoire au moment de l'internat, mobilité contrainte des conjoints...) ³⁹.

3. La régulation professionnelle

En matière professionnelle, la régulation cherche la bonne allocation des ressources entre les métiers et les spécialités, l'efficacité allocative (ajuster au mieux les compétences aux besoins), une répartition territoriale équilibrée, compte tenu d'un maillage approprié et la capacité du système à se déformer dans le temps de façon à suivre l'évolution de la demande, ce qui interroge notamment le modèle de formation. Cette régulation est produite par un ensemble d'instances, à articuler : les pouvoirs publics au niveau central et au niveau régional, les représentants professionnels, les sociétés savantes et les responsables du système de formation, les collectivités locales, les financeurs.

Il est important de bien identifier les caractéristiques, les formes institutionnelles de cette régulation aux différentes périodes.

Le système de départ peut être assez simplement décrit : une organisation des formations cloisonnée, hiérarchique et discontinue (médecins / autres professions, CHU / autres hôpitaux, spécialistes / généralistes, formations courtes / longues), un régime statutaire dual (salarié / libéral), des financements cloisonnés (ville / hôpital, actes / budget global), une gouvernance éclatée (régalienne / conventionnelle, Etat / Assurance maladie, Agences régionales de l'hospitalisation...).

Le fait est que les caractéristiques du système évoluent, voire se trouvent bouleversées. Le système hospitalo-universitaire a besoin d'être reconsidéré, non pas pour remettre en cause ses principes fondamentaux mais au contraire pour en retrouver les intentions : organisation de la recherche en santé et de la formation, place des CHU dans le système hospitalier. Les professions évoluent. La profession médicale est écartelée entre hyperspécialisation et préoccupation holiste. L'articulation des rôles des spécialités de ville et de la spécialité de médecine générale est en évolution. Une forme de continuum se cherche entre les professions. Les formes de rémunération évoluent (diversification de la rémunération des libéraux, tarification à l'activité à l'hôpital...). Les modes d'exercice se complexifient.

La régulation d'ensemble du système apparaît quant à elle quelque peu décalée :

- les systèmes de formation restent cloisonnés : médecine / non-médecine, faculté / Université, CHU / autres lieux de formation, formations médicales / paramédicales (cf. universitarisation)/socio-éducatives, sans parler des cloisonnements ministériels ;

³⁹ Les jeunes professionnels mobilisent pour ce faire les dispositifs existants : le statut de remplaçant permet cette circulation entre les territoires, les expériences ; certaines positions à l'hôpital, qui peuvent paraître précaires, sont néanmoins valorisées en ce qu'elles correspondent à cette volonté de mobilité ; certaines spécialisations retardent ou contrecarrent les velléités d'installation. Il faut aussi examiner ce qui justifie ces stratégies de retardement ou de contournement : certains territoires ont clairement des problèmes d'attractivité (absence des autres services publics ou de possibilités d'emploi pour le conjoint...) et ceux-ci s'ajoutent souvent à d'autres motifs : lourdeur des procédures d'installation pérenne en libéral, incertitudes quant à la patientèle et aux conditions d'exercice, refus de l'assignation à un lieu sur plusieurs décennies comme pour les carrières traditionnelles.

- le modèle de référence en matière de formation semble lui-même daté dans une partie du système de formation (compétences / connaissances), ce qui renforce encore les interrogations sur certaines modalités d'évaluation (concours de PACES ou ECN) ;
- les outils de régulation quantitative des effectifs en formation (*cf. infra numerus clausus* et quotas) peinent à suivre l'ouverture internationale (et singulièrement la libre circulation des professionnels au sein de l'espace européen), les aspirations des professionnels et les modifications de la demande sociale ; les déséquilibres sont multiples (sur le territoire, par spécialité, au niveau des professions), les corrections brutales (*cf. numerus clausus*), les délais d'ajustement très longs ;
- les outils de régulation quantitative d'aval apparaissent souvent tardifs (en dehors d'outils tels que le contrat d'engagement de service public), ponctuels (au lieu de prendre en charge le parcours long des jeunes professionnels : du temps de la formation au moment de la stabilisation professionnelle), disjointes (les moyens mobilisés – par exemple en matière de prise en charge de la couverture sociale des professionnels – ont peu à voir parfois avec les difficultés identifiées), cloisonnés (effectifs en ville / effectifs hospitaliers, professions médicales / professions paramédicales) ;
- les dispositifs de tarification en ville se sont diversifiés, complexifiés, les efforts consentis par les pouvoirs publics apparaissent très substantiels (quant à leur impact sur le revenu des professionnels), mais le débat reste largement focalisé sur la valorisation des actes, sans que soit pour autant toujours posée la question de la hiérarchie des actes en question en fonction des innovations à l'œuvre ; le débat ne fait pas forcément une large place aux nouvelles formes de travail pluri-professionnelles et collaboratives, promues par ailleurs ; l'émergence de nouvelles activités bute de fait sur une vision prudente du conventionnement, compte tenu de la difficulté à faire émerger un nouveau modèle de financement, cohérent avec le « virage ambulatoire » et les nouvelles formes d'organisation.

A partir de là, si on considère la capacité d'ensemble à réguler le système, plusieurs questions se posent :

- comment faire évoluer dans un cadre lisible et prévisible les systèmes de formation, les activités et les formes d'exercice des professionnels, de façon décroisonnée (entre professions, formes d'exercice, statuts, ministères...), en s'appuyant sur une prospective des besoins (sanitaires, sociaux, territoriaux), et sans prétendre reconstituer par là une planification « à l'ancienne » ? ;
- comment articuler au niveau des territoires la régulation quantitative et qualitative des différentes professions ? Le volet santé du Pacte Etat-Région qui prévoit un pilotage régional associant Conseil Régional, ARS et Université, dans un cadre coordonné par l'ONDPS⁴⁰, est une avancée importante dans ce sens ;
- quelle vision prospective de la régulation des tarifications et des rémunérations avoir, en cohérence avec l'évolution du système de santé allant dans le sens du décroisonnement des parcours professionnels et des exercices entre ville et hôpital et du développement des formes d'exercice pluri-professionnelles ?

⁴⁰ ONDPS : observatoire national de la démographie des professions de santé.

Chapitre 7 - L'innovation et ses enjeux industrie-recherche

La santé, secteur particulièrement innovant, est depuis plus d'une dizaine d'années identifiée par la France dans le cadre de sa stratégie nationale de la recherche et de l'innovation à un des dix défis sociétaux à relever.

Articulées avec les politiques de développement industriel, la stratégie nationale de santé et la stratégie nationale de la recherche et de l'innovation mobilisent de nombreux leviers de politique publique tout au long du processus de production de l'innovation - de la recherche fondamentale à la mise sur le marché - en cherchant à agir sur les rétroactions qui existent entre les différentes étapes du processus.

On sait l'importance des rétroactions entre les différentes étapes du processus d'innovation (de l'aval vers l'amont) et la place importante des capacités d'adaptation des acteurs et des contraintes du marché.

Le secteur de la santé n'échappe pas à cette analyse. Il se différencie toutefois des secteurs industriels classiques dans la mesure où l'expérimentation des solutions médicales (médicaments, dispositifs médicaux et actes) est réalisée sur les individus et leur mise sur le marché autorisée seulement après évaluation, par des instances supranationales ou nationales, de leur efficacité et de leur sécurité. Il se différencie également par ses modes de régulation : secteur fortement administré, ses prix sont, pour l'essentiel, fixés par les autorités publiques, son financement largement socialisé, et l'organisation même du système très largement encadrée.

1. Les modes d'intervention de l'Etat en soutien à l'innovation

Les politiques de soutien à l'innovation peuvent prendre des formes diverses :

- soutien direct, à la fois par l'édiction de lois/décrets/règles, on peut citer par exemple la politique de brevets ; ou par la distribution de soutiens financiers, on peut citer par exemple, le financement d'opérateurs publics de recherche, ou encore la distribution de subventions et d'aides fiscales à des entreprises innovantes, ou également l'achat -via la commande publique-, de biens innovants ;
- soutien indirect, avec le développement de politiques visant à assurer un environnement économique et social favorable à l'innovation, on peut citer par exemple les politiques éducatives pour l'amélioration du niveau d'éducation et de qualification de la population, ou encore les politiques économiques et industrielles visant à développer des infrastructures favorisant la communication et la constitution de réseaux.

Mohieddine Rahmouni, Murat Yildizoglu. Motivations et déterminants de l'innovation technologique : un survol des théories modernes (2011)⁴¹.

Droits de propriété intellectuelle

Dans un univers où les connaissances nouvelles peuvent être imitées immédiatement et sans coût majeur, la firme aurait peu de possibilité d'augmenter ses profits en innovant. L'outil majeur que les producteurs ont développé depuis très longtemps est le secret qui essaie de limiter cette diffusion et d'assurer une exclusivité, et donc une position de monopole, grâce à l'innovation, de manière à défendre les profits après innovation. Le secret est loin de fournir une protection sûre et, au niveau social, il a un autre défaut : la limitation de la diffusion

⁴¹ HAL Id: halshs-00573686.

<https://halshs.archives-ouvertes.fr/halshs-00573686>.

des connaissances dans la Société. [...]

Subventions et incitations directes en vue d'orienter les innovations

Une autre dimension importante des politiques publiques envers l'innovation est la possibilité de se substituer aux incitations d'ordre privé (la demande des consommateurs et l'incertitude liée aux difficultés techniques), de manière à en compenser la faiblesse dans certains domaines spécifiques. [...]

Ces subventions cherchent à réduire un obstacle important dans les efforts à innover : l'incertitude inhérente aux résultats de l'activité de recherche, à la demande privée potentielle pour ces résultats, même dans le cas favorable où ils sont obtenus, et aux profits après innovation qui en découlent. Dans les domaines où cette incertitude est particulièrement forte, assurer un financement initial sûr vise à faciliter la prise de risque et déclencher l'activité de recherche. [...]

Partenariats public-privé de recherche

L'adoption de nouveaux mécanismes d'aide à l'innovation et à la diffusion technologique faisant appel à des partenariats de recherche public-privé (en favorisant la coopération entre les différents acteurs du secteur public et firmes privées), permet d'exploiter les complémentarités par l'élargissement de la diffusion des connaissances. Les firmes innover sur la base de cette demande publique de la recherche. Le partage des activités d'innovation entre plusieurs firmes, autour de thèmes qui demandent des collaborations dans des situations où les compétences sont dispersées, permet de réduire les coûts et les risques inhérents. Par rapport aux subventions traditionnelles en faveur de l'innovation, les partenariats public-privé favorisent davantage la concurrence dans le choix des firmes participantes. Le secteur privé a souvent un poids important dans la sélection et la gestion des projets. [...]

L'effort de recherche de l'État pour approvisionner sa propre demande de technologie (santé, défense, transport,...) peut permettre la construction d'infrastructures technologiques génératrices d'externalités positives pour le processus d'innovation dans le secteur privé.

Subventions par le biais des commandes publiques

L'intervention de l'État ne se réduit pas à pallier les défaillances du marché. Il est également consommateur de technologies par le biais des commandes publiques pour subventionner la recherche privée d'une manière indirecte. [...]

Crédits incitatifs et aides fiscales

Plutôt que des subventions, l'État peut aussi accorder des crédits incitatifs ayant une vocation à soutenir un programme de recherche spécifique dans le cadre d'une politique.

Cette incitation favorise l'éclosion de la recherche dans des champs spécifiques.

Les crédits incitatifs permettent d'orienter les activités de recherche vers des domaines en émergence ou peu étudiés. Cependant, contrairement au cas du partenariat public-privé, l'État se substitue au marché dans la sélection des technologies. [...]

L'État peut aussi subventionner indirectement la recherche des firmes en octroyant des aides fiscales à la mesure de leur effort de recherche ou aussi des crédits d'impôt recherche.

Education et capital humain

Un dernier apport que nous pouvons signaler – encore plus indirect, celui-là – est souligné par l'approche en termes du capital humain qui propose de prendre en compte l'ensemble des connaissances et des compétences individuelles acquises à travers l'éducation et la formation [...]. La théorie de la croissance endogène a mis en avant l'idée des externalités sociales liées au stock du capital humain qui est un facteur de développement et d'acquisition des innovations [...].

Le recensement des politiques de soutien à la recherche et à l'innovation dans le secteur de la santé montre la diversité des outils et l'importance des moyens mobilisés pour soutenir et financer l'innovation dans le système⁴². Ceux-ci peuvent être à l'initiative des ministères en charge de l'Industrie, de la Recherche ou de la Santé, et si l'on cherche à les positionner sur l'ensemble de la chaîne de valeur, de la recherche fondamentale à la mise sur le marché on constate que ceux-ci se déploient à chacune de ses étapes :

- Les organismes publics sont largement présents en tant qu'acteurs de la recherche (universités, organismes de recherche - INSERM, départements des sciences du vivant du CNRS et du CEA, Institut Pasteur,...- et CHU) principalement en recherche fondamentale, recherche

⁴² Cf. sur le site le document de la séance du 18 décembre 2014 : « Les politiques de soutien et d'aide à l'innovation dans le secteur de la santé ».

translationnelle et recherche clinique, mais aussi en recherche organisationnelle et sur certains segments en recherche en soins primaires et en santé publique ;

- Les pouvoirs publics sont aussi très présents en termes de financement,
 - *avec au niveau national quatre grandes entités :*
 - le ministère de l'enseignement supérieur et de la recherche et son opérateur, l'Agence nationale de la recherche (ANR créée en 2005), avec le financement par subvention des opérateurs publics et des unités de recherche des universités et le financement d'appels d'offre ;
 - le Commissariat général à l'investissement (Services du Premier ministre), avec le programme des *Investissements d'avenir* - PIA - dans lequel figurent de nombreuses actions relevant du champ de la santé⁴³ : soutien à 6 IHU, à des projets de recherche collaborative dans le domaine des biotechnologies et à des projets de recherche hospitalo-universitaire, mais également à diverses structures ou projets de recherche pouvant relever du champ de la santé⁴⁴ ;
 - le ministère des finances et de l'industrie (Direction générale des entreprises -DGE- et la Banque publique d'investissement -BPI France- avec en particulier la gestion du Fonds Unique Interministériel -FUI-, ou encore la distribution de subventions ou la prise de participations dans des fonds d'investissement, et la Direction générale des finances publiques -DGFiP- avec le crédit d'impôt recherche) ;
 - le ministère de la santé (la Direction générale de l'offre de soins -DGOS- avec notamment différents appels à projet ou les dispositifs de financement d'entrée précoce sur le marché de biens et actes médicaux innovants, ou encore la Direction de la recherche, des études, de l'évaluation et des statistiques -DREES-, avec notamment ses appels à projet en santé publique) et certains de ses organismes rattachés (INCa, IREsp, ANSM,..., assurance maladie,...).
 - *auxquelles, il convient aussi d'ajouter :*
 - la Commission européenne ;
 - le mécénat privé désintéressé (AFM, Téléthon, etc.)
 - et, au niveau régional, les régions et les agences régionales de santé.

Le soutien financier se fait sous forme de subventions à titre permanent à des structures et équipes de recherche ou, de plus en plus, via des appels à projet de recherche, ou encore par des subventions ponctuelles, des prêts à taux zéro ou des prises de participation directes ou indirectes dans le capital de sociétés innovantes. Les soutiens en question peuvent, en outre, être plutôt centrés sur la recherche fondamentale ou translationnelle, ou au contraire sur la recherche clinique, médico-économique ou organisationnelle. Ils peuvent enfin s'adresser principalement aux organismes publics de recherche, aux établissements de santé publics et privés et depuis peu aux centres de santé, ou plutôt aux industriels, ou encore aux structures coopératives, organismes de recherche publique/entreprises.

⁴³ Financements dont la gestion est déléguée selon les dispositifs à l'ANR, BPI-France ou encore pour l'appel à projets « territoire de soins numérique » à la DGOS.

⁴⁴ Financements via notamment les laboratoires d'excellence -LABEX-, les équipements d'excellence -Equipex-, les instituts de recherche technologique -IRT- dont un particulièrement dédié à la santé, ou encore via des appels à projet comme les projets structurants des pôles de compétitivité -PSPC- ou enfin via des structures de soutien et de valorisation de la recherche comme les plateformes mutualisées d'innovation -PFMI-, les sociétés d'accélération de transferts de technologies -SATT- ou le fonds national d'amorçage.

- Les pouvoirs publics interviennent aussi par voie législative et réglementaire afin de créer les conditions favorables à l'innovation dans le domaine de la santé, on peut citer les dernières mesures prises pour faciliter le développement des essais cliniques sur le territoire national (publication en juin 2014 de la convention unique à l'hôpital pour les études cliniques), ou encore les réglementations mises en place pour favoriser les partenariats publics/privés.

Les actions développées par le ministère de la Santé

Ces actions développées par le ministère de la santé sont de six ordres :

- 1) Soutien aux structures et dispositifs d'appui à l'innovation et à la recherche appliquée en soins et offre de soins :

- La DGOS finance plusieurs structures et dispositifs d'appui à l'innovation et à la recherche appliquée en soins et offre de soins pour la réalisation de missions de coordination, investigation et appui méthodologique : les Groupements Interrégionaux de Recherche Clinique et d'Innovation (GIRCI), les Délégations de Recherche Clinique et de l'innovation (DRCI), les Centres d'Investigation Clinique (CIC), les Centres de Recherche Clinique (CRC), les dispositifs de Renforcement de l'Investigation Clinique (RIC), les Sites de Recherche Intégrée sur le Cancer (SIRIC), les Centres de Ressources Biologiques (CRB), tumorothèques, etc. ;
- La DGOS finance également des programmes de recherche, qui interviennent aux différentes étapes de la validation d'une innovation en étroite concertation avec la Haute autorité de santé (HAS) : faisabilité clinique et identification d'un bénéfice potentiel (PHRC⁴⁵), sécurité et efficacité clinique (PHRC), démonstration de l'utilité médico-économique de l'innovation (PRME) ; et finance également un programme de recherche sur la performance du système de soins (PREPS), un programme hospitalier de recherche infirmière et paramédicale (PHRIP), et un programme de recherche translationnelle (PRTS).
- En outre, dans le domaine opérationnel, le ministère finance via le Fonds d'Intervention régional (FIR) géré par les agences régionales de santé (ARS) des expérimentations territoriales et régionales, ou encore gère le programme « Territoires de soins numériques »⁴⁶, visant à développer des systèmes d'information novateurs dans cinq régions.

- 2) Prise en charge, précoce et conditionnelle au marché, de biens et actes médicaux innovants :

Au nombre de trois, ces piliers de soutien à l'innovation permettent la prise en charge dérogatoire et précoce de technologies de santé et d'actes médicaux innovants conditionnée à la réalisation d'études cliniques ou médico-économiques visant à colliger les données critiques manquantes. Cette prise en charge précoce (en amont d'une évaluation par la HAS) concerne les technologies de santé et les actes médicaux innovants, c'est-à-dire de nouvelles technologies et actes médicaux dont les premières études disponibles suggèrent un bénéfice clinique ou médico-économique important, mais dont la maturité n'est pas encore suffisante pour prétendre à une prise en charge de droit commun. Cette prise en charge dérogatoire garantit une continuité de prise en charge jusqu'à la décision positive ou négative de prise en charge de droit commun. Enfin, les modalités de cette prise en charge dérogatoire (type d'étude requise, de demandeurs, nombre de centres éligibles, etc.) sont adaptées au type de technologie de santé concernée :

- Les autorisations temporaires d'utilisation (ATU) pour les médicaments innovants ;
- Le forfait innovation (FI), pour les produits, prestations et actes innovants ;
- Le Référentiel des actes Innovants Hors Nomenclature (RIHN) pour les actes innovants de biologie, d'anatomocytopathologie et d'odontologie.

- 3) Diffusion encadrée de l'innovation (après évaluation favorable de la HAS) : avec encadrement de l'utilisation lorsque subsistent des incertitudes quant à l'efficacité et la sécurité à long terme de l'innovation considérée, même si le service a été jugé suffisant ; ou encore financement spécifique via un fonds dédié au sein du fonds de modernisation des établissements publics et privés -FMESPP- lorsque l'innovation nécessite des investissements hospitaliers pour sa mise en place.
- 4) Financement spécifique pour certains produits spécialement coûteux, avec les enveloppes des médicaments et dispositifs médicaux facturables en sus des groupes homogènes de soins (GHS) pour les établissements de santé ;
- 5) Financement des activités de recherche et d'enseignement. L'enveloppe des MERRI (missions d'enseignement, de recherche, de référence et d'innovation), finance, outre les éléments déjà vus (ATU, PHRC, DRCI, actes hors nomenclature...), de manière non ciblée, l'activité de recherche et

⁴⁵ PHRC : programme hospitalier de recherche clinique.

⁴⁶ Expérimentations portées par les ARS dans le cadre des programmes d'investissement d'avenir.

d'enseignement. Cette enveloppe est décomposée en trois parts, la part fixe (destinée à disparaître en 2016 au profit des parts modulable et variable), la part modulable allouée sur la base d'indicateurs de résultats ou de moyens (nombre de publications pondéré, nombre d'essais cliniques et de patients inclus dans des essais cliniques, nombre d'étudiants) et la part variable finançant les structures d'appui, les programmes de recherche, les actes hors nomenclatures... Globalement, l'enveloppe des MERRI a représenté un montant de 2,4 Mds€ en 2014, dont 1,4 Md€ au titre de la part modulable, et près de 0,4 au titre des actes hors nomenclature et laboratoires d'oncogénétique, génétique moléculaire, cytogénétique. Les MERRI constituent ainsi l'une des principales enveloppes dédiées à la recherche, l'enseignement et l'innovation.

- 6) Ediction de lois et de règles favorables à l'innovation, comme par exemple la publication en juin 2014 de la convention unique à l'hôpital pour les études cliniques.

En loi de financement de la sécurité sociale pour 2016, ce sont près de 6 milliards d'euros qui ont été alloués par le ministère de la santé pour financer les différentes étapes de l'innovation. En outre le ministère a annoncé en octobre dernier, avec le Commissariat général à l'investissement, le lancement d'un fonds pour soutenir les start-up françaises. Initialement doté de 100 millions d'euros, son montant a été revu à la hausse : le Fabs (Fonds d'accélération biotech santé) a été doté de 340 millions d'euros.

Tous les dispositifs de soutien à l'innovation décrits ci-dessus soulèvent toutefois des questions de coordination et de cohérence, mais aussi d'efficacité, même si faisant suite à plusieurs rapports rédigés au cours des années 2000, une révision profonde de l'action publique a été menée à la fin des années 2000 avec, en particulier, la création de l'ANR en 2005 et d'Alliances regroupant en leur sein les différents organismes de recherche d'un même domaine (dont Aviesan en 2009 pour les sciences de la vie et de la santé), ou encore la création des pôles de compétitivité en 2005, ainsi que la création en 2004 du Conseil stratégique des industries de santé.

La multiplicité même de ces mécanismes continue de poser un problème de visibilité et de circuit de l'information pour les acteurs de la recherche, de l'industrie et du soin, et de cohérence globale. En particulier, les objectifs des ministères de la recherche et de l'industrie d'une part, de la santé d'autre part, ne convergent pas forcément.

Malgré les initiatives prises, il subsiste un système de financement encore peu lisible, morcelé, mais surtout, les problèmes de délais d'entrée d'une innovation dans le système n'ont pas été totalement résolus ; la lourdeur des procédures et la multiplicité des organismes auxquels le promoteur de l'innovation doit s'adresser aboutissent dans certains cas à un réel parcours du combattant.

2. L'intérêt de raisonner en termes de régulation

Au-delà de la simple analyse des politiques de soutien il faut en fait raisonner plus globalement en termes de régulation. Les formes institutionnelles de la régulation ont, en effet, de fortes conséquences sur les processus économiques de l'innovation à l'œuvre : la localisation des essais cliniques oscille par exemple entre recherche d'optimisation des coûts, impératifs de sécurité et capacités des équipes de recherche ; l'importance des coûts d'homologation pousse à la concentration industrielle. Dans un secteur fortement encadré, comme le secteur de la santé, les modalités de la régulation inter-réagissent avec les politiques de soutien. Là encore, il apparaît que les politiques menées mériteraient d'être mieux articulées.

A. La notion de régulation

Quel est au fond le but du système de régulation⁴⁷ ? Faire en sorte de maximiser le bien-être social, considéré globalement, c'est-à-dire permettre que les innovations se diffusent de façon adéquate, sans excès (surinvestissement / sous-investissement) et pour cela mettre en place les mécanismes de surveillance de marché pertinents, organiser les conditions de la concurrence (capacités

⁴⁷ Le concept de régulation a été importé dans le domaine de la gestion publique (depuis les sciences « dures ») pour désigner la nécessité de prendre en compte la complexité croissante des organisations et, partant, la pluralité des acteurs, des institutions, des normes, des valeurs à considérer aux fins d'assurer l'équilibre dynamique de systèmes devenus plus instables.

d'engagement de long terme mais en même temps relance régulière de la compétition pour limiter les asymétries d'information, maintien de l'équilibre de la structure de marché), délivrer les bonnes incitations (par le canal des prix et des tarifs notamment), limiter les rentes, le cas échéant compenser des charges spécifiques (de service public) de façon transparente.

Confronté à des mutations très profondes, plus ou moins visibles, le système de santé est aujourd'hui pleinement justifiable d'une analyse en termes de régulation. Vieillesse, transition épidémiologique, nouvelle vague d'innovations thérapeutiques, mutation numérique, division du travail continue, spécialisation et polarisation des métiers, renouvellement de l'économie industrielle du secteur des biens et services de santé, internationalisation des échanges et des mouvements des personnels et de patients, prégnance des problématiques territoriales, incertitudes quant à la soutenabilité des dépenses à long terme, difficulté permanente à assurer les équilibres de court terme, existence de rentes, de situations d'excès et de pénurie... Face à toutes ces mutations se pose de façon aiguë la question de l'équilibre à moyen long terme du système.

Les progrès réalisés au fil du temps en matière d'évaluation ne prémunissent pas la puissance publique contre les risques latents d'un interventionnisme excessif et pas toujours efficace. Il y a ainsi souvent détournement de la régulation au profit des offreurs en place et au détriment de la collectivité. Ces problèmes ont été identifiés de longue date par l'économie des choix publics, l'économie de la santé ou la sociologie des organisations⁴⁸.

Cette situation vaut dans un monde stable. L'innovation ne fait qu'exacerber les risques d'intervention des groupes d'intérêt promoteurs de l'innovation ou affectés par elle⁴⁹.

B. L'exemple du médicament

Le secteur du médicament est, à ce titre, assez illustratif. Le renforcement continu des exigences pour la mise sur le marché des médicaments fait de la maîtrise de l'organisation des essais cliniques et de la production des dossiers d'AMM une compétence discriminante dans le monde de la pharmacie. Cette barrière à l'entrée a contribué, parmi d'autres motifs, à la concentration du secteur. Autre effet collatéral : le renforcement des exigences pouvait conduire naturellement à différer la mise sur le marché de produits d'intérêt thérapeutique majeur. Les pouvoirs publics ont entendu ici le message des associations de patients et produit les assouplissements nécessaires à travers le régime des autorisations temporaires d'utilisation. L'admission au remboursement et la tarification (administrée) des médicaments sont très structurantes. Pour peu qu'elles ne soient pas régulièrement actualisées, elles figent la pharmacopée (même si elles accordent une place par ailleurs à l'arrivée de nouveaux produits), sinon les parts de marché et la configuration du secteur.

La question de l'autorisation de mise sur le marché apparaît centrale dans la mesure où elle est inductrice de conséquences qui dépassent de beaucoup le processus d'enregistrement *stricto sensu*. On est, en effet, confronté à un authentique problème de régulation d'ensemble, comme on peut avoir à en gérer dans d'autres secteurs. Les enjeux saillants de cet effort de régulation à construire peuvent être rapidement énoncés :

- la mondialisation : claire en ce qui concerne les cibles de marché et les procédures d'autorisation, plus ambiguë en ce qui concerne les essais cliniques ; se pose aussi la question de

⁴⁸ Voir en particulier Jean-Jacques Laffont, «Étapes vers un État moderne : une analyse économique», in Conseil d'analyse économique, *État et gestion publique*, 1999 et Michel Mougeot, *Régulation du système de santé*, Conseil d'analyse économique, 1999. Selon ce rapport, l'assurance maladie française et les différents compartiments du système de soins rendaient bien compte de ces phénomènes de « capture » : mandat vague, dilution des responsabilités, pouvoir discrétionnaire du régulateur, asymétrie d'information sur le coût et la qualité des soins, puissance des groupes de pression constitués, apparition de biais bureaucratiques.

⁴⁹ Ainsi, les capacités disciplinaires en médecine sont plus orientées par la configuration de l'offre académique et les besoins des centres hospitaliers universitaires que par l'analyse raisonnée et territorialisée des besoins sanitaires. Les transferts de compétences envisageables entre personnels médicaux et non médicaux rencontreront immanquablement des résistances professionnelles.

l'échelle de fixation du prix dans un système de tarification plus ou moins administré au niveau national ;

- l'articulation échelon européen, de plus en plus prégnant – échelon national, qui doit se reconfigurer en conséquence ;
- la gestion dans le temps des processus : des essais cliniques à la vie du produit sur le marché, y compris à long terme ;
- la prise en compte simultanée d'une gamme étendue d'objectifs, tous légitimes mais non tous congruents simultanément : bénéfice thérapeutique, sécurité sanitaire, intérêt de santé publique, efficience, attractivité, rendement de la recherche ;
- en particulier, l'attention particulière à la situation des usagers : sécurité versus disponibilité des produits, notamment pour certains groupes de population spécifiques ;
- le maniement en conséquence d'une gamme très large d'outils, plus ou moins articulés : régime d'autorisations (de plus en plus étendues dans le temps du processus, la dimension temporelle compliquant considérablement la donne en enrichissant l'information), recommandations, incitations économiques, dont la fixation des prix, informations ;
- la gouvernance multi-acteurs : pour ne parler que des acteurs publics nationaux, trois pôles existent, plus ou moins articulés, plus ou moins outillés, sous des statuts variés : AMM – vigilance / transparence et stratégie thérapeutique / fixation du prix ;
- la nécessaire concertation avec les usagers du système (aussi bien les patients, de moins en moins profanes, que les prescripteurs).

Les qualités attendues de cette régulation ne sont pas originales : prévisibilité, qualité procédurale, pédagogie et transparence, qualité des informations à disposition. Il importe également de travailler à la constitution des connaissances utiles par la recherche, par les études, par l'épidémiologie, par le système statistique et ce à tous les stades du processus. Enfin, et ce n'est pas le moindre des aspects, il importe de consolider la compétence stratégique (prospective et maîtrise des enjeux).

A l'évidence, ce travail de régulation doit être pris en charge au sein d'un système d'acteurs nécessairement complexe (il n'y a pas de solution miracle), dont les interfaces doivent être gérées (il ne suffit pas de juxtaposer des institutions ou de les faire se succéder dans un processus apparemment réglé). S'il n'y a pas de solution de régulation simple et unifiée autour d'un seul acteur, en revanche, la question de l'animation d'ensemble du dispositif de régulation est posée.

3. Les pistes d'évolution

C'est par rapport aux enjeux d'économie industrielle et de recherche et de régulation du système de soins qu'il convient dès lors d'examiner les outils mis à disposition des pouvoirs publics afin de concilier objectifs industriels et politique de santé.

De nombreuses pistes d'évolution peuvent être proposées, parmi celles-ci on peut citer celles retenues dans le cadre de la dernière réunion d'avril 2016 du Conseil stratégique des industries de santé (encadré) ou encore quelques unes des propositions formulées dans les chapitres suivants de ce rapport :

- une sanctuarisation de crédits affectés à l'innovation dans les établissements hospitaliers, comme cela est proposé par certains ;
- le développement de plateformes accueillant les différentes bases de données de santé avec la mise à disposition d'outils de requêtes et d'analyses permettant de faciliter l'accès aux données collectées ;

- la mise en place d'un interlocuteur unique au niveau du ministère de la santé (identifiable au niveau national avec antennes régionales) facilitant l'orientation des petites entreprises dans le processus administratif ;
- l'évolution des modalités d'évaluation et de tarification afin de mieux prendre en compte les innovations ;
- ou encore la mise en place d'une gouvernance mieux articulée entre les trois secteurs recherche-industrie-santé.

Quatre orientations stratégiques et 14 mesures arrêtées par le Conseil stratégique des industries de santé du 11 avril 2016

Orientation 1 : Faciliter l'accès des patients aux innovations

Mesure N° 1 - Le délégué à l'innovation organisera la coordination entre tous les acteurs pour mieux anticiper et accompagner l'arrivée des innovations sur le marché

Mesure N° 2 - L'évaluation des technologies de santé innovantes sera optimisée grâce à une approche différenciée permettant de concentrer les ressources sur les évaluations prioritaires ou les dossiers les plus complexes

Mesure N° 3 - Les critères et les modalités de l'évaluation de l'impact organisationnel seront définis

Mesure N° 4 - Les économies générées par les produits de santé et solutions innovantes seront prises en compte lors de leur tarification

Mesure N° 5 - Renforcer l'attractivité de l'expertise et lui redonner toute sa place dans l'évaluation

Mesure N° 6 - Promouvoir la diffusion régionale des produits et solutions innovants en priorisant des budgets sur la base d'orientations nationales

Orientation 2 : Valoriser la production

Mesure N° 7 - La valorisation des investissements de l'accord-cadre CEPS-LEEM sera réaffirmée

Mesure N° 8 - La transformation des « crédits CSIS » en crédit d'impôt sera étudiée, pour une éventuelle mise en œuvre fin 2016

Mesure N° 9 - Une vitrine sera mise en place afin de rendre lisible à l'international les capacités de production de médicaments biologiques et de dispositifs médicaux innovants en France. Business France assurera la valorisation de ces capacités de production rassemblées sous un label « Offre France »

Orientation 3 : Développer la recherche clinique et ouvrir l'accès aux données de santé

Mesure N° 10 - Agir sur les délais : le cadre législatif et réglementaire français sera adapté afin d'optimiser la mise en application des Règlements européens avec un délai de 60 jours pour l'instruction des dossiers

Mesure N° 11 - Une instance de concertation regroupant tous les acteurs publics et privés coordonnera la recherche clinique en France

Mesure N° 12 - Une interface entre la plateforme nationale et les industriels de santé sera mise en place pour définir les aspects pratiques et juridiques de l'accès aux bases de données.

Orientation 4 : Renforcer le dialogue État-Industrie

Mesure N° 13 - Pérenniser et renforcer les instruments du dialogue État-industrie pour améliorer la prévisibilité et la lisibilité de la régulation économique

Mesure N° 14 - Le principe de « préférence conventionnelle » sera réaffirmé en matière de régulation économique

Partie III – La régulation du système

Les opérateurs économiques mettent en œuvre des innovations pour répondre à des besoins de plusieurs natures (médicaux, organisationnels, économiques). Pour continuer à innover, au bénéfice de tous. Ils en attendent un retour économique, en termes d'activité, de productivité, de débouché, de profit. Le motif d'action est clair. Les signaux marchands existent.

Quel est le but de l'intervention publique ? En quoi est-elle concernée par l'innovation développée par des tiers ? Doit-elle porter elle-même le changement ? À partir de quelles informations ? En vertu de quelle stratégie ? Quelles sont les capacités publiques d'anticipation ? Quels sont les moyens de l'action publique ? Quelle balance entre le mode normatif et planificateur et un mode plus concurrentiel, plus individualisé, plus décentralisé ?

Sans aller jusqu'à avancer, comme certains auteurs, que toutes les innovations entraînant *in fine* une transformation radicale de la prise en charge ont pour origine une intervention étatique, on peut considérer que le rôle de l'intervention publique dans les investissements fondamentaux permet de favoriser l'innovation dans une perspective de long terme à travers la politique de la recherche et de l'enseignement et la politique d'investissement dans les grandes infrastructures publiques, ainsi que, plus généralement, la définition de l'environnement économique, juridique et fiscal favorable à l'innovation ou encore dans la formation.

La question de l'intervention publique en matière d'innovation s'agissant du secteur de la santé, secteur très largement administré, renvoie à un ensemble de thématiques propres à ce secteur.

Les motifs d'intervention publique sont *a priori* tous légitimes :

- faire profiter la population des progrès thérapeutiques ;
- favoriser l'autonomie des usagers et notamment des personnes âgées et des personnes en situation de handicap ;
- assurer l'équité dans la distribution de l'innovation entre groupes sociaux et entre pathologies, voire en profiter pour réduire les inégalités ;
- garantir la sécurité sanitaire ;
- faire prévaloir un certain nombre de considérations éthiques face aux développements de la science ;
- assurer l'équité territoriale par une diffusion équilibrée, voire discriminante, de l'innovation et des vecteurs d'innovation, en faveur des territoires défavorisés ;
- assurer un fort engagement public et privé en faveur de l'innovation, dans la perspective d'externalités positives ;
- assurer la soutenabilité du système en régulant les dépenses de santé (réguler à cette fin la diffusion des innovations coûteuses, dégager les économies liées aux possibilités de substitution ou à une gestion active de la tarification en fonction du cycle de vie de l'innovation) ;
- assurer la diffusion et la formation aux innovations ;
- Informer et permettre au citoyen, à l'utilisateur, au patient d'être acteur de sa santé.

Ces objectifs sont tellement nombreux qu'ils peuvent appeler une interventionnisme tous azimuts. Ils ne sont évidemment pas aisément conciliables globalement. Bien des contradictions apparaissent quand on les considère deux à deux.

Il est dès lors utile de revenir aux fondamentaux : s'agissant de biens et services dont le financement est en grande partie socialisé, comment définir un intérêt collectif supérieur, un supplément de bien-être associé à l'innovation – bénéfices ou bienfaits directs ou externalités positives ?

Pour conduire l'analyse, la notion de régulation sera utile au sens où il importe de prendre en compte la complexification de systèmes dans lesquels existent une série d'acteurs et d'institutions qui ont des objectifs multiples, différents, opposés ou contradictoires. L'innovation est à la fois fille de la diversification du système d'acteurs (corps professionnels et institutions mais aussi opérateurs industriels, usagers, acteurs locaux) et mère de cette complexification tant elle diversifie la réponse aux besoins de santé au-delà des schémas verticaux classiques de la planification.

Chapitre 8 – La veille et l'évaluation des nouvelles technologies

L'intégration des nouvelles technologies dans le panier des soins s'appuie classiquement sur un dispositif de veille et des procédures d'évaluation.

Son champ d'application se confond avec le périmètre du remboursement par les régimes d'assurance maladie de base et complémentaire.

Le caractère mouvant des frontières séparant le champ de la santé et ceux de l'autonomie ou du bien-être soulève cependant la question des conditions d'évaluation de biens et de services qui sont aujourd'hui hors du champ de l'assurance maladie, mais pourraient avoir vocation à y entrer demain.

1. Le dispositif de veille

L'anticipation est une nécessité dans un contexte où le processus d'innovation se poursuit à un rythme soutenu, avec l'arrivée de produits et de techniques susceptibles d'avoir, seuls ou combinés, un fort impact aussi bien thérapeutique que financier et organisationnel.

A. Les standards internationaux d'un dispositif de veille

La veille technologique ne s'improvise pas : elle obéit à des processus déterminés, elle s'inscrit dans une méthodologie précise, elle obéit à des principes, toutes choses qui fondent son efficacité. Ces standards s'expriment notamment au sein du réseau international d'organismes de veille *Euro Scan International Network* qui regroupe 18 organismes⁵⁰ de veille technologique en santé de divers pays et leur permet de partager informations et méthodologies.

Si l'on suit l'approche défendue par ce réseau, les systèmes de veille sur les technologies de santé ont pour fonction d'identifier, de filtrer et prioriser les technologies nouvelles et émergentes, d'évaluer ou de prédire leur impact sur la santé, la société, le système de santé, ses coûts, et d'informer les décideurs⁵¹. L'objectif est généralement que ces informations puissent constituer des éléments utiles aux prises de décisions.

Les systèmes de veille ont donc généralement cinq grandes fonctions qui doivent être bien identifiées : la détection, le filtrage et la priorisation, l'évaluation des impacts, la diffusion de ces informations et le suivi dans le temps des technologies évaluées.

Les technologies visées peuvent être nouvelles, c'est-à-dire très récemment intégrées et encore peu utilisées dans le système de soins. Elles peuvent être émergentes, c'est-à-dire non encore intégrées dans le système de soins (en essai clinique de phase II ou III ou en pré-lancement pour les médicaments ou en phase pré-marquage CE ou avant la prise en charge par l'assurance-maladie pour les dispositifs médicaux). Elles peuvent également être des technologies existantes mais qui font l'objet de nouvelles indications ou de nouveaux usages. Elles peuvent enfin être constituées d'un ensemble de technologies dont le développement, pris comme un tout, a un impact significatif.

La mise en place d'un système de veille suppose de déterminer un certain nombre de paramètres :

- les bénéficiaires et les objectifs de la veille ;

⁵⁰ L'APHP en est membre au travers de sa structure CEDIT.

⁵¹ Définition du guide Euroscan International Network.

- le champ ;
- l'horizon temporel ;
- l'organisation : qui réalise les différentes opérations/fonctions qui constituent la veille ?

Comme le montrent les organisations retenues à l'étranger, bien qu'un certain nombre de tendances se dessinent, il n'y a pas de réponse unique à ces questions.

La veille à l'étranger⁵²

La veille et le repérage précoce des technologies nouvelles et émergentes est assuré par différents types d'organismes à l'étranger et n'existe pas dans tous les pays. Certains pays tels le Royaume Uni disposent d'un dispositif de veille centralisé. D'autres tels les Etats-Unis disposent d'une diversité d'organismes publics aussi bien publics que privés fonctionnant de manière décentralisée et avec des visées diverses (alimentation de communautés de chercheurs, de décideurs...).

Une étude publiée en 2015 sur les 18 membres d'Euro Scan International Network⁵³ permet de dresser à grands traits quelques points saillants utiles dans une réflexion sur ce que pourrait être la veille en France. En effet, malgré leur diversité, on peut retenir que :

- ces organismes sont le plus souvent de petite taille, doté d'un budget et d'un effectif limité (de 5 personnes équivalent temps plein à une douzaine d'ETP au Royaume Uni) ;
- ils sont en général proches (rattachés ou abrités) de l'évaluateur public des technologies de santé ou des décideurs politiques ;
- ils sont rarement spécialisés dans un type de technologie et couvrent un champ qui peut être large (médicaments, dispositifs médicaux, procédures d'intervention, organisations des soins, etc.) ;
- ils repèrent les technologies en amont de leur mise sur le marché et les suivent dans la durée ;
- ils s'adressent en priorité aux décideurs publics (ministres, évaluateurs) et aux professionnels de santé ;
- tout en étant financièrement indépendants de l'industrie ou de sociétés commerciales, ils collaborent généralement avec des experts et groupes extérieurs permettant d'alimenter de façon pertinente le dispositif de veille.

L'objectif principal de ces structures est dans les trois quarts des cas de fournir à leurs mandants des informations utiles pour les décisions relatives à l'entrée dans le panier de soins (remboursement, évaluation).

L'évaluation ou la prévision des impacts potentiels de technologies émergentes se traduit par des productions variées :

- évaluation rapide : une brève revue d'une page élaborée dans un délai de 24 à 36 heures pour répondre à une demande précise d'une partie prenante ;
- évaluation brève élaborée dans un délai allant de trois jours à deux semaines, d'une longueur de quatre à six pages incluant des informations de contexte, sur le contenu de la technologie, l'enjeu médical et les aspects cliniques, des comparateurs courants, des informations sur la sécurité et l'efficacité, les coûts, les problèmes sociaux, éthiques et juridiques posés ;
- évaluation approfondie : une revue d'une quarantaine de pages produite dans un délai de quatre à six mois. Il ne s'agit pas d'une évaluation systématique, mais d'une évaluation ciblée utilisant des méthodes de recherche plus lourdes et plus structurées nécessaires pour aborder les technologies envisagées ou répondre aux demandes des mandants.

En raison de leur précocité et de leurs délais de production, les analyses proposées ne peuvent être exhaustives et sont souvent basées sur des données partielles apportant des éléments de preuve d'un niveau faible. Elles ne sont pas considérées comme définitives s'agissant de la sécurité, de l'efficacité, des considérations éthiques et économiques. Il en est de même des prévisions faites quant à leur impact, qui nécessite un suivi ultérieur attentif.

⁵² Cf. sur le site le document de la séance du 18 décembre 2014 : « Les dispositifs de veille existants dans le monde ».

⁵³ Euroscan international network member agencies : their structure, processes, an outputs, International Journal of technology assessment in health care, 31:1/2, 2015.

B. Assigner des objectifs ambitieux au dispositif à mettre en place en France⁵⁴

Il existe en France de nombreux acteurs qui se sont dotés de capacités d'anticipation en mettant en place des structures et des processus de veille technologique.

Mais ces différentes initiatives répondent logiquement aux objectifs des structures qui les portent : éclairer et optimiser les décisions d'achat de technologies de santé, anticiper les évolutions des marchés concernés, améliorer le système d'admission au remboursement des technologies de santé, orienter les financements de la recherche, etc.

S'il existe des démarches collectives, notamment celle menée sur le médicament par le comité économique des produits de santé (CEPS) en lien avec les industriels du secteur et la haute autorité de santé (HAS), elles restent parcellaires et limitées à un champ réduit. Les éléments collectés et analyses produites ne sont, en outre, pas systématiquement accessibles, transparents, partagés.

Au contraire de ce qui existe dans certains pays, les régulateurs français pas plus que les citoyens ne disposent d'un système de veille centralisé leur permettant d'avoir une vision globale de l'environnement technologique de moyen terme.

Or la multiplication des technologies, l'accélération des rythmes d'innovation sur les produits, le caractère incrémental de certaines innovations, les difficultés liées à leur évaluation, les coûts de certaines technologies ainsi que la capacité de certains produits à modifier l'organisation des soins plaident pour que les régulateurs soient le plus possible en capacité d'anticiper l'arrivée des produits ayant un impact potentiel important sur l'équilibre et l'organisation du système de soins.

Retenir un champ large

Un champ large (médicaments, dispositifs médicaux, pratiques professionnelles) doit être privilégié pour pouvoir prendre en compte les interactions entre les différentes technologies et pratiques. La veille doit concerner les innovations technologiques et organisationnelles émergentes mais également les nouveaux usages ou nouvelles indications, de technologies existantes.

Dans ce champ large, le filtre doit sélectionner les technologies en fonction de leur impact sur le système de soins afin de ne produire que de l'analyse ou de l'information utile à la décision. Sont ici visées des innovations qui peuvent impliquer des modifications substantielles de l'organisation des soins (par exemple les innovations susceptibles de permettre un transfert d'une activité de l'hôpital à la ville ou de modifier significativement les modes de prise en charge), avoir un impact budgétaire significatif, avoir un impact sanitaire d'ampleur. Ces innovations sont celles susceptibles d'appeler la mise en œuvre de mesures pour permettre leur bonne intégration au système.

La veille doit d'être en capacité de fournir une information utile à la décision, c'est-à-dire portant sur les bénéfices thérapeutiques attendus, les coûts/dépenses/économies induits, les indications, les cibles, le potentiel de diffusion, l'impact organisationnel, ainsi que les évolutions incrémentales dans la mesure où elles auraient à terme des effets de rupture.

Les documents attendus devraient être du même type que ceux produits par les systèmes de veille internationaux les plus structurés, c'est-à-dire des documents variés dans leurs formats, portant sur des technologies prises isolément, mais surtout sur des analyses transversales approfondies.

Fixer un horizon de deux à trois ans

L'horizon de la veille est un point structurant du dispositif à mettre en place. Si l'on se place dans l'hypothèse d'une veille destinée à éclairer les décisions des pouvoirs publics, cet horizon doit être suffisamment long pour leur permettre d'anticiper les évolutions, de partager les analyses et

⁵⁴ Cf. sur le site le document de la séance du 28 janvier 2016 : « Mettre en place un système de veille ambitieux ».

d'élaborer les actions à mener, de planifier et d'organiser les éventuelles évaluations nécessaires. Il doit être suffisamment court pour que les données disponibles permettent une analyse solide.

L'horizon retenu pourrait donc être de l'ordre de deux à trois ans avant l'introduction dans le système d'accès au remboursement pour le médicament ou avant l'accès au marché pour les autres technologies (notamment les dispositifs médicaux qui peuvent être acquis par les établissements de santé dès leur marquage CE). Cet horizon permet généralement de disposer des éléments nécessaires à une analyse d'impact et à une première évaluation du potentiel thérapeutique.

C'est en général l'horizon retenu par les structures de veille des membres d'Euroscan, sachant que cet horizon n'exclut pas le suivi de projets de plus long terme pour lesquels des informations peuvent être collectées dans le cadre d'une veille « recherche », d'ores et déjà organisée dans le cadre d'AVIESAN.

Rendre publics et diffuser largement les produits de la veille

Les informations de veille ainsi produites devraient être largement diffusées auprès des parties prenantes, y compris le public, afin de favoriser la transparence des débats relatifs aux décisions publiques et de permettre aux différents acteurs non institutionnels (professionnels de santé, patients) de disposer d'informations qui peuvent les concerner directement⁵⁵.

C. S'appuyer sur une organisation en réseau mobilisant largement les moyens existants

Si l'objectif du système doit être ambitieux, le réalisme doit présider aux modalités de sa mise en œuvre.

Les organisations possibles pour la mise en place d'une veille structurée sont nombreuses. Dans le cadre d'un projet français, quelques principes pourraient être retenus.

Une veille centralisée, s'appuyant sur une organisation en réseau des structures ayant d'ores et déjà une activité de veille

Le système de veille doit disposer d'un organe de pilotage, qui doit revenir à ses mandants, les pouvoirs publics, et devrait par nature être central. Il doit par ailleurs disposer d'un outil de production concrète de la veille qui doit être le fait d'un acteur identifié, compétent et légitime pour ce faire.

Ainsi, le dispositif de veille pourrait être rattaché à la délégation à l'innovation du ministère de la santé qui en fixerait les grandes orientations et priorités au nom des pouvoirs publics après consultation des parties prenantes, notamment l'assurance maladie, les agences, des représentants d'associations de patients, des représentants d'autres ministères impliqués dans les questions d'innovation et éventuellement des représentants des sociétés savantes, réunis dans un comité d'orientation. Ce pilote serait également en charge de passer des commandes au système de veille pour la production d'analyses spécifiques.

Le dispositif de veille proprement dit, en charge des fonctions de détection et de production d'analyses, serait organisé en réseau.

La tête de ce réseau pourrait être abritée par la HAS et l'ANSM afin de favoriser les synergies avec ces organismes : compétences, méthodologies, anticipation de l'évaluation et du suivi des technologies en vie réelle. Cette tête de réseau aurait des fonctions de détection, de priorisation/filtrage, d'évaluation et production d'analyses ainsi que de diffusion des résultats. Elle aurait également pour fonction l'organisation et la coordination, le développement, la montée en compétence et l'animation d'un réseau.

⁵⁵ Toutefois la transparence ne doit pas aboutir à la diffusion d'informations confidentielles pour les entreprises.

Le réseau lui-même serait constitué d'AVIESAN, l'ANSM, la HAS, des DRCI, des COMEDIMS et du CEPS qui ont une expérience, des compétences et quelques moyens consacrés à la veille technologique. Il doit associer les entreprises à l'origine de ces évolutions technologiques. Les membres de ce réseau auraient des fonctions de détection et d'évaluation des technologies d'intérêt. Les coûts induits seraient limités, chaque structure partenaire apportant des éléments relevant de son activité, de son expertise et de son champ de compétence actuels.

En fonction des alertes, analyses ou dossiers potentiellement importants remontés par ce réseau et filtrés, la tête de réseau ou ses mandants pourraient demander aux membres du réseau ou à un acteur extérieur (université, expert, organisme d'étude, société savante) d'approfondir les sujets d'intérêt. A moyen terme, cela permettrait, en fonction des besoins, des moyens effectivement disponibles et de l'utilité effective de ces analyses, de développer progressivement des compétences et des spécialisations au sein de ce réseau.

On aboutirait ainsi à la constitution d'une veille pilotée par le centre mais réalisée de façon décentralisée par divers partenaires.

Mobiliser les sources d'information existantes

Le dispositif de veille mobiliserait largement les sources d'information et d'expertise disponibles pour détecter et filtrer les technologies et pratiques d'intérêt, notamment : des industriels au travers de rencontres et de l'utilisation de leurs ressources propres, comme la base de données médicaments mise en place par le LEEM ; les éléments dont dispose le SNITEM ; des sociétés savantes ; la BPI ; des travaux déjà menés par les organismes de veille d'autres pays.

Mobiliser les moyens financiers et humains indispensables à l'efficacité du système

En tout état de cause, la création d'un tel dispositif pose la question des moyens nécessaires. Si l'on veut couvrir un champ assez large et produire des analyses de qualité, elle nécessite de mobiliser des analystes pour produire des notes ainsi que des personnes en capacité de coordonner et d'assurer le respect des méthodologies et des différentes fonctions du système de veille. Elle nécessite également d'investir dans la réalisation et la mise à jour d'outils de communication pour assurer la diffusion de ces analyses.

Sur ce plan, il convient de ne pas retenir les approches minimalistes qui ont conduit à l'échec des précédentes tentatives de mise en place d'un dispositif de veille.

Ainsi, la tête de réseau pourrait nécessiter entre quatre et six équivalents temps plein, ce qui sans être au niveau des agences étrangères les plus importantes, doterait la France d'une structure de taille comparable à la majorité des pays qui disposent d'une veille structurée.

La mise en réseau des forces des structures existantes doit permettre dans un premier temps de limiter les coûts, mais implique également des investissements pour que ces structures soient en capacité de répondre aux besoins (formation, priorisation des missions, éventuellement recrutements à terme).

Par ailleurs, un financement, qui conditionnera de fait le volume d'analyses effectué, doit être prévu pour la production des analyses approfondies par le réseau ou des partenaires extérieurs ainsi que leur mise à jour, voire pour inciter les partenaires à participer, à se structurer et à être en capacité de produire des analyses de qualité. Enfin, la participation ponctuelle d'experts dans la production des analyses aura probablement un coût qu'il faut prendre en compte.

2. L'évaluation des technologies doit mieux répondre à leurs caractéristiques actuelles

Le modèle d'évaluation qui prévaut jusqu'à présent est centré sur une approche produit par produit, technologie par technologie, acte par acte, privilégiant une appréciation clinique fondée sur des études qui précèdent la mise sur le marché des produits de santé⁵⁶. Ce modèle fait aujourd'hui l'objet de discussions de deux ordres :

- des discussions internes au modèle qui portent sur l'articulation des étapes successives de l'évaluation, la cohérence des critères mis en œuvre à chacune de ces étapes et enfin les conditions de leur utilisation ;,
- des discussions qui portent sur la pertinence même du modèle au regard des caractéristiques nouvelles de l'innovation.

L'évolution des caractéristiques de l'innovation dans le champ des produits et technologies de santé suggère, en effet, de profondes réorientations dont les prémisses sont déjà posées mais de façon encore trop timide et insuffisamment articulée.

A. La temporalité du processus d'évaluation à reconsidérer

Le processus d'évaluation est aujourd'hui organisé au fil de l'eau, au fur et à mesure des demandes d'intégration dans le panier de soins des nouveaux produits, techniques et actes. Il se concentre en amont de cette introduction dans une approche essentiellement fondée sur des essais cliniques.

Une approche insuffisamment prospective

L'approche actuelle, commandée par une logique de guichet, est loin d'une vision systématique qui permettrait, en s'appuyant sur un dispositif de veille structuré, de mettre en relation de façon prospective les nouveaux produits et les nouvelles technologies avec les finalités poursuivies et les progrès possibles dans les différentes aires thérapeutiques et vis-à-vis des différents problèmes de santé identifiés (cf. tableau du chapitre 1). L'exemple des travaux conduits par des institutions spécialisées, telle l'INCA, montrent qu'une telle démarche est possible. Mais, de façon générale, l'émiettement des processus administratifs fait obstacle à la concrétisation des synergies possibles mises en évidence dans la première partie du présent rapport :

- en termes de convergence technologique, s'agissant en particulier du numérique,
- en termes de convergence d'innovations d'ordres divers au service d'un objectif identifié.

Le développement d'une approche systématique permettrait de mieux structurer et coordonner, voire synchroniser, les processus d'étude et d'instruction aux différents niveaux, donnant une meilleure visibilité aux différents acteurs.

Les problèmes posés par une évaluation à des stades de plus en plus précoces

L'innovation aussi bien dans le domaine du médicament que dans celui des dispositifs médicaux s'accompagne d'une pression forte pour l'introduction de plus en plus précoce des produits de santé associée à des éléments de preuve qui ne sont pas encore stabilisés.

C'est ainsi que dans le domaine de l'oncologie notamment apparaissent des traitements ciblés et adaptatifs au cours du temps pour lesquels la frontière entre essais et protocoles de soins tend à disparaître ; les produits, en un sens encore expérimentaux, sont utilisés dans le cadre de soins et

⁵⁶ On ne reviendra pas ici sur le premier niveau de débat qui est traité, pour ce qui concerne le médicament, dans le récent rapport remis par Dominique Polton à la Ministre de la santé, de la solidarité et des droits des femmes, après une large concertation.

parfois en combinaison avec d'autres produits ne disposant pas eux-mêmes de niveaux de preuve élevés ou complets.

Le faible nombre de patients susceptibles d'être intégrés dans les essais est également par elle-même une source de difficultés dans un certain nombre de cas : maladies orphelines, thérapies ciblées, plusieurs catégories de dispositifs médicaux et notamment de nombreux DM implantables très spécifiques...

Ceci nourrit des évolutions dans les méthodes d'évaluation, promues notamment au niveau européen et relayées par les structures d'évaluation nationales, avec les AMM conditionnelles, les *adaptive pathways* et autres méthodes d'évaluation en continu sur lesquelles la réflexion est en cours d'approfondissement.

S'il est clair que la participation précoce aux essais des nouveaux traitements constitue un enjeu important pour les patients concernés et pour le positionnement de la France dans le processus de promotion et de diffusion de l'innovation, il n'empêche que les conséquences de cette anticipation continue mériteraient d'être mesurées du point de vue aussi bien médical qu'économique. Elle contraste avec les délais d'ailleurs acceptés dans d'autres champs pour lesquels les enjeux en termes de santé publique ne sont pas moindres - on pense à certaines actions de prévention par exemple.

Elle doit au minimum s'accompagner d'une gestion du panier de soins dynamique, qui lorsqu'elle ouvre plus largement pour les technologies à haut potentiel une possibilité d'accès rapide au marché, doit avoir pour contrepartie la fourniture de données, d'études sérieuses et une sortie du panier elle-même précoce en cas de difficultés ou de résultats non avérés.

La nécessité de synchroniser, voire d'intégrer, des approches concernant les multi-technologies et une diversité de critères

Pour faciliter et fluidifier le processus d'évaluation des technologies de santé, il convient en premier lieu de poursuivre les efforts d'adaptation de l'évaluation *ex ante* des produits de santé. Il s'agit là tout d'abord de poursuivre les efforts engagés, de clarifier les méthodologies d'évaluation propre à chaque produit de santé que ce soit dans le champ de la prévention, du thérapeutique ou de l'impact organisationnel ce qui permettra dans un second temps d'avoir une meilleure vision pour faire converger, là où c'est nécessaire, les modes et temporalités de l'évaluation des actes, dispositifs médicaux et médicaments. C'est le sens des orientations du Conseil stratégique des industries de santé du 11 avril 2016, en particulier de l'accent mis sur la coordination de l'évaluation des solutions combinant plusieurs technologies.

Les traitements innovants combinent, en effet, de plus en plus souvent différents médicaments, dispositifs médicaux et actes de façon concomitante ou successive mettant à mal l'approche analytique qui considère séparément chacune des composantes d'une solution thérapeutique. Or, dans bien des cas, c'est la combinaison qui peut être efficace ou efficiente. C'est donc elle qui devrait pouvoir être évaluée et tarifée. Si le système actuel contient des éléments allant dans ce sens (forfaits LPPR, évaluation conjointe actes/dispositifs médicaux par exemple), il n'est cependant pas conçu sur ce principe et la question de l'évaluation et de la tarification de « solutions » sera d'autant plus complexe à mettre en œuvre que ces solutions pourraient dans bien des cas n'être ni stables ni facilement évaluables. Enfin, le partage de la valeur qui résultera de cette évaluation devra également être anticipé afin de ne pas favoriser un acteur plutôt qu'un autre.

Il convient aussi d'approfondir les réflexions visant à mieux mobiliser des critères non-cliniques, en particulier pour les dispositifs médicaux, tels que ceux identifiés dans le *Core model* d'EUnetHTA^{57 58} : santé des professionnels (impact sur la sécurité au travail), conditions d'usage (impact sur les

⁵⁷ European network for health technology assessment : réseau européen de collaboration entre autorités ou organismes d'évaluation des technologies de santé nationaux. La HAS en est membre pour la France.

⁵⁸ Cf. sur le site le document de la séance du 28 janvier 2016 : « L'administration des dispositifs médicaux ».

compétences requises, les besoins de formation, les processus d'apprentissage), attentes des patients et de la population (acceptabilité, impact sur la participation du patient et les inégalités sociales), organisation des soins (impact sur les structures et les processus de soins), développement durable (environnement).

Ces évolutions visent à promouvoir une approche plus transversale et moins segmentée de l'évaluation. Cette orientation ne remet pas en cause fondamentalement le principe d'une médecine, et d'une intégration au panier de soins, basées avant tout sur des preuves scientifiques garantissant l'intérêt thérapeutique et la sécurité. Mais elle prend acte du fait qu'une partie de l'intérêt des nouvelles technologies, que ce soit pour le patient, le système de soins ou les professionnels, réside également dans d'autres facteurs, difficiles à objectiver et valoriser *a priori*.

Ces évolutions doivent prendre en compte des considérations de faisabilité pour les autorités chargées de l'évaluation et de soutenabilité, en particulier pour les PME/TPE particulièrement nombreuses dans le secteur des dispositifs médicaux.

Un investissement insuffisant dans le suivi de la diffusion de l'innovation et les études évaluatives en vie réelle

La question de la place à accorder aux évaluations en vie réelle n'est pas nouvelle. L'évaluation *ex ante*, ne peut, en effet, rendre compte ni d'effets indésirables qui n'apparaîtraient qu'à l'échelle de populations importantes, ni des effets d'usage ou encore des effets de dépendance des traitements à des conditions de formation des professionnels, d'organisation des soins, de gestion de parcours ou encore d'accompagnement des patients (éducation thérapeutique, observance, etc.).

Cette question se pose cependant de façon aiguë dans un univers où les technologies évoluent vite, où la pression en vue de leur introduction précoce s'accroît, et où les attentes des patients aussi bien que des soignants, en matière de qualité de vie, de sécurité et de facilité d'usage, s'accroissent.

C'est dans ce cadre que doit être suivie la dimension organisationnelle et économique dès lors que les technologies et les produits se déploient bien souvent dans des contextes et des environnements différents de ceux des études cliniques, générant de ce fait une plus grande variabilité des caractéristiques et comportements individuels.

Des initiatives ont déjà été prises dans ce domaine.

La HAS ou encore le CEPS demandent ainsi aux industriels des études post-inscription avec recueil de données complémentaires en vie réelle dans un cadre contractuel conditionnant une réévaluation ultérieure et pouvant être assorties dans certains cas de la signature d'un contrat de performance. Les premiers bilans réalisés par le CEPS et par la HAS montrent que les premières demandes d'études adressées aux industriels n'ont dans un certain nombre de cas pas été réalisées ou se sont avérées inutilisables. Ceci a justifié la mise en place d'une méthode visant à rendre effective la démarche avec la création en avril 2013 d'un comité⁵⁹ ayant pour mission de suivre ces évaluations post-inscription.

Les organismes d'assurance maladie ou encore l'ANSM réalisent pour leur part des études en vie réelle sur la base de données administratives ou de recherche, afin d'alimenter l'appréciation sur les conditions d'usage des produits de santé ou d'asseoir leur jugement sur le rapport efficacité/sécurité des produits concernés.

Ces initiatives récentes ne font toutefois l'objet d'aucune approche d'ensemble. Les moyens mobilisés actuellement sont également très insuffisants par rapport à l'ambition qu'il s'agirait de donner à une telle approche.

⁵⁹ Comité de suivi mis en place en application de l'article 11 de l'accord cadre CEPS-LEEM du 5 décembre 2012 et coordonné conjointement par la HAS et le CEPS. Participent également à ce comité les autres institutions représentées au CEPS (DSS, DGS, DGOS, DGCCRF, DGE, DGRI, CNAMTS, RSI/MSA, UNOCAM) ainsi que la DREES.

Les exemples étrangers montrent que certains pays ont investi avec quelques succès cette piste.

L'évaluation en vie réelle : exemple de l'Italie

L'Italie a mis en place un très large système de suivi informatique des prescriptions (registres remplis via internet) pour un certain nombre de pathologies. Ce système sert à la vigilance et à la surveillance (bonne prescription) mais est également utilisé pour réaliser des études en vie réelle pour des médicaments innovants (évaluation et réévaluation), études pouvant s'inscrire en outre dans le cadre de contrats de performance.

A titre d'exemple on peut citer le registre créé pour suivre les prescriptions de l'Aliskiren (Rasilez), traitement de l'hypertension artérielle essentielle. Le remboursement de ce médicament a été conditionné à la réalisation d'une étude d'observation en population via ce registre. Une étude à partir des données du registre (données d'étude en vie réelle colligées sur 2 ans) a permis de montrer que ce traitement réduisait à la fois la pression artérielle systolique et la pression artérielle diastolique chez les patients inclus, dans de bonnes conditions de sécurité. Ce registre a été un outil très utile pour analyser l'utilisation de ce médicament en 2^{ème} intention dans l'indication revendiquée. Au total, à partir des données du registre et d'une analyse d'impact budgétaire, il a été possible de définir les conditions de prescription, d'obtenir une baisse de prix pour aligner le prix du médicament sur ceux utilisés dans la même indication et d'introduire un plafond de dépense.

Source : Performance-Based Risk-Sharing Arrangements—Good Practices for Design, Implementation, and Evaluation : Report of the ISPOR Good Practices for Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Task Force, Louis P. Garrison, Jr. PhD (co-chair), Adrian Towse, MA, MPhil (co-chair), Andrew Briggs, MSc, DPhil, Gerard de Pouvourville, PhD, Jens Grueger, PhD, Penny E. Mohr, MA, J.L. (Hans), Severens, PhD, Paolo Siviero, BA, Miguel Sleeper, AC MA, Value in Health, 16, (2013, 703-719), Traduction SG HCAAM.

Cette orientation devrait, pour se concrétiser, s'appuyer sur la création au sein du système d'administration des technologies de santé d'une équipe spécialisée.

Le comité de suivi mis en place en 2013 par le CEPS et la HAS préfigure ce que pourrait être un comité de pilotage chargé de coordonner les actions engagées et de définir les priorités d'études portées collectivement dans le domaine du médicament par l'ensemble des autorités en charge de l'évaluation au niveau national, mais également au niveau local dans les structures hospitalières. Dans cette perspective le Comité devrait être étendu aux autres autorités publiques concernées par les études post-inscription selon des modalités à définir.

Si l'on souhaite faire du développement des études en vie réelle une priorité il faut prévoir une équipe dédiée fonctionnant de façon relativement autonome quel que soit son organisme de rattachement (HAS ou autre structure) composée d'une dizaine de personnes, travaillant de façon étroitement articulée avec l'ensemble des structures évaluatrices, et susceptible de mobiliser des équipes universitaires et d'associer dans ses travaux, outre les industriels concernés, les professionnels de santé ainsi que les OMEDIT. Cette option suppose donc de dégager les moyens supplémentaires correspondants dans la sphère publique.

Les études en vie réelle nécessitent un important investissement méthodologique et de recueil de données. Il appartient à l'instance de pilotage de ces études de promouvoir les méthodologies à développer et de favoriser la mobilisation, dans un cadre partagé, des données nécessaires à la réalisation de ces études. Une des difficultés majeures à laquelle sont aujourd'hui confrontés les évaluateurs pour mener à bien ces études est, en effet, la faible robustesse, voire l'inexistence, des données nécessaires. D'importantes évolutions tant juridiques que techniques permettent cependant aujourd'hui d'envisager le développement des recueils nécessaires à grande échelle dans des conditions de coûts acceptables.

La loi de modernisation de notre système de santé avait pour objectif affiché de permettre un accès facilité aux données administratives de santé contenues dans le SNIIRAM et le PMSI, et de permettre des appariements entre les différentes bases de données existantes dans les établissements de santé par l'utilisation du numéro d'inscription au répertoire national d'identification des personnes physiques (NIR) comme identifiant numérique du patient. Pour autant l'exploitation de ces bases reste complexe et nécessite l'utilisation d'outils de requêtes et d'analyses. Sur le modèle des plateformes expérimentales mises en place avec le financement de l'ANSM, l'instance de pilotage des études en vie réelle pourrait favoriser les initiatives permettant de mettre en commun les outils

de requête et d'analyse et de mobiliser des données multiples, données administratives (SNIIRAM, PMSI,...), épidémiologiques ou encore données tirées de registres.

L'objectif poursuivi devrait également conduire au développement, sous la responsabilité des autorités publiques, des sociétés savantes, des industriels et des professionnels de santé, de registres exhaustifs ou, pour le moins, représentatifs (en oncologie, pour certains DM implantables...) ou de logiciels et dispositifs permettant d'extraire de bases existantes⁶⁰ (dossiers médicaux...) dans les conditions appropriées (en termes notamment de protection des données individuelles) les données nécessaires.

B. Développer l'analyse médico-économique *ex post*⁶¹

La place de l'évaluation médico-économique à préciser et à renforcer

Depuis 2013⁶², les procédures relatives à l'inscription au remboursement ou au renouvellement d'inscription des produits de santé en France prévoient un avis de la Commission de l'évaluation économique et de santé publique (CEESP) de la HAS, en amont des décisions du Comité économique des produits de santé (CEPS) pour les produits innovants susceptibles d'avoir un impact significatif sur les dépenses de l'assurance maladie. Cet avis est produit parallèlement à l'avis des commissions médicales compétentes. Sans effet sur l'admission au remboursement, cet avis d'efficience⁶³ peut être pris en compte lors de la négociation de prix des produits, à côté de la valeur ajoutée clinique, du prix des comparateurs et des volumes de ventes. La mise en place de ce dispositif d'évaluation médico-économique peut également intégrer une analyse d'impact budgétaire (AIB).

L'introduction de l'évaluation médico-économique portée par la CEESP est une avancée récente et importante du système français. Elle a donné lieu à un considérable investissement méthodologique et a permis de faire mûrir la réflexion sur les différentes approches susceptibles d'être mobilisées pour la gestion de l'entrée dans le panier de soins et de la fixation des prix.

Ces études présentent des particularités importantes : obliger à une plus grande rigueur dans les essais et études présentées à l'appui des revendications de prix par les industriels (effet observé dans tous les pays qui développent une telle approche) ; objectiver les ratios d'efficience obtenus en différenciant notamment les différentes indications et populations-cibles.

Cependant, l'utilité des études d'efficience dans le cadre actuel des négociations de prix n'est pas clairement apparue, en particulier dans le cas emblématique de la fixation du prix de SOVALDI®. Ce cas a illustré la situation d'un produit ayant une efficience élevée même au prix demandé, compte tenu de ses résultats cliniques et des populations concernées. La difficulté était essentiellement budgétaire compte tenu du nombre de patients concernés. Par ailleurs, le niveau de prix revendiqué a été publiquement critiqué au vu des dépenses de R&D qui étaient connues et donc pour des raisons qui ne relevaient pas de l'analyse médico-économique.

Par ailleurs, s'agissant des produits innovants intervenant dans des champs thérapeutiques tels que le cancer ou la sclérose en plaques, l'analyse médico-économique est de peu d'effet dès lors que le

⁶⁰ L'incitation à la bonne tenue des registres est complexe à mettre en place et son efficacité n'est pas toujours garantie, d'où l'intérêt du développement d'outils permettant d'extraire des données recueillies en routine les éléments nécessaires à la réalisation des études souhaitées. La société Roche teste par exemple avec des établissements de soins volontaires un système de recueil automatique de données extraites des dossiers patients traités en oncologie afin d'expérimenter d'autres modes de rémunération.

⁶¹ Cf. sur le site les documents des séances du 28 janvier 2016 et du 22 janvier 2015 relatifs à : « L'évaluation médico-économique ».

⁶² Décret du 2 octobre 2013 pris en application de l'article 47 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2012.

⁶³ Efficience mesurée par le ratio différentiel coût/résultat (RDCR) ; le résultat étant selon les études un nombre d'années de vie gagnées (on parle alors de ratio coût/efficacité) ou encore un nombre d'années de vie gagnées pondérées par la qualité de vie (on parle alors de ratio coût/utilité).

prix des comparateurs est déjà extrêmement élevé et qu'il est considéré que l'innovation doit être rétribuée par un prix supérieur.

Fixer un seuil pour favoriser l'utilisation de l'analyse médicoéconomique en primo-inscription ?⁶⁴

Quelle place peuvent occuper les analyses d'efficience en primo-inscription dans le contexte institutionnel français ?

Dans des systèmes où les prix sont libres et donc fixés par les industriels (ce qui est le cas notamment au Royaume-Uni ou en Allemagne), les évaluations médico-économiques assorties de la fixation d'un seuil permettent au régulateur central, au-delà des comparaisons opérées entre produits ou stratégies thérapeutiques, d'indiquer aux acheteurs décentralisés un prix limite d'achat au-delà duquel le produit acheté ne sera pas admis au remboursement par la collectivité.

Dans des systèmes où les prix sont administrés par une autorité centrale, comme en France, la situation est très différente. Les études médico-économiques sont évidemment utiles dans une perspective de comparaison entre produits. Cependant, dès lors que l'utilisation de l'approche médico-économique a été exclue pour la gestion de l'inclusion dans le panier de soins remboursables (fondée sur le seul Service Médical Rendu), les autorités publiques françaises ne peuvent pas dire : « pas de remboursement du produit considéré au prix x ». Le CEPS est placé, de fait, en primo-inscription dans la situation où le principe du remboursement est acté au vu du SMR, charge lui étant laissée de fixer un prix tel que l'industriel ne renonce pas à une commercialisation en France. Plus le prix négocié sera bas, meilleure sera l'efficience de la prise en charge du point de vue des pouvoirs publics.

La question est ouverte de savoir si fixer un seuil, qui permettrait d'afficher les prix jugés acceptables au vu des résultats attendus, constituerait une aide utile dans la régulation du niveau de prix de certains nouveaux traitements. Ce choix a été écarté en France. On notera d'ailleurs que dans les pays où un tel seuil est utilisé, il est modulé et fixé à un niveau supérieur pour les maladies les plus graves, voire comme c'est le cas au Royaume-Uni, contourné par la constitution d'un fonds *ad hoc* de financement des médicaments anticancéreux qui obéit à une logique plus « classique » de négociation.

Quelles qu'en soient les raisons (coûts élevés pour réaliser des études de qualité, courbe d'apprentissage, complexité des sujets, etc.), une grande partie des études n'atteint pas les standards requis par l'évaluateur public pour être effectivement utilisables et font l'objet d'un renvoi⁶⁵.

Il n'empêche que le *benchmark* favorisé par la production dans les avis d'efficience des coûts par QALY et leur publication gagnerait à être activement mobilisé pour un éventuel arbitrage dans l'allocation des ressources de l'assurance maladie. Dans un certain nombre de cas l'affichage de coûts par QALY même assortis de fourchettes larges serait utile.

In fine, la question est posée, sur laquelle on reviendra dans la partie relative à la tarification, de l'acceptation par l'autorité de fixation des prix, du risque de non introduction immédiate dans le panier de soins de produits ou de technologies à des niveaux jugés excessifs.

⁶⁴ On ne discutera pas ici des critiques faites aux QALYs ou encore des problèmes qui tiennent à la difficulté de gestion de l'incertitude portant sur les populations et indications cibles, les conditions d'utilisation ou encore les comparateurs à retenir, ainsi que les effets et les coûts des traitements. Tous ces points sont traités dans le document mis sur le site présenté à la séance du 28 janvier 2016 : « L'évaluation médicoéconomique ».

⁶⁵ Ce qui pose problème notamment pour les dispositifs médicaux : les analyses étant réalisées très essentiellement sur des dispositifs de génération antérieures à celle pour lequel un remboursement est demandé, elles ne permettent pas de rendre compte de manière juste des gains d'efficience permis.

Développer les analyses médico-économiques *ex post*

Les difficultés méthodologiques tenant à la difficulté de fixer un seuil mesurant le coût d'opportunité jugé acceptable pour la prise en charge d'une nouvelle technologie ne se posent pas lorsque l'on mobilise l'analyse médico-économique en post-inscription.

La montée en charge des systèmes d'information et des recueils de données ainsi que le développement des études en vie réelle constituent une réelle opportunité pour amplifier la politique de réévaluation rapide concernant des produits ou de groupes de produits (qui peut porter sur les indications, les populations concernées, les conditions de prescription et de dispensation et le cas échéant les niveaux de prix) puisque dans ce contexte, on est en mesure de disposer de données d'observation des pratiques.

Mais les études d'efficience sont également très utiles quand elles sont appliquées à un champ plus large que les simples produits de santé.

Elles peuvent en effet conduire à des recommandations de pratiques et stratégies efficaces. L'étude de la HAS sur l'efficience des statines (2011) ou encore les travaux sur les stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale (2014) fournissent des exemples de telles approches élargies. De telles études constituent un levier fort pour améliorer les performances et l'efficience du système de santé. Elles mériteraient d'être davantage développées à l'instar de ce que réalisent d'autres pays aussi bien dans le champ curatif que préventif sur les programmes de santé publique ou l'organisation des soins⁶⁶.

Elles permettent également d'éclairer le débat sur l'allocation de ressources en objectivant les conséquences des décisions prises au cours du temps, en calculant pour plusieurs types d'interventions le ratio coût/utilité. Cette approche a l'avantage de mettre en évidence des valeurs de référence constatées *ex post* en matière de ratio coût/utilité par type d'affection, même s'il ne s'agit pas dans l'exercice de « choisir » entre plusieurs champs sur la base du ratio d'efficience. Le tableau suivant illustre quelques valeurs du ratio coût/QALY ainsi révélées⁶⁷.

La HAS est en mesure de développer cet aspect des évaluations médico-économiques et de s'engager par la suite dans une politique de soutien au déploiement des technologies et/ou des solutions ayant démontré un apport réel pour le système de santé.

Tableau 4. Rapport coût-utilité de différentes interventions de santé comparées au traitement standard

Intervention	Coût par QALY
Conseils à l'arrêt du tabac par des médecins praticiens*	Dominant (=économie de 400 \$ par QALY)
Remplacement d'une hanche pour les hommes de > 85 ans souffrant d'ostéarthrose**	4600 \$
Traitement d'aspirine en prévention secondaire***	11 000 \$
Hémodialyse péritonéale à domicile****	75 000 \$
Ajout de bevacizumab (anticorps monoclonal) à la chimiothérapie standard du cancer colorectal métastatique*****	140 000 \$

* Solberg LI, et al. Am J Prev Med 2006;31:62-71.
** Chang RW, et al. JAMA 1996;275:858-65.
*** Gaspoz JM, et al. N Engl J Med 2002;346:1800-6.
**** McFarlane PA, et al. Kidney Int 2003;64:1004-11.
***** Tappenden P, et al. Eur J Cancer 2007;43:2487-94.

⁶⁶ Il est à noter que de longue date l'approche médicoéconomique est mobilisée en France dans le champ de la vaccination (comité technique des vaccinations) ; de telles études sont également promues dans les programmes de recherche médicoéconomique (PRME) et programmes de recherche sur la performance du système de soins (PREPS) de la DGOS. Elles sont enfin utilisées pour l'examen des investissements hospitaliers dans le cadre du COPERMO.

⁶⁷ Tiré d'un article de la Revue médicale suisse, 2009, Auer et al.

Il s'agit ici d'amplifier les travaux de la Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) de la HAS, créée en 2008 afin de réaliser des évaluations médicoéconomiques de stratégies de soins, de prescriptions ou de prises en charge et d'établir des recommandations en santé publique pour aider les pouvoirs publics à optimiser l'allocation des ressources en santé.

C. Evaluer les dispositifs hors du champ de l'assurance maladie ?

La question se pose particulièrement pour les innovations numériques relevant du bien-être ou s'adressant au grand public qui ont vu leur nombre exploser ces dernières années notamment, solutions de m-santé ou objets connectés.

La réflexion sur le type de régulation publique à prévoir pour ces nouveaux développements est encore balbutiante, qu'il s'agisse de l'évaluation des objets et services proposés ou encore du statut des données collectées et susceptibles d'être mises à disposition.

On sent bien que la frontière est ténue et mouvante entre les deux secteurs ainsi définis, secteur du bien-être, secteur de la santé. Elle est susceptible d'être bousculée par l'usage même fait par les patients de ces outils nouveaux mis à leur disposition. La célérité avec laquelle les applications mobiles et les objets connectés évoluent ainsi que leur prolifération rendent toutefois malaisée la mobilisation des schémas d'évaluation habituels et incitent à recourir à des méthodes plus adaptées.

Un travail est en cours à la HAS sur une commande de la DSSIS en vue de proposer une première approche de régulation souple des logiciels et objets connectés non DM. Une réflexion a, par ailleurs, été engagée par la CNIL sur le statut des données collectées dans ce cadre.

Dans certains pays européens, émergent d'ailleurs quelques formes de régulation alternatives : on note que l'évaluation n'est pas cantonnée aux experts institutionnellement reconnus, mais est réalisée soit par des professionnels, soit de façon beaucoup plus ouverte par les usagers (retours d'expérience, etc.). On commence d'en trouver quelques exemples en France.

Chapitre 9- Favoriser la transformation de l'organisation du système de santé

Si l'on se projette à un horizon de quinze ans, le lieu d'intégration du système cohérent avec le lieu d'observation des problèmes de santé et de la maladie ne peut plus être limité à une structure de soins, en l'occurrence l'établissement de santé. Cette intégration mettra en jeu une pluralité de professionnels et d'organisations (dont les établissements hospitaliers) prenant en charge une population ou le parcours de patients. C'est dans ce cadre que doit être pensée la division des tâches entre les différentes catégories de professionnels et les moyens techniques qui leur sont nécessaires.

L'organisation de demain devra ainsi prendre en compte une double nécessité :

- permettre l'émergence de pôles nécessitant une forte concentration de moyens humains hautement spécialisés et d'équipements lourds et coûteux ;
- favoriser dans le même temps le déploiement de prises en charge au plus près des patients voire en établissements médico-sociaux à leur domicile.

Le modèle de demain devra combiner une approche populationnelle et plutôt collective et une approche individualisée de la santé. Il devra continuer de mettre en œuvre la médecine du grand nombre qui a fait la preuve de son efficacité avec la diffusion de la vaccination, de traitements médicamenteux à large diffusion et d'examens et interventions standardisés, en même temps que se développera une médecine plus personnalisée à divers égards : à travers la médecine de précision associant à des analyses biologiques et génétiques des traitements adaptés à de faibles nombres de malades d'une part, mais aussi avec le développement d'un accompagnement individuel de certains publics ou patients dans leurs parcours de santé et de soins.

Pour transcender ces tensions et contradictions, il convient de :

- passer d'un modèle combinant l'intervention d'organisations hospitalières et de professionnels libéraux exerçant de façon isolée à un modèle valorisant l'intervention coordonnée d'équipes ou de communautés professionnelles fonctionnant en réseau selon des formats variables et dont l'action soit inscrite dans des territoires ;
- définir les leviers nouveaux de l'intégration de ces réseaux qui doivent mobiliser des registres professionnels, des savoirs et des outils techniques communs ;
- repenser les formes de gradation des prises en charge qui ne peuvent plus reposer sur la simple opposition entre prises en charge hospitalières et ambulatoires mais doivent correspondre à des niveaux de service d'intensité variable qui feront intervenir acteurs de ville et de l'hospitalisation, tout en assurant la continuité des prises en charge et l'articulation des différents niveaux ;
- poser de façon nouvelle la question des infrastructures du système de santé.

1. Une nouvelle forme de gradation des prises en charge associée à différents types de services

Pour s'affranchir des schémas préexistants et des logiques portées par les institutions en place, il est nécessaire de prendre pour point de départ les services attendus du système de santé pour répondre aux besoins. Il ne s'agit évidemment pas de redéfinir l'ensemble des activités, mais d'identifier plus particulièrement les activités nouvelles dont le développement est souhaité.

La présentation qui suit ne doit, par conséquent, pas être vue comme un nouveau cadre de planification des moyens mais comme une représentation du système dépassant les cloisonnements actuels et identifiant des niveaux de services par rapport auxquels situer les innovations à venir et les initiatives des acteurs. Elle analyse par ailleurs les tensions et questions que pose la transformation de l'organisation d'ensemble du système.

Dans cette perspective, le développement des prises en charge à domicile et la forte structuration d'un premier niveau de prise en charge constituent des enjeux majeurs. Au-delà, il convient de concevoir une gradation des prises en charge adaptée selon les champs pathologiques et les disciplines⁶⁸.

A. Le développement des prises en charge à domicile

Les évolutions démographiques et épidémiologiques⁶⁹ ainsi que l'évolution des aspirations des personnes pour rester dans leur cadre de vie habituel, imposent que l'on renforce les coopérations, autour d'équipes pluri-professionnelles, de façon à permettre un développement des prises en charge à domicile de patients chroniques et de personnes âgées. L'apparition de nouveaux traitements ou dispositifs médicaux faciliteront une telle évolution.

Les prises en charge attendues posent des problèmes spécifiques. L'éclatement de notre système entre secteur sanitaire, social et médicosocial empêche, en effet, la définition claire des services que l'on souhaite déployer dans ce cadre. Cette définition se fait au coup par coup à l'occasion des prises en charge individuelles des personnes concernées. Or, une vision intégrée des services est indispensable d'autant qu'existent à la fois de fortes complémentarités et de possibles substitutions entre les différents intervenants professionnels ainsi qu'avec les aidants non professionnels. La gamme de services à mettre en place pour permettre une prise en charge à domicile est en effet vaste : aides aux activités de la vie courante, aménagement du domicile, accompagnement social, soins de nursing, soins qui peuvent être d'un haut degré de technicité et mobiliser des équipements sophistiqués.

Les acteurs d'abord concernés par ces prises en charge sont les professionnels libéraux qui interviennent au domicile des patients (essentiellement les infirmiers et dans une moindre mesure les kinésithérapeutes) et les Services de soins infirmiers à domicile (SSIAD) qui permettent l'intervention d'aides-soignants coordonnée par des infirmiers, ainsi que les Services d'aide à domicile (SAD) avec l'intervention d'auxiliaires de vie ou les Services polyvalents d'aide et de soins à domicile (SPASAD) qui combinent les deux formules. Leurs interventions devraient se développer pour accompagner le raccourcissement des durées d'hospitalisation.

Dans le cadre de leur mission, ces acteurs du domicile devraient être amenés, comme le prévoient déjà les textes, à participer à l'éducation thérapeutique de leurs patients et à mettre en œuvre des actions d'éducation à la santé et d'aide à l'autonomisation des soins pour ceux-ci et pour leurs proches.

⁶⁸ Cf. sur le site le document de la séance du 22 octobre 2015 : « Un cadre favorable à la transformation des organisations ».

⁶⁹ Cf. sur le site les documents de la séance du 23 avril 2015 : « Personnes âgées, état de santé et dépendance » : quelques données statistiques ».

Lorsque la technicité des soins requis est élevée et la charge en soins lourde, nécessitant notamment une continuité des soins, l'acteur concerné est l'établissement d'hospitalisation à domicile (HAD)⁷⁰. Il peut s'agir de soins complexes en lien avec une pathologie aiguë ou une maladie chronique, mais également de soins de réhabilitation, voire d'accompagnement dans la fin de vie. Ce type d'intervention devrait aller croissant sur le champ des soins de suite et de réadaptation pour les patients victimes de maladies invalidantes et particulièrement d'accidents vasculaires cérébraux, ainsi que dans le champ gériatrique.

Enfin, au domicile, les prises en charge nécessitent dans un certain nombre de cas la mise en place de matériels et d'équipements médicaux ou non médicaux (équipements domotiques destinés à faciliter le maintien à domicile, mais aussi pompes à insuline, aides respiratoires...).

Le développement des dispositifs médicaux susceptibles de favoriser les prises en charge à domicile ouvre un champ de développement extrêmement important pour les prestataires de services et distributeurs de matériel (PSDM). Il convient de s'assurer des conditions de sécurité et du bon fonctionnement des équipements mis en place, ainsi que de leur bonne utilisation et de l'observance par les patients, ce qui suppose un encadrement et des référentiels. Dans ce contexte, il convient également de se poser la question de l'apport et de la valorisation des dispositifs médicaux permettant au patient d'être davantage acteur de sa santé.

A l'horizon de quinze ans, le domicile sera un lieu privilégié de déploiement d'équipements et d'objets connectés ainsi que de recueil et de suivi de constantes physiologiques et biologiques, susceptibles d'être mobilisées par les patients et les professionnels de santé assurant le suivi (voire par les services d'urgence).

La mobilisation croissante dans la période récente des professionnels et structures concernés les amène à innover pour le maintien à domicile de certains patients en lien avec les intervenants de ville et les intervenants des secteurs médico-social et social. Ces innovations doivent être examinées à la lumière des évolutions souhaitées et de leur capacité à traiter les dysfonctionnements et combler les manques qui font actuellement obstacle au développement de prises en charge continues, l'objectif étant, avec une offre diversifiée mais articulée et adaptée, de couvrir l'ensemble des besoins des patients sans surcoût et surcharge excessifs pour eux et leur entourage.

Ce maintien à domicile des patients aux pathologies complexes, ne pourra toutefois se faire sans une structuration forte d'un premier niveau de prise en charge, avec parallèlement la mise en place de liens étroits avec un second niveau plus spécialisé, dans une approche décloisonnée entre ville et hôpital.

B. La poursuite de la structuration d'un premier niveau de prise en charge

Le premier niveau est un niveau de proximité et de premier recours au système de santé.

Les services attendus du premier niveau de service

Les services attendus à ce niveau sont les actions de promotion de la santé et de prévention, les soins de première intention y compris en psychiatrie, la régulation des urgences, l'éducation thérapeutique et le suivi des malades chroniques. C'est à ce niveau que doit se concevoir à titre principal la prise en charge gériatrique.

Ce niveau de services se distingue assez profondément des services rendus aujourd'hui par la médecine générale, une partie des spécialités cliniques et les services d'urgence hospitalière. Il doit comme aujourd'hui couvrir la réponse aux besoins ponctuels des patients atteints de pathologies

⁷⁰ ou celui qui, par exemple, organise la dialyse à domicile

bénignes et assurer l'orientation dans le système. Mais il comporte une dimension nouvelle relevant d'une approche à la fois populationnelle et communautaire.

C'est le niveau où doit, en effet, s'effectuer l'articulation étroite entre réponse sanitaire et réponse sociale et médico-sociale pour la prise en charge de certains malades chroniques et personnes âgées ou encore pour les publics précaires et désocialisés. Une implication beaucoup plus forte qu'aujourd'hui de nouveaux acteurs distincts des professionnels de santé est à prévoir, associations de patients, associations d'aidants pour le développement des actions de promotion de la santé et d'accompagnement des patients ainsi que pour des interventions sociales.

C'est à ce niveau aussi que doit être conçue une réponse de premier niveau aux urgences dans le cadre d'une organisation territoriale distincte des organisations hospitalières.

L'organisation de ce premier niveau de service

Au premier niveau, les services devraient être assurés par les professionnels ambulatoires : généralistes, paramédicaux, pharmaciens et certains médecins spécialistes, articulés avec les établissements de santé de proximité et les établissements de soins de suite et de réadaptation ainsi qu'avec les établissements sociaux et médico-sociaux.

Pour aller au-delà des prises en charge ponctuelles, une offre de services centrée sur une équipe de soins primaires organisée autour du médecin traitant, combinant les compétences de la médecine générale, des soins infirmiers et des pharmaciens doit être développée.

Elle devrait être dotée de moyens techniques propres permettant de compléter l'examen clinique par des échographies et le suivi de certaines constantes physiologiques ou biologiques (à travers notamment le déploiement d'objets connectés). Elle devrait, par ailleurs, pouvoir mobiliser des plateaux techniques de base ou de proximité comportant radiologie conventionnelle et échographie, avec éventuellement une interprétation par télé expertise ainsi que la biologie courante (plateaux libéraux, plateaux situés dans un établissement de santé de proximité, voire plateaux mixtes).

S'agissant des professionnels du premier recours le mouvement est engagé vers la constitution progressive d'une offre pluri professionnelle organisée dans le cadre d'équipes de soins primaires pluriprofessionnelles (pôles, maisons de santé, centres de santé), que ce soit sur un seul ou sur plusieurs sites. Il convient d'examiner la portée attendue de cette innovation à l'horizon de quinze ans, les obstacles rencontrés aujourd'hui, les questions qui se posent encore.

La concentration inéluctable des blocs opératoires et des gros plateaux d'imagerie, ainsi que des compétences humaines associées, dans les métropoles régionales et grandes villes, ne doit pas signifier une désertification du territoire. Tout au contraire, cette concentration technique doit être accompagnée par un renforcement des établissements de proximité, bien positionnés dans leur territoire, aux missions bien définies, articulés de manière optimale avec la médecine de ville et le champ social et médico-social.

Ces établissements devraient proposer des activités de médecine de court séjour, éventuellement avec un accueil des urgences, des unités de SSR, d'EHPAD, éventuellement une antenne de psychiatrie. Ils disposeraient d'un plateau technique de base : imagerie, biologie, ces deux activités pouvant être assurées par le secteur libéral de ville au sein d'un établissement de santé fonctionnant avec des médecins salariés, situation de certains ESPIC et des ex-hôpitaux locaux (ou sur un plateau mixte associant le public et le privé). Des échanges par télé-médecine seraient organisés avec le centre hospitalier de référence.

Ces établissements auraient à charge notamment la gestion de la filière gériatrique, avec les acteurs de ville, la coordination de proximité avec le champ social et médico-social comme les intervenants au domicile, etc.

L'esprit général est que ces établissements soient insérés dans la filière de soins, en étroite coordination avec les médecins de ville et les paramédicaux, ceux-ci pouvant intervenir en leur sein, et facilitant les suivis de malades chroniques ou poly pathologiques, à travers diverses activités : éducation thérapeutique, aide aux aidants, formations...

C. Au-delà du premier niveau, des formes d'organisation et de gradation à définir de façon transversale, en fonction des disciplines et des pathologies

Au-delà du premier niveau, des niveaux de service, à adapter selon les champs pathologiques et disciplines peuvent être définis.

Les services attendus aux deuxième et troisième niveaux de service

Le deuxième niveau

Le deuxième niveau correspond aux prises en charge de second recours nécessitant des moyens humains et techniques spécialisés. A ce niveau doivent être assurées comme aujourd'hui les interventions spécialisées courantes qu'elles requièrent ou non une hospitalisation, dans le cadre de la prise en charge d'épisodes de soins aigus ou de la mobilisation d'une expertise particulière.

Ce niveau doit aussi comporter des services contribuant au développement d'une prise en charge intégrée des malades chroniques et des personnes atteintes de plusieurs pathologies. L'enjeu est ici la mise en place de processus de prise en charge favorisant l'inclusion effective dans des parcours efficaces des patients qui le nécessitent. Alors que la définition des prises en charge relevant des soins primaires a fait l'objet de multiples travaux et peut s'appuyer sur l'exemple de systèmes étrangers ou d'expérimentations françaises, force est de constater que la réflexion est encore embryonnaire sur la façon de concevoir les services attendus du deuxième niveau de prise en charge et les conditions de leur articulation avec les premier et troisième niveaux. Les référentiels de prise en charge ne concernent pour l'instant que quelques pathologies et ne traitent pas des cas complexes pourtant les plus fréquents de polypathologies. Les réflexions sont conduites de façon segmentées à l'occasion de livres blancs produits par des sociétés savantes ou des organisations professionnelles.

Ce niveau comme le premier a vocation à s'inscrire fortement dans le territoire et à contribuer à côté des prises en charge individuelles à la dimension populationnelle des interventions du système de santé. Les conditions d'articulation des réponses qu'il apporte avec celles du premier et du troisième niveau sont cruciales, renvoyant aux conditions d'intégration des acteurs du deuxième niveau dans la chaîne des soins.

Le troisième niveau

Le troisième niveau est celui des prises en charge les plus spécialisées mobilisant des ressources humaines hautement spécialisées et des moyens techniques lourds. Il n'a pas vocation à répondre à des demandes de proximité et son inscription territoriale répond à une logique différente de celle qui préside aux premier et deuxième niveaux. La question de l'accès de toute la population aux services les plus pointus ou les plus lourds dans des conditions égales est cependant une question majeure qui repose sur la bonne articulation des niveaux entre eux, ce qui peut être facilité par l'usage des nouvelles technologies mais également, l'absence de hiérarchie entre les niveaux, chacun ayant un rôle spécifique dans le parcours de soins.

L'organisation du deuxième niveau de service

L'évolution de la nature des pathologies et des problèmes de santé à prendre en charge conduira de plus en plus à ce que l'observation et le traitement de pathologies chroniques et multiples se fassent

hors du cadre strict de l'hospitalisation qui ne représentera qu'un moment dans une prise en charge continue. Les soins spécialisés de second recours seront à dispenser dans un cadre ambulatoire articulé avec le premier niveau de prise en charge et avec les spécialités hospitalières.

On peut considérer que l'existence d'une importante médecine spécialisée ambulatoire est un atout pour la France (la question de l'accès aux soins spécialisés de proximité est *a contrario* vue actuellement comme une difficulté en Grande Bretagne). Elle le sera à l'horizon de quinze ans à condition que cette médecine évolue vers des formes plus structurées, pour une prise en charge des patients au long cours, organisée selon des logiques de filières de prises en charge. S'agissant des médecins spécialistes, la réflexion doit être approfondie quant aux formes de leur exercice à l'horizon retenu (quel type de regroupement, quel type d'insertion pour la prise en charge des patients chroniques et âgés notamment, à la lumière des innovations qui peuvent émerger aujourd'hui ?).

Dans le même temps, la spécialisation croissante des disciplines médicales et chirurgicales, le renforcement continu des normes applicables aux actes nécessitant équipements, plateaux techniques et blocs, ainsi que les besoins de permanence des soins induisent une concentration croissante des moyens techniques et un regroupement des différentes disciplines médico-chirurgicales (en tenant compte qu'un tel regroupement peut être organisé sur plusieurs sites, s'ils ne sont pas trop éloignés). Pour les spécialités médicales recourant à des blocs et des plateaux techniques, cette concentration a un fort effet de polarisation des spécialistes y compris libéraux.

Ces deux évolutions créent des injonctions contradictoires. La logique technique tendant à la concentration des moyens va à l'encontre de l'objectif d'accompagnement des parcours de soins, par essence plutôt décentralisés et au plus près des domiciles des patients, objectif d'autant plus légitime que les prises en charge ambulatoires par les établissements de santé ont vocation à connaître un important développement : consultations externes, bilans réguliers, pour un suivi de pathologies complexes ou après une intervention lourde (parfois en hôpital de jour)...

Pour surmonter cette tension, il convient de concilier un principe de regroupement dans des entités uniques des moyens lourds et le développement d'interventions au plus près des patients à partir des établissements de santé publics, ESPIC et privés commerciaux et de la médecine spécialisée ambulatoire.

Se pose donc un problème de planification des centres hospitaliers lourds. Il paraît raisonnable de retenir, au deuxième niveau de service (hors « disciplines de pointe »), un principe de regroupement (public ou privé, ou « mixte ») du plateau technique et de l'ensemble des disciplines médico-chirurgicales spécialisées de court séjour sur un territoire. Il s'agit ici de regrouper dans une logique d'efficience des moyens aujourd'hui excessivement épars.

Cette orientation doit être conjuguée avec la nécessité de maintenir une pluralité d'offres.

Pour éviter des allongements de délais de consultation, une organisation en réseau est à envisager avec la médecine de ville, avec les médecins traitants comme avec les praticiens spécialisés de ville, dans le cadre de protocoles de suivi prenant en compte les contraintes et les compétences de chacun.

Par ailleurs, une modification importante des implantations géographiques d'un certain nombre de lieux de soins spécialisés au plus près du domicile des patients voire à leur domicile est possible et souhaitable, qu'il s'agisse de séances de chimiothérapie ou de dialyse. Des solutions organisationnelles existent combinant des équipes mobiles hospitalières, des réseaux et des interventions de professionnels libéraux ou du domicile, l'HAD constituant un exemple de cette capacité (exemple des chimiothérapies en région Limousin).

D'autres évolutions technologiques peuvent être mises à contribution telles que la télésanté.

C'est également au deuxième niveau de service que doivent se situer les plateaux techniques d'imagerie lourds autorisés sur une base territoriale et gérés le cas échéant dans un cadre public/privé comme c'est souvent le cas aujourd'hui.

L'un des enjeux importants de l'organisation des soins à ce niveau réside dans la place des établissements et de leurs relations avec la ville, qui doivent évoluer. Il s'agit de passer de l'organisation hiérarchisée historique à une organisation en réseau où chacun joue son rôle en fonction de son positionnement dans le parcours du patient. L'établissement doit se positionner en point d'appui et en coordination avec la médecine de ville, et non se projeter en substitution.

Dans ce cadre général, deux points méritent attention :

- l'organisation de l'amont et de l'aval de l'hospitalisation pour optimiser le temps du séjour et éviter toute rupture de prise en charge. Ainsi, pour toute hospitalisation programmée prévoyant un certain nombre d'investigations et actes, la préparation de la sortie devrait être engagée dès le premier jour du séjour (ou même avant le séjour), en concertation avec les autres acteurs de ville impliqués dans la prise en charge : médecin traitant, médecin spécialiste, pharmacien, infirmière, kinésithérapeute, HAD... A la sortie, les informations issues de l'hospitalisation seraient transmises à ces acteurs pour un suivi sans discontinuité dans le passage hospitalisation/domicile ;
- l'organisation des arrivées non programmées : dans ce cas, outre la nécessité d'envisager, même si le contexte est différent, les conditions de sortie dans les 24 premières heures, un travail de fond est à réaliser pour fluidifier les filières d'aval. Et dans ce domaine, là aussi, une collaboration entre acteurs hospitaliers et acteurs de ville ne peut qu'être bénéfique pour organiser des retours à domicile complexes (avec ou sans passage préalable en SSR).

L'organisation du troisième niveau de service

La réflexion doit également porter sur les prises en charge les plus spécialisées nécessitant le recours aux disciplines de pointe ou de certains établissements privés très spécialisés.

En effet, outre les CHU et CLCC, il peut être assuré par des établissements très spécialisés sur certaines activités, par exemple les établissements de santé privés d'intérêt collectif (ESPIC) participant aux missions universitaires par convention avec le CHU (et bénéficiant d'ailleurs à ce titre d'une dotation MERRI) ou ceux qui développent des activités de pointe, comme certaines cliniques privées.

Il arrive dans de telles situations que le CHU et une clinique privée s'associent dans un domaine précis pour proposer à la population une offre de soins très spécialisée par concentration des moyens (via par exemple des Groupements de Coopération Sanitaire).

C'est à ce niveau que doivent être positionnés les plateaux techniques les plus lourds et spécialisés (avec pour certains, nécessité d'une planification nationale), ainsi que la prise en charge des urgences « de recours ».

Ici diverses questions se posent :

- les activités des établissements concernés doivent-elles se concentrer uniquement sur le niveau de recours ou de référence ?
- la liaison avec les activités de recherche et l'Université doit-elle se concevoir par établissement ou par service ?

La filière de cancérologie constitue un exemple de ce que pourrait être cette prise en charge graduée et décloisonnée.

La gradation des prises en charge : l'exemple de la cancérologie⁷¹

Aujourd'hui l'organisation doit intégrer la diffusion des chimiothérapies orales, le développement de la chirurgie ambulatoire et la prise en charge à domicile de patients polypathologiques dont la symptomatologie varie (patients en rémission, paucisymptomatiques, oligométastatiques ou en fin de vie). Il est donc nécessaire de prévoir une organisation fonctionnelle intégrant ces diverses composantes.

Le niveau 1 s'inscrit dans un maillage territorial « communautaire » au plus près des patients et de leur médecin traitant. A ce niveau, il est nécessaire de garder une certaine souplesse. D'une part, il s'agit de prendre en compte les réalités des territoires. Les filières de prise en charge doivent être fondées sur les synergies et les complémentarités au niveau local et donc être construites en partenariat après la réalisation de diagnostics territoriaux permettant d'identifier les acteurs (HAD, SSIAD, réseaux de soins, professionnels libéraux...) et leur périmètre d'activité sur l'ensemble des champs d'intervention qu'il s'agisse de soins curatifs mais également de soins de support et de soins palliatifs. D'autre part, le dispositif doit pouvoir être évolutif.

Le développement de structures proposant une offre transversale avec « guichet unique » répond à cette exigence d'intégration de soins (exemple de la HAD de l'hôpital Léon Bérard à Lyon). Dans ce contexte, il s'agit d'assurer la présence d'une offre globale cohérente, comprenant les différentes catégories de services à des niveaux satisfaisants pour couvrir les besoins du territoire, une gradation des accompagnements et des prises en charge, la mutualisation des moyens logistiques ou humains.

Le niveau 2 est constitué d'établissements/services favorisant une offre de soins « continue » permettant de réserver le niveau 3 aux prises en charge rares ou très spécialisées et d'éviter les hiatus dans les prises en charge. Dans un contexte dynamique de continuum soins-recherche, outre le développement des équipes mobiles de recherche clinique, il pourrait être proposé le développement d'unités de recherche clinique localisées dans ces établissements. Ces « niches d'expertise » doivent permettre d'assurer un accès plus large aux innovations thérapeutiques.

Le niveau 3, le plus spécialisé concerne les établissements/services assurant des fonctions de recherche, de soins et d'enseignement (type CLCC et CHU). Ces établissements/services assureraient le pilotage d'un réseau d'établissements de santé (inscrits dans le projet d'établissement). Des antennes pourraient opérer depuis ces centres de niveau 3 sur le modèle des équipes mobiles permettant la mobilité de professionnels spécialisés (radiothérapeutes, oncologues spécialisés) depuis ces centres. Des consultations avancées en oncologie médicale pourraient être créées.

2. Une nouvelle approche des infrastructures de santé

Le système de santé s'est constitué autour d'infrastructures matérielles fortement identifiées aux organisations alors mises en place et soumises d'ailleurs à l'action planificatrice de l'Etat : les murs de l'établissement de santé et ses lits, les équipements lourds.

Demain, les infrastructures du système de santé comporteront une dimension immatérielle beaucoup plus importante et fonctionneront selon le modèle du réseau, à l'instar des plateformes génomiques en voie de déploiement. Elles devront s'articuler avec les formes de gradation des prises en charge mises en place et en faciliter la fluidité et la coordination.

On en donnera quelques illustrations : les infrastructures numériques appelées à devenir un élément majeur de l'organisation du système de demain, l'imagerie médicale, le circuit de dispensation des produits de santé.

A. L'infrastructure numérique

Le potentiel du numérique pour le système de santé a été exposé dans la première partie du présent rapport⁷². Où en est la France par rapport à cette question ? Force est de constater que malgré des efforts importants déjà consentis, des améliorations qu'il faut saluer, les résultats tardent à se concrétiser. Là encore, il convient sans doute non seulement d'accroître les efforts, mais surtout de modifier l'approche actuelle de ce type d'infrastructure pour que l'investissement dans ces

⁷¹ Voir la monographie sur la prise en charge en cancérologie volume II.

⁷² Cf. sur le site le document de la séance du 24 septembre 2015 : « Utiliser le levier du numérique ».

technologies soit réellement porteur d'un changement. C'est l'objet de la série de propositions ci après.

Les chantiers engagés

L'informatisation des acteurs s'est développée, notamment au travers de programmes tels qu'Hôpital numérique, Simphonie ou, en ville, au travers du volet de la ROSP consacré à l'informatisation des cabinets médicaux. L'ASIP a également engagé un travail sur l'interopérabilité et les référentiels techniques nécessaires pour organiser les échanges d'informations médicales.

De nombreux outils de coordination sont par ailleurs déployés, à des degrés divers, sur le territoire. Sans être exhaustif, on peut identifier :

- des outils de connaissance de l'offre de santé d'un territoire et d'orientation d'un patient (par exemple bases d'information générale sur l'offre de soins dans le champ sanitaire et médicosocial, services d'orientation des patients⁷³) ;
- des outils d'échange de données de santé (messageries sécurisées de santé). C'est un des premiers besoins des professionnels dans leur communication point à point sur l'état de leur patient ou pour la récupération de résultats d'examens ou d'analyses complémentaires ;
- des outils de partage de données de santé (le dossier médical partagé, les services de partage et d'échange d'images médicales, le dossier pharmaceutique développé à l'initiative de l'Ordre des pharmaciens, l'historique des remboursements de l'assurance maladie) ;
- des outils d'aide à la décision partagée dans le cadre de coordinations renforcées (le dossier communiquant en cancérologie, l'annuaire des Réunions de Concertation pluridisciplinaires en cancérologie, les outils à la disposition des Maisons de Santé Pluri professionnelles et des centres de santé, les outils d'évaluation commun des gestionnaires de cas MAIA) ;
- on peut noter également les outils de coordination des soins (plateformes) mis en place dans le cadre d'expérimentation sur des territoires (TSN, PAERPA,...).

De même, l'information des patients progresse, sous l'effet de l'apparition de sites internet d'information médicale privés et, plus récemment, du développement de sites d'informations ou d'applications publics (Améli, Scope Santé par exemple). Ce mouvement devrait s'amplifier avec la création d'un service d'information grand public prévu par la *loi de modernisation de notre système de santé*.

Enfin, il existe un effort de constitution et de structuration des bases de données de santé (PMSI, SNIIRAM, bases en cancérologie). Là encore, la *loi de modernisation de notre système de santé* prévoit une plus grande ouverture de ces bases, ce qui devrait favoriser leur exploitation au profit du progrès médical.

En ce qui concerne la télésanté, les pouvoirs publics ont engagé une série de mesures. Ainsi, la télémedecine possède un cadre juridique propre (article L.6316 du CSP et décret du 19 octobre 2010) qui identifie cinq actes médicaux, la téléconsultation, la télé expertise, la téléassistance médicale, la télésurveillance médicale et la réponse médicale apportée dans le cadre de l'urgence médicale et qui définit leurs conditions de mise en œuvre ainsi que leur organisation notamment territoriale. Une stratégie nationale de déploiement de la télémedecine a été mise en œuvre dès la publication du décret du 19 octobre 2010. Cinq priorités nationales ont été définies : i) permanence des soins en imagerie ; (ii) prise en charge de l'accident vasculaire cérébral (AVC) ; (iii) santé des personnes détenues ; (iv) prise en charge des maladies chroniques ; (v) soins en structure médico-sociale ou en HAD.

⁷³ Via Trajectoire, Imad, ORIS module de réservation utilisé en PACA...

Les résultats de cette politique sont toutefois à ce jour mitigés, et en tout état de cause largement insuffisants pour créer la dynamique de changement nécessaire à la transformation du système.

Ainsi, en 2013, les établissements de santé publics ont consacré en moyenne 2% de leur budget au SIH⁷⁴, ratio sensiblement inférieur aux ratios observés dans d'autres secteurs de l'économie ou dans des hôpitaux étrangers. L'émiettement des SI hospitaliers et le foisonnement de logiciels, ainsi que la faiblesse des maîtrises d'ouvrage d'un certain nombre d'établissements restent une réalité qui conduit à des résultats globalement décevants dans de nombreux domaines⁷⁵. Là comme en ville, le manque d'accompagnement des utilisateurs et des structures, les difficultés à mettre en place une réelle interopérabilité technique et sémantique, la multiplication des logiciels utilisés et celle des initiatives locales mal coordonnées, sans modèle économique généralisable ou simplement durable, obèrent la dynamique d'équipement et d'utilisation autant qu'elle freine l'initiative des offreurs de solutions.

L'absence de réflexion et de construction d'un cadre économique lisible, stable et favorable à l'innovation est un frein à l'investissement des acteurs dans des solutions numériques, en particulier pour les industriels mais aussi pour les utilisateurs finaux. Dans le quotidien actuel des professionnels de santé et des patients, la révolution numérique n'a en réalité pas encore eu lieu : des services ou applications *a priori* aussi simples que la prise de rendez-vous en ligne à l'hôpital ou en cabinet, la possibilité pour un professionnel de santé de joindre simplement par mail sécurisé un autre médecin, que ce soit en ville ou à l'hôpital, pour organiser le suivi d'un patient commun ou solliciter une expertise, ou encore l'accès simple aux résultats d'examens d'imagerie numérisés, sont pour une grande partie des praticiens et des patients des promesses encore virtuelles. Dans les cas où ces services ont été déployés, leur mise en œuvre ne s'est pas accompagnée d'évolutions organisationnelles suffisamment profondes pour que les pratiques changent ou que le service nouveau puisse se généraliser.

Si les bases de données contiennent pour leur part un nombre important d'informations, leur exploitation reste complexe et réservée à des spécialistes, leur périmètre et les moyens qui y sont consacrés sont insuffisants pour espérer en retirer les bénéfices attendus.

Les informations mises à disposition des patients par les pouvoirs publics restent peu adaptées, sont parfois difficilement accessibles ou peu connues.

La réflexion sur les modalités d'intégration et de prise en charge de nouvelles technologies, en particulier la télésanté ou les outils de télé-suivi, montre que les pouvoirs publics ont du mal à prendre rapidement en compte les évolutions technologiques quand elles ont un impact organisationnel ou financier fort, ce qui conduit à ralentir leur développement ou favorise l'apparition non régulée d'initiatives d'acteurs extérieurs au système de soins

Au total, l'absence de priorités pensées dans un schéma global, systémique et intégrant réellement les conséquences de cette transformation sur les différents acteurs et services, aboutit à un paysage

⁷⁴ Champ : 70% des établissements publics de santé ayant répondu à l'enquête et représentent 80% des produits globaux des établissements ayant déposé leurs comptes financiers. Atlas 2015 des SIH. http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/Atlas_SIH_2015-2.pdf.

⁷⁵ Ainsi, en 2015, seulement 45% des établissements de santé remplissent l'ensemble des pré-requis. La mise à disposition de comptes rendus d'imagerie, de résultats d'anatomo-pathologie ou de biologie accessibles directement dans les services concerne moins d'un établissement sur deux. L'informatisation du dossier patient semble bien engagée avec un taux élevé de projets achevés (55%) ou en cours (37%) ; toutefois, ce dossier ne serait interopérable ou DMP-compatible que pour seulement la moitié des établissements répondants. De plus, le dossier patient est incomplet pour une part importante d'établissements et les résultats d'examens réalisés dans les plateaux techniques ne sont pas toujours intégrés dans le dossier (52% pour les résultats de laboratoire et 31% pour les résultats d'imagerie). L'informatisation des blocs opératoires reste également partielle (52%) de même que la gestion des lits (54%) ou l'informatisation des rendez-vous (55%). Quant à la possibilité de prise de rendez-vous par internet, elle reste très rare (4%). On relève également une très grande hétérogénéité des logiciels utilisés par les établissements. Ainsi, par exemple pour l'informatisation du dossier patient, 83 logiciels différents sont recensés, cf. référence de la note de bas de page n°68.

confus, fragmenté, où se côtoient développements rapides et immobilismes inexpliqués, pratiques innovantes et attentisme sceptique.

Malgré les efforts accomplis, le risque est grand aujourd'hui que le scénario qui l'emporte soit celui de la continuité, c'est-à-dire d'un développement des outils numérique lent, chaotique, coûteux, inégal sur le territoire, caractérisé par la dispersion de l'offre logicielle, l'absence d'interopérabilité effective, la multiplication d'offres de services éphémères faute de modèle économique durable, l'absence de coordination avec le secteur social et médico-social, la limitation des types de données suivies et la faible adhésion des utilisateurs.

Ce scénario n'est cependant pas une fatalité. Il est même sans doute possible d'enclencher un cercle vertueux, une dynamique qui s'entretiendra d'elle-même avec un nombre toujours croissant d'utilisateurs et le développement de fonctionnalités nouvelles. Il est nécessaire pour cela que la puissance publique se fixe des priorités claires et lève certains freins à l'investissement des utilisateurs comme des offreurs de solutions numériques.

De nombreuses propositions de mesures nouvelles ont été faites dans différents rapports pour améliorer l'intégration du numérique au système de santé⁷⁶. Au-delà d'une série de mesures, aussi pertinentes soient-elles, il apparaît ici nécessaire d'avoir une approche plus globale et d'insister sur les orientations et les priorités qui semblent à même de favoriser un changement systémique.

Exemple de la télésurveillance des prothèses cardiaques implantables

La technologie de télésurveillance de prothèses cardiaques implantables (défibrillateurs et stimulateurs cardiaques) est apparue en France au début des années 2000. Elle est l'une des applications les plus avancées de télémedecine. Elle permet de détecter précocement une anomalie sur le plan clinique et/ou technique et d'adapter au plus tôt la prise en charge du patient. On estime que près de 50.000 patients bénéficient aujourd'hui de ce suivi à distance dans notre pays

Plusieurs études⁷⁷ ont démontré la sécurité et l'efficacité de cette télésurveillance, y compris récemment un impact positif en termes de survie. La télésurveillance est également associée à une réduction significative des coûts ambulatoires et rencontre une forte adhésion des patients (93% font confiance à la télésurveillance pour le suivi de leur défibrillateur).

Pourtant, à ce jour, compte tenu de freins liés à un cadre réglementaire et organisationnel inadapté, il n'est pas envisagé de pouvoir prendre en charge en routine ce télé suivi avant les années 2018/2019, soit à l'issue de l'évaluation des expérimentations à venir en vue de déterminer un mode de prise en charge pour les professionnels de santé.

Les éléments nécessaires au changement : les priorités à retenir

Plusieurs éléments apparaissent particulièrement importants pour que l'usage de l'informatique et du numérique se développe de façon efficiente et contribue effectivement au développement d'organisations innovantes et découplées.

- Donner la priorité à l'établissement de référentiels communs et à leur déploiement dans les outils utilisés quotidiennement par les professionnels de santé

Il est indispensable de passer de systèmes d'information de type « donjons numériques » à des systèmes ouverts et communicants au service d'une production de soins plus efficiente et mieux coordonnée. Cette transition nécessite le développement de référentiels communs (interopérabilité, sécurité). Ce développement est un élément capital pour le déploiement du numérique dans le

⁷⁶ Voir par exemple « La santé, bien commun de la société numérique », rapport remis à la Ministre des affaires sociales, de la santé et des droits des femmes, CNum, octobre 2015.

⁷⁷ Etudes : AWARE (Lazarus, 2007), OEDIPE (Halimi et al, 2008), PREFER (Crossley et al, 2009), TRUST (Valrma et al, 2010), CONNECT (Crossley et al, 2011), ALTITUDE (Hayes et al, 2011), COMPAS (Mabo et al, 2012), EVOLVO (Landolina et al, 2012), ECOST (Guesdon-Moreau et al, 2013), MORE-CARE (Borianin et al., 2013), Rapid RF (Boehmer et al, 2014), IN-TIME (Hindricks et al, 2014), EDUCAT (Laurent et al, 2014)

champ de la santé. Il doit être considéré comme une priorité de premier rang. Il doit s'accompagner du renforcement des maîtrises d'ouvrage aujourd'hui excessivement éparpillées⁷⁸.

Dans la perspective de bâtir des systèmes ouverts, une attention particulière doit être portée aux contraintes et aspirations des professionnels de santé (valeurs, contraintes économiques, cadre juridique). Les acteurs ne s'engageront effectivement dans cette révolution numérique que s'ils en voient l'intérêt dans leur pratique quotidienne. Il convient donc, à chaque projet, à chaque étape du processus d'implémentation de solutions, de se préoccuper des besoins, contraintes ou préférences des utilisateurs, professionnels de santé. Des actions doivent être entreprises pour structurer la demande publique vis-à-vis des éditeurs de logiciels afin de privilégier la facilité d'usage (par exemple logiciels en mode « intégré » dans les logiciels de gestion de cabinet) et le gain de temps. Il s'agit dans ce cadre de promouvoir une vision globale de l'évolution du poste de travail des professionnels leur permettant de libérer du temps pour les patients et de réduire les temps de gestion.

L'ASIP-Santé a un rôle majeur en ce domaine mais il est clair que l'engagement nécessaire des éditeurs de logiciels professionnels sera très directement lié à la force et à la constance de l'impulsion publique en faveur de ce type d'exercice. Il est possible que, comme c'est déjà parfois le cas, une partie des moyens nécessaires soient mutualisés entre plusieurs structures (Départements d'information médicale (DIM) territorialisés, coordonnateurs partagés, etc.).

Centrer le développement du numérique sur les patients

Les attentes et les besoins des patients doivent être placés au cœur du numérique en santé. Il est nécessaire d'envisager les solutions techniques, les services et les organisations en partant du patient. Une approche de ce type conduit à poser les problèmes d'organisation, d'accès aux soins, d'accès à l'innovation, de manière plus souple et sans doute plus innovante. Cela favorisera également l'intégration des offres de soins ou la coopération des offreurs de soins, ainsi que le développement de nouveaux services (télésuivi, *serious games*, objets connectés, interfaces avec les équipes soignantes, « domomédecine », etc.) et à terme l'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins. Dans cette perspective, une attention particulière doit être portée aux liens à bâtir avec les secteurs sociaux et médico-sociaux. Les besoins des patients ne se limitent pas à des soins. Il est sans doute ambitieux d'imaginer, même à moyen terme, un système qui intégrerait parfaitement l'offre médico-sociale et l'offre sociale dans un processus collectif de production de services. Il conviendrait cependant de penser dès aujourd'hui les liens électroniques à bâtir avec ces secteurs afin que demain l'ensemble des acteurs contribuant à la fluidité du parcours de soins (ou de vie) puissent se coordonner aisément, non plus autour d'un patient, mais autour d'une personne. Les développements en cours dans le domaine de la prise en charge de l'obésité morbide et de l'accompagnement des patients en amont et en aval de la chirurgie constituent sans aucun doute un modèle, qui permet de mieux appréhender les nouveaux outils de formation et de coordination des différents acteurs, afin de permettre au patient de devenir acteur de sa santé au quotidien dans le temps.

De même, la perspective « parcours de soins », dans une approche coordonnée, doit être privilégiée. Les réflexions menées actuellement par l'IRCAD et l'IHU de Strasbourg sous l'égide du Pr Marescaux pour modéliser un parcours de soins et le système d'information associé sont un axe intéressant pour définir les outils permettant d'intégrer à chaque étape du parcours les bons paramètres.

⁷⁸ Comme le prévoient les statuts de l'ASIP Santé, celle-ci pourrait jouer un rôle plus important de maîtrise d'ouvrage déléguée de l'Etat et de l'Assurance maladie pour les grands projets structurants et notamment ceux qui revêtent un caractère transversal.

Développer la télésanté : sortir des expérimentations, viser un financement sur le risque et se préoccuper du télé-suivi

Alliée au développement des capacités de stockage, de traitement et d'échange des images, la télésanté représente un potentiel de transformation rare car elle autorise un fonctionnement des prises en charge décloisonné, en réseau et à distance. Il est indispensable de se donner les moyens de la développer.

Le modèle de déploiement régional de la télésanté doit donc être enfin dépassé pour favoriser un réel développement de la télémedecine répondant aux besoins des patients dans des conditions techniques et économiques soutenables. En particulier il appartient au niveau national de traiter du développement des infrastructures techniques et des référentiels nécessaires.

Sur le plan du financement, le déploiement de solutions suppose de sortir d'un régime d'autorisation et de financement au cas par cas. Il est donc souhaitable de sortir d'une approche financière segmentée par pathologie et expérimentale, pour passer à l'inscription dans les nomenclatures (CCAM et NGAP) des actes de télémedecine permettant leur financement sur le risque (ainsi que la couverture des frais afférents aux équipements nécessaires et, le cas échéant, ceux liés à l'utilisation des infrastructures collectives mises en place). Le contrôle de leur pertinence doit relever de la politique de gestion du risque qui s'applique à l'ensemble des actes.

Enfin, en ce qui concerne le télé-suivi, le chantier est aujourd'hui balbutiant, renvoyé à l'initiative des acteurs. Des solutions portées par des industriels sont autofinancées par ceux-ci et ont éventuellement vocation à bénéficier de financements au titre du soutien de l'innovation. La CNAMTS expérimente aussi dans le cadre de « PRADO insuffisance cardiaque » le financement d'une prestation pour le télé-suivi du poids (balance connectée). Il importe aujourd'hui que dans le cadre de la stratégie pilotée au niveau national, soit conduit un chantier débouchant à une échéance proche sur la définition du cadre juridique approprié pour le télé-suivi et la qualification des prestations et services correspondants ayant vocation eux aussi à être pris en charge sur le risque, dès lors que la preuve de leur service médical rendu est apportée.

En revanche, l'exemple du télésuivi des patients apnéiques pose bien moins la question d'une sortie des expérimentations que celle de la nécessité de mettre en place un cadre juridique adapté. En effet, avec plus de 300 000 patients télé suivis en France, notre pays dispose déjà d'un dispositif opérationnel qui constitue la plus grande plate-forme de télé-suivi d'une pathologie chronique en Europe. Mais il manque des dispositions législatives permettant le recueil de données d'observance médicale concernant les patients apnéiques et leur transmission au médecin (avec le consentement de ces patients). Par ailleurs, il serait également nécessaire d'intégrer la possibilité d'une modulation tarifaire si le patient est ou non télé-suivi. Le déploiement technologique « M2M » (machine to machine), unique au monde dans le domaine de la santé, permet en effet d'instaurer un mode de régulation « intelligente » visant à mettre en adéquation un niveau de tarification avec une utilisation optimale de l'appareillage pour un suivi des patients plus efficient et favorisant la prévention.

Il n'en reste pas moins que le modèle de rémunération à mettre en place doit être en mesure de couvrir l'ensemble des intervenants de la chaîne allant de la mise à disposition de la solution technologique par les fabricants au service mis en place par les prestataires de produits de santé au domicile du patient.

Investir résolument dans la constitution et l'exploitation des bases de données de santé considérées comme des biens communs

Les bases de données de santé doivent être traitées comme un bien commun nécessitant un investissement collectif initial pour leur constitution mais également pour permettre leur exploitation. Il est indispensable d'investir de façon significative et dès aujourd'hui dans les outils d'amélioration de la connaissance et d'analyse des données. Il s'agit d'être demain en position de

produire et d'utiliser les outils d'aide à la décision, d'orientation et de suivi des traitements individuels qui seront le prolongement de l'approche scientifique de la médecine. Pour cela, il est important que soient développés à court terme des outils standards de requête pour les bases existantes, pour permettre une utilisation et une exploitation large de ces bases de données souvent complexes et dont la documentation est d'un abord difficile.

Mais il faut dès à présent anticiper l'étape suivante, la plus prometteuse du point de vue notamment des progrès à attendre pour la sécurité et la qualité des soins. Cette étape doit s'appuyer sur l'élargissement du recueil de données médicales aux dossiers médicaux informatisés (dossiers hospitaliers, dossiers médicaux des cabinets libéraux, DCC, DMP, dossiers pharmaceutiques), mais aussi aux registres ou aux recueils opérés dans le cadre d'essais thérapeutiques. Cette étape doit également s'accompagner d'investissements importants dans les travaux de codification et de normalisation sémantique, organisés dans des cadres structurés de façon médicalement pertinente, travaux évoqués plus haut à propos du développement de référentiels communs. Il s'agit d'un chantier considérable, capital pour l'avenir et requérant des moyens substantiels. Ce chantier est de la responsabilité de l'ASIP Santé, en lien avec les industriels, les sociétés savantes et la HAS.

Adopter une approche économique de l'investissement dans les infrastructures numériques

Ce point sera développé dans le chapitre relatif au financement.

B. L'imagerie médicale⁷⁹

Le domaine de l'imagerie est marqué par des évolutions technologiques qu'il convient de prendre en compte dans les évolutions du système dans la mesure où elles influencent ou pourraient influencer les modes de prise en charge des patients.

Ce secteur connaît notamment :

- un développement des technologies hybrides, c'est-à-dire de l'association dans un même équipement de technologies utilisant des principes physiques différents (par exemple association de la médecine nucléaire et de la résonance magnétique nucléaire). Ce développement peut poser des difficultés d'une part parce qu'il brouille les frontières entre différentes disciplines, d'autre part parce qu'il implique sans doute une adaptation des modalités d'évaluation, d'autorisation et de tarification s'il conduit à de nouveaux types d'examen pour certaines indications ;
- le développement de l'imagerie interventionnelle. Ce développement peut générer une compétition entre spécialités. Il pose également le problème de la mise à jour et de l'adaptation des nomenclatures et des tarifs : les rythmes des innovations de ce secteur n'est pas celui de leur prise en compte dans l'administration du panier de soins ;
- l'arrivée de technologies de pointe, coûteuses et qui renforceront l'interdisciplinarité et peut être l'hyperspécialisation : imagerie moléculaire, cellulaire, progrès des technologies d'imagerie par ultrasons ;
- le développement du numérique : le partage et le stockage des images peut faire bouger les lignes entre offreurs de soins, modifier les organisations au sein de ces offreurs, et entre les niveaux de soins.

Pour s'adapter aux évolutions technologiques et répondre de manière efficiente aux enjeux de structuration de l'offre de soins, il est nécessaire de dépasser le paradigme implicite actuel qui conduit à un système de gestion fragmenté entre types d'équipements et spécialités, où la maîtrise

⁷⁹ Cf. sur le site le document de la séance du 28 janvier 2016 : « Les équipements lourds d'imagerie ».

des dépenses s'appuie sur un contingentement de l'offre par le régulateur (autorisations, tarifs) au détriment des objectifs affichés d'accès rapide et pertinent à ces équipements.

Une remise à plat de la philosophie du système en découlerait. Elle devrait englober l'ensemble du champ de l'imagerie (TEP, IRM, scanners, radiologie interventionnelle, radiologie classique, ultrasons, associations de ces différentes technologies, et technologies émergentes). Elle devrait viser à permettre une gestion efficiente de la tension entre proximité et concentration ainsi que de la tension entre spécialisation et approche généraliste. Elle devrait enfin promouvoir un développement plus ambitieux de ces technologies et de leurs usages, seul à même de permettre à l'avenir de prendre en charge les cancers, les AVC ou les maladies neuro-dégénératives conformément aux plans de santé publique adoptés. Ces évolutions devraient par ailleurs rester financièrement soutenables pour l'assurance maladie.

Cette évolution n'est toutefois concevable que si elle est assortie d'un contrôle renforcé de la pertinence de l'exploitation des équipements et des actes réalisés. Ce passage impose également d'avoir une gestion dynamique et réactive des nomenclatures et des tarifs, de structurer l'offre sur le territoire et de débattre de ses conséquences pour les différents acteurs. L'acceptation de ces conditions par toutes les parties est un préalable à l'évolution du système.

Il s'agit de sortir d'une logique malthusienne de court terme, de coupler diversification de la gamme et extension de l'offre à un contrôle très rigoureux de la pertinence des projets et des usages.

Au premier rang des questions à prendre en compte figurent l'évolution des métiers et la place de l'imagerie dans l'acte de soins. Plusieurs phénomènes se conjuguent et viennent questionner l'avenir des professions liées à l'imagerie médicale :

- le développement rapide de l'imagerie interventionnelle qui entraîne *a minima* une exigence de collaboration opérationnelle forte avec d'autres spécialités (chirurgie, urologie), voire brouille les frontières entre disciplines ;
- le développement d'une hyperspécialisation des professionnels de l'imagerie (par équipement, par organe, par pathologie) tandis que des besoins importants de généralistes de l'imagerie perdurent et ne devraient pas diminuer ;
- le développement de technologies facilitant le stockage et l'échange numérique des images qui facilitent les expertises à distance du lieu où le patient est examiné ;
- le développement d'outils et d'équipements dont l'usage se simplifie, notamment les technologies ultrason portables et pourrait se généraliser hors du champ de la spécialité ;
- les questions de formation professionnelle initiale et continue que ces évolutions peuvent soulever et qui posent le problème de la qualité des services rendus et des compétences des différents professionnels qui pourront être amenés à intervenir avec des outils d'imagerie.

L'ensemble de ces éléments constituent pour les professionnels de santé comme pour les patients à la fois des risques et des opportunités. Ils peuvent à terme conduire à des paysages très différents en fonction des objectifs poursuivis par les pouvoirs publics et des choix collectifs qui seront faits sur le régime d'autorisation, la tarification, la formation. Une réflexion est nécessaire sur l'avenir et le positionnement des professionnels de l'imagerie : faut-il se diriger vers une « technicisation » de l'imagerie, au risque d'en perdre la dimension clinique et de « dévaluer » la discipline ? L'imagerie doit-elle à terme se dissoudre dans les autres disciplines et être intégrée dans leurs actes ? Quelle imagerie de proximité, avec quelles compétences et quel niveau de qualité souhaitons nous ?

En tout état de cause, le développement des technologies et le développement du parc d'équipements pourraient avoir des conséquences sur les positionnements des uns et des autres, conséquences qu'il convient de discuter dès aujourd'hui afin de faire émerger des choix cohérents avec les objectifs globaux poursuivis.

Pour permettre une diffusion et un accès de tous aux innovations technologiques, y compris aux équipements de pointe, ainsi que de nécessaires gains de productivité, les évolutions doivent s'inscrire dans une organisation cohérente et lisible de l'imagerie, avec une approche incluant l'ensemble du secteur, y compris la radiothérapie, l'imagerie conventionnelle (radiologie, échographie), l'imagerie interventionnelle.

Une organisation possible, qui pourrait constituer la base d'un débat sur la structuration à terme de l'imagerie, pourrait se fonder sur la définition de trois ou quatre niveaux de prise en charge en fonction des besoins en imagerie et donc du type d'équipements nécessaires :

- Niveau 1 : les équipements intégrés aux soins, typiquement les échographes portables/légers utilisés dans l'élaboration de diagnostics dans le cadre d'une médecine de proximité (médecin traitant, services d'urgences mobiles) et viendront se substituer à des technologies plus anciennes (stéthoscope) ou apporteront des gains diagnostics de premier niveau.
- Niveau 1 bis : toujours au niveau de la médecine communautaire de premier niveau, équipement de base pour examens très courants mais pouvant déjà être spécialisés.
- Niveau 2 : plateaux complets polyvalents, y compris une partie importante de la radiologie interventionnelle, correspond au niveau 2 de l'organisation des soins.
- Niveau 3 : Plateaux et équipements hyperspécialisés ou très innovants (y compris radiologie interventionnelle) : répartition nationale des équipements et plateaux.

Afin de favoriser la diffusion des connaissances, une recherche présente à tous les niveaux, ainsi que les liens entre professionnels des différents niveaux, chaque praticien exerçant prioritairement dans un niveau donné devrait avoir l'opportunité d'exercer une fraction de son temps dans les niveaux adjacents.

Cette structuration doit tenir compte des moyens qu'il est nécessaire de mobiliser selon la complexité des actes d'imagerie, et de la nécessité ou non d'assurer permanence et continuité des soins.

Cette proposition de structuration ne préjuge pas des modalités d'exploitation de ces équipements. Elle part en effet des besoins et donc du niveau de service nécessaire. Que ces services soient fournis par des structures publiques ou privées comptent moins que le fait qu'ils remplissent les objectifs qui leur sont assignés, notamment d'accès, de qualité, de coût ou de productivité. En fonction des territoires et de l'offre existante, les solutions d'organisation doivent être différentes tout en restant le plus neutres et transparentes pour les patients. Dans ce cadre, des collaborations entre les secteurs publics et privés seront sans aucun doute incontournables et doivent donc, autant que faire se peut, être facilitées en levant les obstacles qui les freinent aujourd'hui (statuts, rémunération, formes juridiques de coopération).

C. Un circuit de dispensation des produits de santé territorialisé

La gestion et la dispensation des produits de santé peuvent⁸⁰ être pensées et mises en œuvre non plus par structure de soins par structure de soins mais dans une logique de réseau cohérente avec une offre de soins moins cloisonnée sur le territoire.

Deux expériences viennent illustrer ce que pourrait apporter une telle approche à l'avenir, avec une structuration par pathologie (exemple Franche Comté sur le cancer) ou généraliste (exemple Midi Pyrénées). Ces organisations permettent d'optimiser la gestion des produits de santé en :

⁸⁰ Ces questions sont largement abordées par un récent rapport « Les produits de santé à l'hôpital », Fédération Hospitalière de France, décembre 2015, dont certaines propositions sont reprises ci après.

- partageant simplement des informations essentielles au sein d'un réseau territorial pouvant associer différents types de professionnels – PUI, officines, personnel médical - (dématérialisation des ordonnances, alertes entre pharmaciens et prescripteurs) ;
- partageant et formalisant les pratiques (protocolisation partagée, harmonisation des pratiques, aides à la dispensation, conciliation médicamenteuse) ;
- mutualisant des moyens et des ressources (mutualisation de compétences, partage d'infrastructures pour optimiser des activités de production en pharmacie hospitalière).

Ces organisations permettent de rationaliser et de sécuriser la gestion des produits de santé tout en favorisant l'accès aux produits innovants. Elles nécessitent toutefois des investissements en termes de systèmes d'information et des changements des organisations, voire des moyens humains, pour être effectives.

Une organisation territoriale par pathologie : le cancer en Franche-Comté

Depuis 2001 la Franche-Comté s'est engagée dans une structuration territoriale de la cancérologie dans laquelle la gestion du médicament est un axe fort. L'organisation s'est mise en place sur la base d'actions successives.

Un système d'information régional « Bonnes Pratiques de la Chimiothérapie » (BPC) assure une informatisation totale du circuit du médicament en cancérologie. Dès le lancement du projet en 2001, l'objectif a été de tendre vers des pratiques régionales et consensuelles de traitement, et de fédérer les différents acteurs autour d'un projet. Son fonctionnement multicentrique repose sur un thésaurus thérapeutique unique et un suivi régionalisé de chaque patient. Tous les acteurs hospitaliers concernés (médecins, pharmaciens, infirmiers) réalisent leurs actes quotidiens à l'aide d'un seul et même outil. Cette approche permet de sécuriser les actes quotidiens de chaque acteur. La recherche clinique est intégrée à cette organisation.

Depuis 2005, la couverture régionale du SI BPC est totale, intégrant les établissements de santé publics et privés. Par exemple, en 2014, les principaux indicateurs sont : 6 879 patients traités, 46 824 cures réalisées, 83 000 préparations de médicaments anticancéreux. Ce modèle de système d'information partagé à l'échelle d'une région est unique en France. Au quotidien, grâce à son caractère multicentrique et au travers de ses multiples fonctionnalités, ce SI facilite et sécurise la mobilité des patients (dossier régional), la mobilité médicale (« bureau virtuel »), et plus généralement le partage d'expertise. Les protocoles de prise en charge sont standardisés, définis avec l'ensemble des acteurs régionaux, avec une expertise spécifique à chaque type de cancer. Cette organisation permet également une évaluation continue des pratiques vis-à-vis des référentiels nationaux et internationaux, gage de qualité pour les patients. Elle offre une équité d'accès aux traitements innovants sur la région, tout en garantissant le bon usage et la pertinence des soins.

L'émergence des thérapies ciblées, majoritairement administrées par voie orale, modifie le champ géographique du bon usage, avec des enjeux forts en termes de sécurité, d'observance et de maîtrise de l'innovation.

Un portail « Officines » du SI Bonnes Pratiques de Chimiothérapie est en cours de déploiement sur la région. Il permet un échange d'informations sécurisé entre la ville et l'hôpital et un suivi ambulatoire des patients. Concrètement, ce portail permet la dématérialisation des ordonnances avec un envoi sécurisé de l'ordonnance de l'anticancéreux oral à l'officine (désignée par le patient) directement à partir de la prescription hospitalière, l'aide à la dispensation et l'apport de conduites à tenir pour les officinaux grâce à des protocoles validés sur le plan régional, des échanges d'informations (un module de suivi thérapeutique offre la possibilité au pharmacien de suivre et évaluer la toxicité et l'observance du patient, et d'alerter le prescripteur le cas échéant).

Ces réseaux très opérationnels de gestion des produits de santé doivent être développés : les méthodologies existent, les moyens technologiques également.

Leur développement doit, à terme, aboutir à des réseaux incluant non seulement les établissements de santé publics et privés du territoire, mais également les professionnels de santé de ville.

Ainsi, dans le nouveau modèle d'organisation, il est opportun de :

- structurer sur chaque territoire une gestion du circuit des produits de santé innovants en réseau, associant autant que faire se peut tous les acteurs de la dispensation (établissements publics et privés ; acteurs de la ville, du médico-social et de l'hôpital) ;
- donner aux acteurs responsables des produits de santé un rôle structurant avec la mobilisation des compétences pharmaceutiques aussi bien hospitalières que de ville et une mutualisation de l'expertise existante, notamment au sein des OMEDIT.

Ce découplage pourrait s'accompagner du développement de **la conciliation des traitements médicamenteux**. En pratique, cette approche consiste, lors de l'admission d'un patient dans un établissement sanitaire ou médico-social, à déterminer la liste des médicaments pris à son domicile dans le cadre d'une démarche pluri-professionnelle codifiée.

Conciliation des traitements médicamenteux : l'exemple du Centre hospitalier de Lunéville

Le Centre hospitalier de Lunéville, qui fut le premier établissement français à mettre en œuvre la conciliation des traitements médicamenteux en France⁸¹, a réussi à déployer cette activité pour l'ensemble des patients identifiés comme à risque, c'est-à-dire ceux de plus de 65 ans, hospitalisés après passage aux urgences (27,9% des hospitalisations complètes MCO en 2014 et 43% des passages aux urgences suivis d'une hospitalisation).

Pour les établissements ayant déployé la démarche de conciliation, les organisations peuvent différer d'une équipe à l'autre. Néanmoins pour tous les établissements expérimentateurs, l'activité a été prise en charge par des préparateurs et des étudiants en pharmacie sous la responsabilité d'un pharmacien senior. La mise en œuvre de la conciliation des traitements médicamenteux s'appuie sur une réorganisation du processus de prise en charge médicamenteuse. Le Centre Hospitalier de Lunéville a par exemple centralisé la démarche et placé la validation du bilan médicamenteux sous responsabilité pharmaceutique, pour coupler la conciliation à l'analyse pharmaceutique des prescriptions et gagner ainsi en pertinence. Chaque patient « concilié » à l'admission et à la sortie demande environ 1h de travail pour l'équipe de pharmacie. Ce temps est économisé dans les unités de soins car il évite des redondances dans la recherche du traitement médicamenteux lors du parcours de soins intra-hospitalier.

Pour être efficace, cette conciliation doit être pensée en réseau, en associant étroitement l'ensemble des acteurs hospitaliers, le médecin traitant ou le spécialiste de ville, la pharmacie d'officine, la structure médico-sociale ainsi que le patient lui-même et ses aidants. La conciliation de sortie est à ce titre aussi importante que la conciliation d'admission pour assurer la continuité du traitement. La conciliation doit également pouvoir être assurée dans le cadre ambulatoire, dans les EHPAD et au sein de l'HAD.

Comme sur d'autres sujets, la mise en réseau n'est possible que si elle peut s'appuyer sur les outils adéquats. Il convient donc ici encore d'insister sur la nécessité de renforcer les moyens d'information à disposition des professionnels, moyens relatifs à la situation des patients (partage des informations médicales), à l'aide à la prescription et à l'information sur les produits de santé (en particulier pour le secteur mal connu des dispositifs médicaux), ou encore les protocoles de prise en charge.

A titre d'exemple, la continuité des traitements prescrits dans le cadre hospitalier mais délivrés en ville⁸² serait très concrètement facilitée et sécurisée par le développement d'outils comme les plateformes mises en place dans certaines régions pour les médicaments (Zepha-Pharm en Rhône Alpes) permettant des échanges entre l'hôpital et la ville, entre PUI et officines, et leur extension à la prescription des dispositifs médicaux (DM supports des médicaments et les autres). Ce développement doit s'accompagner de la mise en place d'indicateurs de performance permettant d'évaluer l'efficacité de ces outils.

3. Une organisation du système de santé de nature à favoriser l'efficacité

Le système de santé sera confronté au cours des quinze prochaines années à des recours croissants que justifient les évolutions démographiques et épidémiologiques, autant que les progrès de la médecine.

⁸¹ Nous avons repris *in extenso* cet exemple emprunté au rapport de la FHF déjà mentionné (cf. page 88).

⁸² Selon le rapport précité de la FHF, les médicaments de la PHEV sont majoritairement des médicaments de spécialités, qui représentent 63% des 4,8 Mds d'€ remboursés en 2014. Ces médicaments sont souvent des biothérapies (immunosuppresseurs, anticancéreux). Les dispositifs médicaux et les prestations de la LPP prescrites à l'hôpital concernent les familles des titres 1 et 2 de la LPP ; les dépenses de la PHEV contribuent pour un tiers à l'évolution des dépenses de la LPP en 2014.

Cette dynamique impose un effort d'efficacité continu qui tienne compte de la différenciation croissante des prises en charge et des organisations productives qu'entraîne l'innovation. Plusieurs axes peuvent être identifiés dans cette perspective :

- la gradation des services à rendre et des moyens humains et techniques associés ;
- la rationalisation des organisations productives ;
- les formes et les niveaux d'intégration ;
- les conséquences pour les patients et leurs familles du développement des prises en charge ambulatoires et à domicile.

A. La gradation des services à rendre et les moyens humains et techniques associés

On ne reviendra pas sur la nécessité d'envisager une distinction entre différents niveaux de services attendus du système de santé qui mobiliseraient, à tous les niveaux, des acteurs hospitaliers et de la ville.

La structuration de la première ligne de soins primaires est de nature, on le sait, à améliorer la qualité et l'efficacité des prises en charge et à diminuer les hospitalisations évitables. Sa capacité à assurer les prises en charge gériatriques de première intention est essentielle à cet égard.

Une gradation dans la mobilisation des moyens humains et techniques spécialisés est également nécessaire pour améliorer la pertinence et l'adéquation des moyens consommés pour une situation donnée, en optimisant l'utilisation de ressources rares et coûteuses pour lesquelles la demande est croissante, notamment au niveau des services hospitaliers et des plateaux techniques les plus spécialisés.

B. La rationalisation des organisations productives

La structuration d'équipes pluri-professionnelles au premier niveau de prise en charge est la réponse adéquate à l'évolution des besoins de santé. Comme indiqué par le HCAAM dans son avis de juillet 2014 sur les coopérations entre professionnels de santé, l'organisation d'équipes pluri-professionnelles stables à l'initiative des professionnels doit être privilégiée.

Il est essentiel que la structuration de ce niveau soit associée à des moyens techniques suffisants pour permettre, notamment, à la faveur de plages d'ouverture élargies et d'une facilité d'organisation des venues sans rendez-vous, la prise en charge des urgences non vitales.

Au niveau des prises en charge spécialisées, l'efficacité sera améliorée par :

- une plus grande concentration des plateaux techniques interventionnels ;
- la programmation de leur utilisation ;
- la protocolisation des prises en charge ;
- la gestion de l'utilisation des lits ;
- la baisse des durées moyennes de séjour ;
- le développement des prises en charge ambulatoires, en médecine comme en chirurgie ;
- la coordination renforcée au sein des territoires de soins des différents acteurs de la filière.

Cependant au-delà de ces considérations générales, des questions de choix entre différentes formes d'organisation productive se posent, en lien avec les évolutions présentées dans le chapitre 2 :

- spécialisation/concentration des moyens médico-techniques haut de gamme et diffusion des technologies légères ;

- mise en réseau autour d'établissements fonctionnant comme des « plateformes de santé » articulées avec des acteurs extérieurs, que ce soient des professionnels de santé libéraux ou des acteurs sociaux et médico-sociaux ;
- dissociation des fonctions d'hébergement conventionnel (pour des durées qui se réduisent drastiquement en MCO mais peuvent être plus longues dans d'autres secteurs) et les activités dites « de jour » qui peuvent justifier des gestions de flux séparées, voire une spécialisation des locaux, des moyens techniques et des personnels ;
- choix de spécialisation exclusive de certains établissements/services (CHU notamment) ; maintien dans ces établissements d'activités courantes, en particulier pour les patients de leur aire géographique de proximité.

Ces évolutions devraient inciter à développer les études permettant d'éclairer les choix, dans un contexte où les questions de taille et de spécialisation optimales doivent être désormais envisagées de façon différente au niveau des différents types de fonctions et de services (soins, recherche, logistique, etc.) et au niveau des établissements eux-mêmes⁸³.

Devraient également être étudiés les apports, du point de vue médical et technique aussi bien qu'en termes d'efficience, de structures légères mobilisant à proximité des patients des moyens techniques (pour des activités interventionnelles simples, des séances ou des explorations).

C. Les formes et les niveaux d'intégration

La question de l'intégration identifiée au chapitre 2 est une question majeure du point de vue de l'efficience.

Le virage ambulatoire devrait à terme se traduire non seulement par la poursuite du développement d'activités dites « de jour » dans le cadre des établissements hospitaliers, mais aussi par une forte expansion des prises en charge par des acteurs de ville ou du domicile. Or, la caractéristique de ces dernières prises en charge est aujourd'hui une forte atomisation des intervenants qui justifie d'ailleurs des efforts de coordination destinés à en corriger les effets.

Le souci de la qualité sanitaire et la préoccupation d'efficience conduiront au développement de formes de coordination stables, voire d'intégration des interventions. Comme indiqué au chapitre 2, les organisations émergentes devraient faire l'objet d'évaluations permettant d'alimenter des études prospectives et d'éclairer les choix publics.

D. Les conséquences pour les patients et leurs familles du développement des prises en charge ambulatoires et à domicile

En établissement, la prise en charge financière est globale, prenant la forme d'un tout compris qui recouvre un ensemble de prestations (professionnels divers du champ médico-social et social -aides-soignants, diététiciens, assistants sociaux...- et matériels divers) bénéficiant d'un taux élevé de remboursement. A réglementations et organisations inchangées, les évolutions engagées, en faveur des prises en charge en ville et à domicile, pourraient se traduire par un alourdissement des charges financières ou humaines portées par les patients et les aidants. Il s'agit ici d'un point de vigilance à prendre en compte dans la réflexion sur la tarification et les conditions de remboursement.

⁸³ On se reportera sur ce point, à l'analyse présentée par Gérard de Pourvoirville au HCAAM lors de la séance du 28 mai 2015.

Chapitre 10 – Financement des soins, financement de l'innovation

L'arrivée de nouveaux traitements médicamenteux extrêmement coûteux pose aujourd'hui de façon très spectaculaire la question du financement de l'innovation. Comment continuer de donner accès à tous à l'ensemble des traitements ? A quel prix reconnaître l'apport de l'innovation ? Comment permettre le choix public dans un contexte mondialisé ? Autant d'interrogations qui nourrissent aujourd'hui le débat public.

Plus généralement, traiter du financement de l'innovation dans le système de santé suppose d'étudier :

- l'adaptation du système tarifaire à l'émergence de nouvelles activités, de nouveaux services, de nouveaux produits ;
- le financement des investissements associés à l'innovation ;
- les possibilités de redéploiement autorisées par le système d'enveloppes financières.

1. La fixation du prix des médicaments

La dynamique des dépenses de médicaments fait apparaître deux segments très contrastés⁸⁴. D'une part, les médicaments pour le traitement des épisodes aigus (grippe, gastroentérite, infections, etc.), de certaines pathologies chroniques (hypertension, hyperlipidémie, asthme) ou encore psychiatriques, dont les montants remboursés sont en baisse sous l'effet conjugué des génériques, des baisses de prix et de la maîtrise médicalisée. D'autre part, des médicaments « de spécialité » (VIH, cancer, polyarthrite rhumatoïde, sclérose en plaque, hépatite C, dégénérescence maculaire liée à l'âge, etc.) dont les remboursements connaissent une forte hausse, tirée par le poids croissant des molécules innovantes.

L'exemple récent du médicament contre l'hépatite C, Sovaldi®, peut être considéré comme un cas d'école⁸⁵ ou le révélateur d'une situation préoccupante, voire insoutenable pour l'assurance-maladie⁸⁶.

Cependant la dépense occasionnée par Sovaldi® peut être considérée comme transitoire, dès lors que les patients traités sont guéris. En revanche, c'est un renchérissement continu des coûts de traitement qui peut être attendu dans le champ des pathologies chroniques comme le cancer, où les traitements proposés sont appelés à se combiner pour des cohortes de malades *in fine* nombreuses (du fait de la juxtaposition de « petites populations » représentant au total des effectifs importants et sous l'effet des extensions d'indications).

⁸⁴ Rapport CNAMTS « charges et produits » proposition de l'assurance maladie pour 2016.

⁸⁵ Il sera intéressant de suivre l'évolution du marché du traitement de l'hépatite C compte tenu de l'arrivée de produits concurrents comme ceux des entreprises AbbVie, Merck (2016) et Johnson & Johnson (2018). Nous parlons de Sovaldi® comme un « cas d'école ». Ce médicament a en effet révélé un certain nombre de problèmes en termes de régulation. On peut toutefois penser, que vu les produits actuellement connus dans le « pipeline » des industriels, Sovaldi® sera un cas unique en son genre pendant encore plusieurs années.

⁸⁶ En 2014, sur les 2,9 Mds€ remboursés par l'assurance maladie au titre des médicaments de spécialités rétrocédés, les 1,3Md€ de dépenses supplémentaires, sont pour l'essentiel imputables à l'arrivée des médicaments pour le traitement de l'hépatite C; les trois principaux médicaments concernés (Sovaldi®, Daklinza®, Olysio®) représentant à eux seuls 50% du montant remboursé des médicaments en rétrocession et plus de 1,1 Md€ des dépenses supplémentaires. L'importance des remises obtenues sur ces produits permet toutefois de réduire de 0,6 milliard le montant de ces dépenses remboursées.

Une étude récente du National Bureau of Economic Research⁸⁷, cité dans le rapport de D. Polton, présente un résumé saisissant de cette dynamique des prix aux Etats-Unis : sur 58 anticancéreux approuvés aux Etats-Unis entre 1995 and 2013, le prix moyen par année de vie gagnée sur l'ensemble de la période, exprimé en \$ 1993 (donc en neutralisant l'inflation) a quadruplé de 54 100\$ pour une année de vie en 1995, à 207 000\$ en 2013, soit une augmentation de 10% par an en valeur réelle.

Avant d'évoquer différentes pistes pour la fixation des prix des médicaments innovants et leur régulation, il est utile de revenir sur la question des déterminants à prendre en compte pour la fixation des prix.

A. La fixation des prix des médicaments : quels déterminants ?

Le débat sur la fixation des prix des médicaments a évolué au cours du temps, se déplaçant d'un débat portant sur la prise en compte des coûts de recherche et développement (R&D), de production et de commercialisation des produits vers un débat portant sur la valeur.

Prise en compte des coûts de R&D

Dans le débat sur les coûts, la question de la R&D est centrale. Elle est toujours mise en avant par les industriels qui font état d'un renchérissement des coûts associés à l'innovation du fait des exigences croissantes des autorités publiques d'évaluation et d'un taux d'échec croissant de la recherche et développement. Il est vrai que plus de 91% des médicaments atteignant par exemple le stade des essais cliniques ne sont jamais commercialisés (OCDE, 2008).

On peut toutefois s'interroger sur l'efficacité actuelle de la réglementation même des brevets pour stimuler l'innovation, partant du constat que les évolutions de cette réglementation, en particulier aux Etats-Unis, ont entraîné une forte dégradation de la qualité des brevets. Leur nombre s'est fortement accru, générant des coûts de transaction élevés et conduisant dans certains cas à freiner l'innovation.

Dans le rapport du Conseil d'Analyse Economique sur la propriété intellectuelle de 2003, C. Henry, M. Trommetter et L.Tubiana présentent de nombreux exemples de blocage liés notamment à l'obtention de brevet très en amont au niveau de la recherche et bloquant ainsi toute innovation aval. Ils en concluent d'ailleurs que la réalité en matière de brevets en particulier sur les gènes (en 2002 plus de 50 000 brevets auraient été accordés ou demandés sur des séquences ou des séquences partielles de gènes) est à l'opposé de la rationalité économique conduisant les entreprises américaines de biotechnologies à se plaindre de cette prolifération des brevets en amont de leurs recherches venant contrarier les avancées de celles-ci.

En outre, on constate que le mode de fonctionnement de la R&D à l'échelle mondiale est en pleine évolution. D'une recherche qui se faisait essentiellement en interne dans les big-pharmas on est passé à une externalisation massive (partenariat avec des centres universitaires, rachat des start-up innovantes). Les coûts de transaction résultant de la concurrence très forte pour le rachat des start-up innovantes sont extrêmement élevés. Cette recomposition de la chaîne de la valeur ajoutée a assurément des conséquences en termes de prix.

Il n'appartient pas au HCAAM de faire des propositions dans ce domaine. On notera cependant que plusieurs pistes devraient être explorées.

Tout d'abord, il conviendrait de développer des études, au niveau national mais surtout européen, pour mieux cerner les évolutions en cours et appréhender les conditions de formation des coûts de l'innovation. Il faut notamment s'interroger sur les modalités de prise en compte des financements publics de la recherche lors de la détermination des prix. Aujourd'hui les financements publics à la

⁸⁷ NBER working paper series - Pricing in the market for anticancer drugs -David H. Howard, Peter B. Bach, Ernst R. Berndt, Rena M. Conti - Working Paper 20867 - <http://www.nber.org/papers/w20867>.

recherche sont loin d'être négligeables que ce soit en France ou à l'étranger. En France ces financements passent par le Crédit impôt recherche, le financement des laboratoires publics de recherche, le financement de la Direction Générale des Entreprises (Fonds unique interministériel) ou encore de la DGOS (Programme Hospitalier de Recherche Clinique, Programme de Recherche Médico-Economique,...). Mais il est assurément difficile d'imputer correctement la recherche aux différents « producteurs » de cette recherche. En particulier une partie de la recherche académique amont est effectuée dans plusieurs pays à la fois, partagée, etc. En outre la situation se complexifie lorsque les centres universitaires perçoivent à la fois des fonds publics et d'autres fonds (partenariat public privé, royalties sur brevets par exemple).

Au-delà, des solutions devraient être trouvées permettant d'éviter les effets « d'empilement de brevets ». Il faut aussi s'interroger sur le partage qui est fait aujourd'hui entre ce qui doit relever de « l'open science » et doit être public pour justement favoriser la croissance et l'innovation, et ce qui peut relever du champ du « brevetable » et peut être privatisé. Pour les maladies rares notamment on voit émerger des solutions dans lesquelles les financements sont largement socialisés. Les plateformes de génétique moléculaire financées par l'INCA (Institut National du Cancer) constituent également un autre exemple.

Cependant, la théorie économique a depuis longtemps écarté l'idée que les coûts seraient les déterminants des prix en économie de marché, même si l'espérance de retour sur investissement conditionne l'injection de fonds (interne ou externe). Aucune entreprise pharmaceutique ne fixe un prix en fonction de ses coûts et aucun investisseur n'accepte qu'une innovation soit vendue bon marché sous prétexte que la recherche aurait été peu onéreuse.

Prise en compte de la valeur

Dans les années récentes, la prise en compte de la valeur thérapeutique a été privilégiée dans les réflexions d'un certain nombre de pays sur leurs dispositifs de prise en charge^{88 89}. Cette notion est à rapprocher de celles d'utilité et de préférence développées dans la théorie économique du consommateur, qui est à l'origine de cette approche. Mais dans le domaine de la santé, de quel point de vue faut-il se placer ? Du point de vue du patient et de son entourage, du régulateur, de la collectivité dans son ensemble ? La valeur supposée traduire les avantages associés à un médicament est-elle une notion absolue, relative ? Comment construire l'indicateur qui doit mesurer cette valeur et dans quel type d'évaluation médico-économique faut-il l'intégrer, en particulier quelle notion de coût doit-on retenir en contrepartie [nature des coûts (médicaux, non-médicaux), coûts pour qui ? (financier, collectivité)] ? C'est là que les difficultés commencent.

En France le dispositif de prise en charge est depuis longtemps fondé sur une appréciation de l'apport thérapeutique des médicaments. Cet apport est mesuré par l'ASMR⁹⁰ qui en donne une mesure ordinale, marqueur de valeur ou de « désirabilité » par le payeur public. Dans d'autres pays, comme l'Angleterre, une mesure cardinale de la valeur prévaut (QALY, quality adjusted life year⁹¹) dans les processus de décision.

Par delà les difficultés méthodologiques, personne ne conteste aujourd'hui la nécessité de fixer les prix des médicaments en fonction de leur apport thérapeutique comparé. Les propositions récentes présentées dans le cadre du rapport de Dominique Polton, sont de nature à clarifier les méthodes

⁸⁸ La réflexion sans doute la plus aboutie est celle développée au Royaume Uni par le Ministère de la Santé qui a décidé de remplacer en 2010 l'ancien système de 1957 par un nouveau mécanisme fondé sur la valeur. Department of Health, *A new value-based approach to the pricing of branded medicines, a consultation*, décembre 2010.

En France, l'accord cadre qui régit les relations entre l'industrie pharmaceutique et l'Etat peut également être considéré comme une approche fondée sur la valeur.

⁸⁹ Voir à ce sujet la synthèse faite par V. Paris et A. Belloni, *"Value in pharmaceutical pricing"*, OECD Health Working Papers n°63, OECD Publishing.

⁹⁰ ASMR : indicateur d'amélioration du service médical rendu.

⁹¹ QALY : année de vie ajustée par la qualité.

utilisées en France pour évaluer cet apport (appréciation du service médical rendu et de l'amélioration du service médical rendu). Comme indiqué dans le chapitre 8 du présent rapport, l'appréciation de cette valeur dans les conditions de vie réelle gagnerait à être développée, favorisant la réévaluation aussi bien des prix des produits que des stratégies thérapeutiques.

Cependant, par delà cette appréciation, le prix attaché à l'innovation résulte sur le marché du médicament, comme sur tous les marchés, du pouvoir de monopole de l'industriel, de la taille du marché, de la réglementation et de l'efficacité de la régulation⁹².

L'évolution des prix de marché

La situation à cet égard est rendue difficile pour les Etats compte tenu de la transformation de l'industrie pharmaceutique sous l'effet de la mondialisation, le renforcement du pouvoir de négociation des grands groupes et la logique financière très présente dans un certain nombre d'entreprises.

Selon les régions du monde, le marché du médicament obéit, d'ailleurs, à des logiques différentes. Ainsi, sur le marché américain, premier marché mondial, la détermination du prix résulte du jeu de la concurrence entre acheteurs privés (assureurs) et industriels. Si les prix d'entrée des médicaments innovants peuvent être extrêmement élevés, l'arrivée de concurrents s'accompagne de rapides ajustements à la baisse. Les négociations y portent aussi bien sur les niveaux de prix que sur des remises qui peuvent rester confidentielles. Le marché européen est à la fois fragmenté et fortement réglementé. Dans un pays comme la France, la réglementation des prix rend moins aisée que dans un contexte de marché, l'ajustement des prix à la baisse à l'arrivée de produits concurrents. Quant au marché des pays en voie de développement, les pays émergents y jouent un rôle croissant et les niveaux de prix sont en partie ajustés au niveau de vie⁹³.

Il est à noter que la connaissance des prix faciaux sur lesquels s'appuient les comparaisons internationales n'a qu'une valeur relative puisqu'on ne connaît jamais le niveau des remises réellement négociées. Cette modalité -prix faciaux internationaux assortis de remises confidentielles nationales- est mise en œuvre pour éviter des refus de vente sur des marchés où les entreprises ne pourraient éviter le développement du « commerce parallèle » qui nuit à leur rentabilité^{94 95}.

La fixation des prix ne constitue, en outre, qu'un des volets de la régulation, toute comparaison internationale nécessitant que soit également portée une attention particulière aux mesures d'encadrement de la prescription qui peuvent être prises afin de limiter les coûts budgétaires associés.

⁹² Il n'existe pas de méthode de détermination du « profit maximal acceptable » pour l'industrie pharmaceutique. La rémunération du risque est fixée par les marchés financiers. La seule façon d'approcher ce problème de partage du surplus généré par l'industrie serait d'évaluer l'assurance anti-risque créée au niveau mondial par l'existence de dépenses de santé solvabilisées par les systèmes de protection sociale. Se poserait alors le problème d'imputation entre les différents payeurs. De même, comment intégrer dans cette équation les impôts payés par les laboratoires pharmaceutiques et leur comportement stratégique en matière d'optimisation fiscale ?

⁹³ Le marché américain joue un rôle leader. Les prix y sont élevés du fait de la concurrence entre assureurs pour la prise en charge des produits les plus innovants, d'interdiction de négocier les prix par les systèmes publics (Medicare, Medicaid). Des mécanismes de rappel existent cependant prenant la forme de remises arrière, voire d'exclusion de certains médicaments de la liste lorsque des nouveaux produits arrivent.

⁹⁴ P-L. Bras « Régulation des prix des médicaments et contribution française au financement de l'innovation », Les tribunes de la santé, 2004/2 n°2.

C. Le Pen « quand le prix n'est pas que le prix... », lettre d'informations numéro 72, IMSHealth Pharmanews, novembre 2014.

⁹⁵ Si les prix faciaux sont différents selon les modes de régulation retenus dans chaque pays, il faut que les entreprises puissent réguler les importations et exportations de leurs médicaments, pour empêcher que la « rente du brevet » de ces médicaments innovants ne soit accaparée, à leur détriment, par le pays à bas prix via le développement de ses exportations en direction des pays disposés à payer plus cher.

Par delà ces différences, les prix revendiqués pour les médicaments du cancer suscitent l'inquiétude dans l'ensemble des pays, comme en témoignent notamment les déclarations faites aux Etats-Unis dans le cadre de l'ASCO par les oncologues américains.

Pour un pays comme la France, ils posent la question de sa capacité à continuer d'intégrer dans le panier remboursé l'ensemble des innovations, dans un contexte où le flux des innovations majeures serait significativement plus important qu'il ne l'a été par le passé. Le renchérissement du coût/Qaly des médicaments innovants admis au remboursement est un indicateur de cette difficulté.

B. Soutenabilité pour les finances publiques, acceptabilité pour les citoyens des niveaux de prix revendiqués pour l'innovation

Les garanties demandées par les industriels en termes de rémunération de l'apport thérapeutique de l'innovation et de rentabilité économique ne peuvent être assurées que si sont garanties :

- la soutenabilité financière à court et moyen terme du financement de l'innovation ;
- l'acceptabilité sociale des niveaux de prix retenus.

Comment analyser aujourd'hui ces deux dimensions de la soutenabilité et de l'acceptabilité ?

Au cours des dernières années, le processus de régulation retenu dans l'accord cadre entre l'Etat et l'industrie pharmaceutique a permis une maîtrise des dépenses de médicaments. Par le jeu des baisses de prix opérées à divers titres⁹⁶ ou encore des remises⁹⁷, le coût budgétaire pour l'assurance maladie des dépenses de médicaments a été stabilisé entre 2011 et 2013.

Cependant en 2014, malgré les mesures législatives prises, complémentaires aux dispositions conventionnelles⁹⁸, en particulier celles relatives à l'arrivée sur le marché des médicaments contre l'hépatite C, les dépenses de médicaments remboursées par l'assurance maladie⁹⁹ se sont accrues de 1,6%, croissance largement imputable aux médicaments vendus en rétrocession hospitalière¹⁰⁰, et plus particulièrement aux médicaments contre l'hépatite C.

L'analyse par grands postes de dépenses montre, en effet, des dynamiques de croissance très contrastées entre d'un côté les médicaments vendus en officine dont la croissance est négative depuis 2011 et la croissance des médicaments vendus en rétrocession ou encore figurant sur la liste hospitalière en sus dont les croissances sont largement positives.

Pour les années à venir, de telles évolutions constituent un sujet d'inquiétude, avec l'arrivée sur le marché de médicaments contre le cancer aux prix annoncés élevés, alors même que les marges de manœuvre mobilisées ces dernières années par la chute des brevets des blockbusters et l'extension

⁹⁶ Baisses de prix au titre de l'alignement sur un prix européen inférieur, d'une extension d'indication, d'une baisse de l'ASMR, d'une opération de baisse de classe,... de l'arrivée de génériques, ou encore de baisses de prix au sein du répertoire des génériques...

⁹⁷ Clause de volume, respect de la posologie figurant dans l'AMM...

⁹⁸ Depuis la fin des années 1990, pour s'assurer du respect de l'objectif national des dépenses d'assurance maladie voté en loi de finances sociales, différentes mesures législatives ont été prises : tout d'abord, la clause de sauvegarde (créée en 1999 puis réformée en 2015 – appelée avant 2015 taux K et dénommée depuis 2015 taux L) qui s'enclenche quand la dynamique des dépenses de médicaments dépasse un taux fixé en loi de finances sociales, ou encore le dispositif spécifique relatif aux médicaments traitant l'hépatite C (mécanisme appelé plafond W, créé en 2014), qui s'enclenche quant à lui quand le chiffre d'affaires des médicaments concernés dépasse un certain plafond (plafond fixé à 450 millions d'euros en 2014 et à 700 millions d'euros en 2015 et 2016), ou enfin le dispositif relatif aux ATU (autorisation temporaire d'autorisation), mis en place lui aussi en 2014, qui consiste à demander le remboursement *ex post* de l'écart de prix entre le prix retenu lorsque le médicament bénéficiait d'une ATU et le prix finalement négocié entre l'entreprise et le CEPS pour son intégration dans le panier des biens remboursables. Notons que la clause de sauvegarde instaurée en 1999 (taux K) n'a pas eu à s'appliquer entre 2008 et 2014.

⁹⁹ Dépenses remboursées pour les médicaments de ville (achetés en officine ou vendus en rétrocession) et les médicaments hospitaliers en sus des GHS, déductions faites des remises conventionnelles et des mesures législatives. Ces dépenses ne comprennent pas les médicaments inclus dans les GHS hospitaliers.

¹⁰⁰ Croissance de +60% entre 2013 et 2014 après prise en compte des remboursements ATU et de la contribution W.

du répertoire des génériques se réduisent et que les marges à attendre des bio-similaires seront de moindre ampleur.

On peut craindre que demain les mécanismes de régulation éprouvés ne suffisent pas et que la question puisse se poser de l'entrée de certains médicaments dans le panier des soins au prix demandé¹⁰¹.

Cette question se pose pour l'ensemble des pays européens. Même si les modalités de régulation propres aux différents pays rendent difficiles des politiques communes, une coordination européenne est souhaitable fondée sur des analyses conjointes des caractéristiques des médicaments innovants. C'est en ce sens que vont les initiatives récentes du gouvernement français.

C. Les nouveaux modes de tarification possibles

Face aux tendances d'évolution des prix qui se dessinent, plusieurs pistes et options permettraient d'assurer une meilleure régulation s'inscrivant dans un cadre pluriannuel :

- le développement de contrats d'accès au marché conditionnels (contrats de partage du risque, de paiement à la performance, etc.). Ces contrats impliquent un recueil de données post-inscription afin de réduire l'incertitude existant en pré-inscription et qui peut porter sur l'efficacité, le ratio coût-efficacité, l'usage en vie réelle, l'impact budgétaire, etc. Les résultats constatés en vie réelle ont alors un impact sur les conditions d'accès au marché. L'écueil de ces dispositifs tient à la difficulté de vérification des conditions prévues dans un contexte évolutif. Il faut dès lors prévoir des dispositifs simples privilégiant la vérification de résultats intermédiaires, sous peine de voir exploser les coûts de transaction, d'après les expériences menées dans plusieurs pays ;
- la tarification temporaire (en attente de la finalisation des études ou en cas d'incertitude sur les bénéfices cliniques), avec l'idée que cette tarification temporaire doit s'assortir d'une sortie rapide du marché si les résultats attendus ne sont pas au rendez-vous. En matière de médicament, l'une des difficultés réside en effet dans la détermination de la valeur en situation d'incertitude assumée. Il pourrait être proposé, comme le suggèrent la HAS et le rapport Polton, de prendre en charge temporairement sur la base d'un prix forfaitaire et sans détermination d'ASMR un médicament dans l'attente de la finalisation des études. Le prix serait secondairement adapté à l'ASMR obtenue *in fine*. Cette modalité éviterait ainsi l'écueil du « crantage » initial élevé du prix. Reste bien sûr à fixer le forfait... ;
- la tarification par indication et non plus par produit. Actuellement la tarification des médicaments se fait pour un produit donné, que celui-ci soit autorisé pour une ou plusieurs indications. Or un même produit peut obtenir des ASMR de niveaux très différents selon les indications. Cela peut avoir pour conséquence de tirer le prix vers le haut dès lors que pour une indication le laboratoire peut arguer d'un ASMR élevé, même si cette indication concerne de petits effectifs par rapport à l'ensemble des indications remboursées. Le CEPS tient compte de cette situation pour négocier des remises, mais à partir d'un niveau de départ élevé alors que la tarification par indication éviterait cet écueil. Le développement des systèmes d'information rendrait possible cette tarification différenciée par indication. Une telle évolution, dont les modalités exactes sont à préciser, semble envisageable. Un enregistrement systématique de l'indication pour laquelle le médicament est prescrit et sa saisie dans les bases de données pharmaceutiques permettrait une telle évolution ;
- la tarification individualisée. Dans le cas des thérapies ciblées (avec association non fixe de médicaments et traitement évolutif au cours de la prise en charge) les modalités mêmes de la

¹⁰¹ On rappellera qu'aujourd'hui dans le système français dès lors qu'un produit apporte un service médical il est admis au remboursement. Le CEPS est ensuite conduit à fixer un prix par négociation avec l'entreprise pharmaceutique supposant le principe de l'intégration dans le panier des soins acquis.

tarification sont probablement à revoir. Comme pour l'évaluation, certains auteurs proposent d'envisager une tarification évolutive plus individuelle permettant des ajustements de prix tenant compte notamment des volumes correspondant, mais également les coûts des tests génétiques associés (y compris des tests réalisés sur les patients qui ne bénéficieront pas *in fine* du produit). Cela passerait nécessairement par un suivi en continu en « vie réelle » de l'usage de chaque médicament et des tests associés. Au-delà du fait que la mise en place d'un tel dispositif mobiliserait sûrement des moyens importants, il n'est pas sûr que cela permettrait d'infléchir fortement la dynamique des prix. Cela passe probablement aussi par des modes de financement alternatifs assurant notamment un continuum soins/recherche, en s'appuyant par exemple sur ce qui a été fait avec la constitution des plateformes de génétique moléculaire ;

- ou encore une gestion dynamique des prix avec la définition d'un prix-cible. Comme tout autre produit industriel le médicament connaît une obsolescence technique qui devrait conduire à une baisse de la rente au cours du temps et donc à une baisse du prix. Dans un modèle concurrentiel, c'est le fonctionnement du marché qui permet cette baisse des prix. Dans un système de prix administré, il reviendrait à l'Etat d'obtenir cette gestion dynamique des prix. Le CEPS, par le jeu des remises, ajustements de prix des princeps ou homogénéisations de prix au sein des classes thérapeutiques, tend déjà à prendre en compte l'arrivée des produits concurrents dans sa gestion de prix. Aller au bout de cette logique pourrait conduire à définir une trajectoire d'évolution des prix (ou des prix nets des remises) à définir année par année.

Mais, les progrès les plus importants dans la régulation sont à attendre des réévaluations systématiques des stratégies thérapeutiques, des conditions de dispensation des traitements, de la détermination de prix par groupes de produits, rendues possibles par le développement des études en vie réelle. Il est important que la France mobilise les marges d'économies à sa disposition par l'encouragement à une prescription plus économe, ne donnant pas la préférence systématique aux médicaments les plus chers et une démarche active dans le domaine des bio-similaires. Compte-tenu des caractéristiques du marché et de l'innovation, les enjeux principaux sont plutôt à l'hôpital.

2. La tarification et l'évolution des prises en charge

L'évolution des prises en charge se traduisant par une diminution des hospitalisations, une augmentation de l'ambulatoire et de nouvelles formes d'intégration autour des populations ou de parcours appelle des évolutions tarifaires.

A. La tarification hospitalière

Dans le secteur hospitalier, plusieurs dispositifs, déjà évoqués dans le chapitre 7 du présent rapport, existent pour intégrer précocement l'innovation concernant les technologies et les produits de santé : forfait innovation, médicaments sous ATU, PHRC, etc¹⁰². Ces dispositifs constituent des prises en charge à titre transitoire, puisque, une fois évalués, les produits et techniques innovants ont vocation à entrer dans les dispositifs de tarification de droit commun (Groupes Homogènes de Séjours) ou encore dans les listes en sus pour les technologies et produits de santé innovants onéreux¹⁰³.

¹⁰² Pour partie financés sur l'ODMCO (forfait innovation) ou sur l'enveloppe MERRI (ATU, RIHN, PHRC,...).

¹⁰³ Le principe général de la prise en charge hospitalière des médicaments et des dispositifs médicaux est leur inclusion dans les prestations d'hospitalisation et dans le coût des Groupes Homogènes de Séjours (GHS). Toutefois, un dispositif dérogatoire, décrit à l'article L.162-22-7 du Code de la sécurité sociale, existe. Certains médicaments et dispositifs médicaux, notamment lorsqu'ils sont à la fois onéreux et susceptibles d'introduire une hétérogénéité dans les coûts de séjour en raison de la variabilité des prescriptions au sein d'un ou plusieurs GHS, peuvent être facturés en sus des tarifs des prestations d'hospitalisation. Ces médicaments et dispositifs médicaux sont alors inscrits sur une liste, dite « liste en sus ».

Si ces dispositifs permettent une entrée rapide des technologies et produits de santé innovants et leur large diffusion dans les établissements de santé, ils sont inadaptés à l'introduction d'innovations dans les organisations à l'interface de la ville et de l'hôpital. En effet, il est fréquent qu'une évolution conduisant à déporter une partie de l'activité sur le segment ambulatoire soit freinée par l'établissement qui ne souhaite pas voir diminuer ses recettes (par exemple chimiothérapie à domicile, dialyse à domicile). On n'observe pas non plus une appétence considérable des établissements pour les dispositifs de coordination qui éviteraient des réhospitalisations pour insuffisance cardiaque ou BPCO.

Pour faire face à ces difficultés, plusieurs options peuvent être discutées :

- faciliter pour l'établissement la réorganisation des activités en gérant notamment les effets revenus (dotation, aide à l'investissement, financement de personnels de coordination, etc.) ;
- faciliter la participation de l'établissement aux dispositifs de coordination ville/hôpital en transférant les emplois (en équivalent temps plein -ETP-) libérés par la perte d'activité dans cette coordination, dans le développement de dispositifs innovants d'intégration des activités ambulatoire et hospitalière ou auprès des structures intervenant à domicile, en complément de ce qui existe déjà en fonction des besoins du territoire ;
- s'inscrire dans une dimension résultat où chacun est rémunéré en prenant en compte le résultat global défini, permettant à chacun de se mobiliser autour d'un objectif commun et partagé ;
- créer des prestations spécifiques pour accompagner le déport d'une activité vers la ville comme par exemple la création en 2016 d'une MIG « primo-prescription en chimiothérapie orale » par laquelle sont financées les consultations médicales dédiées, intégrant les surcoûts spécifiques (temps supplémentaire, pluridisciplinarité), et prévoyant le suivi du parcours du patient en coordination avec la ville. Cette évolution crée en quelque sorte une situation intermédiaire entre la consultation « simple » et l'hospitalisation de jour. Cette situation intermédiaire est fréquemment rencontrée dans les établissements de santé, et une réflexion pourrait être approfondie sur la création d'une réelle prestation nouvelle pour couvrir ce champ des consultations longues, complexes et pluridisciplinaires.

Ces évolutions ne règlent cependant pas l'ensemble des questions posées par des transferts importants d'activité de l'hospitalisation vers l'ambulatoire et le domicile et par des prises en charge coordonnées.

B. La tarification des soins de ville

De nouvelles formes de rémunération sont à envisager notamment pour le renforcement et la structuration d'équipes de soins primaires pluridisciplinaires. En effet, aujourd'hui, chaque professionnel est rémunéré par application de la nomenclature et de la convention qui est propre, ce qui pose la question de la rémunération de tâches non prévues dans les nomenclatures, en particulier la coordination.

Le mouvement a déjà été engagé dans le cadre des ENMR (expérimentations de nouveaux modes de rémunération) et du récent règlement arbitral applicable aux structures de santé pluri-professionnelles de proximité¹⁰⁴ (versement d'une rémunération en fonction de l'atteinte de certains objectifs : accès aux soins, travail en équipe, développement du système d'information, missions de santé publique, coordination des prises en charge pour les situations complexes).

Mais la part de ces nouveaux modes de rémunération reste faible (inférieure à 5% du chiffre d'affaires des maisons de santé pluri-professionnelles bénéficiaires), alors même que les évaluations qualitatives conduites par l'IRDES ont montré que les ENMR ont contribué à une transformation des relations entre professionnels des structures bénéficiaires et ont aidé à l'émergence de nouvelles

¹⁰⁴ Arrêté du 23 février 2015.

fonctionnalités. Comment imaginer dès lors, à un horizon d'une quinzaine d'années, la rémunération des structures pluri professionnelles ambulatoires ? Une réponse pourrait être la globalisation des paiements, ce qui simplifierait la gestion et inciterait les structures concernées à optimiser les moyens mis en œuvre. La logique à privilégier est, en tout état de cause, celle de la rétribution d'activités et de services rendus et non de structures. Dans cette perspective des activités nouvelles (éducation thérapeutique, prise en charge de malades chroniques) pourraient être rémunérées sous forme de capitation.

C. La tarification décloisonnée

Plusieurs facteurs militent pour diversifier les modalités de tarification :

- la tarification à l'activité et la gestion séparée des enveloppes n'encouragent pas les transferts d'activité souhaitables notamment de l'établissement vers la ville, chaque offreur de soins cherchant à maintenir son activité. Le système tarifaire gagnerait en conséquence à rechercher des solutions instaurant davantage de transversalité entre secteurs ;
- pour accompagner le parcours de soins de malades chroniques, le système actuel apparaît contre-productif : parcours segmenté, coordination non valorisée, prestations utiles et nécessaires comme l'éducation thérapeutique financée sur des bases fragiles et non pérennes. Il conviendrait de mettre en place des financements transversaux, non ciblés *a priori* sur un acteur donné ;
- certaines prises en charge recouvrent un ensemble d'actes et prestations associés, et justifient que soit mis en place un forfait dont les contours peuvent être variables selon les cas¹⁰⁵.

Pour ces différentes raisons, des systèmes de « paiement groupé » (« bundle payment »¹⁰⁶) ont été mis en place dans plusieurs pays, à titre expérimental ou pérenne. Ce système généralise le principe : « l'argent suit le malade ».

En France le ministère de la Santé a choisi de démarrer des expérimentations de financement au parcours de soins pour trois types de population (lois de financement de la sécurité sociale pour 2014 et 2015) :

- les personnes atteintes d'insuffisance rénale chronique ;
- les personnes atteintes d'affections cancéreuses traitées par radiothérapie externe ;
- les enfants et adolescents atteints d'obésité sévère.

Le principe général est de fixer, pour un épisode de soins (par exemple une hospitalisation, les soins pré et post-opératoires, les réhospitalisations, etc.) ou une période donnée pour les pathologies chroniques (semestre ou année), une rémunération forfaitaire globale qui couvre l'ensemble des moyens nécessaires (prothèses, médicaments, transports, etc.). Pour les soins et prescriptions « hors forfait », c'est-à-dire générés par d'autres pathologies ou d'autres événements sans lien avec l'épisode, la tarification relève de la procédure habituelle.

Il existe deux grands types d'approche :

- l'approche par épisode au sens strict, basée sur un épisode caractérisé, limité dans le temps (ex : intervention chirurgicale programmée, période de récupération après infarctus) ;
- l'approche populationnelle ou territoriale, plus adaptée aux pathologies chroniques selon laquelle l'opérateur gère les activités de prévention ou d'éducation à la santé, voire les parcours d'un ensemble de patients atteints d'une affection donnée sur un territoire, pendant une

¹⁰⁵ Forfait qui peut être un forfait tout compris intégrant la prise en charge complète d'un épisode de soins (en ville et à l'hôpital), ou encore d'un segment particulier de la prise en charge.

¹⁰⁶ Plusieurs termes sont utilisés pour traduire « bundle payment » : paiement (ou forfait) au parcours, paiement (ou forfait) à l'épisode de soins, forfait global par patient,...

certaine période, ouvrant alors la possibilité de financer les tâches de coordination, l'accompagnement du patient, etc.

Un tel système doit améliorer l'efficacité des prises en charge en limitant les hospitalisations et les actes/services inutiles ou inappropriés, grâce à une meilleure coordination entre professionnels.

Au regard de la complexité d'un tel dispositif¹⁰⁷, il paraît pertinent de démarrer par des domaines où les avantages attendus paraissent particulièrement importants comme l'insuffisance rénale chronique terminale, la prise en charge des chimiothérapies, l'orthopédie froide, ou la prise en charge des personnes âgées dépendantes à domicile.

La principale difficulté réside dans la répartition du paiement forfaitaire entre les différents acteurs de soins. L'objectif est de décloisonner certains segments du système de soins, et les modalités d'attribution du forfait ne doivent pas venir contredire cet objectif.

Ces observations illustrent la nécessité de conduire concomitamment les réflexions sur la tarification et les réflexions sur de nouvelles formes de coordination et d'intégration de l'activité des offreurs de soins.

3. Le financement de l'investissement et l'accompagnement du changement

La problématique de l'investissement favorisant l'innovation (à travers une reconfiguration de l'offre, la modernisation des équipements et le développement des systèmes d'information) se pose aujourd'hui aussi bien dans le secteur hospitalier qu'en ville. La crainte qui s'exprime est celle de la difficulté à préserver l'avenir, dans un cadre financier contraint, en assurant le flux d'investissement nécessaire à l'innovation¹⁰⁸.

Les rénovations hospitalières, ainsi que certaines innovations techniques sont en effet particulièrement coûteuses (au-delà du million d'euros), comme les salles hybrides, les robots chirurgicaux,... ou encore les systèmes d'information. Leur acquisition par un établissement peut, dès lors, se trouver freinée ou venir peser sur les autres investissements et activités, ou encore accroître l'endettement des structures qui les portent.

A. L'encadrement et l'analyse économique des projets d'investissement

En ce qui concerne le secteur hospitalier public, une nouvelle stratégie de soutien à l'investissement a été initiée depuis trois ans. Elle repose sur la promotion de l'autofinancement et une intervention régionale et nationale qui vise à stabiliser le niveau d'endettement des établissements de santé.

¹⁰⁷ Cf. sur le site le document de la séance du 25 février 2016 : « Expérimenter des modalités innovantes de financement ».

¹⁰⁸ Cette question a été posée dans le champ hospitalier à la fin des années 1990. Fort du constat qu'un système qui n'investit pas est appelé à disparaître, et, après une période de sous-investissement dans les années 1990, la Conférence des directeurs généraux de CHU avait alerté le gouvernement au début des années 2000 sur l'obsolescence des équipements hospitaliers et l'urgence d'investissements de mise aux normes ou de résorption de la vétusté. Deux grands programmes d'investissements hospitaliers ont alors été lancés : les plans *Hôpital 2007* et *Hôpital 2012*.

Initialement prévu pour financer prioritairement des opérations de recomposition de l'offre de soins, *Hôpital 2007* a en fait soutenu de très nombreuses opérations et a privilégié les aides en fonctionnement (censées couvrir les charges d'intérêt des emprunts) au détriment des aides en capital, ce qui a incité les établissements à recourir massivement à l'emprunt. En outre, le grand nombre de projets aidés a limité le montant alloué à chacune des réalisations et, comme les établissements hospitaliers ne disposaient pas d'autofinancement suffisant, ils ont dû s'endetter. Quant à *Hôpital 2012*, s'il a été plus encadré dans son accès, il s'est « largement évanoui en cours de route faute de financement » (cf. Rapport IGAS/IGF « Evaluation du financement et du pilotage de l'investissement hospitalier », mars 2013, page 3).

Les conséquences ont été un triplement de la dette hospitalière de moyen et de long terme entre 2002 et 2013 qui a atteint plus de 29 Mds€ en fin de période, soit près de huit années de capacité d'autofinancement.

L'investissement est de la responsabilité de l'établissement, qui a, en principe, vocation à autofinancer ses choix de développement. Mais la tarification à l'activité ne lui permet pas de dégager des marges financières suffisantes pour les investissements lourds. Les tarifs n'incluent pas la totalité des coûts d'investissement et n'ont pas vocation à l'inclure pour les opérations lourdes et restructurantes. Comme le rappelle l'IGAS/IGF « *les tarifs n'ont couvert que partiellement, étant donné le faible niveau des marges brutes passées, les charges d'investissements lourds*¹⁰⁹. Les opérations immobilières lourdes relevant de la recomposition de l'offre de soins peuvent donc justifier un financement par dotations ou subventions »¹¹⁰.

Pour les projets d'investissement de plus de 50 M€ HT (en réalité des projets comportant une opération immobilière), a été mis en place le COPERMO (Comité Interministériel de Performance et de la Modernisation de l'Offre de Soins) en décembre 2012, dont les missions sont de valider et suivre les actions proposées par les ARS, sélectionner et prioriser les projets d'investissements nécessitant un financement de l'État et assurer le suivi des établissements en difficulté.

Ce comité est ainsi chargé, d'une part de valider en lien avec les ARS les projets de travaux, en particulier ceux qui sont susceptibles de bénéficier d'un accompagnement national, d'autre part de diffuser les référentiels et les outils susceptibles de faire progresser les modalités d'évaluation des projets sur l'ensemble du territoire national (circulaire du 5 juin 2013).

Depuis sa création, le COPERMO a validé 29 projets pour un montant total d'investissement de 3,3 Mds €.

Une analyse effectuée par le Commissariat général à l'investissement sur les 7 premiers projets concernant des reconstructions d'établissements de plus de 100 M € indique que ces projets :

- permettent des regroupements de site,
- évitent les bâtis pavillonnaires ou en immeuble de grande hauteur au profit d'un ou plusieurs bâtiments de quelques étages,
- regroupent et optimisent l'usage des plateaux techniques autour duquel les services sont réorganisés en pôles, redimensionnent les unités de soins (28-30 lits), et portent une attention aux parcours de soins du patient au sein de l'établissement,
- permettent de réduire le nombre de lits du moins dans le contexte démographique de la métropole,
- facilitent le développement de l'ambulatoire,
- envisagent la modularité intérieure pour un ajustement plus rapide aux évolutions technologiques.

Il est à souligner que le COPERMO a développé, dans le cadre de ses missions, une expertise dans l'évaluation médico-économique des projets.

Pour l'avenir :

- Il paraît nécessaire d'insister sur l'articulation de ces projets d'investissement avec les options générales prises pour l'organisation du système de soins, notamment sur les deux axes majeurs que sont le développement des prises en charge externes (qu'elles soient réalisées en ville ou dans l'établissement de santé) et le développement des hospitalisations de jour en substitution d'hospitalisations complètes.

¹⁰⁹ Le rapport IGAS/IGF fournit à cet égard les éléments chiffrés suivants : le taux de marge brute hors aides financières était 5,1% en 2011, alors qu'il devait financer les investissements incompressibles, au minimum 3%, ainsi que la charge de la dette, qui absorbait globalement 4,2% en 2011, ce qui signifie que ce rythme d'investissement n'est pas soutenable à terme.

¹¹⁰ Rapport IGAS/IGF, op.cit. page 5.

- Ces orientations peuvent notamment se traduire sur le plan architectural par une conception orientée davantage vers la ville (par exemple : pôle de consultations externes spécialisées centralisé en rez-de-chaussée, unité de chirurgie ambulatoire organisée pour des patients ambulants à proximité de l'accueil, espaces conviviaux...).
- Ces orientations doivent aussi se traduire dans la conception des systèmes d'information, devant prévoir des dispositifs de partage des dossiers médicaux avec les professionnels de ville.

Pour les projets de moins grande envergure que ceux évalués par le COPERMO, comportant essentiellement des investissements matériels, on pourrait envisager -en lien avec la nouvelle structuration de l'offre de soins- que leur implantation fasse elle aussi l'objet d'une réflexion nationale ou au moins régionale. L'objectif serait d'éviter de voir un trop grand nombre d'établissements s'en doter, au risque de constater que chacun de ces équipements ne s'adresse qu'à une file active réduite de patients, et qu'en corollaire, le coût de traitement par patient s'avère prohibitif. A l'inverse, pour certains de ces équipements, il existe des monopoles ou duopoles, situation peu favorable à une baisse des prix. Dans certains cas, les pouvoirs publics pourraient susciter des initiatives tendant à accroître la concurrence dans ces domaines.

B. La fixation d'un taux d'investissement minimum et la sanctuarisation de crédits

Une orientation complémentaire mériterait en outre d'être étudiée : la fixation d'un taux d'investissement minimum afin d'éviter une obsolescence de l'offre de soins. Ceci vaut pour les établissements comme pour les acteurs de la ville qui doivent être aussi considérés dans la perspective de la modernisation du système de santé.

Dans ce cadre, certains proposent par exemple que soient sanctuarisés des financements affectés à l'innovation dans les établissements, à l'instar de :

- l'enveloppe interne dédiée à l'innovation dans certains établissements de santé. C'est ce qui est fait au sein de l'AP-HP avec la mise en place d'un fonds dédié à l'innovation afin d'intégrer les dispositifs médicaux innovants dès le marquage CE obtenu ;
- ou encore la procédure allemande, le NUB (*Neue Untersuchungs-und Behandlungsmethoden*), qui consiste à faire remonter chaque année par les établissements les innovations qu'ils souhaitent voir financer, avec une méthodologie spécifique de calcul des surcoûts, avant la création du code acte et l'intégration dans les GHS. L'INEK (l'équivalent de l'ATIH) a pour mission d'analyser ces remontées et de valider le calcul de surcoût (et de confronter les demandes similaires émanant de plusieurs établissements), dans le cadre d'une enveloppe fermée. Une procédure proche avait été mise en place par la DGOS et la mission T2A en 2008, dite de « recours exceptionnel » (enveloppe de 50 millions d'euros). La transposition supposerait une procédure d'arbitrage national dans le cadre d'un dispositif souple et professionnalisé.

Les questions que pose une telle sanctuarisation doivent être traitées :

- à quel niveau doit-elle s'opérer ? Sans doute pas à celui de chaque établissement et offreur de soins au risque de limiter les mutualisations possibles et d'être inefficace ;
- avec quelles garanties en termes d'évaluation et de remontée des données ?
- selon quelle temporalité ?

Enfin, concernant les infrastructures, et en particulier les infrastructures numériques, une réflexion doit être menée afin de définir le modèle économique adapté à leur développement.

C. La définition de modèles économiques pour promouvoir le développement du numérique

Le numérique en santé se développera si et seulement si les conditions économiques de son développement sont réellement réunies. La viabilité même des solutions numériques est tributaire de l'environnement dans lequel elles se déploient (modes de financement, investissements collectifs réalisés dans les infrastructures techniques et les référentiels). Mais les conditions économiques peuvent être diverses, et selon celles qui seront privilégiées, la nature même du développement du numérique, et pas simplement son intensité, seront différentes. C'est la question des modèles économiques du numérique.

L'élaboration d'une doctrine sur les modèles économiques renvoie aux règles standards de l'économie publique ; elle vise à déterminer qui doit financer quoi et selon quelles modalités. Or, aujourd'hui, on ne dispose pas de modèle économique clair et stabilisé pour les outils numériques, que ce soit pour leur acquisition ou pour leur fonctionnement. Il est dans ces conditions vain de tester des modèles économiques à un niveau décentralisé, sans avoir statué sur un cadre plus global et plus stable, ce qui dans les faits conduit les porteurs de projets et de solutions à être confrontés à des doctrines diverses selon l'acteur qui est leur interlocuteur et surtout instables dans le temps.

Il est donc indispensable qu'une réflexion sur ce sujet soit conduite par les pouvoirs publics à l'échelon national, en concertation avec l'ensemble des acteurs concernés (ce qui ne dispense pas bien sûr chaque acteur d'avoir une analyse pour son compte propre).

Pour engager cette réflexion, quelques principes doivent être posés.

Les infrastructures globales et transversales ainsi que les référentiels communs ont vocation à être financés sur fonds public.

Il n'est pas souhaitable qu'ils soient éclatés et ils doivent être développés dans une perspective de long terme. Porteurs d'externalités positives fortes, ils favorisent la viabilité des modèles économiques relatifs à des développements particuliers. Entrent dans cette catégorie les grandes infrastructures relatives à la constitution des bases de données (financées par exemple sur le PIA) ou encore le dossier médical partagé ou les définitions référentielles et techniques des plateformes régionales ayant vocation à être généralisées sur le territoire. Ces grands projets nécessitent la mobilisation de moyens importants qu'il ne faut pas sous-estimer et dont le retour sur investissement peut être long. Ils doivent également bénéficier d'un appui constant au niveau politique, marquant ainsi une volonté forte de les voir déboucher.

Les outils et services destinés aux professionnels et établissements de santé pour les besoins de leur activité ont vocation à être financés par les professionnels et les établissements au même titre que l'ensemble des moyens qui leur sont nécessaires pour fonctionner.

L'adoption de solutions numériques peut se heurter à des réticences de certains professionnels et établissements vis-à-vis de nouveaux outils, alimentées par la difficulté à identifier les bénéfices directs à en attendre pour eux-mêmes. Ceci peut justifier que, dans une première étape, la collectivité accompagne par des soutiens financiers l'adoption par les professionnels et les établissements de ces nouveaux outils et services¹¹¹. Dans cette perspective, des dispositifs centrés sur l'atteinte de cibles fonctionnelles, la réalisation effective des développements prévus ou l'usage, plutôt que la simple subvention à l'investissement doivent être privilégiés.

¹¹¹ Cet appui n'est pas exclusif d'un appui tout aussi important visant à structurer la demande adressée aux industriels et prestataires de services.

Un certain nombre de dispositifs ont vocation à être financés par les patients.

Les services pour le grand public relèvent aujourd'hui le plus souvent d'un financement par l'utilisateur. Celui-ci finance lui-même les objets connectés, comme la balance connectée, la brosse à dent connectée, etc. Pourtant, on observe déjà que d'autres acteurs peuvent prendre en charge tout ou partie des coûts de ces objets : c'est le cas des entreprises, ou encore des assureurs privés. Par exemple, aux Etats-Unis, l'entreprise peut prendre en charge une partie des coûts dans une logique « corporate wellness », c'est également le cas de mutuelles ou d'assurances complémentaires. En France, des initiatives récentes ont pu être portées par des assureurs complémentaires dans le cadre d'actions de prévention (par exemple, AXA et les bracelets connectés). Le champ de cette sphère prise en charge par le patient ou les assureurs complémentaires doit être précisé.

Le financement public des solutions innovantes expérimentales doit éviter la dispersion et viser, in fine, à permettre un financement sur le risque.

S'agissant du financement de solutions d'e-santé nouvelles, telles que celles relevant de la télésanté ou de l'utilisation d'objets connectés, il relève actuellement des porteurs de projets, bénéficiant le cas échéant d'aides publiques au titre notamment du soutien à la recherche ou à l'innovation ou de financements sur dotation en particulier du FIR au titre d'expérimentations régionales pilotées par les ARS. Deux points devraient être clarifiés.

Tout d'abord les conditions de financement de solutions développées pour répondre aux orientations retenues par le cadrage stratégique proposé ci-dessus devraient être revues de manière à éviter le saupoudrage et la redondance aujourd'hui observés. Leur financement relève de crédits d'intervention tels que ceux du FIR (mais aussi d'autres fonds d'aide publique de la BPI, de collectivités territoriales...) qui devraient faire l'objet en ce cas d'une forme de mutualisation et de fléchage.

Ensuite, dès lors que les évaluations ont été conduites sur la qualité du service rendu des solutions proposées, il paraît souhaitable de transférer leur financement sur le risque (par l'adaptation des nomenclatures tarifaires en ville et à l'hôpital ou encore dans le secteur médico-social), ce qui donnerait une plus grande visibilité aux solutions portées nationalement, laissant aux ARS la responsabilité d'adapter les solutions techniques en fonction de l'organisation territoriale de l'offre de soins.

Un tel schéma permettrait de répondre aux interrogations des industriels et tiers partenaires sur la viabilité possible des projets qu'ils portent.

4. Une architecture financière globale au service de l'innovation

L'innovation est par définition « création destructrice » pour reprendre la formule schumpétérienne. Elle crée de nouvelles activités, en rendant d'autres obsolètes sous l'effet des progrès des connaissances aussi bien que de l'évolution des techniques, des pratiques et des choix d'organisation et de prise en charge adaptés à l'évolution des besoins et attentes de la population.

Au cours des vingt dernières années, cette opération s'est essentiellement effectuée dans le système de santé au sein de chaque secteur d'activité, de ville d'une part, hospitalier d'autre part, avec par contre une grande stabilité observée dans la répartition des activités entre chaque grand segment sur la période (en termes de masses financières).

En ville, la part des soins spécialisés s'est accrue, en lien notamment avec le développement des examens complémentaires, de même que celle des activités paramédicales, cependant que l'activité de médecine générale était stable voire décroissait légèrement. La visite est devenue très minoritaire dans l'activité médicale, les professions paramédicales, aides-soignants et auxiliaires de vie assurant l'essentiel de la présence au domicile des patients qui le requièrent.

L'hôpital également a connu une spécialisation croissante associée à la technicisation des interventions. Les champs d'intervention des différentes disciplines ont été bouleversés et l'hospitalisation de jour ainsi que l'activité de séances se sont fortement développés au détriment de l'hospitalisation complète. L'activité des services d'urgence a par ailleurs fortement augmenté.

La prise en charge des personnes âgées dépendantes s'est éloignée du cadre hospitalier à la faveur de la réduction du nombre de places en USLD et de la médicalisation des EHPAD. Elle est désormais assurée pour l'essentiel au domicile ou dans des établissements substituts du domicile, pour lesquels se pose la question de la densité des interventions relevant du champ sanitaire et de leurs conditions d'organisation, compte tenu de l'alourdissement des cas à prendre en charge.

A. Les enjeux de redéploiement

A horizon de 15 ans, les diverses innovations identifiées devraient conduire à une poursuite des bouleversements au sein de chaque discipline et entre celles-ci, et plus largement, à un transfert important d'activités du champ hospitalier traditionnel vers l'ambulatoire ou le domicile. Demeurent toutefois certaines ambiguïtés (que recouvre le développement des prises en charge ambulatoires, par quels acteurs doivent-elles être réalisées ?) et incertitudes, car les conditions permettant d'en attendre une efficacité dans la gestion des parcours et des coûts engendrés doivent être concrètement établies.

Il serait dès lors opportun de faciliter les redéploiements de moyens entre activités et secteurs sous réserve bien sûr de la pertinence des activités développées par chaque producteur de soins.

Or la régulation financière globale actuelle s'oppose à de tels redéploiements :

- l'ONDAM est découpé par acteur institutionnel indépendamment de la dynamique des activités poursuivies ;
- la régulation, c'est-à-dire les mécanismes de négociation des objectifs d'évolution des dépenses et des économies à réaliser, se fait par type d'acteur institutionnel, avec comme conséquence paradoxale l'octroi de taux d'évolution très peu différenciés pour chacun, le choix s'avérant impossible d'accompagner une évolution pourtant souhaitée vers l'ambulatoire en ville par des taux d'évolution plus élevés dans ce segment ;
- en outre, cette procédure segmentée de régulation donne une vision cloisonnée des gains d'optimisation possibles alors qu'une dépense consentie dans un segment du système peut conduire à des économies dans un autre segment ; et de peur de ne pas pouvoir observer ces économies (en raison notamment de freins sociaux), la dépense n'est pas consentie et la situation est figée ;
- de ce fait, il est difficile d'opérer tout mouvement significatif entre acteurs institutionnels et de développer des activités transcendant le clivage entre acteurs existants.

Cette problématique a suscité à diverses époques des réflexions visant à « médicaliser » l'ONDAM et à en décloisonner la gestion. Les développements qui suivent permettent de rendre compte de ces réflexions et des questions qu'elles soulèvent.

B. Comment construire l'ONDAM de manière à faciliter les évolutions souhaitées ?

Depuis sa création, la construction de l'ONDAM¹¹², que celui-ci soit voté globalement ou par sous-objectifs, est critiquée dans la mesure où elle s'appuie sur la structure sectorielle des offreurs de soins, et où la régulation qui l'accompagne ne permet que de faibles évolutions à cet égard.

¹¹² Cf. sur le site le document de la séance du 25 février 2016 : « Structure de l'ONDAM et modalités de régulation ».

Il a été notamment reproché l'approche budgétaire de l'objectif fixé et la non prise en compte des besoins de santé des populations bien que cette préoccupation ait été affichée dès le début.

Des réflexions ont aussi été menées sur la pertinence d'un découpage régional de l'ONDAM afin de favoriser une plus grande fluidité entre secteurs et réduire les inégalités territoriales d'accès aux soins.

Des propositions ont pu également être faites pour revoir le découpage de l'ONDAM en retenant dans certains cas des enveloppes décloisonnées établissements de santé / ville.

Ces trois pistes sont évoquées ci-après.

La notion de médicalisation de l'ONDAM suggère une construction de l'ONDAM fondée sur une compréhension des dynamiques pathologiques et médicales à l'œuvre dans le système de santé.

Au début des années 2000, des propositions ont été faites pour mieux articuler les besoins de santé, à partir d'études sur les déterminants fondamentaux des dépenses de santé (vieillesse, épidémiologie, progrès technique et croissance économique, comportements socioculturels...) et les états pathologiques associés, avec les mesures correctrices et d'accompagnement permettant une amélioration des performances du système de soins¹¹³. On notait toutefois, malgré l'intérêt qu'elle pourrait représenter, la difficulté d'une approche qui s'appuierait sur un exercice prospectif par pathologie dans la mesure où « *les pluri-pathologies, présentes en particulier chez un nombre de personnes âgées, ôtent à cette approche une grande partie de sa signification, puisqu'elle repose sur l'unicité du diagnostic* »¹¹⁴. Un tel exercice apparaissait en outre difficile à mener du fait de la segmentation des bases de données ville / établissements de santé.

Depuis cette date, des avancées méthodologiques ont été faites grâce à l'appariement des données individuelles du SNIIRAM (données sur les consommations de ville) et du PMSI (données sur les consommations hospitalières) et les dépenses de soins (environ 80% des dépenses entrant dans le champ de l'ONDAM) sont ventilées en fonction des grandes catégories de pathologies et traitements (hospitalisation ponctuelle, maladie psychiatrique, cancers...) croisées par types de soins [ville (dont honoraires, médicaments...), hôpital, prestations en espèces, etc.]

Ce type de découpage donne les moyens d'opérer le lien souhaité lors de la mise en place de l'ONDAM entre l'exercice annuel d'encadrement de la dépense réalisé dans le cadre du PLFSS et la fixation d'objectifs sanitaires pluriannuels. Il permet de développer une approche en termes de gains d'efficacité ou d'économies à réaliser décloisonnée et « médicalisée ».

Il ne donne pas en revanche les clés d'un pilotage et d'une régulation transcendant le découpage entre acteurs institutionnels. En outre, des difficultés techniques demeurent du fait notamment des polyopathologies et des conventions de calculs adoptées. La possibilité d'utiliser cet exercice, présenté en annexe au PLFSS, dans la perspective d'un pilotage prospectif devrait être mise à l'étude.

Approche plus globale avec des enveloppes décloisonnées ville/hôpital sur certains segments

Plusieurs propositions ont pu être mises sur la table visant à constituer des enveloppes¹¹⁵ transversales sur certains segments afin de faciliter les ajustements de structures :

¹¹³ Mesures relatives à l'organisation du système (extension des SROS au secteur médico-social, contractualisation avec les structures de soins, démographie médicale...); mesures relatives à la responsabilisation des acteurs (programme de prévention, encadrement de certaines prescriptions et accréditation des structures, dossier patient,...) ; mesures relatives à l'évaluation des pratiques.

¹¹⁴ Rapport d'Alain Coulomb de 2002.

¹¹⁵ Dans le raisonnement par enveloppe, rappelons que deux étapes principales entrent en jeu : la détermination de l'objectif annuel, qui constitue un seuil ; et la procédure de récupération de l'excédent dans le cas où les dépenses observées dépassent ce seuil.

- a) promotion d'approches régionalisées. Le découpage en objectifs régionaux se heurte à des difficultés d'ordre divers : mobilité des patients, difficulté d'appréhender les besoins et l'offre efficiente au niveau de chaque région et d'envisager des mécanismes d'ajustement régionalisés. Ces considérations ont conduit le HCAAM dans son rapport annuel de 2011 à écarter une telle proposition ;
- b) création d'une seule enveloppe « produits de santé », comme le propose la FHF, afin d'éviter que ne pèse sur l'enveloppe hospitalière la dynamique de croissance des produits de santé onéreux des listes en sus qui impactent les autres postes de charge des établissements de santé.
 - La gestion actuelle des listes en sus présente plusieurs inconvénients, qu'une approche plus globale du secteur des produits de santé permettrait de lever :
 - ce dispositif est un puissant incitatif en faveur de la prescription des produits les plus coûteux, à efficacité égale, ce qui n'est pas favorable à une maîtrise de ce poste de dépense ;
 - il constitue un frein à des parcours fluides de patients : dans la mesure où cette liste n'est pas en vigueur dans les structures de psychiatrie, les USLD, les MAS ou les EHPAD, le patient doit rester ou revenir en MCO pour la délivrance du produit ;
 - l'incompréhension des acteurs hospitaliers est croissante vis-à-vis du mode de gestion actuel des entrées et des sorties de ces listes, chaque sortie passant pour un « déremboursement » alors qu'il ne s'agit que du constat que le tarif du GHS peut inclure le prix des produits ainsi sortis (ce que les acteurs hospitaliers contestent) ;
 - la croissante forte des dépenses liées à ces listes (croissance inéluctable, puisqu'il s'agit par définition des produits les plus coûteux et innovants) pèse sur l'évolution des tarifs hospitaliers.
 - Par ailleurs, la gestion des prescriptions hospitalières délivrées en ville est une cause chronique de tensions dans la gestion séparée des enveloppes puisque ces dépenses pèsent sur l'enveloppe de ville ;
 - Les acteurs hospitaliers comme de ville n'ont pas d'action sur les prix des produits les plus coûteux, négociés au plan national au CEPS, et les différentes sous-enveloppes de médicaments actuellement suivies ne sont que des enveloppes de volume de prescriptions. Il serait plus logique de constituer une enveloppe de dépenses, incluant les remises au CEPS et autres mécanismes de modulation des prix.

Cette proposition mériterait cependant de distinguer les dépenses de médicaments pour lesquelles les observations ci-dessus ont toute leur valeur et les dépenses de dispositifs médicaux qui obéissent à des logiques non dissociables des actes auxquels ils sont le plus souvent attachés au sein des établissements, mais également en ville.

- c) La création d'une seule enveloppe « activité », ville+hôpital, hors Fonds d'Intervention Régional des ARS. L'avantage serait qu'en cas de transfert interne d'activité (c'est-à-dire de dépenses) au sein de l'enveloppe, il n'y aurait aucun enclenchement de mécanisme de récupération d'un dépassement. Actuellement, si par exemple, il y a transfert d'activité de l'hôpital vers la ville, l'hôpital respecte son enveloppe et ne subit pas de régulation alors que le dépassement en ville appelle des mesures correctrices, ce qui n'est pas logique puisqu'un tel transfert est ce que l'on souhaite, et a des conséquences sur les produits de santé concourant à l'ambulatoire.

Dans cette hypothèse, il faut cependant préciser ce qui se passerait en cas de dépassement de l'enveloppe « activité », alors que le contenu de cette enveloppe présente une certaine hétérogénéité, avec de multiples systèmes de tarification, incluant des forfaits et des dotations (par exemple pour le SSR et la psychiatrie en secteur public et ESPIC). Dans l'esprit de la

proposition, les économies à réaliser devraient être définies selon une approche transversale, concernant l'ensemble des secteurs et s'appuyant sur l'analyse médicalisée de l'ONDAM.

Ces reconfigurations du découpage de l'ONDAM articulées avec une approche médicalisée dépassant les découpages sectoriels actuels devraient être mises à l'étude.

Partie IV – La gouvernance

La régulation nécessite, on l'a vu, la mobilisation d'une série d'instruments, afin de répondre aux défis posés à notre système de santé par l'innovation.

Mais ces instruments ne sont pas suffisants en eux-mêmes : la régulation n'a de sens qu'au service d'objectifs et d'efficacité que si elle s'inscrit dans un cadre politique plus large. Elle prend sens dans une organisation, des processus, des règles, des principes de fonctionnement et des valeurs qui permettent de gouverner l'introduction et la gestion des innovations dans le système de santé.

Ainsi, la régulation est sous-tendue par une série d'arbitrages entre des intérêts ou des considérations variés liés à la diversité des acteurs, des échelles temporelles possibles (court terme, moyen terme, long terme), des spécificités territoriales, etc. La gouvernance est l'instrument qui permet l'émergence, l'analyse, la discussion et la réalisation de ces arbitrages.

Ces arbitrages sont rendus par les responsables politiques, sur la base de l'expertise administrative. Mais ils doivent également, pour être pertinents et légitimes, s'appuyer en amont sur la confrontation d'une pluralité des approches.

Pour ce qui est de l'innovation et de la santé, la réflexion sur la gouvernance doit en particulier, dans le prolongement des efforts engagés depuis plusieurs années en matière de démocratie sanitaire, porter sur le rôle des patients et des citoyens. Leur place doit évoluer : la reconnaissance, largement acquise, du rôle des associations de patients doit être complétée par une inclusion plus grande des patients eux-mêmes aux différentes étapes de l'innovation (essais thérapeutiques, évaluation), et par l'amélioration des services qui leur sont rendus en termes d'information et d'aide à la décision. La réflexion doit aussi porter sur le développement de leur rôle dans les prises en charge sanitaires et sociales ou la conception de nouveaux services.

L'innovation est un processus qui ne se résume pas à la décision ou l'action de quelques acteurs institutionnels centraux ou régionaux. Au contraire, le flux d'innovations est le résultat d'une multiplicité d'initiatives décentralisées. Petites et grandes entreprises, établissements de santé, professionnels de santé en ville, à l'hôpital, acteurs publics ou privés responsables de la régulation ou du financement ou encore patients imaginent, conçoivent, développent et mettent en place en permanence produits, solutions et organisations innovants. Aborder la question de l'innovation en santé implique de reconnaître l'importance de ces innovateurs ; tenter de dresser des pistes d'amélioration du système d'innovation implique d'esquisser des mesures à même de favoriser le développement des initiatives qu'ils portent.

L'organisation de la décision doit, par ailleurs, tenir compte des réalités et des acteurs locaux. S'agissant de la gouvernance territoriale de l'innovation en santé : quelle doit être la marge d'organisation, de décision laissée aux acteurs locaux ? Avec quels instruments ? Il faut probablement sur ces plans avoir une approche et des instruments (planification, autorisation) accordant plus de souplesse et de responsabilités à ces acteurs pour s'emparer des opportunités technologiques et bâtir des organisations innovantes et efficaces.

Ce mouvement ne peut cependant se faire sans un cadre stratégique national. En effet, comme évoqué plus haut, la gouvernance renvoie à la capacité à opérer des arbitrages entre différents intérêts en fonction des objectifs recherchés. Ces arbitrages, ces orientations et ces objectifs, s'ils doivent s'inscrire dans la réalité des territoires, supposent aussi, compte tenu de notre système institutionnel, une gouvernance et un pilotage national. C'est à ce niveau que doit s'envisager la mise en cohérence d'une politique favorable à l'innovation.

Chapitre 11 – La demande sociale et le rôle des usagers

1. La construction de la demande sociale

La demande en matière d'innovation est socialement construite. Les représentations sont essentielles. La tentation est de toujours aller vers le « plus » technologique. La logique marketing y pousse : d'un côté, elle construit l'appétit pour la nouveauté, pour les prouesses techniques ; d'un autre côté, elle estompe la frontière entre l'intérêt thérapeutique et le confort, entre les produits de santé et les autres produits.

Il est des innovations qui s'imposent d'elles-mêmes car elles correspondent à de grands progrès. Il y en a, à l'instar des trithérapies il y a vingt ans, qui justifient la mobilisation sans délai des usagers et des pouvoirs publics sur la base d'une évaluation concluante. En revanche, certaines trajectoires semblent stagner ou s'arrêter. Bien des promesses ne sont pas tenues, (cf. supra partie I).

Dans le premier cas, on attend la mobilisation, y compris financière de la collectivité (cf. infra) ; dans le second, on s'inquiète que des moyens publics aient été consacrés, dilapidés dans des aventures industrielles ou organisationnelles sans lendemain. En soi, la défaillance sur le premier registre d'action (par défaut) est plus dommageable (on l'analysera en termes de perte de chance) que la défaillance sur le second registre (par excès).

Les pouvoirs publics n'ont par ailleurs, ni vocation ni intérêt à être passifs vis-à-vis de la demande sociale, en particulier quand tous les autres acteurs débordent d'initiatives. En France, la prescription médicamenteuse a longtemps été pratiquement consubstantielle de l'acte médical ; d'où l'importance, dans le contexte français, de campagnes d'information à l'initiative des pouvoirs publics, comme cela s'est fait il y a quelques années pour les antibiotiques ou pour les génériques.

Le propre de bien des innovations, telles que décrites plus haut dans le rapport, est aussi de dépasser la question de la validation et de la prise en charge publique, de l'insertion dans un panier défini *a priori*. Nombre d'initiatives n'entrent plus aujourd'hui dans le modèle classique d'homologation (autorisation de mise sur le marché et admission au remboursement) ou de planification : on pense en particulier à bien des aides techniques, à des dispositifs facilitant l'accessibilité ou à quantité d'applications numériques.

2. Le rôle des usagers et de leurs représentants en matière d'innovation¹¹⁶

La forte mobilisation de quelques associations de personnes handicapées ou de leurs parents, d'une part, puis de malades vers la fin des années 1980, d'autre part, s'est traduite par une implication relativement importante de ceux-ci dans les politiques publiques et les processus d'innovation organisationnelle ou thérapeutique. Cette participation, qui s'est étendue à de nombreuses pathologies, s'est cristallisée aujourd'hui à plusieurs niveaux.

¹¹⁶ Cf. sur le site le document de la séance du 18 décembre 2014 : « La place du citoyen et du patient dans le processus d'innovation en santé ».

A. En toile de fond, le rôle très actif de quelques associations de patients

En France, de nombreuses associations de malades sont aujourd'hui impliquées en amont de la mise sur le marché de l'innovation, dans la phase de recherche (fondamentale ou clinique) et cela, avec des formes d'engagement variées. Quelques associations pionnières ont investi ces questions de recherche dès la fin des années 1990 en jouant un rôle à la fois sur le volet de l'orientation et du financement des programmes de recherche, et sur celui des essais thérapeutiques : ce sont notamment les associations de lutte contre le Sida (Aides, Act up) et celles dédiées aux maladies rares (AFM, Association française contre les myopathies)¹¹⁷.

Les associations de patients atteints par le Sida sont en particulier engagées sur les questions d'accès à l'innovation thérapeutique. Les associations de patients atteints de maladies rares s'investissent notamment sur les questions de financement de programme de recherche (le premier Téléthon date de 1987). La non-disponibilité de traitements et le petit nombre des patients concernés par ces pathologies rendent en effet inopérantes les dispositifs de droit commun.

Aujourd'hui, les associations de patients atteints de maladies rares proposent des méthodes d'évaluation des traitements originales – sans préjuger de leur valeur scientifique – pour le cas des pathologies pour lesquelles la méthode classique d'essais randomisés en double aveugle n'est pas opérante du fait du petit nombre de malades concernés. Par exemple, certains essais sont ainsi réalisés, sans avoir recours à des placebos, et les résultats obtenus sont comparés aux évolutions observées cliniquement en l'absence de traitement, dans les périodes antérieures.

B. La place des associations d'usagers et des parents dans le secteur sanitaire et médico-social

Avec Internet, des « communautés de patients » se forment et peuvent également jouer un rôle dans la définition des besoins, donc en amont de la phase d'innovation proprement dite. En quoi l'arrivée de ces communautés de patients change-t-elle ou non la donne ?

En France, l'influence des « communautés de patients », non structurées en association et qui se forment via un site internet interactif, demeure très largement embryonnaire. Il est donc sans doute trop tôt pour qualifier précisément le rôle de ces communautés. Cependant, il est probable qu'elles jouent un rôle important dans les années à venir. Par exemple, le site privé français *Carenity* offre un espace d'échanges aux patients partageant la même pathologie et met en lien les patients, leurs familles, les associations de malades et les laboratoires pharmaceutiques ; il ambitionne également d'être en mesure de dire quelque chose des besoins de ces patients, à partir de questionnaires transmis sur le site, tout autant qu'une association de patients dans ses formes traditionnelles¹¹⁸. Il pourrait ainsi éventuellement jouer un rôle dans la définition des orientations de la recherche.

Dans certains pays, notamment anglophones, ces portails jouent un rôle d'échange d'informations entre malades et de recueil des expériences de vie réelle de la maladie.

Au-delà de ces deux formes de participation des citoyens à l'innovation (via les associations ou directement avec les « communautés de patients »), il en existe une troisième, celle du « jury de citoyens » qui peut être installée à titre ponctuel sur un sujet précis, ou de façon plus permanente. Les formes ponctuelles sont régulièrement mobilisées en France, sur des sujets technologiques ou de santé (par exemple, conférence de citoyens sur les nanotechnologies en 2008), même si, à notre connaissance, peu traitent de façon directe de l'innovation en santé. Cette forme de participation directe via les « jurys citoyens » prend une grande importance dans d'autres pays, notamment au

¹¹⁷ Cf. par exemple : Barbot J. (2002), *Les malades en mouvement. La médecine et la science à l'épreuve du sida*, Paris, Balland.

¹¹⁸ Cf. www.carenity.com.

Royaume-Uni : le *NICE* s'appuie de façon permanente sur un « conseil de citoyens » (*Citizen Council*) qui regroupe un panel de 30 citoyens, recrutés pour une durée de trois ans.

C. L'intervention du patient et du citoyen aux différentes étapes de l'innovation

Les associations de malades interviennent très en amont, en suscitant le **financement de programmes de recherche**. Si la plupart des associations le font aujourd'hui, dans des proportions très variables, l'AFM-Telethon reste un acteur emblématique. En 2013, elle finance plus de 30 essais cliniques et soutient près de 300 programmes de recherche (recherche clinique, mais aussi recherche fondamentale..).

Le patient joue aussi un rôle majeur dans la production de l'innovation, notamment dans la **phase de l'essai thérapeutique**. L'implication des associations de patients du sida dans cette phase essentielle a été et continue d'être très marquante en France. Plus globalement, on observe aujourd'hui un double mouvement convergent : d'une part, une plus grande demande de la part des malades pour participer davantage, et d'autre part, une recherche clinique qui a besoin elle aussi, de s'appuyer de plus en plus sur les malades, du fait des évolutions qu'elle connaît (notamment, un poids réglementaire accru et des molécules innovantes plus sophistiquées)¹¹⁹.

En France, le recrutement des patients dans les essais thérapeutiques passe beaucoup par le médecin ou l'équipe soignante, et aussi, dans certains cas, par les associations de patients (exemple des associations de patients du sida).

S'agissant de l'équité dans l'accès aux essais thérapeutiques, une des difficultés, régulièrement dénoncée par les associations de patients, tient au manque d'information accessible au malade sur les essais thérapeutiques existants. Il existe bien un « répertoire public des essais cliniques de médicaments », disponible sur le site de l'ANSM, mais il s'adresse surtout à des professionnels et non aux citoyens¹²⁰. En cancérologie toutefois pour faciliter l'inclusion de patients dans des essais cliniques, l'INCa publie les répertoires d'essais en cancérologie et certains grands centres en cancérologie font de même¹²¹. Il s'agit d'une information exhaustive et actualisée concernant les essais cliniques en cancérologie menés en France. Un moteur de recherche intégré au registre permet de filtrer spécifiquement les essais cliniques en fonction de différents critères. Le rapport d'activité de l'INCa 2014-2015 rapporte qu'au 31 décembre 2014, le registre affichait 1 886 essais cliniques de promotion industrielle et académique, dont 563 essais ouverts aux inclusions. Ceci dit, l'information sur les essais thérapeutiques reste, dans l'ensemble, très peu accessible au grand public.

Dans d'autres pays, notamment anglophones, l'information sur les essais thérapeutiques est beaucoup plus accessible au patient grâce en particulier à des sites internet dédiés, lisibles et compréhensibles par les citoyens, et éventuellement reliés à des sites de référence en santé, destinés explicitement au grand public.

L'accès à l'information sur les essais thérapeutiques : les exemples anglais et américain

C'est le cas du Royaume-Uni par exemple, avec le portail britannique des essais cliniques sur lequel figurent l'ensemble des essais en cours sur le territoire national (UK Clinical Trials Gateway (UKCTG)) : le citoyen y a accès via le site public de référence « NHS-Choices ». Cet outil a l'avantage de rendre l'information accessible aux usagers comme aux professionnels de santé, ce qui permet d'envisager l'éventuelle participation à de tels essais (cf. note sur le site du HCAAM).

Aux Etats-Unis, un portail gouvernemental dédié (« ClinicalTrials.gov ») va plus loin en répertoriant les essais

¹¹⁹ Cf. « Place de la recherche clinique dans le parcours de soins des malades : quel rôle pour les associations ? » Forum de discussion entre industriels et associations de patients, 21 juin 2013, Paris.

¹²⁰ Cf. <https://icrepec.anism.sante.fr/Public/index.php>.

¹²¹ Cf. sur la page web de l'Institut Gustave Roussy, on trouve une brève description des objectifs des essais en cours, ainsi que le nom de leurs responsables <http://www.gustaveroussy.fr/fr/essai>.

cliniques en cours de par le monde. Ce site s'adresse aux patients, aux familles, aux professionnels de santé, aux chercheurs et aux citoyens et vise à les informer des essais cliniques en cours, qu'ils soient financés sur fonds publics ou privés. Pour chacun des essais, il est précisé s'il est encore possible ou non d'y participer, ainsi que les critères de sélection et le contact à prendre si besoin. Ce portail répertorie ainsi plus de 12 000 études en cours ou réalisées en France : tout citoyen peut avoir accès à ces informations, à condition de comprendre l'anglais et de connaître l'existence du site.

Ces portails présentent ainsi l'intérêt de constituer des guichets uniques d'information et permettent aux professionnels de santé comme aux patients d'envisager ou non leur participation à ces essais. Ces sites invitent les patients à en discuter avec leur médecin et proposent des outils d'aide à la discussion en ce sens (liste de questions à poser par exemple).

On observe dans ces pays un recrutement de patients pour les essais thérapeutiques qui passe également par les « communautés de patients » internautes (comme la plateforme *Patientlikeme* aux Etats-Unis). En France, à beaucoup plus petite échelle, la plateforme collaborative *Carenity* rassemblant 25 000 patients ayant différentes pathologies a pour objectif affiché de faciliter la participation de ses membres à des essais cliniques.

Les conditions et les formes d'expression du consentement des malades, variables selon les cas où ils sont sollicités, sont une autre problématique régulièrement posée.

En France, **l'étape de l'évaluation d'une innovation thérapeutique** avant sa mise sur le marché laisse une place minime au patient ou au citoyen. D'autres pays ont fait des choix différents, notamment le Royaume-Uni où c'est le *NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence)* qui évalue les nouvelles technologies en santé. Les groupes de citoyens, représentés au sein du *NICE* à travers le *Citizens Council*, ont la possibilité d'exprimer leurs souhaits lorsque le *NICE* choisit ses sujets d'investigation ; ils peuvent également réagir aux projets d'avis ou de recommandations, ceux-ci étant publiés aux différentes étapes du processus au nom d'un principe de transparence.

Une fois l'innovation thérapeutique ou technologique mise sur le marché, le malade en devient l'expérimentateur « en vie réelle ». En cela, son **retour d'expérience** est précieux, notamment sur l'ensemble des effets indésirables d'une thérapeutique et plus largement ses impacts sur la qualité de vie. Ces effets peuvent en effet expliquer en grande partie les phénomènes de non-observance de certains traitements.

Ces retours d'expérience sont traditionnellement collectés par les associations de malades qui se font les porte-paroles des besoins des patients. Ces retours d'expérience s'expriment aujourd'hui de façon multiple, directement sur internet, sur les forums communautaires, sur les blogs... Ils pourraient utilement contribuer plus systématiquement à l'évaluation de ces innovations, notamment en ce qui concerne leur sécurité, une fois mises sur le marché.

Quelques dispositifs tentent de capter une partie de ces expériences : c'est par exemple le cas du récent dispositif de déclaration des effets indésirables d'un produit de santé par le citoyen (via un formulaire en ligne sur le site de l'ANSM¹²²). Cependant, ces outils restent peu connus du grand public et assez circonscrits aux aspects strictement médicaux.

La parole du patient, sur le vécu de sa maladie et des traitements suivis, sur les impacts de ces derniers sur sa qualité de vie, peut constituer une source riche en informations qui gagnerait sans doute à être mieux utilisée. Ces apports pourraient par exemple être utiles dans la recherche clinique au niveau de l'élaboration des protocoles¹²³. Ils prennent normalement place dans la démarche d'évaluation des innovations en vie réelle.

¹²² Cf. [http://ansm.sante.fr/Declarer-un-effet-indesirable/Comment-declarer-un-effet-indesirable/Declarer-un-effet-indesirable-mode-d-emploi/\(offset\)/0](http://ansm.sante.fr/Declarer-un-effet-indesirable/Comment-declarer-un-effet-indesirable/Declarer-un-effet-indesirable-mode-d-emploi/(offset)/0).

¹²³ Idée notamment portée lors du forum de discussion du 21 juin 2013 entre industriels et associations de patients, *op. cit.*

D. Des associations pourvoyeuses d'innovations organisationnelles en santé

Les associations sont traditionnellement pourvoyeuses de solutions organisationnelles pour répondre aux besoins de publics n'ayant pas trouvé de réponses dans les dispositifs existants. Cela passe par la mise en place de solutions inventées au niveau local, adaptées aux besoins des publics visés et impliquant l'ensemble des acteurs concernés¹²⁴.

Les associations s'impliquent ainsi beaucoup dans l'accompagnement des malades, notamment pour les pathologies chroniques ou encore dans le domaine du handicap, de la gériatrie, de l'enfance et de l'exclusion. Elles jouent un rôle majeur en matière de transmission d'informations auprès des patients, non seulement liées strictement à la pathologie qui les concerne, mais aussi dans une perspective plus globale, pour apprendre à vivre au quotidien avec la maladie ou le handicap. Par exemple, l'Association Française du Diabète propose sur son site des aides concrètes pour apprendre à équilibrer ses repas, à ajuster ses apports nutritionnels par rapport aux contraintes liées au diabète. Elle vise à accompagner les patients de façon globale, afin de les aider à construire un nouvel équilibre de vie (nutrition, activité physique...) sur la durée. Elle joue ainsi un rôle concret en matière d'éducation thérapeutique du patient.

Plusieurs éléments devraient se conjuguer dans les années à venir pour accroître les besoins en matière d'accompagnement du malade ou du citoyen bien portant. Tout d'abord, l'augmentation du nombre de malades chroniques renforce la nécessité d'organiser concrètement les parcours de soins et d'accompagnement social et médico-social prévus par la loi et de penser des modes d'accompagnement efficaces, notamment pour inciter à améliorer l'observance des traitements ou plus largement pour parvenir à trouver un nouvel équilibre de vie à moyen et long terme. De plus, un recours plus fréquent à des prises en charge ambulatoires des malades, mais aussi la priorité donnée au maintien à domicile des personnes âgées en perte d'autonomie, devraient accroître la part prise en charge par le malade, la personne âgée dépendante ou bien leur entourage proche (« aidants » qu'ils soient familiaux ou de voisinage).

Schématiquement, deux types de solutions organisationnelles sont disponibles. La première consiste à professionnaliser cet accompagnement en s'appuyant sur les professions existantes, voire à en faire un métier nouveau (exemple du « gestionnaire de cas » dans le cas de la prise en charge des personnes âgées dépendantes atteintes de la maladie d'Alzheimer en France à travers le dispositif des MAIA (maisons pour l'autonomie et l'intégration des malades d'Alzheimer)). La seconde solution repose sur l'accompagnement assuré par les « pairs » : c'est déjà ce que font les associations de malades, notamment en psychiatrie, lorsqu'elles aident les patients à retrouver un équilibre de vie au quotidien, comme dans le cadre des GEM (groupes d'entraide mutuelle) ou encore ce que réalisent à distance les « communautés de patients » sur internet et sur les réseaux sociaux. Les pairs font alors figures de « patients-experts », au sens où ils sont experts de leur maladie au long cours et inscrite dans leur vie quotidienne, détenteurs d'un savoir et de compétences sur la façon de vivre avec la maladie au quotidien. On retrouve là encore l'importance de cette « expérience de vie » du malade, notamment chronique, dans la fabrication de réponses à son besoin d'accompagnement.

Ainsi, les malades ou les usagers (directement ou par l'intermédiaire des associations) sont de plus en plus souvent associés dès la phase de conception des innovations. C'est le cas par exemple des *Serious Games*¹²⁵.

¹²⁴ Par exemple, l'UDAF (Union départementale des associations familiales) de la Marne a récemment créé un « service d'accès personnalisé à la santé » destiné aux personnes en situation de précarité ou de vulnérabilité qui vise à répondre à leurs difficultés en termes d'accès et d'orientation dans le système de santé. Ce service propose aux personnes volontaires un accompagnement dans leurs démarches de santé (aide à la prise de rendez-vous auprès d'un médecin, déclaration d'un médecin traitant, accompagnement pour le rendez-vous médical, aide à la coordination des démarches, etc.).

¹²⁵ Le *Serious Game* peut être considéré comme une application développée à partir des technologies avancées du jeu vidéo, faisant appel aux mêmes approches de design et de savoir-faire ; toutefois, en plus de la dimension du

De nouvelles formes de participation à la production d'innovations apparaissent pour les usagers, qu'ils soient malades, citoyens ou professionnels, à travers par exemple le développement des *Living Labs*. Regroupant une multiplicité d'acteurs (publics et privés, entreprises, laboratoires de recherche, associations, acteurs individuels...), un *Living Lab* s'appuie sur une démarche de conception « ouverte » où l'ensemble des acteurs participants collaborent pour concevoir un nouveau produit ou service¹²⁶. De nombreux *Living Labs* voient le jour dans le domaine de la santé et de l'autonomie (par exemple, *Autonom'lab* dans le Limousin¹²⁷, *Tele Health Aging Territory* - Institut Edouard Belin en Franche-Comté sur la télésanté...). Ils permettent ainsi de tester, dans des conditions réelles des services, outils ou des usages nouveaux. A travers cette démarche de concertation entre de multiples acteurs, l'utilisateur peut transmettre son expérience dès le début du processus d'innovation et contribuer à la conception même du service ou du produit final.

E. Les expériences étrangères montrent les progrès possibles en matière d'information et d'aide à la décision des usagers

Certains pays comparables à la France se sont dotés d'un site d'information sur la santé de référence. Il constitue une porte d'entrée unique sur les questions de santé, à destination du grand public (malades, familles et citoyens) et des professionnels de santé. Les pages dédiées aux usagers sont écrites dans une langue accessible et courante. C'est le cas par exemple au Royaume-Uni (NHS Direct, www.nhs.uk) ou encore au Danemark (www.sundhed.dk) qui ont développé leurs sites il y a plus d'une dizaine d'années, à partir de leur système de santé centralisé (cf. encadré).

En France, la création d'un service grand public d'information en santé, inscrite dans la loi de santé, participe de cette volonté de proposer une entrée unique pour les informations sur la santé. Ce projet pourrait utilement s'inspirer des expériences étrangères.

Au Danemark, le portail unique d'information et d'accès au système de santé : www.sundhed.dk

Le site danois e-health fait référence au niveau mondial : il est à la fois un outil d'information sur le système de santé danois, mais aussi d'accès à ce système. C'est un outil destiné aux professionnels de santé et au grand public (le site utilise le terme de « citoyen »). L'objectif est de centraliser l'information sur l'ensemble du système de santé, de proposer une plateforme de communication partagée par les professionnels et les usagers, d'aider les patients à avoir une participation active en leur offrant une transparence d'information dans le domaine de la santé et de permettre aux professionnels de disposer d'une information clinique détaillée sur l'histoire de santé de leurs patients.

Le citoyen dispose d'informations sur l'accès concret au système de santé (professionnels de santé, hôpitaux, qualité des soins, coûts des prises en charge, possibilité de prise de rendez-vous en ligne, etc.), sur ses données personnalisées de santé (historique des contacts avec les professionnels de santé, prescriptions médicales, etc.) et sur les modes de prise en charge existantes.

Ce site fait référence au Danemark : 88% des Danois le consulteraient au moins une fois dans l'année (sachant que 90% des Danois auraient recours à internet pour chercher des informations en santé et que 95% des Danois ont un accès à internet).

Selon les pouvoirs publics danois, le succès de ce site tient à plusieurs facteurs étroitement liés à l'organisation générale du système de santé danois. Ainsi, dans la rubrique du site « Can my country copy the success ? » (« mon pays est-il en mesure de répliquer ce succès ? »), il est rappelé que l'expérience danoise est particulièrement pertinente pour les pays disposant : d'un système de santé homogène ; d'une seule source de financement pour les soins de santé ; du libre choix du professionnel de santé ; des objectifs conjoints de transparence vis-à-vis du citoyen, d'amélioration de la qualité des soins et de réduction des coûts ; des standards en matière d'échange de données entre les opérateurs et les pouvoirs publics ; un niveau de confiance élevé envers le service public et l'accès aux données personnelles.

divertissement, il devient un outil de formation, de communication ou de sensibilisation à un sujet particulier. L'apprentissage se fait ainsi à travers le plaisir du jeu, dans un cadre ludique et pédagogique. Ils constituent des outils d'aide et d'accompagnement pour les professionnels de santé, comme pour les malades ou les citoyens. Certaines associations sont impliquées ou associées à la production de *Serious Games* en santé notamment dans le domaine de l'éducation thérapeutique.

¹²⁶ D'après une définition proposée par le réseau européen des *Living Labs* (ENoLL, *European Network of Living Labs*).

¹²⁷ *Autonom'lab* est le premier *Living Lab* en santé et autonomie en France, labellisé dès 2008 par l'association européenne ENoLL.

De façon plus spécifique, des outils d'aide à la décision thérapeutique¹²⁸, et plus largement, d'aide au dialogue entre professionnels de santé et patients, se sont développés, notamment dans les pays anglo-saxons¹²⁹. Ces outils d'aide à la décision semblent utiles en particulier lorsque plusieurs traitements sont envisageables, chacun avec des avantages et inconvénients que le patient peut valoriser différemment (contraintes de prise, effets secondaires, etc.). Une revue de la littérature démontre qu'ils permettent d'améliorer la compréhension des traitements, ainsi que la communication entre patients et médecins. Quant aux effets sur les décisions thérapeutiques, ils sont variables : par exemple, les patients renoncent plus souvent à des opérations chirurgicales électives (sans impact négatif sur leur santé)¹³⁰.

Certains outils sont davantage pensés comme une aide au patient dans son interaction avec le médecin. C'est le cas du programme « pour une décision partagée » du Royaume-Uni lancé en 2012 par le National Health System (NHS) (cf. encadré). Aux Etats-Unis, une fondation a mis en place un programme « choisir judicieusement » (« Choosing Wisely ») visant à promouvoir le dialogue entre professionnels de santé et patient afin de diminuer des redondances des actes thérapeutiques et de favoriser une meilleure utilisation des ressources en santé ; le site canadien, en anglais et dans sa version française « choisir avec soin » (www.choisiravecsoin.org), s'inscrit dans la même perspective (cf. encadré).

Au Canada, l'Institut de recherche de l'hôpital d'Ottawa propose également des « guides personnels d'aide à la décision » qui sont conçus pour accompagner la prise de décision en matière de santé ou de services sociaux : ils aident à déterminer les décisions que les malades ont besoin de prendre, à planifier les étapes ultérieures¹³¹.

Enfin, au plan international, l'initiative « ICHOM » (International Consortium for Health Outcomes Measurement) fait désormais référence, à la fois en termes de méthode et de collaboration, pour définir de façon concertée les critères les plus à mêmes de mesurer un résultat de santé sous toutes ses formes, y inclus la réponse aux attentes des patients.

Au Royaume-Uni, le NHS Shared Decision Making, comme outil d'aide pour le patient¹³²

Le NHS a lancé en 2012 un programme baptisé NHS Shared Decision Making (« programme pour une décision partagée », <http://sdm.rightcare.nhs.uk/>¹³³). En partenariat avec le British Medical Journal Group, plus d'une trentaine d'outils d'aide à la décision pour les patients ont été mis en ligne jusqu'à présent. Les champs couverts sont variés, de la cataracte à l'insuffisance rénale en passant par la dépression. Sur la base d'informations validées scientifiquement, ces outils décrivent le problème de santé et les stratégies thérapeutiques possibles en termes compréhensibles, avec des graphiques et animations, puis invitent le patient à exprimer ses préférences et ses points de résistance par rapport aux différents traitements. Un résumé peut être créé et imprimé pour discussion avec l'équipe soignante.

Le NHS souhaite développer le « coaching décisionnel ». En 2013, des infirmiers qualifiés ayant plus de dix ans d'expérience professionnelle ont débuté une formation pour devenir des conseillers santé qui répondront aux patients par téléphone : le but est que les patients accroissent leur confiance en eux et leurs compétences pour se saisir des outils d'aide à la décision à leur disposition.

¹²⁸ Ce paragraphe s'appuie sur : Reynaudi M., Sauneron S. (dir.), *L'hôpital de demain*, France stratégie, Document de travail non publié.

¹²⁹ Coulter A., Parsons S. et Askham J. (2008), *Où sont les patients dans la prise de décisions concernant leurs propres soins de santé ?*, Observatoire européen des systèmes et des politiques de santé, www.euro.who.int/_data/assets/pdf_file/0006/79215/E93675.pdf.

¹³⁰ Stacey D., Bennett C., Barry M. et al. (2011), « Decision aids for people facing health treatment or screening decisions », Cochrane Consumers and Communication Group.

¹³¹ <http://decisionaid.ohri.ca/francais/gpdo.html>.

¹³² Cet encadré s'appuie sur : Reynaudi M., Sauneron S. (dir.), *op. cit.* France stratégie, Document de travail non publié.

¹³³ Ce site n'est cependant plus consultable en dehors du territoire du Royaume-Uni.

Aide au dialogue entre patients et professionnels de santé pour améliorer l'efficacité du système de santé : les exemples américain et canadien

Aux Etats-Unis, le programme « Choosing Wisely » (www.choosingwisely.org) est proposé par la fondation ABIM. L'idée est de promouvoir le dialogue entre professionnels de santé et patient afin d'aider ce dernier à opter pour un choix de prise en charge cohérent, qui soit à la fois bénéfique à sa santé et qui évite tout acte ou prise en charge redondants. Ce site propose ainsi des fiches de questions, organisées par thématique, dont le patient devrait parler avec son médecin. Par ailleurs, sont également mises à disposition des recommandations à destination des professionnels de santé pour les aider à dialoguer avec leur patient sur les questions de non-pertinence des actes médicaux et de leur éventuelle redondance.

Au Canada, le site www.choisiravecsoin.org a un objectif similaire, celui d'engager un dialogue entre professionnels de santé et malades au sujet des examens, des traitements et des interventions qui ne sont pas jugés nécessaires. De nombreuses fiches thématiques sont proposées, par exemple : « cancer de la prostate à faible risque : ne vous précipitez pas sur les traitements ! » ; « les analyses de laboratoire avant une chirurgie : quand sont-elles vraiment nécessaires ? », etc. Ces fiches ont une visée informative et elles invitent également à la réflexion en formulant les questions que le malade doit se poser avant de dialoguer avec son médecin et donc, avant de participer au choix thérapeutique.

Que peut-on dire de l'efficacité de ces différents outils ? Des premiers travaux d'évaluation ont été publiés au Royaume-Uni. Ainsi, d'après une récente enquête qualitative par entretiens réalisés auprès de professionnels de santé¹³⁴, l'utilisation de ces outils d'aide à la prise de décision est reconnue dans l'ensemble comme bénéfique par les médecins. Pour autant, la mobilisation de cet outil par les praticiens reste très limitée. Cela tiendrait à plusieurs facteurs : certains médecins demeurent sceptiques quant à l'utilité de ces dispositifs, d'autres considèrent que la prise de décision est déjà partagée (shared decision-making) ou bien que nombre de patients ne souhaitent pas être impliqués dans la prise de décision. Les outils d'aide à la décision devraient ainsi permettre, *a minima*, de mieux définir le degré de participation du patient, sachant que celui-ci peut varier au cours du temps.

¹³⁴ Elwyn G., Rix A., Holt T., Jones D. (2012), « Why does clinicians not refer patients to online decision support tools? Interviews with front line clinics in the NHS », *BMJ Open*, n°2.

Chapitre 12 – Un cadre favorable aux initiatives des innovateurs

Quels sont les éléments à même de favoriser l'action des innovateurs ?

En premier lieu, innover, être un innovateur, implique souvent de se confronter à des difficultés, des incertitudes, des risques, des oppositions et de sortir de sa sphère de compétence ou de connaissance. Si l'on entend favoriser l'innovation et sa diffusion, il est nécessaire de valoriser largement cette démarche et de créer des conditions pour que de nombreux acteurs d'horizon différents deviennent des innovateurs en santé.

En deuxième lieu, tous les innovateurs ne sont pas égaux face aux difficultés ou aux complexités qu'ils doivent affronter dans la conduite de leurs projets : si certains (grands établissements de santé, pouvoirs publics, grandes entreprises) peuvent mobiliser des ressources importantes pour les mener à bien, les autres sont souvent démunis pour comprendre et répondre aux exigences des régulateurs, avoir accès aux circuits d'aide aux innovateurs, ou simplement organiser les changements nécessaires à leur niveau pour l'adoption d'une innovation. Il faut donc envisager des moyens de les accompagner et de les soutenir.

Enfin, le cadre de développement des innovations est dans certains cas assez peu favorable à l'émergence et à la diffusion de celles-ci. Le mécanisme communément employé pour organiser l'émergence des innovations ayant un impact organisationnel est le recours à des expérimentations permettant de les financer et d'évaluer leur intérêt. La mise en œuvre actuelle de ce mécanisme n'encourage cependant pas les initiatives des innovateurs. Les expérimentations sont certes nombreuses, mais elles sont aussi complexes, coûteuses, longues à mettre en place et à évaluer. Très peu d'initiatives arrivent au stade de la généralisation ; un grand nombre pâtit des défauts inhérents aux dispositifs financés de façon dérogatoire et non pérenne, entraînant essoufflement ou disparition du projet. Par ailleurs, si une grande partie des innovations se développe naturellement dans le cadre de droit commun juridique et financier du système de santé, certaines d'entre elles nécessitent pour s'inscrire dans la durée, se développer, se généraliser, ou porter pleinement leurs fruits, des modifications de ce cadre institutionnel. Ce facteur est trop rarement pris en compte en amont. Une réflexion sur la doctrine et le cadre de développement est donc nécessaire.

Susciter des vocations, accompagner les innovateurs, leur fournir un cadre favorable au développement et à la diffusion de leurs innovations sont les trois pistes explorées ci-après.

1. Encourager et rendre visibles les initiatives innovantes

L'innovation (et sa diffusion) est bien souvent liée à des rencontres, des échanges, un partage de compétences ou d'expériences et, de plus en plus, un croisement d'approches entre des acteurs de culture et de métiers différents.

Ce processus se fait naturellement, et peut être encouragé par des acteurs publics ou privés qui organisent ponctuellement ou de façon récurrente colloques, séminaires, diffusion d'informations, et manifestations, animation de réseaux dédiés sur internet, permettant de rendre visible et de valoriser les démarches innovantes.

La valorisation de l'expérience d'innovateurs qui parviennent à développer leur idée ou d'innovations qui fonctionnent et qui sont adoptées par le système de soins est un élément favorable à l'engagement des différents acteurs dans des démarches innovantes.

Les initiatives ponctuelles évoquées plus haut méritent donc d'être encouragées, rendues visibles et accessibles, voire dans certains cas développées et systématisées¹³⁵.

Dans cette perspective, les ARS ont un rôle à jouer pour repérer ces initiatives, en lien avec l'ensemble des acteurs, les rendre visibles, les susciter parfois, en organiser certaines, aider à leur mise en cohérence, notamment quand ces initiatives émanent d'acteurs publics.

Le développement de cette culture de l'innovation peut s'appuyer sur une grande diversité d'instruments, certains classiques déjà évoqués, d'autres eux-mêmes innovants. A ce titre, les living-labs, ou encore les hackathons, présentent l'intérêt de sensibiliser les citoyens à l'innovation, d'impliquer les patients ou les usagers, tout en étant par eux-mêmes des instruments de production d'innovations. Leur développement dans le secteur de la santé doit être encouragé.

Les hackathons

Contraction de « hack » et « marathon », les hackathons réunissent sur un temps court des professionnels ou des individus d'horizons différents, développeurs informatiques, entrepreneurs, usagers, consommateurs, designers, etc., organisés en équipes concurrentes pour concevoir un prototype d'un service ou d'une application innovant sur un sujet donné. La CNAMTS a ainsi organisé en janvier 2015 un hackathon sur le thème des données de santé qui a réuni 80 personnes (start up, organismes publics, assureurs).

Les living labs

Un Living Lab regroupe différents acteurs (publics et privés, entreprises, associations, centres de recherche, individus), dans l'objectif de tester en vie réelle des services, des outils ou des usages nouveaux. Cette méthodologie est centrée sur l'implication des usagers ou utilisateurs dans la conception et le développement d'innovations dès le début du projet, dans une perspective d'innovation ouverte.

2. Accompagner et soutenir les innovateurs

Que l'innovation soit organisationnelle ou liée à un produit, ses porteurs doivent respecter les exigences et standards posés par la puissance publique pour voir leur innovation adoptée et financée. Il s'agit là de remplir les conditions parfaitement légitimes qui permettent de justifier de l'intérêt, de la sécurité ou encore de l'efficacité de l'innovation en question.

Ce processus d'intégration de l'innovation au système de soins est le plus souvent long et complexe, mal connu des porteurs d'innovation. Il peut être désincitatif ou démobilisateur, en particulier pour des innovateurs qui ne disposent pas de ressources importantes pour y faire face (assise financière, industrielle, moyens humains, connaissances ou compétences, voire simplement temps). Il s'agit là d'un frein puissant à l'initiative des acteurs.

Pour lever ce frein, ou du moins le desserrer, il serait utile de penser et d'organiser l'accompagnement des innovateurs dans ce processus, en particulier des PME et des petites équipes de professionnels de santé. Cette démarche nécessite de mobiliser des moyens, mais doit être envisagée comme un investissement destiné à rendre, *in fine*, le système de santé plus innovant.

Ainsi, en ce qui concerne les PME qui innovent dans le secteur des dispositifs médicaux, il existe aujourd'hui des mécanismes d'aide à la fois financiers et administratifs, mais ceux-ci sont éclatés. Actuellement les aides financières et l'appui qui peuvent être apportés aux entreprises sont multiples : appui des pôles de compétitivité et de leurs structures régionales pour la demande FUI, appui de la DGOS pour connaître les interactions entre le forfait innovation et les autres dispositifs de financement que sont le PHRC, le PRME, le FUI ; appui de la HAS pour apprécier, sur la base d'un projet de protocole d'étude, la pertinence de la demande de forfait innovation et établir la liste des données manquantes et la méthodologie à retenir pour les investigations cliniques, ou encore appui des structures locales à l'innovation et à la recherche appliquée en santé que sont les GIRCI, DRCI,

¹³⁵ On ne traite pas ici des dispositifs relevant du champ des politiques économique et industrielle qui ne sont pas l'objet du présent rapport.

CIC, CRC¹³⁶, afin de bénéficier d'un soutien méthodologique dans l'élaboration du projet de protocole de l'étude pour la demande de forfait innovation, d'un soutien méthodologique dans l'élaboration du budget prévisionnel de l'étude et d'une possibilité d'accompagnement technico-réglementaire/méthodologique tout au long du déroulement de l'étude. Il existe également des possibilités de rencontres précoces avec l'ANSM et la HAS.

Mais en définitive, les entreprises innovantes de petite taille sont souvent perdues dans cette profusion d'aides et de dispositifs d'appui dont les règles, la logique et l'organisation peuvent sembler confuses.

La mise en place d'un guichet unique (identifiable au niveau national avec antennes régionales), facilitant l'orientation de ces petites entreprises dans le processus administratif, constituerait une première réponse aux difficultés qu'elles peuvent rencontrer pour obtenir la mise sur le marché de leur produit et leur prise en charge par l'assurance maladie. Les industriels doivent pouvoir y trouver les réponses aux questions simples que se pose un innovateur peu rompu au système d'administration de l'innovation et se voir proposer un accès aux interlocuteurs spécialisés pertinents selon leurs situations.

L'appui et l'accompagnement ne sont pas moins nécessaires en matière d'innovation organisationnelle. Il s'agit là d'organiser et de structurer l'accompagnement de porteurs d'idées, de projets innovants, en particulier des équipes de professionnels de santé qui tentent de se structurer sur les territoires et de décloisonner les prises en charge.

Dans ce domaine, si des initiatives locales existent, une réflexion pourrait être menée pour que les porteurs de projets innovants aient dans chaque région ou à l'échelle des territoires pertinents, un interlocuteur « facilitateur » identifiable et en mesure de les aider (première évaluation, orientation). Il est également nécessaire d'étudier la pertinence d'accompagner certains projets de façon plus intensive, au travers d'un appui ou d'un accompagnement structuré en ingénierie de projet. Soulignons ici que la question de l'accompagnement des innovations organisationnelles se pose bien sûr au moment de leur émergence, de leurs premiers développements, mais qu'elle peut également se poser au moment de la diffusion des innovations « validées » par le système de soins : l'intégration de l'innovation n'est pas qu'une question de précurseurs, il faut se préoccuper également de ceux qui souhaitent s'emparer des innovations et qui pour ce faire ont besoin d'être soutenus.

3. Penser un cadre favorable au développement des innovations

Sensibiliser les acteurs du système de santé aux innovations et accompagner les innovateurs serait inutile si, une fois cet investissement fait, les innovations ne rencontraient pas un cadre favorable à leur déploiement.

Dans nombre de cas, le cadre actuel permet à ces innovations d'exister, voire de se développer et de se diffuser. Mais les exemples d'innovations dont la diffusion stagne ou se fait bien plus lentement que le rythme anticipé sont également nombreux, en particulier quand elles ont une dimension organisationnelle.

Plusieurs cas de figure peuvent se présenter :

- Certaines innovations sont pensées ou traitées comme des expérimentations permanentes : bien que considérées comme convaincantes, elles ne bénéficient pas d'un mode de financement

¹³⁶ La DGOS soutient plusieurs structures et dispositifs d'appui à la recherche clinique pour la réalisation de ces missions : les Groupements Interrégionaux de Recherche Clinique et d'Innovation (GIRCI), les Délégations de Recherche Clinique et de l'innovation (DRCI au sein des CHU), les Centres d'Investigation Clinique (CIC), les Centres de Recherche Clinique (CRC), les dispositifs de Renforcement de l'Investigation Clinique (RIC), les Sites de Recherche Intégrée sur le Cancer (SIRIC), les Centres de Ressources Biologiques (CRB), tumorothèques, etc.

pérenne, d'un cadre juridique stable, d'un appui à leur diffusion. Au lieu de basculer dans le droit commun et d'être considérées comme des éléments nécessaires à la bonne prise en charge des patients concernés, elles restent du ressort de l'initiative locale à l'avenir incertain ou du dispositif éternellement dérogatoire. C'est le cas par exemple des réseaux de santé dont les difficultés d'émergence et de pérennisation sont détaillées au chapitre 2 du présent rapport : malgré l'intérêt reconnu d'un certain nombre d'entre eux, ils n'ont jamais dépassé le stade de prototypes ou de dispositifs dérogatoires.

- Certaines innovations ne se développent pas tout simplement parce que leur développement nécessiterait des évolutions concomitantes du cadre de financement, du cadre réglementaire, et des changements relatifs à des facteurs plus opérationnels (investissements nécessaires à court terme dans la formation, l'équipement, l'immobilier ; changement des organisations ou des pratiques), évolutions et changements qui sont non seulement longs à intervenir mais également rarement pensés comme un ensemble cohérent et incitatif à s'engager dans des démarches innovantes. On pense ici, par exemple, au développement longtemps considéré comme très lent en France de la chirurgie ambulatoire ou encore à la réhabilitation améliorée après chirurgie¹³⁷.
- Certaines innovations font l'objet de nombreuses expérimentations, sans qu'elles puissent aboutir à un déploiement national, tout simplement parce que les conditions et les moyens déployés lors des expérimentations ne sont pas reproductibles à l'échelle du système de santé (dérogations au droit commun, niveau de financement, implication particulière des acteurs).
- Enfin, certaines innovations font l'objet d'expérimentations longues et parfois multiples alors même que leur utilité, leur efficacité et la pertinence d'investir dans ces innovations ne font pas vraiment débat. C'est le cas déjà évoqué dans ce rapport d'une partie des innovations numériques.

Ces quelques exemples montrent que l'enchaînement des phases d'expérimentation, d'évaluation et de diffusion n'est ni toujours adéquat, ni toujours fluide et efficace.

Pour que cela fonctionne mieux, il est nécessaire de se doter d'une doctrine et d'un cadre lisibles permettant d'encourager, de sélectionner, d'évaluer et de généraliser les initiatives prometteuses.

Le HCAAM avait en 2012¹³⁸ engagé cette réflexion en proposant de dépasser le cadre actuel des expérimentations. Il entendait promouvoir une démarche consistant à concrétiser, sur quelques territoires spécifiquement désignés, des « projets pilotes » permettant, en concentrant l'effort sur quelques grands bassins de vie servant de laboratoires, d'illustrer « en vraie grandeur » des prototypes d'organisation nouvelle, de les tester et de les généraliser rapidement. Il ne s'agit plus là d'expérimentation, mais de préfiguration. Ces propositions du HCAAM ont été traduites d'abord dans la LFSS 2012 sous la forme d'expérimentations territoriales, avec un large soutien parlementaire à la proposition d'amendement de la FEHAP, puis ces expérimentations ont été élargies et confortées dans la LFSS 2013 et rebaptisés projets PAERPA. Ces dynamiques pourraient être élargies au champ plus large des innovations technologiques et organisationnelles.

Quelques réflexions peuvent compléter cette approche.

Tout d'abord, un cadre favorable aux innovations doit permettre d'anticiper les conditions de succès et les conséquences sur le système d'une innovation prometteuse.

Il s'agit ici, comme évoqué de façon plus spécifique dans la partie du présent rapport consacrée au financement des solutions numériques (*cf.* chapitre 10), de s'interroger en amont sur le modèle économique qui sera *in fine* nécessaire au déploiement de l'innovation : qui va payer l'innovation et

¹³⁷ La réhabilitation améliorée après chirurgie fait l'objet de développements spécifiques dans le rapport de l'Assurance maladie « Améliorer la qualité du système de santé et maîtriser les dépenses, propositions de l'Assurance Maladie pour 2017 »

¹³⁸ « Avenir de l'assurance maladie : les options du HCAAM », avis adopté à l'unanimité lors de la séance du 22 mars 2012.

comment ? Existe-t-il des obstacles économiques à l'adoption de l'innovation (par exemple des investissements connexes que les acteurs ne seraient pas en mesure de financer) ? La question du basculement vers des modalités de financement de droit commun pérennes se pose presque systématiquement : ne faut-il pas penser et organiser, comme cela se fait dans d'autres pans de l'économie, le lien entre les financements initiaux temporaires d'une innovation (son « amorçage ») et les financements permanents qui permettront sa diffusion ?

Il s'agit également de s'interroger sur les éléments juridiques incitatifs (ou désincitatifs) à l'adoption de l'innovation : quelles règles doivent-elles être modifiées, ces modifications sont-elles réellement envisageables, quels peuvent être les délais nécessaires à ces évolutions ?

Il s'agit enfin de s'interroger sur les conséquences opérationnelles de l'adoption de l'innovation : qu'implique-t-elle comme évolutions de l'organisation des soins, ces évolutions sont-elles possibles, dans quels délais, à quels coûts ?

A défaut d'envisager ces questionnements dès les premières phases de développement des innovations, le risque est grand que leur émergence et leur diffusion soient impossibles ou laborieuses une fois passé le temps d'expérimentation, de test ou de prototypage.

En second lieu, un cadre de pensée favorable aux innovations devrait tenter de distinguer différents cas de figure, car toutes les innovations ne sont pas de même nature et n'appellent pas forcément les mêmes types de mesures quant aux conditions de leur expérimentation, de leur évaluation ou de leur généralisation.

Ainsi, est-il toujours indispensable d'organiser de longues phases d'expérimentation et d'évaluation quand les expériences françaises ou étrangères montrent qu'une innovation présente des apports significatifs ? De même, ne faut-il pas penser (et faire) une distinction entre les innovations qui ont vocation à être généralisées et celles qui s'apparentent à des solutions spécifiques à des problèmes locaux et des configurations particulières ? Derrière cette distinction se pose la question, qui reste ouverte et doit être débattue, des latitudes à envisager par rapport à la norme nationale (juridique, de financement) : ne faut-il pas envisager la création, dans certains territoires, de cadres juridiques et financiers dérogeant de façon durable au droit commun pour y faire émerger des solutions adaptées à leurs enjeux spécifiques ?

Chapitre 13 – La gouvernance territoriale

« Le gouvernement, ayant pris conscience de sa rationalité limitée, envisage de diversifier les risques de décisions erronées (lorsque cela est possible), en décentralisant les décisions » (Jean-Jacques Laffont¹³⁹).

Les approches nationales ne peuvent simplement se décliner au niveau des régions, voire des territoires : le changement d'échelle implique aussi un changement de point de vue et les meilleurs concepts pensés au niveau central peuvent devenir des monstres sur le terrain. Faute pour l'État d'avoir toute l'information utile sur les besoins et leur évolution, la productivité, les coûts et la qualité des services, un système de planification rigide (enveloppes fermées, contingentement décidé au niveau central) ne permet souvent qu'à court terme une maîtrise des dépenses et peut constituer un obstacle à l'évolution cohérente de l'offre de soins.

La « prise de conscience » qu'évoque Jean-Jacques Laffont n'a cependant rien de spontané. En fait, la décentralisation (au sens de mise en place de pouvoirs décentralisés, quels qu'ils soient) oscille souvent entre deux attitudes :

- la bureaucratisation, qui ôte de fait toute marge de décision aux acteurs locaux ;
- la reconnaissance d'acteurs dotés des incitations adéquates et bénéficiant de latitudes suffisantes pour s'adapter aux circonstances locales et aux spécificités des administrés.

Dans les pratiques de régionalisation en matière de santé, trois modèles existent *de facto*¹⁴⁰ :

- la délégation (faire faire) : le niveau central délègue à un niveau intermédiaire le soin d'exercer un contrôle plus serré du local. Cette délégation ne résout pas forcément les problèmes de divergence entre le centre et le niveau déconcentré ;
- le modèle interactif : le niveau régional est le lieu de la concertation véritable et de la négociation entre les acteurs ; le risque principal réside dans les interférences du niveau central ;
- le modèle démocratique valorise la souveraineté populaire et la fonction délibérative, qu'il importe d'organiser.

L'entrée territoriale¹⁴¹

Il importe de ne pas se tromper à la fois de territoire et de tendances d'évolution sur les territoires. La dynamique des territoires a connu des évolutions majeures durant les vingt dernières années, impulsées d'une part, par l'allongement de la durée de vie et d'autre part, par la réduction drastique du temps de travail. On a assisté à une dissociation des territoires : déconnexion des lieux de travail et de consommation, des lieux de vie (étudiants, actifs, retraités)... Le repérage des dynamiques territoriales à partir du recensement est dès lors problématique. Le critère démographique pertinent est la présence en hommes/année. La notion de territoire de « mobilité raisonnable » permet d'apporter une certaine souplesse dans la détermination des stratégies territoriales.

L'entrée territoriale en termes de services publics peut être appréhendée selon quatre axes relativement indépendants :

- l'organisation et la gestion de l'offre qui renvoient à la rationalisation des moyens ;
- la gestion des ressources humaines qui renvoie à la localisation géographique des fournisseurs du service public ;
- l'évolution de la demande sur les territoires fondée en grande partie sur les projections démographiques ;
- la santé en tant qu'*input* du développement local.

¹³⁹ Op. cit.

¹⁴⁰ Voir les travaux de Dominique Polton notamment : CREDES, Décentralisation des systèmes de santé, *Questions d'économie de la santé*, n° 72, octobre 2003.

¹⁴¹ Voir les analyses de Laurent Davezies.

1. Innovations et territoires

Les territoires bougent dans toutes leurs dimensions. Dans leur dimension institutionnelle, ils se transforment à bas bruit ou avec davantage de fracas : à la base, les communes nouvelles ont commencé de traiter l'éparpillement communal, la carte intercommunale se rationalise peu à peu (le nombre de structures aura été réduit dans des proportions très importantes en quelques années), les départements ont été maintenus en l'état mais sont de plus en plus focalisés sur leur cœur de métier (les populations fragiles et la solidarité territoriale de proximité), les métropoles redessinent la carte des grands ensembles urbains, la carte des régions a elle-même été restructurée. Le territoire institutionnel est donc en train d'être profondément reconfiguré.

La santé est une préoccupation majeure de la population, à titre individuel bien entendu mais aussi en termes collectifs et la carte des territoires de santé ne peut rester figée : les patients sont en demande de proximité raisonnée (accessibilité et qualité) ; les étudiants sont mobiles (pas forcément de la même façon tout au long de leur parcours) ; les professionnels eux-mêmes aspirent à la mobilité géographique pour concilier au mieux leurs attentes en matière de carrière et leurs conditions de vie personnelle et familiale. Le travail de rationalisation fonctionnelle opéré par les régulateurs dessine une nouvelle organisation des équipements et des services. Les dynamiques générales décrites par certains géographes ont leur pendant en matière de santé : la « *France périphérique* » est une réalité pour les soins de premier recours comme pour le second recours d'ailleurs ; la déprise sanitaire territoriale est aussi à l'œuvre dans les banlieues, aux marges des agglomérations, les services de santé ne se comportant pas différemment d'autres services.

Les territoires de santé vécus sont la résultante des efforts de rationalisation statistique et institutionnelle mais aussi de la trajectoire de chaque territoire en termes d'offres de services publics en santé et hors-santé. Il faut maintenant y ajouter la transformation numérique, dans sa dimension territoriale...

2. Territoires de santé

Le territoire est conçu comme le lieu de rencontre entre les besoins d'une population et les services rendus par des offreurs de soins et médico-sociaux tous localisés dans ce territoire. Si cette définition permet de bien cerner l'idée d'un territoire géographiquement délimité, il n'est toutefois pas possible, ni même sans doute utile, d'envisager l'unicité de cette notion. En fait la limite d'un territoire va dépendre du type d'action qu'on conduira. Parlons-nous d'une campagne nationale de dépistage du cancer du sein et le territoire à considérer sera le pays tout entier. S'agit-il d'organiser un programme médico-social avec les autorités publiques responsables et le territoire sera le département. Gérer les implantations des instituts de formation infirmière se fera sur le territoire d'une région. De même un contrat local de santé sera négocié dans un périmètre beaucoup plus réduit et pourra se borner à un ou deux cantons. On pourrait multiplier les exemples à foison. La multiplicité des contours possibles des territoires ne constitue cependant pas un frein à l'action qui s'adapte « naturellement » aux différents acteurs impliqués.

Si l'idée de territoire traduit bien la rencontre entre besoins et offres de services à la population d'un lieu géographique donné, la notion même d'implantation des offreurs de soins évolue de diverses façons :

- s'agissant des établissements de soins, il n'y a plus forcément unité de lieu pour l'hébergement, la réalisation des actes techniques et les fonctions logistiques ;
- les frontières des plateaux techniques tendront de plus en plus à s'effacer au profit de technologies et de services distribués dans l'ensemble du système avec la possibilité de dissocier la réalisation de certains examens de leur interprétation (grâce à la télé-expertise) et la

constitution de plateaux lourds très spécialisés et centralisés concomitante du développement de moyens plus légers à la périphérie ;

- le développement nécessaire de prises en charge pluri-professionnelles conduit à se poser la question de l'implantation des professionnels non plus de façon segmentée, mais en considérant la disponibilité d'équipes susceptibles d'assurer des prises en charge coordonnées sur un territoire ;
- les diverses formes de regroupement rendues nécessaires pour des raisons d'efficience (regroupements de gros plateaux hospitaliers par exemple) ou d'évolution des pratiques et services attendus (regroupement de professionnels libéraux) ou de plate-formes de services sociaux et médico-sociaux ne sont pas nécessairement synonymes d'éloignement du service rendu si elles sont associées au déploiement ou à la projection d'activités (assurées dans des antennes, par des équipes mobiles, au domicile avec l'appui des nouvelles technologies...).

Les besoins de la population en termes d'accessibilité qui déterminent les lieux souhaitables de délivrance des soins et accompagnements sociaux et médico-sociaux sont très variables et évolutifs dans le temps. L'attention du grand public s'est historiquement focalisée sur les distances d'accès aux équipements hospitaliers pour les soins aigus, les urgences et les accouchements. Trois remarques méritent d'être faites ici :

- la venue répétée des patients chroniques à l'hôpital pour des séances de soins génère les plus importants frais de transport ;
- la délivrance de soins et de prises en charge parfois complexes à domicile est un enjeu majeur, compte tenu du vieillissement de la population et de la montée des pathologies chroniques mais aussi de la qualité de vie pour les personnes handicapées ;
- pour des pathologies courantes et bénignes, la consultation téléphonique pourrait apparaître suffisante et répondre à des besoins de facilité pour certains patients.

C'est donc une vision plus souple du territoire qui prévaudra à l'avenir, dans laquelle l'unité de lieu de production des soins ne sera plus la référence ultime. La question de la couverture du territoire s'envisagera en termes de disponibilité de services diversifiés nécessaires à la population. La complémentarité des interventions des différentes catégories d'offreurs et les ressources apportées par la télésanté, les objets connectés et la possible mobilité de certains moyens sont des éléments essentiels dans cette perspective.

3. Repenser la planification

La planification a pour objet le rapprochement au niveau d'un territoire entre les besoins de santé de la population et les moyens destinés à y répondre. Elle vise à assurer un accès égal de tous aux biens et services de santé et à éviter le gaspillage qui pourrait résulter de la constitution d'une offre excessive des moyens les plus coûteux (associés à certains équipements ou à certaines activités onéreux et spécialisés).

Elle est aujourd'hui essentiellement de la responsabilité des ARS et des conseils départementaux et s'incarne dans le Projet régional de santé et les schémas départementaux. Le PRS fixe un cadre d'orientation stratégique en s'appuyant sur une prospective à dix ans. En découle le Schéma régional de santé qui établit pour cinq ans des prévisions d'évolution et des objectifs opérationnels concernant l'offre sur le territoire dans le champ des soins, de la prévention, de la promotion de la santé et du médicosocial.

La planification s'appliquait à l'origine à l'allocation sur le territoire des capacités hospitalières et des équipements lourds, soumis à autorisation en application de la Carte sanitaire. Elle a connu une double évolution :

- évolution de son champ d'application. La *carte sanitaire* a été remplacée en 2003 par un Schéma régional, dont la portée s'est progressivement étendue à l'ensemble des activités de soins, de prévention et médico-sociales, qu'elles soient réalisées dans le cadre d'établissements ou en ville ;
- évolution de ses conditions d'opposabilité. L'opposabilité concernait les capacités hospitalières fixées en nombre de lits. Elle porte désormais sur l'autorisation d'implantation des activités dans les établissements de santé. A l'autorisation d'équipements lourds considérés individuellement tend à se substituer l'autorisation de plateaux techniques nécessaires à la réalisation des activités autorisées.

Cette évolution devrait se poursuivre et l'action « planificatrice » profondément se transformer.

A. Une planification envisageant à différents niveaux de prise en charge des combinaisons de moyens de ville, hospitaliers et médico-sociaux

La planification était traditionnellement centrée sur la recombinaison de l'offre hospitalière. Elle devrait de plus en plus favoriser l'émergence de solutions combinant l'intervention des acteurs de ville, hospitaliers et du médico-social pour répondre aux besoins identifiés, à différents niveaux de prise en charge.

La question de la proximité a longtemps été envisagée à travers la problématique du maillage territorial par les établissements de santé, la répartition des professionnels libéraux se faisant spontanément au plus près de la population. Mais aujourd'hui, pour les disciplines techniques, l'arbitrage accessibilité/sécurité et le souci d'efficience dans l'allocation de moyens coûteux, devraient conduire inéluctablement à une concentration d'un certain nombre de plateaux techniques hospitaliers. Dans le même temps, la possibilité de prendre en charge un nombre croissant de malades au plus près des lieux de vie dans le contexte de la transition épidémiologique et technologique justifie la constitution d'une offre nouvelle de proximité.

La structuration de cette première ligne de prise en charge au plus près des lieux de vie de la population est un enjeu majeur à l'horizon de quinze ans. Elle implique les professionnels ambulatoires : généralistes, paramédicaux, pharmaciens et certains médecins spécialistes, articulés avec les établissements hospitaliers de proximité et les établissements de soins de suite et de réadaptation, les établissements de psychiatrie, ainsi qu'avec les établissements médico-sociaux.

Au-delà de ce premier niveau de prise en charge, la notion de gradation des services attendus et des moyens mobilisés doit être reconsidérée de façon transversale en s'appuyant sur les ressources de la médecine générale et spécialisée en ville et à l'hôpital. A ce niveau aussi, le centre de gravité des prises en charge devrait se déplacer de l'hospitalisation vers l'ambulatoire, voire le domicile. Les modalités de la gradation des prises en charge devraient ici être conçues de façon adaptée aux différents champs pathologiques. La notion d'activités hospitalières qui structure aujourd'hui la planification devrait par conséquent de plus en plus souvent s'exprimer à une échelle qui ne sera plus strictement hospitalière.

Cette approche introduite par la loi santé doit permettre ainsi à moyen terme, au-delà de l'identification des équipements les plus coûteux, un élargissement de la vision des moyens à mettre en œuvre aux :

- moyens techniques, ne considérant plus les équipements ou matériels de façon isolée mais comme des « plateaux » ou ensembles fonctionnels nécessaires pour les différents niveaux ou types de prise en charge ;
- moyens numériques. Les technologies numériques (utilisation d'objets ou d'équipements connectés, réalisation d'actes de télémedecine, systèmes d'information, dématérialisation et automatisation d'un certain nombre de tâches) doivent être conçues comme un élément

structurant et central de l'équipement d'un territoire. Elles devraient sortir d'une approche expérimentale pour entrer dans une perspective de déploiement organisé de façon transversale ;

- moyens humains. Les schémas régionaux de santé devraient être systématiquement associés à un volet ressources humaines, élaboré en concertation avec l'Université, la Région et l'ensemble des acteurs concernés. Il s'agit ici de promouvoir au niveau régional la prise en charge de l'évolution quantitative et qualitative des moyens humains au vu des besoins identifiés.

La planification devra en outre intégrer les impacts prévisibles sur les organisations de l'introduction de nouvelles technologies et produits de santé.

B. Un besoin renforcé de coordination à prendre en compte

Dans un système différencié, les besoins de coordination seront essentiels, tant entre les différents offreurs qu'entre les différents niveaux de prise en charge. Les gains attendus de la coordination des parcours de soins (en qualité, en efficience, etc.) reposent à la fois sur une amélioration de la gestion des cas les plus complexes et sur la masse des cas moins complexes.

Cette fonction de coordination est d'abord une mission à part entière des offreurs eux-mêmes. Elle suppose l'identification de moyens humains et techniques :

- les moyens humains : personnels de coordination (infirmiers ou non) au sein des structures de soins structurées de premier niveau (MSP, pôles, centres de santé) et au sein des établissements de santé, sociaux et médico-sociaux. Ces personnels doivent pouvoir être financés sur des bases durables ;
- les moyens techniques : systèmes d'information et de communication performants, interopérables ainsi que des outils communs (répertoires opérationnels de ressources¹⁴², messageries sécurisées, dossiers partagés, outils d'évaluation des situations et des patients, d'orientation, référentiels adaptés).

La collaboration effective et durable entre offreurs de soins, sociaux et médico-sociaux sur un territoire passe par une protocolisation qui se négocie et s'organise localement tenant ainsi compte des spécificités locales.

Enfin, dans une perspective dynamique il est important que des programmes et des protocoles favorisant l'amélioration de l'efficience des parcours soient mis en œuvre. Ils sont aujourd'hui promus par l'Assurance maladie et les ARS. Il est souhaitable qu'à l'horizon de 15 ans ces programmes et protocoles soient portés par les effecteurs eux-mêmes, s'appuyant sur l'observation des pratiques, les recommandations des sociétés savantes ou de l'HAS.

La loi de modernisation de notre système de santé a confié aux ARS la mission d'« organiser l'appui aux professionnels, notamment à ceux dispensant des soins de premier recours, qui assurent une prise en charge des patients relevant de parcours de santé complexes et pour lesquels l'intervention de plusieurs catégories de professionnels de santé, sociaux ou médico-sociaux, est nécessaire en raison de leur état de santé ou de leur situation sociale¹⁴³ ». Pour remplir cette mission, l'ARS peut recourir à la constitution d'« une ou plusieurs plateformes territoriales d'appui à la coordination des parcours de santé complexes ». Il s'agit ici de rationaliser les dispositifs existants en permettant l'émergence d'une offre bien identifiée par territoire (s'appuyant sur les ressources ou structures déjà existantes) et fonctionnant de façon subsidiaire ou interstitielle par rapport aux dispositifs de coordination intégrés aux différents offreurs.

¹⁴² Ces répertoires de professionnels et de structures permettent aux professionnels et aux usagers de se repérer dans le système de soins.

¹⁴³ Article 14 de la loi de modernisation de notre système de santé du 26 janvier 2016.

C. Le développement du numérique est une priorité

Le numérique est à la fois un outil facilitateur de la coordination et de l'intégration, et une ressource indispensable pour favoriser la poursuite de l'innovation par de nouveaux services et de nouveaux procédés.

Son déploiement régional est une priorité des ARS. On observe toutefois une assez grande disparité dans le degré de montée en charge des différentes solutions numériques et dans l'offre de services (répertoires opérationnels de ressources, outils de gestion des parcours des patients, partage de données...).

On pourrait se réjouir de la multiplication des initiatives régionales voire locales innovantes qui s'appuient sur l'identification de besoins et d'organisations adaptées. Cependant, dans un certain nombre de cas (les plateformes régionales de Télémédecine par exemple, non interopérables), on observe la redondance d'investissements dans des infrastructures techniques et le soutien de projets dont la finalité et le modèle économique demeurent flous (exemples des projets de télémédecine évalués par l'ANAP).

Il paraît enfin difficile de justifier à l'échelle d'un pays comme la France la promotion au niveau de chaque région, leur nombre fût-il réduit à treize, de systèmes d'information particuliers. Au contraire, il est souhaitable de favoriser l'émergence de solutions industrielles, génériques et standardisées fondées sur la mutualisation de moyens que permet l'atteinte d'une certaine taille critique.

Ceci devrait conduire à l'expression d'une doctrine dans le partage des rôles entre niveaux national et régional, qui pourrait être fondée sur les orientations suivantes :

- le niveau national définit le cadrage stratégique pluriannuel et le suivi de sa mise en œuvre, produit des référentiels communs techniques et notamment sémantiques, assure la maîtrise d'ouvrage des grands projets structurants ;
- le niveau national définit le socle minimum de services devant être disponibles dans l'ensemble des régions. Cette démarche est déjà engagée dans le cadre commun d'urbanisation soumis à concertation (à l'initiative de la DSSIS et de l'ASIP) et devrait permettre d'assurer une certaine homogénéité de l'offre de services sur l'ensemble du territoire conforme à un souci d'efficacité ainsi que d'égalité ;
- l'ensemble des projets nouveaux portés au niveau régional ou local respectent les référentiels d'urbanisation, d'interopérabilité et de sécurité définis nationalement ;
- il doit exister une coordination forte des actions menées au niveau régional. Il convient de trouver le bon équilibre entre une décentralisation favorable à l'émergence de projets innovants (nécessaire dans un secteur où les cycles d'innovation sont courts, le progrès étant souvent de nature incrémentale) et un encadrement indispensable au déploiement de solutions efficaces ;
- il peut exister une marge d'expérimentation et d'initiative régionale à la main des ARS en lien avec le tissu économique et les professionnels et établissements de santé de la région. Cette latitude, indispensable pour assurer une certaine agilité du système, doit s'accompagner d'une obligation de déclarer au niveau national l'ensemble des projets d'intérêt commun ou engageant des moyens importants ;
- pour l'expérimentation de solutions sur des sujets transversaux, un principe d'efficacité doit réserver à un nombre de sites ou de régions limité le soin de tester pour le compte de toutes les autres ;
- les maîtrises d'ouvrage régionales sont assurées actuellement par des Groupements de coopération sanitaires dont les instances se sont élargies témoignant d'une ouverture vers les acteurs ambulatoires. Cependant leur statut limite les possibilités d'interventions interrégionales

ou dépassant l'intérêt des seuls membres du groupement. Leur financement se fait, par ailleurs, au gré des projets. Il serait souhaitable de donner à ces groupements la forme de GIP liés par des conventions d'objectifs et de gestion aux ARS et coordonnés par l'ASIP.

Chapitre 14 – La gouvernance nationale

L'articulation régionale et locale des acteurs et des actions ne saurait suffire à intégrer dans de bonnes conditions l'innovation dans le système de santé. Cet objectif nécessite également un portage politique fort et durable pour être en mesure de transformer les pratiques et, plus largement, le système de santé.

Ces transformations peuvent, en effet, prendre du temps (pensons par exemple aux évolutions en matière de formation initiale), requérir des investissements à court terme pour des bénéfices à moyen ou long terme, nécessiter des temps d'expérimentation puis d'ajustements législatifs, réglementaires ou conventionnels.

Sans cadrage stratégique, les innovations qui s'imposent spontanément sont le plus souvent celles qui sont portées par un acteur en position de force au sein du système, celles qui sont les plus simples à mettre en œuvre (ne nécessitant pas d'adhésion collective, d'infrastructures publiques, de réglementation complexe, d'investissement important par exemple) ou encore celles qui émergent hors du système (par exemple les dispositifs d'alerte pour personnes âgées à domicile ou la cigarette électronique). Les innovations qui finissent par s'imposer ne sont donc pas forcément les plus utiles pour les patients, les plus pertinentes au regard des objectifs de santé publique ou les plus efficaces. Celles qui émergent hors du système le font sans forcément bénéficier d'un cadre adapté (sécurité, efficacité, égalité d'accès, intérêt thérapeutique, éthique, etc.).

Enfin, les grandes innovations structurantes pour le système de santé nécessitent une constance dans les objectifs ou les moyens, des perspectives pluriannuelles stables, à même de créer de la prévisibilité pour l'ensemble des acteurs, favorisant l'investissement initial et une continuité des efforts de transformation dans des délais correctement évalués et anticipés.

Ces considérations appellent la définition d'un cap et d'un pilotage national de l'innovation en santé.

Le périmètre de ce pilotage peut être sujet à débat, notamment en raison des liens importants entre l'innovation en santé et la politique nationale de soutien à l'innovation, pilotée par le Ministère de l'économie. Sous l'autorité de ce dernier et du Ministère de la santé, des plans d'actions ont été engagés afin de promouvoir une politique destinée à favoriser le développement de la recherche et la diffusion de l'innovation en France dans une perspective de politique « industrielle ». De nombreuses améliorations institutionnelles ont été apportées et des financements mis en place pour favoriser, notamment, le continuum entre recherche et innovation. Cet effort mené dans le cadre du Contrat de filière santé se poursuit sous l'impulsion du CSIS.

Sur cette base, une unification du pilotage englobant les Ministères de la santé et de l'économie pourrait être recherchée. Cette piste n'est pas retenue dans le présent rapport, qui propose des pilotages distincts. Il paraît en effet souhaitable que les objectifs portés par le Ministère de l'économie responsable de la politique industrielle et le Ministère de la santé responsable de la politique de santé ne soient pas confondus mais articulés, et parfois arbitrés. Les dispositifs de pilotage stratégique associés doivent donc logiquement demeurer distincts, en veillant naturellement au dialogue de leurs responsables et au nécessaire renforcement de leur articulation.

Le présent chapitre s'attache donc à pointer les limites de la gouvernance actuelle de l'innovation au sein du monde de la santé et à proposer des évolutions en faveur d'un renforcement du pilotage national.

1. Un cadre de gouvernance à améliorer

Le cadre de gouvernance actuel de l'innovation en santé présente des faiblesses qui nuisent à son efficacité, et donc à la bonne intégration de l'innovation, tant au niveau national que dans son articulation avec l'échelon régional.

A. Des actions éclatées entre Etat et assurance maladie

L'action relative à l'innovation est partagée entre l'Etat et l'Assurance maladie. Ce partage pose plusieurs difficultés.

Il empêche, en premier lieu, l'existence d'une perspective et d'une action uniques et décloisonnées entre ville, hôpital et médico-social. Il en résulte que les innovations ne sont pas appréhendées de façon globale, tant dans leurs impacts (coûts, économies, qualité des prises en charge, etc.), que dans les conditions nécessaires à leur développement (formation, tarification, investissements, réglementation, négociations avec les professionnels par exemple), mais par chacun des acteurs pour ce qui le concerne, en fonction de sa stratégie et des leviers dont il dispose. Or l'intégration de l'innovation exige d'avoir une perspective transversale et de pouvoir mobiliser l'ensemble des leviers d'intervention.

Ce partage a également pour conséquence une certaine confusion de l'action publique. Chaque acteur peut intervenir de façon autonome, et parfois même de façon concurrente. Malgré les dispositifs mis en place pour cadrer et coordonner les interventions des deux acteurs, la situation actuelle aboutit à une multiplication encore trop grande de projets au détriment de la généralisation de solutions communes.

S'ajoutent à cette césure entre l'Etat et l'Assurance maladie les difficultés d'articulation et d'identification des compétences au sein même des services du ministère de la Santé – directions d'administration centrale, secrétariat général des ministères sociaux et système d'agences. Ainsi, au niveau ministériel, il est difficile d'identifier une stratégie unique, claire et lisible, ou même des objectifs partagés en matière d'innovation en santé. Il n'existe pas de lieu bien identifié de coordination des acteurs ou d'instance d'arbitrage ou de préparation des arbitrages.

En définitive, le pilotage national tel qu'il existe ne permet pas l'affirmation d'une stratégie nationale claire sur l'innovation.

L'absence de système de veille centralisé et de mutualisation des connaissances, la faiblesse des études médico-économiques pertinentes rend délicate la définition d'une stratégie partagée, qui nécessiterait de disposer de réelles capacités d'anticipation et de prospective.

Dans la pratique, les lieux et les formes de décisions relatives à la problématique de l'innovation varient en fonction du problème, du secteur, elles ne font que rarement l'objet d'une analyse globale, formalisée, partagée et transversale. Industriels, patients, professionnels de santé ont ainsi un grand nombre d'interlocuteurs, mais pas d'interlocuteur identifié sur les problématiques soulevées par l'innovation, en capacité de prendre en compte leurs positions/difficultés/propositions dès lors qu'elles concernent plusieurs acteurs, plusieurs secteurs, plusieurs formes de régulation ou de tarification.

B. La question de l'articulation entre le pilotage national et les échelons régionaux et territoriaux

Si le pilotage national est éclaté entre des autorités qui ont tendance à intervenir dans leurs champs historiques de compétence, ville d'un côté, établissements de santé et secteur médico-social de l'autre, tout en développant des projets et des expérimentations transversaux mal coordonnés, le niveau régional est censé rassembler les capacités de pilotage de l'Etat et de l'assurance maladie par

le truchement d'un acteur unique, l'Agence régionale de santé. L'articulation entre ce niveau et le niveau central fait l'objet d'appréciations critiques.

Sans revenir sur ces appréciations, force est de constater que sur le terrain, en fonction des initiatives locales, ou de celles portées par les acteurs centraux, se multiplient programmes et expérimentations qui entraînent souvent une déperdition d'énergie et de moyens sans arriver à déboucher sur un changement durable et structurel des prises en charge.

En définitive, l'action publique est peu lisible, peu prévisible, et peine à prendre en compte l'ensemble des problématiques liées aux innovations dès lors qu'elles ont un effet systémique. Cette situation n'est pas favorable à une intégration harmonieuse des innovations dans la mesure où elle aboutit à des ralentissements ou des lenteurs difficilement explicables, à des gains minorés par la non prise en compte d'impacts sur d'autres secteurs, à des coûts majorés par l'échec de certaines initiatives ou leur développement mal maîtrisé. L'organisation actuelle ne permet pas non plus à la puissance publique d'être, autant qu'elle le pourrait, un partenaire actif vis-à-vis des offreurs de technologies ou des porteurs de projets innovants en affichant des ambitions et des objectifs communs à tous les acteurs publics : quelles innovations veut-on, pour répondre à quels besoins ?

Il est aujourd'hui indispensable de progresser, sous l'autorité du ministre en charge de la santé, vers une gouvernance forte, fixant le cap pour l'ensemble des acteurs du champ et garantissant la continuité dans la mise en œuvre des orientations stratégiques retenues et des grands projets identifiés. Ce renforcement doit rester compatible avec l'agilité nécessaire à l'innovation qui suppose que les initiatives de porteurs de projets puissent s'exprimer et être prises en compte. Il doit également tenir compte des temporalités propres aux différents types d'innovations.

2. Mieux structurer le pilotage national de l'innovation en santé

Comment favoriser le portage politique de la problématique de l'innovation conçue comme un élément central de la transformation du système de santé ? Comment remédier à l'éclatement actuel des lieux de décision et de pilotage ?

Un pilotage politique fort s'inscrivant dans une logique de continuité nécessite l'explicitation d'un cadrage stratégique d'ensemble, c'est-à-dire national, articulant les différents chantiers avec les orientations de la politique de santé, fixant des priorités et dessinant des étapes. Il doit permettre de définir une stratégie pluriannuelle dans laquelle inscrire les actions des différentes administrations, de l'assurance maladie et des différentes agences du champ de la santé. Il doit s'accompagner d'une réflexion sur le rôle des niveaux régionaux et territoriaux.

Le cadre stratégique national du pilotage de l'innovation doit être défini par l'Etat après concertation avec l'assurance maladie et les parties prenantes du système de santé et de l'innovation.

Ce cadre doit pallier les lacunes de l'organisation actuelle et répondre aux besoins émergents en posant des objectifs, un nombre raisonnable de priorités, une stratégie commune et en définissant les moyens nécessaires à la poursuite et au succès de cette dernière.

L'existence de ce cadre stratégique est nécessaire pour préparer la décision politique et l'inscrire dans le moyen terme. Il pourrait se matérialiser par l'élaboration d'une *Feuille de route* arrêtée par le ministre en charge de la santé. Assorti de la production de documents publics, ce cadre permettrait de contribuer à l'orientation de la recherche développement, d'éclairer l'action des différents acteurs du système de santé et de structurer des offres industrielles pour répondre aux besoins exprimés. Il contribuerait à la lisibilité et à la prévisibilité de l'action publique en matière d'innovation en santé.

La simple existence d'un document stratégique ne saurait cependant suffire.

Afficher des ambitions importantes en matière d'innovation en santé suppose très probablement de mettre en place une organisation administrative en capacité de remplir un certain nombre de fonctions : impulser des changements, documenter des arbitrages structurants, suivre les objectifs ou projets stratégiques définis dans la feuille de route, faire le lien avec les problématiques traitées par d'autres autorités (recherche, enseignement, industrie notamment), alerter sur les risques de toutes natures, faire le lien entre les différentes initiatives locales pour en mesurer les effets systémiques et être en capacité de proposer des mesures de mise en cohérence, des décisions de priorisation, d'arrêt ou de soutien. Enfin, il est sans aucun doute nécessaire que les multiples parties concernées par l'innovation en santé aient un interlocuteur identifié et qualifié pour aborder les difficultés transversales qu'ils rencontrent et faire émerger des solutions cohérentes.

Il manque aujourd'hui une instance associant de façon permanente l'ensemble des administrations et organismes concernés pour la définition du cadrage stratégique mentionné ci-dessus et pour son suivi.

La nomination d'un haut fonctionnaire en charge d'élaborer la politique du ministère de la santé en matière d'innovation est une avancée dans cette voie. Pour que cette évolution porte ses fruits, il est cependant nécessaire, que ce responsable dispose de ressources et moyens adaptés.

Les missions associées aux besoins du pilotage national doivent répondre à des enjeux identifiés :

- proposer et formaliser des priorités ou des mesures utiles pour l'atteinte des objectifs retenus à l'arbitrage politique sur la base d'analyses documentées. La structure de pilotage devrait en premier lieu avoir la charge d'élaborer le cadre stratégique évoqué plus haut, en concertation avec l'ensemble des acteurs concernés ;
- suivre et faciliter la mise en œuvre de la feuille de route, en particulier en élaborant des plans d'action pluriannuels opérationnels permettant d'accompagner, suivre et mesurer l'impact de la diffusion des innovations de rupture ;
- anticiper les impacts à attendre de l'innovation (en termes d'organisation, de ressources humaines, d'efficience,...) et favoriser la mise en place de plans de diffusion et d'accompagnement du changement ;
- permettre la coordination entre les différents acteurs publics intervenant dans le pilotage et la régulation du système de santé et la concertation avec les parties prenantes (usagers, industriels, professionnels) afin de favoriser une intégration harmonieuse des innovations au système de santé ;
- élaborer des éléments de doctrine partagés concernant les pré-requis, les modes d'articulation entre initiatives de porteurs de projets innovants et étapes de validation collective en vue d'un déploiement général, les méthodes d'évaluation, les modèles économiques ;
- organiser la mise en place de guichets d'accueil et d'orientation territoriaux des entreprises de santé innovantes en lien avec les autres ministères concernés (industrie, recherche).
- organiser un continuum entre les programmes de recherche en santé, les différents mécanismes de soutien à l'innovation et les mécanismes d'intégration et de diffusion au sein du système de santé (évaluation, tarification) en devenant l'interlocuteur de référence pour les acteurs concernés (et notamment les alliances impliquées dans la recherche et l'innovation AVIESAN et ATHENA).

A ces missions doit s'ajouter une mission d'interface et de coordination avec les initiatives menées par les autres acteurs publics qui doivent s'articuler avec celles du ministère de la santé. Une politique d'innovation menée par le Ministère de la santé plus structurée et plus ambitieuse appelle en particulier une articulation très forte avec la politique de soutien à l'innovation conduite par le Ministère de l'économie.

Le périmètre et le champ d'intervention de cette structure de pilotage devraient couvrir tous les aspects de l'innovation aussi bien organisationnels que technologiques, aussi bien dans le champ du médicament que du dispositif médical ou encore des équipements. De même, sa compétence couvrirait aussi bien la ville que l'hôpital et le secteur social et médico-social. Elle devrait s'attacher particulièrement au suivi transversal du parcours et de la diffusion des innovations en santé. Il s'agirait ici non de suivre tel ou tel dossier particulier, mais d'assurer le suivi d'évolutions génériques sur des sujets prioritaires (développement de la télémédecine, montée en charge des formes d'exercice pluri-professionnel, diffusion des chimiothérapies orales pour le traitement des cancers par exemple).

En définitive, le seul critère pertinent est le caractère stratégique ou non de l'innovation en cause : impact thérapeutique, impact organisationnel y compris en matière de qualification/formation, impact budgétaire ou encore caractère structurant pour l'ensemble des acteurs.

Un certain nombre de sujets structurants de ce type semblent d'ores-et-déjà pouvoir être identifiés comme des priorités qu'une structure de pilotage pourrait utilement suivre, notamment la question des systèmes d'information, du numérique et l'adaptation des compétences et des formations aux innovations.

Annexes

Annexe 1 : liste des documents du volume II

Document 1 : Monographie sur la prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale

Document 2 : Monographie sur la prise en charge en cancérologie

Document 3 : Présentation des rapports de prospective sur l'innovation en santé
(*Contribution de Roland Cash*)

Annexe 2 : liste des documents mis sur le site du HCAAM¹⁴⁴

Document 1 : Rétrospective des dépenses, des progrès en matière de santé et du progrès médical
(*séance du 24 septembre 2015*)

Document 2 : Les systèmes de veille en France et à l'étranger

- Mettre en place un système de veille ambitieux (*séance du 28 janvier 2016*)
- Les dispositifs de veille existants dans le monde (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 3: L'évaluation médico-économique

- Mieux définir la place de l'évaluation médico-économique (*séance du 28 janvier 2016*)
- Quelques éléments sur le Royaume-Uni (*séance du 22 janvier 2015*)

Document 4: Les politiques de soutien et d'aide à l'innovation dans le secteur de la santé (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 5 : La place du citoyen et du patient dans le processus d'innovation en santé (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 6 : Ressources humaines et organisation du travail en santé : constats et conditions pour l'émergence et la généralisation des innovations organisationnelles (*contribution de Yann Bourgueil, Directeur de recherche à l'IRDES, séance du 23 avril 2015*)

Document 6 : Un cadre favorable à la transformation des organisations (*séance du 22 octobre 2015*)

Document 7 : L'organisation de parcours de soins : l'apport des expériences étrangères pour passer du concept aux actions (*contribution de David Bernstein, séance du 22 octobre 2015*)

Document 8 : Personnes âgées, état de santé et dépendance : quelques données statistiques (*séance du 23 avril 2015*)

- Personnes âgées et perte d'autonomie
- Santé des personnes âgées : données statistiques

¹⁴⁴ <http://www.securite-sociale.fr/Rapports-et-avis>

Document 9 : L'hôpital demain (*séance du 28 mai 2015*)

- Perspective organisationnelle et technologique de l'hôpital (*contribution de l'EHESP*)
- Les plateaux techniques (*contribution de l'ANAP*)
- Penser l'hôpital de demain (*contribution de Gérard de Pouvourville, Professeur de la chaire ESSEC santé*)

Document 10 : Le numérique

- Utiliser le levier du numérique (*séance du 24 septembre 2015*)
- Le Danemark, un exemple de stratégie de déploiement des outils de télésanté et de prise en charge globale des personnes âgées (*séance du 23 avril 2015*)

Document 11 : L'administration des dispositifs médicaux (*séance du 28 janvier 2016*)

Document 12 : Les équipements lourds d'imagerie (*séance du 28 janvier 2016*)

Document 13 : Structure de l'ONDAM et modalités de régulation (*séance du 25 février 2016*)

Document 14 : Expérimenter des modalités innovantes de financement (*séance du 25 février 2016*)



Créé par décret du 7 octobre 2003, pérennisé par la loi du 19 décembre 2005 de financement de la sécurité sociale pour 2006, le Haut Conseil pour l'avenir de l'assurance maladie (HCAAM) rassemble les acteurs du système d'assurance maladie et des personnalités qualifiées, et contribue à une meilleure connaissance des enjeux, du fonctionnement et des évolutions envisageables des politiques d'assurance maladie. Les travaux du HCAAM (rapports et avis), élaborés sur la base d'un programme de travail annuel et de saisines ministérielles, sont publics et peuvent être consultés sur le site Internet de la sécurité sociale.

**Dernières publications
et actualités du HCAAM**
[www.securite-sociale.fr/
L-actualite-du-HCAAM](http://www.securite-sociale.fr/L-actualite-du-HCAAM)

Contact
hcaam@sante.gouv.fr - 01.40.56.56.00

Adresse postale HCAAM
14 avenue Duquesne - 75350 PARIS 07 SP

Locaux HCAAM
18 place des Cinq Martyrs du Lycée Buffon
75696 Paris cedex 14

Le HCAAM
est membre du réseau





Haut Conseil pour l'avenir
de l'assurance maladie

INNOVATION ET SYSTÈME DE SANTÉ

RAPPORT 2016

TOME 2

Sommaire

LA PRISE EN CHARGE DES PATIENTS ATTEINTS D'INSUFFISANCE RENALE CHRONIQUE TERMINALE

1.	ETAT DES LIEUX	7
A.	EPIDEMIOLOGIE, MODES DE TRAITEMENT.....	7
B.	DISPARITES REGIONALES D'ACCES A LA GREFFE	13
C.	L'ACTIVITE DE TRANSPLANTATION RENALE	15
D.	PLANIFICATION DE L'OFFRE DE DIALYSE	16
E.	LA DEMOGRAPHIE DES NEPHROLOGUES	17
F.	IMPACT SUR LES DEPENSES D'ASSURANCE-MALADIE	18
2.	LES PROBLEMATIQUES D'ORGANISATION DES SOINS ET D'EFFICIENCE	20
A.	L'ACCENT N'EST PAS ASSEZ MIS SUR LA PREVENTION DE L'IRC TERMINALE ET LE DEPISTAGE PRECOCE.	20
B.	LA PRISE EN CHARGE LA PLUS EFFICIENTE EST LA GREFFE, MAIS LE NOMBRE DE PATIENTS EN ATTENTE DE GREFFE EST EN CROISSANCE CONTINUE.	21
C.	LES PRISES EN CHARGE AUTONOMES NON SEULEMENT NE SE DEVELOPPENT PAS MAIS SONT MEME ORIENTEES A LA BAISSSE DANS CERTAINES REGIONS	22
3.	QUELLES SONT LES INNOVATIONS SUSCEPTIBLES DE FAIRE EVOLUER LA SITUATION ?.....	24
A.	INNOVATIONS TECHNOLOGIQUES	24
B.	INNOVATIONS ORGANISATIONNELLES	28
C.	INNOVATIONS TARIFAIRES	31
4.	PERSPECTIVES ET RECOMMANDATIONS	35
A.	DEVELOPPER LA TRANSPLANTATION RENALE	35
B.	RENFORCER LA PLACE DES PATIENTS.....	36
C.	METTRE EN ŒUVRE UN VERITABLE PROGRAMME DE PREVENTION ET DE DEPISTAGE PRECOCE.....	37
D.	AUGMENTER LES PRISES EN CHARGE A DOMICILE	37
	BIBLIOGRAPHIE.....	37

LA PRISE EN CHARGE EN CANCEROLOGIE

SYNTHESE

QUELLES SONT CES INNOVATIONS ?.....	39
QUELLES SONT LES PERSPECTIVES POUR LE SYSTEME DE SOINS A MOYEN TERME ?	40
INNOVATIONS MEDICALES : QUELLES EVOLUTIONS ORGANISATIONNELLES APPELLENT-ELLES ?	41

INTRODUCTION

1.	ETAT DES LIEUX ET PERSPECTIVES	43
A.	LES CHIFFRES DU CANCER.....	43
B.	LA LUTTE CONTRE LE CANCER : UNE VOLONTE POLITIQUE AFFIRMEE	47
C.	LE CANCER EN FRANCE : PERSPECTIVES	48

2.	CONTINUUM SOINS-RECHERCHE : UNE NOUVELLE PROBLEMATIQUE	50
A.	LES MEDICAMENTS INNOVANTS, SOURCES D'INCERTITUDE, FAVORISENT L'ÉMERGENCE D'UN MODELE D'EXPERIMENTATION PERMANENT	50
B.	DES PRATIQUES PROFESSIONNELLES INSUFFISAMMENT DOCUMENTÉES : FAIRE ÉVOLUER LES DISPOSITIFS DE VEILLE ET D'ACCÈS PRÉCOCE AUX INNOVATIONS TECHNIQUES	55
3.	ACCES AUX SOINS INNOVANTS.....	57
A.	LES ENJEUX D'INFORMATION ET DE COMMUNICATION	58
B.	ACCES AUX ESSAIS CLINIQUES.....	60
C.	ENJEUX AUTOUR DES LABORATOIRES D'ANATOMOCYTOPATHOLOGIE	61
4.	LES DEFIS ORGANISATIONNELS	62
A.	GRADUER LES NIVEAUX DE PRISE EN CHARGE.....	63
B.	ARTICULER LES DIFFÉRENTS NIVEAUX, LES ENJEUX DE LA COORDINATION ET DU PARCOURS	66
5.	LA CHIMIOTHÉRAPIE DES CANCERS.....	69
A.	ANTINEOPLASMIQUES : UNE OFFRE IMPORTANTE ET INNOVANTE ET DES DÉPENSES CROISSANTES	71
B.	QUELLES ÉVOLUTIONS POSSIBLES ?	72
	PRESENTATION DES RAPPORTS DE PROSPECTIVE SUR L'INNOVATION EN SANTÉ	77
	NOTE DE SYNTHÈSE SUR LES RAPPORTS DE PROSPECTIVE PUBLIÉS EN FRANCE CES 20 DERNIÈRES ANNÉES	77
A.	SELECTION DES RAPPORTS ANALYSÉS	77
B.	DESCRIPTION DES RAPPORTS	77
C.	LES THÉMATIQUES ÉVOQUÉES COUVRENT UN CHAMP TRÈS VASTE	80
D.	CES RAPPORTS DE PROSPECTIVE IDENTIFIENT UN IMPACT FORT DU PROGRÈS TECHNIQUE SUR L'ORGANISATION DES SOINS ..	81
E.	DANS CES DIFFÉRENTS RAPPORTS, DES DIFFICULTÉS LIÉES À L'ÉMERGENCE DE CES INNOVATIONS SONT AUSSI SOULIGNÉES ..	82
F.	LA QUESTION DE L'INTERVENTION PUBLIQUE ET DE LA RÉGULATION DE LA DIFFUSION DES INNOVATIONS EST AUSSI POSÉE ..	83
G.	RÉFLEXIONS CONCLUSIVES.....	83
	ANNEXES.....	85
	ANNEXE 1 : RAPPORT SANTÉ 2010, VOLET « INNOVATIONS TECHNOLOGIQUES ET DEMANDES DE SANTÉ »	85
	ANNEXE 2 : RAPPORT PRÉPARATOIRE AU SCHEMA DE SERVICES COLLECTIFS SANITAIRES « QUEL SYSTEME DE SANTÉ À L'HORIZON 2020 ? »	88
	ANNEXE 3 : RAPPORT 2008 DE L'OFFICE DE PROSPECTIVE EN SANTÉ DE SCIENCES PO.....	91
	ANNEXE 4 : RAPPORT « ÉTUDE PROSPECTIVE SUR LES TECHNOLOGIES POUR LA SANTÉ ET L'AUTONOMIE », ALCIMED, EFFECTUÉE POUR L'ANR ET LA CNSA	95
	ANNEXE 5 : RAPPORT DU LEEM « SANTÉ 2025 : UN MONDE D'INNOVATIONS »	98
	ANNEXE 6 : RAPPORT « IMAGERIE MÉDICALE DU FUTUR », PIPAME	101
	ANNEXE 7 : RAPPORT « DISPOSITIFS MÉDICAUX : DIAGNOSTIC ET POTENTIALITÉS DE DÉVELOPPEMENT DE LA FILIÈRE FRANÇAISE DANS LA CONCURRENCE INTERNATIONALE », PIPAME	104
	ANNEXE 8 : RAPPORT « PROSPECTIVE ORGANISATIONNELLE POUR UN USAGE PERFORMANT DES TECHNOLOGIES NOUVELLES EN SANTÉ ».....	107
	ANNEXE 9 : RAPPORT PROSPECTIF SUR LE DEVENIR DE L'ÉCOSYSTÈME DE SANTÉ ET LES TIC	110
	ANNEXE 10 : LIVRE BLANC « TÉLÉMEDECINE 2020 »	113

ANNEXE 11 : RAPPORT UNICANCER : « QUELLE PRISE EN CHARGE DES CANCERS EN 2020 ? »	118
ANNEXE 12 : TECHNOLOGIES CLES 2015, DIRECTION GENERALE DES ENTREPRISES	120
ANNEXE 13 : AVIESAN, INSTITUT THEMATIQUE MULTI-ORGANISMES : TECHNOLOGIES POUR LA SANTE, ORIENTATIONS STRATEGIQUES	123
ANNEXE 14 : ARTICLES DE SYNTHESE PARUS DANS « SCIENCE ET SANTE », INSERM, ENTRE 2011 ET 2014	126
ANNEXE 15: THE CREATIVE DESTRUCTION OF MEDICINE, DR. ERIC TOPOL, 2012	129

La prise en charge des patients atteints d'insuffisance rénale chronique terminale

Touchant près de 80 000 personnes, l'insuffisance rénale chronique terminale traitée constitue l'une des affections chroniques présentant les problématiques organisationnelles les plus complexes, sachant que du fait des données épidémiologiques d'une part (notamment la forte augmentation du nombre de patients diabétiques), des succès des traitements sur l'espérance de vie des patients d'autre part, la prévalence est en hausse constante. En corollaire, le poids de ces prises en charge dans les dépenses de santé croît rapidement.

Cependant, la situation est susceptible d'évoluer dans les prochaines années du fait d'innovations technologiques et organisationnelles. C'est ce que nous allons présenter dans ce document, afin d'identifier les axes pertinents à privilégier pour l'action publique, en s'appuyant sur les travaux récents menés par la HAS, l'Agence de biomédecine, la CNAMTS, la Cour des comptes et lors des Etats Généraux du Rein qui se sont tenus courant 2012-2013¹.

Après un état des lieux, nous verrons quelles sont les principales problématiques posées en termes d'organisation des soins et d'efficience, avant d'étudier comment certaines innovations technologiques ou organisationnelles seraient de nature à résoudre les problèmes identifiés.

1. Etat des lieux

A. Epidémiologie, modes de traitement

L'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT) affecte une part croissante de la population française : en 2014, la prévalence était de 1 194 par million d'habitants, soit 79 355 patients avec un traitement de suppléance (+5% par rapport à 2013 après une augmentation de 4% entre 2013 et 2012).

Elle est l'aboutissement d'une maladie rénale évolutive² affectant les capacités de filtration des reins, l'insuffisance rénale chronique concernant au total une population de l'ordre de 3 millions de personnes, dont heureusement toutes n'évoluent pas vers le stade terminal (stade 5)³.

L'IRCT nécessite la mise en œuvre de techniques de suppléance de la fonction rénale par transplantation ou dialyse. Hormis quelques greffes préemptives (3% des patients incidents), dans la majorité des cas, le traitement de première intention est l'épuration extra-rénale par dialyse. Il existe deux méthodes d'épuration extra-rénale qui se distinguent par la technique : la dialyse péritonéale

¹ Engagés à l'initiative de l'association Renaloo : <http://www.etatsgenerauxdurein.fr/>

² Les néphropathies hypertensives et vasculaires (26%) et la néphropathie diabétique (22%) représentent 48% des cas incidents en 2013, les glomérulonéphrites primitives 11%. La cause est inconnue dans 15% des cas à l'initiation du traitement.

³ La capacité d'épuration du sang par les reins est estimée par le débit de filtration glomérulaire (DFG). Elle est normale entre 90 et 150 ml/min. En dessous de ces valeurs, un suivi néphrologique est nécessaire. Une bonne hygiène de vie et un traitement conservateur permettent de ralentir son aggravation.

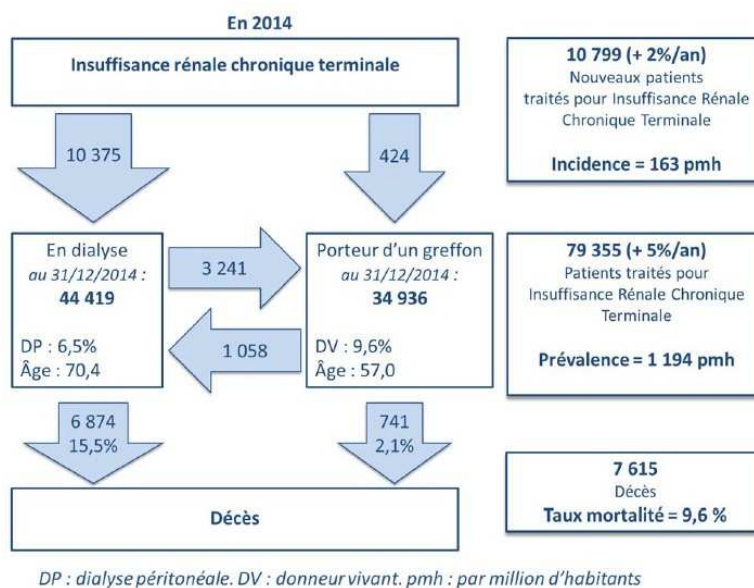
- Stade 2 : 90-60 ml/min
- Stade 3 : 60-30 ml/min
- Stade 4 : 30-15 ml/min
- Stade 5 : <15 ml/min

utilisant le péritoine comme membrane d'échange et l'hémodialyse utilisant une membrane artificielle et une circulation extracorporelle.

Les modalités de traitement se distinguent également par l'organisation de la prise en charge :

- modalités de prise en charge « autonomes » : hémodialyse à domicile, dialyse péritonéale à domicile sans l'assistance d'une infirmière et unité d'autodialyse ;
- modalités de prise en charge « assistées » : hémodialyse en centre, hémodialyse en unité de dialyse médicalisée (UDM) et dialyse péritonéale à domicile avec assistance d'une infirmière.

Le schéma suivant, issu du rapport d'activité REIN 2014 (Agence de biomédecine)⁴, indique quels sont les flux de patients et la répartition entre patients dialysés et patients greffés :



Les taux de croissance indiqués représentent l'évolution 2014/2013

Les techniques de dialyse

Les techniques et lieux de traitement par dialyse ont été définis par décret. La notion de "modalité de traitement" associe le lieu et le type de traitement. Les modalités de traitement suivantes sont considérées :

- 1. Hémodialyse en centre** : modalité d'épuration extra rénale avec présence médicale permanente. Elle regroupe les types de traitement suivants : hémodialyse conventionnelle, hémofiltration, hémofiltration et biofiltration.
- 2. Hémodialyse en unité de dialyse médicalisée (UDM)** : modalité hors centre, sans nécessité de présence médicale permanente. Elle regroupe les mêmes types de traitement.
- 3. Hémodialyse autonome** : modalité hors centre regroupant des patients autonomes en autodialyse simple, autodialyse assistée ou en hémodialyse à domicile.

L'autodialyse simple concerne les patients en mesure d'assurer eux-mêmes tous les gestes nécessaires à leur traitement (la pesée, la surveillance tensionnelle, la préparation du générateur de dialyse, le branchement et le débranchement du circuit de circulation extracorporelle et la mise en route de la désinfection automatisée du générateur en fin de séance). L'autodialyse assistée est proposée à des patients formés à l'hémodialyse, mais qui requièrent l'assistance d'un infirmier ou d'une infirmière pour certains gestes. Les unités d'autodialyse mettent à disposition moins de personnel que les autres structures de prise en charge, soit un infirmier pour huit patients (contre un pour quatre patients dans les centres et les unités de dialyse médicalisées) et aucun aide-soignant (contre un pour huit patients dans les centres).

- 4. Dialyse péritonéale** : modalité de traitement à domicile avec ou sans assistance par une infirmière diplômée d'Etat ou un membre de l'entourage. Elle regroupe les différents types de dialyse péritonéale : DP continue ambulatoire, DP automatisée et DP intermittente.

⁴ Publié en mars 2016.

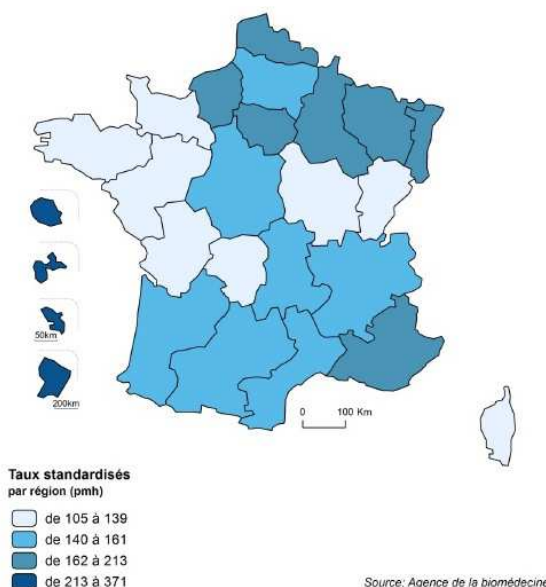
Au cours de sa vie, le patient atteint d'IRCT peut changer de technique, changer de lieu de traitement, être greffé, retourner en dialyse après un rejet de greffe, etc. si bien que, lorsqu'on observe la situation en dynamique, on s'aperçoit que l'on a souvent affaire à des parcours complexes, parfois même au cours d'une même année. Les données statiques fournies à une date donnée gommant en partie cette réalité, que les travaux menés par la HAS et l'Agence de Biomédecine ont davantage mis en évidence.

Il n'existe pas à proprement parler d'indications précises consensuelles par modalité de traitement. Les avis des professionnels sont partagés, et les pratiques varient notablement entre régions. Par exemple, certaines régions utilisent plus souvent la dialyse péritonéale pour les patients de plus de 75 ans ; à l'inverse, d'autres régions, comme la Basse-Normandie, utilisent plus souvent la dialyse péritonéale chez les patients de moins de 60 ans (source : rapport 2013 du registre Rein). Et en conséquence, globalement, les patients traités par dialyse péritonéale regroupent la même variabilité de profils de patients que pour les différentes modalités d'hémodialyse (centre, UDM, autodialyse et domicile).

Incidence

En 2014, 10 375 personnes ont commencé une dialyse (dont 9 250 en hémodialyse et 1 125 en dialyse péritonéale), et 424 personnes ont reçu pour la première fois une greffe rénale sans avoir été dialysées auparavant (greffe préemptive).

Taux d'incidence standardisée de l'insuffisance rénale terminale traitée par région (par million d'habitants) en 2014



La moyenne nationale (163 par million d'habitants en 2014) masque de larges variations entre régions, allant de 105 en Poitou-Charentes à 371 à la Réunion (en taux standardisés).

L'analyse des tendances a pu être effectuée sur 5 ans pour les 23 régions pour lesquelles les données sont jugées exhaustives sur cette période. L'incidence standardisée globale de l'IRCT traitée qui était stable entre 2009 et 2011, oscillant entre 154 et 161 par million d'habitants, tend à augmenter depuis 2011⁵, de 2,3% par an en moyenne. Cette tendance globale semble exister dans toutes les tranches d'âge à partir de 45 ans. Cette tendance à la hausse de l'incidence est plus importante chez les hommes que chez les femmes, et concerne principalement l'hémodialyse. A noter qu'elle est limitée à l'insuffisance rénale terminale (IRT) associée au diabète.

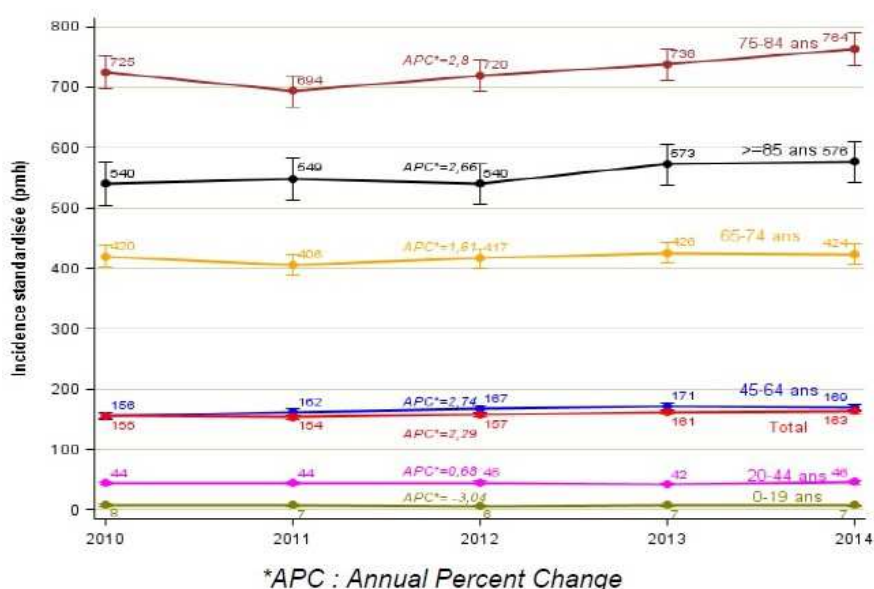
Le nombre de nouveaux patients ne cesse de croître, de plus de 12% entre 2010 et 2014. Environ la moitié de cette augmentation est directement attribuable à l'évolution de la taille et de la structure d'âge de la population ; toutefois, la part d'augmentation non expliquée par ces deux facteurs est de

⁵ « A noter que le registre REIN n'enregistre que les patients avec une insuffisance rénale chronique terminale ayant démarré un traitement de suppléance. Les variations d'incidence secondaires à des changements d'indication de ces traitements autres que l'âge peuvent difficilement être analysées ».

17% pour l'IRT associée au diabète. « Limitée à l'IRT liée au diabète de type 2, elle [cette augmentation] reflète une insuffisance de détection et de prise en charge des complications rénales du diabète, comme cela a été souligné dans l'étude ENTRED ».

Evolution de l'incidence standardisée de l'insuffisance rénale terminale traitée par tranche d'âge dans les 23 régions ayant contribué au registre de 2010 à 2014

(taux standardisés sur la population française au 30/06/2014, par million d'habitants)



Source : Agence de biomédecine / registre REIN

Caractéristiques de la prise en charge des nouveaux patients dialysés

- La première modalité de traitement reste l'hémodialyse en centre (82%) et on n'observe pas de développement significatif de la dialyse hors centre (2,9% UDM, 4,3% en hémodialyse autonome, 10,8% en dialyse péritonéale).

Il existe par ailleurs de fortes variations régionales. Pour la dialyse péritonéale ainsi, on observe des taux élevés en Franche-Comté (26%), Bourgogne (20,7%), Basse-Normandie (19,3%), Alsace (18,9%). Dans 8 régions, 15% ou plus des patients débutent par la dialyse péritonéale, mais on observe moins de 5% en Guyane, Corse, Guadeloupe, Picardie, La Réunion.

- Ceci étant, la première modalité de prise en charge est souvent suivie d'une réorientation précoce vers une autre modalité, comme l'indiquent les chiffres 90 jours après le démarrage du traitement :
 - UDM : 10,1% versus 2,9% à J0
 - Hémodialyse autonome : 9,1% vs 4,3% à J0
 - dialyse péritonéale : 12,1% vs 10,8% à J0

Toutefois, à 90 jours, les patients restent majoritairement pris en charge en dialyse en centre (68,6% contre 82% à J0).

A noter là encore de fortes disparités régionales : le taux de patients pris en charge en centre à J90 est de 53% en Bourgogne (avec 23,9% en dialyse péritonéale, 18,7% en UDM, 4,3% en HD autonome) ; 55,2% en Bretagne (avec 12,8% en dialyse péritonéale, 14,8% en UDM, 17,1% en HD autonome) ; 55,8% en Franche-Comté (avec 26,8% en dialyse péritonéale, 13% en UDM, 4,3% en HD autonome) ; 57,9% en Rhône-Alpes (avec 17,6% en dialyse péritonéale, 11,5% en UDM, 13% en HD autonome)...

Il est constaté que les différences observées entre régions dans la répartition des patients entre modalités persistent après prise en compte de l'âge et du sexe.

La répartition des patients au démarrage de la dialyse montre une stagnation du pourcentage de patients en hémodialyse en centre, en UDM et en dialyse péritonéale parallèlement à une baisse des patients en hémodialyse autonome (autodialyse, domicile ou entraînement) sur les 5 dernières années.

- L'initiation du traitement en hémodialyse se fait en urgence dans 35% des cas (moins de 20% des patients de Bourgogne, Champagne-Ardenne, Corse et Lorraine contre 69% en Guyane), et 12% ont débuté leur traitement en réanimation (moins de 3% dans les régions Centre et Limousin, 17% à la Réunion), les taux nationaux étant orientés à la hausse.
- En hémodialyse, 20% des patients n'ont pas eu de consultation néphrologique préalable contre 6% des patients en dialyse péritonéale.

« En hémodialyse, 42% des patients ayant démarré en urgence n'ont pas eu de consultation préalable, mais 36% ont eu 3 consultations ou plus. Parmi 3 475 patients ayant eu plus de 2 consultations préalables, 17% ont démarré l'hémodialyse en urgence alors que, parmi 1 959 n'ayant eu aucune ou ayant eu moins de 2 consultations préalables, 55% ont démarré l'hémodialyse en urgence. Ainsi, ce que l'on pourrait appeler un « bon suivi néphrologique » permet de limiter la prise en charge en urgence mais sans l'exclure, notamment du fait de décompensations aiguës (11% des patients sont pris en charge en urgence malgré plus de 6 consultations néphrologiques dans l'année qui précède la dialyse). »

- L'âge à l'initiation de la suppléance est élevé, avec un âge médian égal à 71 ans. Il est nettement plus jeune dans les départements d'Outre-mer (63 à 68 ans) et en Île-de-France (67 ans).
- 43% des nouveaux malades ont un diabète à l'initiation du traitement de suppléance (tendance à la hausse), avec de fortes variations entre régions.

Il existe au moins une complication cardiovasculaire chez plus d'un malade sur deux.

22% des hommes et 29% des femmes sont obèses ($IMC \geq 30$) avec une forte tendance haussière.

17% des patients ont une incapacité totale à la marche ou ont besoin de l'assistance d'une tierce personne pour se déplacer.

Prévalence

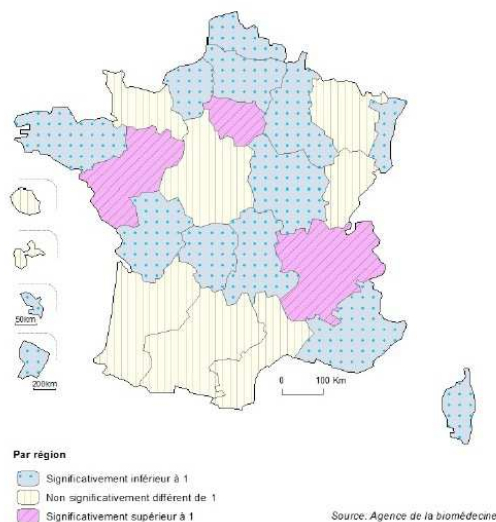
Au 31 décembre 2014, on dénombre pour l'ensemble des régions 79 355 personnes en traitement de suppléance dont 44 419 (56%) en dialyse et 34 936 (44%) porteuses d'un greffon rénal fonctionnel, soit une prévalence brute globale de l'insuffisance rénale terminale traitée (IRTT) de 1 194 patients par million d'habitants (+5% par rapport à l'année précédente).

Elle connaît des variations régionales importantes : 2 régions métropolitaines (Île-de-France, Nord Pas de Calais) et 4 régions d'outre-mer (Guadeloupe, Guyane, Martinique et la Réunion) ont une prévalence globale significativement plus élevée que le taux national, après standardisation par l'âge et le sexe.

La part des patients transplantés dans le total des patients prévalents varie de 32% dans le Nord-Pas de Calais à 53% en Pays de la Loire en métropole et de 16% à 26% dans les régions d'outre-mer. Le rapport des prévalences standardisées sur âge et sexe des patients greffés/dialysés est supérieur à 1 en Basse Normandie, Bretagne, Franche Comté, Pays de la Loire et Poitou-Charentes. En Alsace, Corse, Haute Normandie, Nord Pas de Calais, Picardie et PACA, ce rapport est inférieur à 0,7 et il est inférieur à 0,3 dans les régions d'outre-mer, reflet des grandes difficultés d'accès à la greffe dans ces territoires.

Les régions ayant la prévalence de la greffe la plus élevée sont l'Île-de-France (taux standardisé de 671 contre 525 pour la moyenne nationale), Rhône-Alpes (568), Pays de la Loire (554), reflétant l'importance des grands centres historiques de la greffe, Paris, Lyon et Nantes. La carte suivante illustre ces disparités.

Indice comparatif de prévalence de l'insuffisance rénale terminale traitée par greffe en 2014



Sur les 23 régions contribuant au registre depuis 2010, l'écart entre les taux standardisés de prévalence de l'IRT par dialyse et par greffe diminue, la prévalence de la greffe augmentant de +4% par an entre 2010 et 2014 contre +3% pour la dialyse, du fait de l'augmentation du nombre annuel de greffes et de la meilleure survie des greffés ; par contre, le nombre de patients augmente de façon parallèle dans les deux groupes, du fait du vieillissement de la population.

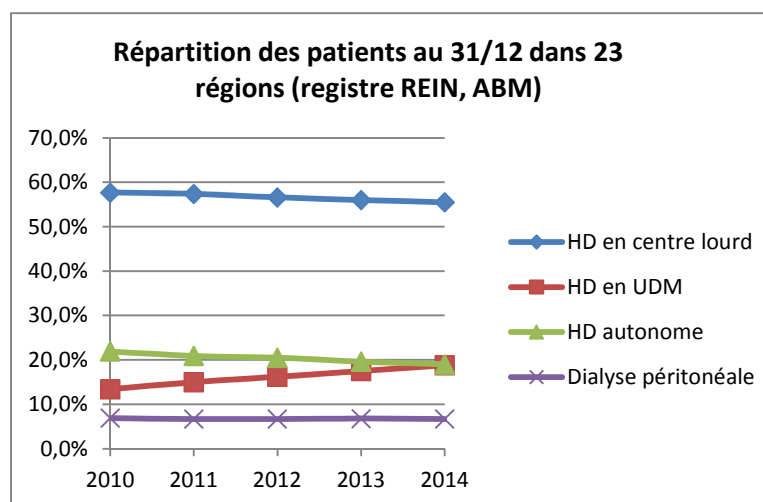
Pour les patients dialysés, l'âge médian est de 70,7 ans (contre 57 ans pour les patients greffés) ; 63% des patients ont plus de 65 ans et 40% ont plus de 70 ans. 39% des patients sont atteints de diabète, 59% sont porteurs d'au moins une pathologie cardiovasculaire associée.

En termes d'évolution, dans les 23 régions pour lesquelles on possède des données exhaustives depuis 5 ans, le nombre total de patients dialysés a augmenté de 15% entre 2010 et 2014, pendant que la prévalence standardisée a augmenté de 9%. On constate une forte tendance à la hausse de la prévalence chez les personnes de plus de 85 ans : +9,6%.

Globalement, la répartition au 31/12/2014 des différentes modalités de traitement est la suivante, France entière :

- Centre : 55,2%
- UDM : 18,9%
- Autodialyse : 18%
- Hémodialyse à domicile : 0,7% (avec deux cas particuliers : 3% en Basse-Normandie, 2,2% en Languedoc-Roussillon)
- Entraînement hémodialyse : 0,7%
- Dialyse péritonéale : 6,5%.

En évolution on constate que le recours à la dialyse péritonéale reste stable. Par contre, la part de l'hémodialyse autonome (autodialyse essentiellement) est en baisse au profit des prises en charge en UDM.



Source : Agence de biomédecine

La part de la dialyse péritonéale présente des variations régionales importantes : entre 2,7% en Aquitaine et 17,6% en Franche-Comté pour la France métropolitaine.

D'une manière générale, la part de la dialyse hors centre varie de 34% à 56% selon la région, et au sein de cet ensemble, la répartition diffère entre UDM, autodialyse et dialyse péritonéale. Certaines régions où se pratique peu la dialyse péritonéale, comme l'Aquitaine, Midi-Pyrénées, Centre ou les régions d'outremer, ont une proportion élevée de patients en autodialyse. Ceci suggère que ces modalités de traitements sont compétitives et s'adressent au même « pool » de patients.

En ce qui concerne la dialyse péritonéale, son utilisation selon l'âge varie d'une région à l'autre. *« Certaines régions utilisent la dialyse péritonéale à tout âge. D'autres semblent privilégier la dialyse péritonéale chez les personnes âgées (Alsace, Auvergne, Basse-Normandie, Bourgogne, Franche-Comté). Enfin, d'autres semblent également utiliser la dialyse péritonéale chez les jeunes, en pont vers la greffe (Champagne-Ardenne, Franche-Comté, Lorraine). Attention, dans ces régions, le turn-over des malades traités en dialyse péritonéale peut être rapide du fait de l'accès rapide à la greffe rénale : ainsi, des chiffres bas en cas « prévalents » peuvent être liés soit à un accès rapide à la greffe, soit à une propension à peu utiliser la dialyse péritonéale ».*

Cette photographie ne doit pas masquer le fait que les prises en charge évoluent dans le temps et qu'il existe des flux de patients entre chaque modalité. Ainsi, on observe que *« un an après le démarrage en dialyse péritonéale, 67% des patients sont toujours dans cette technique, 8% sont en hémodialyse, 7% sont greffés et 16% sont décédés ».*

« Une approche en termes de trajectoires des patients semblerait donc plus pertinente pour décrire ces traitements et pour évaluer les impacts d'éventuelles évolutions de l'offre de soins ou des pratiques médicales concernant l'orientation des patients vers telle ou telle modalité ».

Le registre REIN permet aussi de suivre les hospitalisations pour un peu plus de 24 000 patients sur une durée médiane d'un an : 27% des malades n'ont pas été hospitalisés ; la durée médiane de l'ensemble des hospitalisations sur une année pour un patient est de 9 jours (moyenne : 19 jours).

B. Disparités régionales d'accès à la greffe

Accès à la liste d'attente

Le rapport REIN souligne les disparités entre régions en matière d'accès aux listes d'attente de greffe et d'accès à la greffe rénale, via une analyse de cohorte des nouveaux patients ayant démarré la dialyse dans la période 2009-2014 (57 565 patients ayant débuté un traitement de suppléance dans une des 26 régions, hors greffe préemptive).

Pour l'ensemble de la cohorte, « la probabilité d'être inscrit pour la première fois sur la liste d'attente est de 19% à 12 mois, 27% à 36 mois et 29% à 60 mois. Chez les 15 362 nouveaux patients âgés de moins de 60 ans, ces probabilités sont de 50% à 12 mois, 68% à 36 mois et 71% à 60 mois.... La probabilité d'être inscrit était fortement liée à l'âge, mais également à la présence d'un diabète et au type de diabète. Les personnes âgées de plus de 60 ans, quel que soit leur statut diabétique ont un accès très limité à la liste d'attente. En présence d'un diabète de type 2, chez les patients âgés de 40 à 59 ans, cette probabilité d'être inscrit pour la première fois sur la liste d'attente d'une greffe rénale était de 47% même à 60 mois ».

Le délai médian est de 5,4 mois.

Et ces différents paramètres varient fortement d'une région à l'autre. Ces disparités subsistent même en ne prenant en compte que les patients de moins de 60 ans : à 12 mois, le taux d'incidence cumulée d'accès à la liste d'attente de greffe pour ces patients varie entre 33%-35% (Nord-Pas-de-Calais, Alsace, Corse) et 61%-65% (Midi-Pyrénées, Île-de-France, Franche-Comté) en métropole, pour une moyenne nationale de 50%.

Accès à la greffe

Au 31/12/2014, parmi les 59 645 nouveaux patients en IRCT de la cohorte, 9 170 patients (15,4%) ont reçu une première greffe de rein dans un délai médian de 13,2 mois ; hors greffes préemptives (à savoir 2 080 patients), le délai médian est de 18,2 mois depuis le démarrage de la dialyse.

La probabilité de bénéficier d'une première greffe rénale pour l'ensemble de la cohorte était de 8% à 12 mois, 18% à 36 mois et 23% à 60 mois. Chez les 16 842 nouveaux patients âgés de moins de 60 ans, ces probabilités étaient de 19% à 12 mois, 43% à 36 mois et 56% à 60 mois.

Et on observe là encore de fortes variations entre régions : hors DOM, le taux d'accès à la greffe (taux d'incidence cumulée) à 3 ans chez les moins de 60 ans est de 33% en Alsace, en Nord-Pas de Calais, ou en Centre-Nord, pour les taux les plus bas, et 61,3% en Bretagne, 58% en Pays de la Loire et en Poitou-Charentes, pour les taux les plus élevés.

Hors greffes préemptives, la probabilité d'être greffé est de 10% à 12 mois, 15% à 36 mois et 20% à 60 mois.

« Pour les 9 170 nouveaux patients transplantés au moins une fois au cours de la période 2009-2014 (greffes préemptives inclus), le délai médian d'attente d'une greffe rénale, constitué par le délai médian avant l'inscription plus le délai d'attente sur la liste, a varié d'une région à l'autre. Ces délais médians sont de 1,4 et 10,6 mois respectivement pour l'ensemble des régions, et 17,1 mois pour le temps médian d'accès à la greffe ».

« La Franche-Comté, l'Île de France, les Pays de Loire et Rhône-Alpes avec une médiane à 0 pour le délai avant inscription ont respectivement des taux d'inscription préemptive de 22,5%, 23%, 38,9% et 28% ».

« Ces indicateurs d'accès à la liste d'attente et à la greffe rénale montrent une grande diversité des pratiques d'une région à l'autre, fruit des habitudes et de l'historique de l'offre de soins... La greffe rénale est associée à de meilleurs résultats en termes de durée de vie et de qualité de vie pour un moindre coût pour ceux qui peuvent en bénéficier. L'accès à la liste d'attente et l'accès à la greffe rénale sont deux étapes sensibles dans le parcours de soins des malades. Les disparités d'accès à la liste d'attente soulèvent des questions importantes, et en particulier celle de l'absence d'homogénéité des critères d'inscription des patients sur l'ensemble du territoire français... Le rôle important de l'âge et des co-morbidités sur l'accès à la liste d'attente laisse penser que l'on oriente vers la greffe les malades susceptibles d'avoir les plus longues durées de vie après greffe. Ceci se comprend dans un contexte de pénurie d'organe. Mais une sélection trop "utilitariste" des malades pour la greffe rénale peut laisser de côté des malades qui auraient avec la greffe un gain de survie conséquent par rapport à la dialyse. Elle soulève aussi la question de l'équité d'accès aux soins » (rapport REIN 2014).

Et d'ailleurs, dans le cadre des Etats généraux du rein, les patients ont exprimé la volonté d'un accès plus large à la liste d'attente. C'est pourquoi la HAS a publié, sur ce thème, une recommandation de bonne pratique en octobre 2015, pour réduire les inégalités d'accès à la transplantation rénale en France, observant que : *« Certains patients ont un accès limité à la liste - qu'il s'agisse des personnes de plus de 70 ans ou celles présentant des comorbidités particulières telles que le diabète ou l'obésité – particularités qui ne peuvent à elles seules justifier un refus d'inscription sur la liste. Les femmes sont aussi sous-représentées sur la liste d'attente : une femme a en effet 30% de chance en moins d'être inscrite qu'un homme, à âge, maladies associées et statut professionnel égaux. Au moins 1 800 patients non-inscrits aujourd'hui pourraient être en perte de chance ».*

La HAS rappelle dans son document les indications de la greffe et souligne que l'âge, le diabète ou l'obésité ne sont pas des contre-indications à la greffe. Parmi les recommandations est soulignée la nécessité d'informer les patients, de façon précoce et tout au long de la procédure. Il faut *« s'assurer que le patient est un acteur dans le choix de son inscription sur la liste car près d'un sur deux exprime explicitement ne pas avoir eu le choix ou ne pas avoir eu connaissance des différentes alternatives ».*

Ces phénomènes sont, en outre, sources de disparités sociales dans l'accès à la greffe comme le présente une récente publication⁶. Quels que soient la tranche d'âge et le sexe, les personnes dialysées sont moins diplômées que les personnes greffées. *« À chaque étape de la maladie, une dynamique cumulative conduit les patients les moins diplômés à être en situation de désavantage pour bénéficier d'une greffe de rein ».*

C. L'activité de transplantation rénale

3 241 transplantations rénales ont été réalisées en France en 2014, nombre en forte augmentation par rapport à l'année précédente (+5,1%) ; sur ce total, 82% (2 664) ont été effectuées à partir de donneurs en mort encéphalique, 2% (54) avec donneur décédé après arrêt cardiaque non contrôlé et 16% (514) avec un donneur vivant.

En 2015, on atteint 3 486 transplantations rénales (+7,9%), dont 547 à partir de donneurs vivants.

En 2014, les retransplantations représentent 18,5% de l'activité. Les greffes préemptives (sans passage par la dialyse) représentent 13% de l'activité. Parmi ces greffes préemptives, 39% l'ont été à partir d'un donneur vivant.

La part de greffe réalisée à partir d'un donneur vivant est en augmentation régulière, sous l'impulsion des politiques menées en ce sens, le taux ayant évolué de 7,9% en 2009 à 13% en 2013, 16% en 2014 et en 2015.

Cette activité est cependant variable d'une région à l'autre : d'après le rapport REIN 2014, deux régions n'ont fait aucune greffe de donneur vivant (Picardie, La Réunion) alors que dans deux régions, Lorraine et Midi-Pyrénées, elle représente plus de 25% du nombre total de greffes. Par rapport à l'activité constatée dans d'autres pays, même si cette activité a beaucoup progressé en France, on peut considérer qu'il existe encore une marge de progression. Par exemple, les donneurs vivants représentent 54% des greffes aux Pays-Bas ou 33% au Royaume-Uni. Des recommandations de la HAS précisent les conditions sous lesquelles le recours aux donneurs vivants peut être développé.

La part des retours de greffe augmente depuis 2010, atteignant 9% des nouveaux patients mis en dialyse en 2014. Toutefois, il faut souligner que la survie des greffons présente une amélioration avec le temps, la survie à 5 ans observée sur les cohortes de patients greffés étant passée de 68,2% pour la cohorte 1986-1990 à 80% pour la cohorte 2006-2008. A noter aussi que, pour l'ensemble de la cohorte 1993-2013, la survie des greffons est significativement meilleure pour les greffes à partir de

⁶ C. Baudelot, Y. Caillé, O. Godechot, S. Mercier, Maladies rénales et inégalités sociales d'accès à la greffe en France, Population, 2016, 71(1), 23-52.

donneur vivant avec à 10 ans un taux de survie de 77,4% contre 61,6% pour les greffes avec donneur décédé.

Pour l'ensemble de la cohorte, la médiane de survie du greffon est de 14 ans.

Au total, malgré l'augmentation de l'activité de greffe, en raison des données épidémiologiques, la pénurie s'aggrave et 11 711 personnes étaient en attente d'un greffon au 1^{er} janvier 2015 contre 9 864 au 1^{er} janvier 2013 et 10 775 au 1^{er} janvier 2014.

D. Planification de l'offre de dialyse

Jusqu'en 2002, le secteur était régi par un double système d'autorisation : une autorisation de l'activité de soins et une autorisation portant sur les générateurs d'hémodialyse, au titre des équipements lourds, avec fixation d'un indice de besoin national.

En 2001, le plan « insuffisance rénale chronique » s'est accompagné de la suppression de l'indice national de besoin et la définition d'une nouvelle réglementation relative aux conditions d'implantation et aux modalités de fonctionnement des installations pour les établissements de santé qui exercent cette activité de soins.

Les deux décrets publiés le 23 septembre 2002, décret en Conseil d'État n°2002-1197 et décret n°2002-1198, définissent ce nouveau cadre réglementaire de l'activité de traitement de l'IRCT par épuration extrarénale et les conditions techniques de fonctionnement des établissements qui exercent cette activité.

Pour chacune des modalités de traitement, le dispositif réglementaire précise les conditions techniques de fonctionnement (modalités d'installation de la structure de soins, présence médicale et astreinte, nombre d'IDE par patient, fréquence des visites et consultations, organisation des replis).

L'organisation et l'implantation des activités de dialyse sont régies par les SROS, en vertu des principes suivants :

- proposer une offre de soins graduée permettant de prendre en charge globalement le patient et de répondre à toutes les étapes de sa trajectoire de soins ;
- prendre en charge des patients en dialyse médicalisée et développer les UDM ainsi que les alternatives à la dialyse en centre (dialyse à domicile en particulier, par dialyse péritonéale ou hémodialyse) ;
- implanter, *a minima*, une unité saisonnière en structure médicalisée ;
- participer à l'atteinte des objectifs fixés dans le projet médical de territoire, notamment par l'information et l'orientation du patient.

Les derniers SROS élaborés dans le cadre des PRS, ont introduit de nouveaux objectifs : recours à la télémédecine, afin de développer la dialyse hors centre, en particulier dans les UDM. Les UDM sont adaptées aux patients âgés, plus dépendants, souvent polypathologiques qui ne peuvent plus être pris en charge en autodialyse.

La Cour des comptes souligne, dans son rapport 2015, que le développement des capacités de dialyse a été porté avant tout par les structures les plus lourdes, comme l'indique le tableau suivant (source SAE / Cour des comptes), eu égard au fait que de nombreuses UDM sont adossées à des centres lourds :

	2004	2012	%
Centre	255	278	+9%
UDM	23	157	+583%
Unités d'autodialyse	115	124	+8%

Le thème de l'insuffisance rénale chronique est intégré dans le programme de gestion du risque des ARS⁷, avec deux objectifs principaux :

- conforter et renforcer la greffe rénale, en réduisant les inégalités d'accès observées entre régions ;
- développer les prises en charge en dialyse hors centre, de proximité, en renforçant en particulier deux modalités : la dialyse péritonéale, et l'UDM non adossée à un centre fonctionnant en particulier par télémedecine pour renforcer son autonomie⁸.

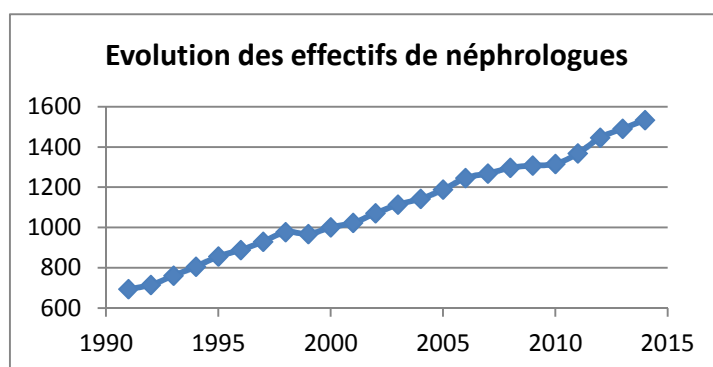
Des taux cibles sont fixés sur les différents paramètres pour chaque région, basés sur l'état des lieux.

Il est enfin souligné que c'est l'ensemble de la prise en charge de l'IRCT qui est concerné par ce programme, y compris les dimensions de prévention et de dépistage.

E. La démographie des néphrologues

D'après les données publiées par la DREES, on comptait en 2015 1 613 néphrologues, dont 318 libéraux exclusifs, 170 en exercice mixte, 958 salariés hospitaliers et 167 salariés non hospitaliers.

La démographie des médecins néphrologues est en hausse constante :

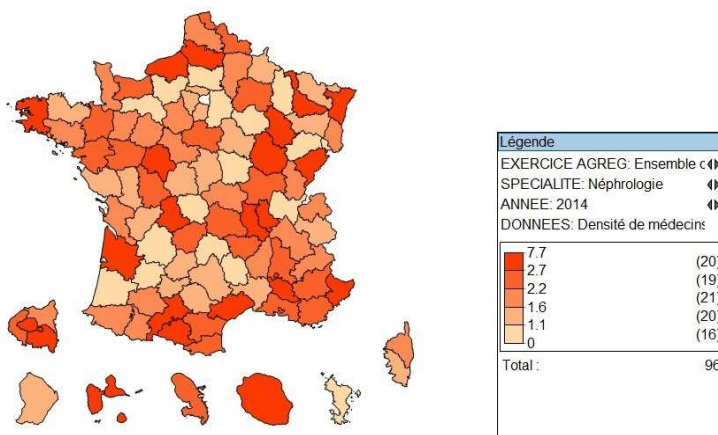


Sources : DREES/Adeli, RPPS, graphique construit à partir d'Ecosanté – France entière, salariés+libéraux

En corollaire, la densité pour 100 000 habitants a augmenté, passant de 1,19 en 1991 à 2,33 en 2014.

Des problèmes locaux d'adéquation entre offre de néphrologues et besoins des patients peuvent, toutefois, exister en raison de la disparité de la densité sur le territoire :

Densité des néphrologues par département, au 1^{er} janvier 2014 (DREES/RPPS)



⁷ Instruction n° DGOS/R3/DSS/ MCGR/ 2012/52 du 27 janvier 2012 relative au Programme de gestion du risque sur l'insuffisance rénale chronique terminale.

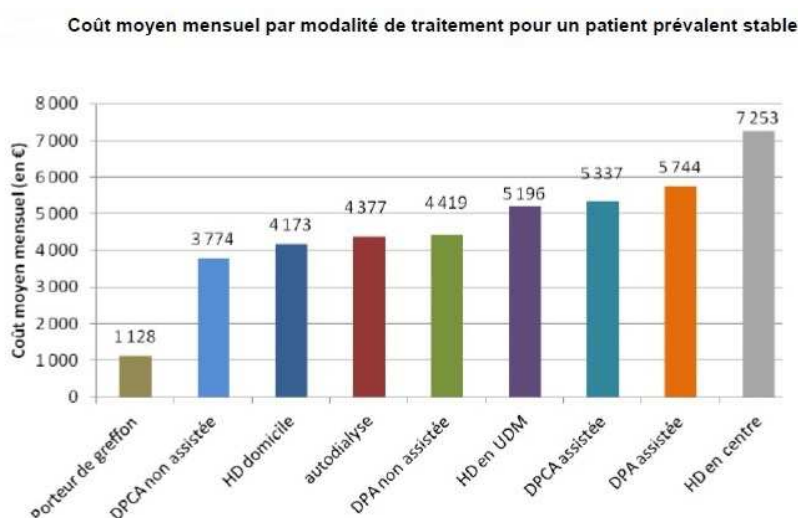
⁸ Sur le plan réglementaire, l'UDM est traitée de la même manière qu'elle soit adossée à un centre ou non ; cela pourrait être reconsidéré, compte-tenu du partage de coûts fixes et de compétences dont bénéficie l'UDM adossée à un centre.

F. Impact sur les dépenses d'assurance-maladie

En France, l'Assurance maladie a estimé le coût de la prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT) à plus de 4 milliards d'euros dans une étude réalisée sur l'année 2007, en projetant un coût de 5 milliards d'euros d'ici 2025, du seul fait du vieillissement de la population, sans prendre en compte l'augmentation de la prévalence standardisée⁹.

Une étude de coût actualisée a été réalisée par la HAS et l'Agence de biomédecine en exploitant les données du SNIIRAM chaînées au PMSI pour l'année 2009.

Le graphique suivant indique le coût mensuel par modalité de traitement pour un patient prévalent stable (démarrage du traitement avant le début de la période de l'étude et au moins 75% du temps de traitement passé dans la même modalité ; patients de plus de 18 ans) :



Note : Le coût de l'intervention pour transplantation n'est pas inclus pour les patients porteurs de greffon

Sources : CNAMTS, HAS, Agence de biomédecine

Le coût moyen mensuel correspondait pour plus de 50% au traitement de suppléance lui-même, excepté pour les modalités de DP assistée du fait de l'importance du poste « soins infirmiers » (26% pour la DPA et 37% pour la DPCA). A souligner aussi l'importance du poste « transports » pour les modalités d'hémodialyse (près de 20% du coût total mensuel, excepté pour l'HD domicile)¹¹.

En 2013, d'après les données du régime général (source CNAMTS - rapport de la Cour des comptes 2015), le coût annuel d'un patient est en moyenne de 44 880 €, variant considérablement selon les modes de prise en charge : 14 700 € pour un porteur de greffon contre 65 091 € pour une personne dialysée, sachant que pour la première année de greffe, il faut prendre en compte le coût de la greffe elle-même (75 270 €).

Ces disparités tiennent à la fois aux caractéristiques différentes des patients, les patients en centre nécessitant en règle générale des soins plus lourds, aussi bien pour le problème rénal que pour les comorbidités, et aux choix d'orientation dans les différentes modalités, dont on a vu qu'ils présentaient de fortes disparités régionales.

⁹ Blotière PO, Tuppin P, Weill A, Ricordeau P, Allemand H. Coût de la prise en charge de l'IRCT en France en 2007 et impact potentiel d'une augmentation du recours à la dialyse péritonéale et à la greffe. *Nephrol Ther* 2010;6(4):240-7.

¹⁰ Dans le rapport sur les Charges et Produits pour l'année 2015, la CNAMTS évalue à 3,5 Mds € les dépenses de prise en charge pour l'IRCT pour le régime général en 2012. Les dépenses ont augmenté de 4,9% entre 2010 et 2012, le nombre de malades ayant progressé de 4,5%.

¹¹ A noter que la Cour des Comptes réalise en 2016 un travail sur le coût des transports médicaux qui inclut la problématique de la dialyse.

Aussi, il semble qu'on puisse envisager d'améliorer l'efficacité des prises en charge. La HAS et l'Agence de biomédecine ont réalisé dans cet esprit une analyse médico-économique des stratégies de prise en charge de l'IRCT (octobre 2014). La HAS observe que, « *en l'absence de recommandations établies d'orientation des patients entre les modalités de traitement en fonction d'un profil par âge, comorbidités et facteurs de risque, l'hétérogénéité des pratiques en France et à l'étranger tendent à démontrer l'existence de marges de manœuvre dans l'évolution de la prise en charge des patients traités pour IRCT* ».

L'étude réalisée visait à comparer les stratégies de prise en charge en tenant compte des modifications au cours du temps dans les trajectoires de soins des patients entre les différentes modalités de traitement, par modélisation, sur un horizon temporel de 15 ans.

Selon cette modélisation, le coût moyen de prise en charge d'un patient en IRCT sur les 15 premières années après le démarrage d'un traitement de suppléance variait de 2 736€ par mois pour les jeunes de 18 à 45 ans non diabétiques à 7 045€ par mois pour les personnes âgées de plus de 70 ans diabétiques (coûts actualisés).

Les principaux enseignements de ces travaux sont les suivants :

- Les axes de développement de la transplantation rénale (donneurs vivants et/ou donneurs décédés) constituent une stratégie efficace pour tous les sous-groupes de patients (quelle que soit la tranche d'âge, diabétiques ou non).
- Les alternatives à l'hémodialyse en centre peuvent faire l'objet de plusieurs stratégies, testées dans le modèle économique :
 - A domicile :
 - Patients pouvant prendre en charge leur traitement : dialyse péritonéale non assistée comme modalité de démarrage avec un transfert préparé en hémodialyse, hémodialyse à domicile,
 - Patients ne pouvant pas prendre en charge leur traitement : dialyse péritonéale assistée comme modalité de démarrage du traitement avec un transfert programmé en UDM.
 - En dehors du domicile :
 - Patients pouvant prendre en charge leur traitement : unité d'autodialyse,
 - Patients ne pouvant pas prendre en charge leur traitement : UDM ou UDM de proximité.

Tout en étant moins efficaces que la transplantation rénale, ces stratégies sont néanmoins moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques actuelles, pour une efficacité similaire (sauf dans le cas des UDM où la situation dépend des caractéristiques des sous-groupes de patients).

Les conditions à remplir pour une prise en charge en dialyse à domicile

Il est rappelé dans cette étude que certaines conditions de faisabilité doivent être remplies pour une prise en charge en dialyse à domicile :

- Information précoce des patients : l'information sur les différents traitements de suppléance permet aux patients un choix éclairé en amont du démarrage.
- Formation des patients : cela nécessite la mise en place de structures de formation dans lesquelles exercent des professionnels de santé dédiés.
- Impact sur l'entourage : le traitement à domicile doit être discuté en fonction de l'entourage des patients et de sa capacité à supporter les conséquences liées au stockage de grandes quantités de consommables et de déchets à domicile. La disponibilité d'un proche est une condition indispensable lors des séances d'hémodialyse à domicile.

- Suivi et repli : une augmentation importante de patients à domicile doit prendre en considération la capacité des équipes à suivre une importante file active à domicile. Son développement doit être accompagné par la formation de professionnels de santé dédiés à ces prises en charge, la constitution d'équipes formées aux deux techniques d'épuration afin d'assurer la bonne transition de l'une à l'autre ainsi que l'organisation des transferts préparés en hémodialyse et des replis en urgence en hospitalisation ou sur des postes de dialyse en centre.
- La disponibilité d'infirmières pouvant intervenir au domicile : le développement de la DP assistée nécessite l'accompagnement d'infirmières formées pouvant intervenir à domicile plusieurs fois par jour, 7 jours sur 7. La disponibilité d'équipes soignantes formées se déplaçant au domicile, à l'image de ce qui se pratique pour la dialyse péritonéale, pourrait, dans le cadre de l'HD à domicile, apporter au minimum une assistance à la ponction de la voie d'abord.

Cette étude rappelle enfin qu'il faut tenir compte de la réticence de certains néphrologues et des autres professionnels de santé au développement de ces stratégies : technique peu pratiquée, réticence à traiter au domicile une personne fragile, faible valorisation de cette activité chronophage.

(Source HAS)

2. Les problématiques d'organisation des soins et d'efficience

Ces données permettent d'identifier les trois problèmes principaux concernant la prise en charge de ces patients, problèmes connus et documentés depuis de nombreuses années.

A. L'accent n'est pas assez mis sur la prévention de l'IRC terminale et le dépistage précoce.

Le diagnostic est encore trop souvent tardif, avec un retard du recours au néphrologue et un taux élevé d'entrée en dialyse en urgence. Les conséquences de ce retard sont une augmentation de la comorbidité et de la mortalité dans la première année de dialyse, un surcoût lié entre autres à la durée d'hospitalisation, et une moins grande fréquence d'accès aux alternatives à la dialyse en centre¹².

Les patients devraient être plus largement dépistés par le médecin traitant, dès qu'ils présentent des facteurs favorisant, et plus précocement adressés au néphrologue dès la mise en évidence d'une insuffisance rénale chronique.

Une analyse de la CNAMTS¹³ indique qu'un quart des patients entrant en dialyse n'a pas eu de contact avec un néphrologue dans les 12 mois précédant la dialyse. Et pour les patients commençant une hémodialyse comme premier mode de suppléance, 60% n'ont pas eu de fistule créée au moins un mois avant leur première dialyse comme cela est recommandé.

Outre une préparation à la suppléance dans de bonnes conditions d'information, et en préservant l'état général du patient, un recours plus précoce au spécialiste serait de nature à retarder la survenue de l'IRC terminale et augmenter la durée de vie sans dialyse. En particulier chez le patient diabétique, un suivi optimal pourrait permettre de retarder de plusieurs années le traitement de suppléance. La CNAMTS observe à cet égard que « *la détection précoce des atteintes de la fonction rénale reste en effet insuffisante chez ces patients: si 80% bénéficient d'un dosage annuel de la créatinine, seulement 30% ont un dosage de micro-albuminurie (une augmentation très faible de l'albumine dans les urines étant la première manifestation décelable de la néphropathie diabétique et donc permettant la détection la plus précoce). C'est pourquoi une campagne de sensibilisation des médecins traitants sur la prévention et le dépistage de l'IRC a été réalisée à partir de mi 2012 par les délégués de l'Assurance maladie (DAM) et les médecins conseil, sur la base d'un memo validé par la HAS (près de 22 000 visites sur le suivi du diabète ont été réalisées sur 2012 et 2013). Dans le cadre du*

¹² C. Maynard, D. Cordonnier, Le recours tardif des diabétiques insuffisants rénaux aux néphrologues a un coût humain et financier très élevé, *Diabetes Metab.* 2001, 27, 517-521

¹³ Rapport 2016 sur les Charges et Produits, CNAMTS, juin 2015.

programme d'accompagnement Sophia pour les patients diabétiques, l'importance de cet examen annuel de contrôle de la fonction rénale est aussi rappelée aux assurés »¹⁴.

Les mesures à prendre sont multiples : information du patient et éducation thérapeutique, amélioration de l'observance, régime approprié, prise en charge des facteurs de risque cardiovasculaire, sans oublier l'accent sur ce thème dans les programmes de formation continue des médecins (et pourquoi pas inscrire un indicateur de suivi de la fonction rénale dans la grille de paiement à la performance des médecins traitants) et la mobilisation d'autres professionnels de santé : laboratoires de biologie (pouvant mettre en place un système d'alerte vers le patient et le médecin prescripteur au regard des valeurs de créatininémie), pharmaciens (pour alerter sur les risques de néphrotoxicité de médicaments acquis dans le cadre d'une automédication),...

B. La prise en charge la plus efficiente est la greffe, mais le nombre de patients en attente de greffe est en croissance continue.

Par rapport à la dialyse, la transplantation rénale est associée à de meilleurs résultats en termes de durée de vie et de qualité de vie pour un moindre coût. *« L'espérance de vie des patients dépend fortement de leur traitement de suppléance. Ainsi, un patient greffé âgé de 30 ans a une espérance de vie moyenne de 31 ans, contre 17 ans pour un patient dialysé du même âge. Les patients greffés ont globalement un taux de mortalité très inférieur à ceux des patients en dialyse, cela étant lié autant à la greffe qu'à la sélection des patients (biais d'indication). Ainsi, entre 60 et 69 ans, pour 1000 patients dialysés en 2013, 134 sont décédés dans l'année, contre 29 pour 1000 patients du même âge porteurs d'un greffon rénal fonctionnel »* (rapport REIN 2013).

Mais elle plafonne faute de greffons ; pourtant, la pénurie de greffons n'est pas une fatalité ; d'autres pays greffent davantage que la France, et il suffit d'observer les différences inter-régionales pour constater que des régions ont davantage porté l'accent sur la greffe que d'autres. Le taux de greffe rénale par million d'habitants en 2010 était de 44,7 en France, et de nombreux pays ont des taux supérieurs (source : Plan Greffe 2012) : 53,7 en Norvège, 53,6 au Portugal, 53,2 aux Etats-Unis, 52,2 aux Pays-Bas, ces pays (à l'exception du Portugal) ayant un fort taux de greffes à partir de donneurs vivants. Du reste, les régions de France métropolitaine les plus performantes dépassent ces taux : 66 en Limousin, 62,4 en Île-de-France, 57,5 en Rhône-Alpes,... (source : EcoSanté/ABM).

Dans un contexte de pénurie d'organes, plusieurs types d'obstacles organisationnels sont identifiés dans l'activité des centres transplantateurs : la coordination des acteurs, les incitations à participer à l'activité de prélèvement et de greffe (pénibilité de l'activité, réglementation sur le temps de travail). Là encore, l'observation des disparités territoriales indique que des efforts plus conséquents pourraient être réalisés par les territoires ayant de faibles taux de recensement des donneurs potentiels.

A noter qu'il est observé aussi un taux élevé (et stable) de refus des familles (environ 1/3 des cas, alors même que d'après les sondages réalisés par l'Agence de biomédecine, 82% des Français sont favorables au don d'organe). Les campagnes de sensibilisation réalisées régulièrement par l'Agence de biomédecine ne font pas baisser ce taux. La Cour des comptes propose sur ce sujet de se fixer un objectif collectif de réduction de moitié du taux de refus.

La loi de modernisation de la santé votée en décembre 2015 prévoit une évolution de la procédure (article 192) en précisant que le *« prélèvement peut être pratiqué sur une personne majeure dès lors qu'elle n'a pas fait connaître, de son vivant, son refus d'un tel prélèvement, principalement par l'inscription sur un registre national automatisé prévu à cet effet. Ce refus est révocable à tout moment »*. Il est aussi précisé que le médecin informe les proches du défunt. L'avenir dira si cette nuance apportée dans la législation permettra d'accroître le taux de prélèvements. L'option, un moment envisagée, de faire de ce registre le moyen exclusif d'expression du refus, afin de se passer

¹⁴ Rapport 2015 sur les Charges et Produits, CNAMTS, juin 2014.

de l'avis des familles, n'a finalement pas été retenue ; le registre ne sera que le moyen « principal ». Il paraissait impossible de se passer d'une consultation des proches avant l'acte de prélèvement. Un décret en Conseil d'Etat, publié au plus tard le 1^{er} janvier 2017, devra fixer les autres moyens de faire connaître son opposition.

Ce sujet est éminemment complexe, où se mêlent, dans un contexte douloureux de deuil et de méconnaissance des volontés du défunt, des sentiments contrastés : sont mis en avant les dimensions de solidarité et de générosité du don, mais les familles se trouvent aussi en situation de défense, face à une violation de l'intimité et de la dignité du corps de leur proche. Il s'agirait d'éviter au maximum d'avoir à évoquer cette décision au moment même du décès, et de promouvoir la généralisation de consignes anticipées sur le thème du prélèvement d'organes, par des campagnes de communication appropriées, une sensibilisation à ce sujet via des témoignages, des récits de vie transformée par la greffe, le don d'organes étant même de nature à donner du sens à une mort malheureusement inéluctable.

Par ailleurs, l'augmentation de la file active de patients porteurs d'un greffon fonctionnel se heurte à des problèmes de disponibilité des équipes de néphrologues dans les centres transplantateurs ; une réorganisation du suivi de la file active des patients porteurs d'un greffon s'impose.

Le développement important de la transplantation rénale a également comme répercussion l'augmentation du nombre de transferts de patients en dialyse lorsque le greffon n'est plus fonctionnel, constituant une contrainte organisationnelle supplémentaire.

C. Les prises en charge autonomes non seulement ne se développent pas mais sont même orientées à la baisse dans certaines régions

« La France avec 7% de patients en dialyse péritonéale parmi les patients dialysés se situe devant le Japon, les USA et l'Allemagne mais derrière les autres pays européens, en particulier les pays scandinaves et la Grande-Bretagne » (rapport REIN 2013). Le tableau suivant, établi par la CNAMTS (rapport sur les Charges et Produits 2015), illustre les disparités de développement de la dialyse à domicile dans différents pays.

« La majorité des pays pratiquent à la fois la dialyse péritonéale et l'hémodialyse à domicile ; toutefois la part de l'hémodialyse parmi les dialyses à domicile reste très faible, sauf en Nouvelle-Zélande et en Australie, où respectivement 27% et 10% des hémodialysés sont pris en charge à domicile ». Et la CNAMTS conclut que, *« dans les pays où, comme en France, la dialyse en centre est plus avantageuse sur le plan financier pour les offreurs de soins (Belgique, USA), la dialyse à domicile a du mal à se développer. »*

Aussi, depuis plusieurs années, la politique des pouvoirs publics vise-t-elle à limiter l'hémodialyse en centre au profit du développement de la transplantation rénale et d'une expansion de la prise en charge en dialyse hors centre et à domicile, en recherchant la meilleure adéquation entre la situation des malades (pathologie, gravité, âge, contexte socio-économique...) et leur orientation dans le système de prise en charge. Mais force est de constater qu'à ce jour, au regard des données quantitatives, cette politique n'a pas encore porté ses fruits.

A titre illustratif, on peut faire référence à des travaux menés dans les années 1990 par la Société de néphrologie, à travers la rédaction d'un Livre blanc. Le registre européen ERA-EDTA, bien qu'imparfait, permettait de déterminer les effectifs de patients. Au 31/12/1993, on enregistrait 30 700 patients en IRCT, soit une prévalence de 541 par million d'habitants. 49% des patients étaient traités en centre conventionnel ou en autodialyse (la modalité UDM n'existait pas encore), 4,3% en hémodialyse à domicile, 5,4% en dialyse péritonéale et 41% étaient porteurs d'un greffon fonctionnel. Les proportions équivalentes en 2013, détaillées plus haut, sont : 51,7% en centre, UDM ou autodialyse ; 0,3% en hémodialyse à domicile (modalité qui a donc quasiment disparu) ; 3,7% en dialyse péritonéale ; 44,2% avec un greffon fonctionnel. Le vieillissement de la population des

patients et l'augmentation des proportions de comorbidités, incontestables, n'expliquent pas totalement cette absence d'orientation des pratiques vers les modalités privilégiées par les pouvoirs publics, puisqu'on constate, à travers l'analyse des disparités régionales, que certaines régions (parmi celles où le vieillissement est pourtant très important comme le Limousin) arrivent à s'écarter de cette tendance nationale moyenne.

Pays	Développement de la dialyse à domicile
Nouvelle Zélande	52 % des dialysés sont pris en charge à domicile, dont 33 % en dialyse péritonéale et 19 % en hémodialyse. L'hémodialyse à domicile représente 27 % des hémodialyses totales. (2011)
Australie	29 % des patients dialysés sont pris en charge à domicile, dont 21 % en dialyse péritonéale et 8 % en hémodialyse. Les patients hémodialysés à domicile représentent 10 % de l'ensemble des hémodialysés. 70 % des hémodialysés à domiciles bénéficient d'une dialyse nocturne. (2011)
Suède	25 % des patients dialysés sont pris en charge à domicile, dont 22 % en dialyse péritonéale et 3 % en hémodialyse, et 75 % sont en hémodialyse en centre. (2010)
Pays-Bas	21 % des patients dialysés sont pris en charge à domicile, dont 18 % en dialyse péritonéale et 3 % en auto hémodialyse. (2010)
Canada	En moyenne, 20 % des dialysés canadiens sont en dialyse à domicile, dont 19 % en dialyse péritonéale et 1 % en auto hémodialyse. Selon la Province, le taux de dialyse à domicile varie entre 12 et 32 %. (2010)
Angleterre	19 % des patients dialysés sont dialysés à domicile, dont 14,2 % en auto dialyse péritonéale, 1,3 % en dialyse péritonéale assistée et 3,5 % en hémodialyse. (2011)
Belgique	10 % des dialysés sont pris en charge à domicile, 66 % en hémodialyse en centre médicalisé hospitalier et 24 % en centre satellite. (2009)
Italie	10 % des dialysés sont en dialyse péritonéale, 90 % en hémodialyse en centre (2010)
Autriche	9 % des patients sont en dialyse péritonéale, 91 % en hémodialyse en centre (2010). <i>L'hémodialyse à domicile n'ayant commencé qu'en 2011, il n'y a pas encore de relevés statistiques disponibles à ce sujet.</i>
USA	10 % des dialysés sont pris en charge à domicile, dont 9 % en dialyse péritonéale et 1 % en auto hémodialyse. (2010)
Portugal	7 % des patients sont en dialyse péritonéale à domicile, 93 % en hémodialyse en centre. (2011)
Allemagne	6 % des patients sont dialysés à domicile, dont 5 % en dialyse péritonéale et 1 % en hémodialyse. (2011)

Sources du tableau : Allemagne : rapport qualité de la dialyse 2010 ; Angleterre, Italie, Portugal, Suède : ministères de la santé ; Australie et Nouvelle-Zélande : système d'information sur la dialyse « ANZDATA » ; Autriche : rapport du Fonds hospitaliers de la Styrie, données Autriche entière ; Belgique : KCE ; Canada : plan dialyse Colombie - Britannique ; USA : rapport au Congrès, mars 2011.

Il faut voir dans ce relatif échec l'absence de maîtrise des principaux facteurs de blocage. Les outils réglementaires et tarifaires mobilisés ne semblent pas suffisants pour lever ces obstacles. De fait, les incitatifs actuels, notamment tarifaires, sont plutôt en faveur de la prise en charge en centre de dialyse¹⁵ et en unités de dialyse médicalisées (UDM), au détriment des autres modalités, même si les établissements sont tenus de proposer les diverses modalités possibles.

Il faudrait, dans l'esprit des décrets de 2002, lever les clivages entre les modes de prise en charge, favoriser la continuité des soins par la même équipe néphrologique, même s'il faut prendre garde à l'équilibre économique des acteurs associatifs en place.

D'autres leviers, agissant en particulier sur la formation et les représentations des professionnels (par exemple en proposant des semestres d'internat en dialyse hors centre), seraient à mobiliser.

Ces différentes observations convergent vers un constat de fortes disparités régionales et d'inégalités d'accès de la population aux différentes possibilités de prise en charge, constat

¹⁵ Cf. étude DREES de 2011 : La réactivité des établissements de santé aux incitations tarifaires.

régulièrement répété depuis une vingtaine d'années, sans progrès notable (en dehors toutefois de la récente reprise de l'activité de greffe rénale, malheureusement encore insuffisante pour résorber la liste d'attente).

Certes, tous les patients ne peuvent pas être pris en charge hors centre ; les patients âgés, dépendants, polypathologiques, dont la proportion augmente, sont avant tout pris en charge en centre ou éventuellement en UDM, mais l'observation de disparités régionales sur le taux de dialyse autonome et l'enseignement des comparaisons internationales tendent à indiquer que des marges de progression importantes sont possibles.

L'état des lieux réalisé lors des Etats Généraux du Rein en 2012-2013 était en conséquence sévère, évoquant : « *une prise en charge globalement non optimale, des parcours chaotiques, de grandes disparités géographiques et sociales dans l'accès aux traitements, la réalisation et le financement de soins inappropriés, une information imparfaite et l'absence de libre choix des patients, le tout pour des coûts très élevés* ».

3. Quelles sont les innovations susceptibles de faire évoluer la situation ?

A. Innovations technologiques

Technologies de dialyse

- De nouveaux équipements d'hémodialyse sont proposés par les industriels, toujours plus performants en matière de filtration, de qualité de l'eau, de sécurisation des procédures (alarmes, contrôles, maîtrise de l'ultrafiltration...), mais aussi de miniaturisation et d'automatisation, le générateur mesurant la dose de dialyse et l'adéquation de la dialyse aux paramètres biologiques du patient. Les logiciels embarqués permettent aussi, dans le cadre d'un projet de télémédecine, un suivi à distance du patient (cf. ci-après), même si un frein demeure avec l'absence de rémunération du médecin pour la télé-dialyse.
- Des générateurs spécifiquement destinés à l'hémodialyse à domicile ont été mis au point ; ces machines simples d'utilisation, maniables, transportables, pourraient permettre de relancer cette modalité de prise en charge, sous réserve d'évaluation de leur impact sur la qualité de la dialyse et la morbi-mortalité.

L'hémodialyse à domicile, qui s'était développée au début de la dialyse en raison d'une pénurie de postes en centre, a peu à peu été abandonnée comme modalité de prise en charge (concernant 0,6% des patients France entière), mais pourrait être à nouveau proposée aux patients (même s'il ne faut pas masquer la difficulté pour les patients d'effectuer cette opération eux-mêmes), ces nouveaux équipements ayant plusieurs avantages :

- dans certains équipements, le nouveau moniteur, fonctionnant avec une vingtaine de litres de dialysat livré dans des poches stériles prêtes à l'emploi, fait circuler ce dialysat dans une ligne stérile à usage unique, évitant la phase de désinfection. D'autres machines sont prévues pour se brancher sur l'eau courante avec un système de filtration adapté ;
- l'obstacle ancien d'encombrement et de complexité d'utilisation du matériel est ainsi en partie résolu. En outre, certains de ces nouveaux générateurs sont transportables ;
- ce mode de prise en charge permet une meilleure autonomie du patient (prise en charge de sa maladie, souplesse des horaires...), et permet de personnaliser la durée et la fréquence des séances et donc de parvenir à une meilleure qualité de traitement en les

augmentant si besoin, ce qui est très peu proposé en établissement pour des raisons d'organisation. De fait, il a été montré que la qualité et l'espérance de vie étaient supérieures dans cette modalité ;

- il est possible avec ces matériels de pratiquer l'hémodialyse quotidienne, avec des séances plus fréquentes et moins longues (environ 2 heures par séance, 6 jours par semaine, au lieu des 3 séances hebdomadaires de 4 heures), ce qui a des avantages importants en termes de qualité de vie, ou aussi l'hémodialyse longue, éventuellement nocturne, 6 à 8 heures 3 fois par semaine.

Ces évolutions techniques pourraient avoir un autre impact : une interrogation existe sur le rôle que pourraient jouer dans ce domaine les prestataires de santé à domicile (PSAD), qui pourraient intervenir pour la mise en œuvre des aspects logistiques des soins, dans le cadre d'une convention avec les associations de dialyse à domicile et les établissements, dans le respect des exigences de qualité en vigueur et des dispositions régissant l'accès aux données de santé, et en prévenant tout risque de conflit d'intérêt. Ce peut être une option à discuter.

Les associations ayant une autorisation pour l'activité de dialyse travaillent actuellement soit avec des infirmières soit salariées, soit libérales (pour les soins) et gèrent l'aspect logistique.

- Ces évolutions conduisent à l'idée de la possibilité de réalisation d'un véritable rein artificiel portable ou implantable. Les enjeux technologiques sont encore nombreux mais à l'horizon de 15 ans, au regard des progrès réalisés en matière de miniaturisation et de thérapie cellulaire ces dernières années, cette perspective pourrait devenir réelle, ce qui révolutionnerait le domaine. Plusieurs prototypes sont en cours d'essai chez l'animal. Certains projets associent plusieurs technologies, dont les cultures cellulaires, pour la mise en place d'un « rein bio-artificiel ». Les enjeux sont de reproduire autant que possible les différentes fonctions rénales, mieux que ce que fait un dialyseur actuellement, tout en miniaturisant le dispositif¹⁶. Il s'agirait d'une alternative bien plus efficace et confortable que la dialyse, sans toutefois égaler la transplantation.

Toutefois, dans le cadre de la présente réflexion à 10-15 ans, nous ne considérons pas cette technologie prometteuse comme source de modification substantielle des modes de prise en charge ; l'horizon de maturité de ces technologies est fort probablement plus tardif.

Télémédecine

La télémédecine est susceptible de prendre une place importante dans la prise en charge et le suivi des patients dialysés hors centre. En 2014, la HAS a analysé ce sujet et réalisé un état des lieux des projets pilotes et expérimentations (un travail précédent avait été réalisé en 2009 sur les conditions de mise en œuvre de la télémédecine en UDM).

« Pour les patients en insuffisance rénale chronique au stade terminal (ou en IRC au stade avancé), le déploiement d'organisations fonctionnant par télémédecine sont de nature à :

- *faciliter l'accès aux soins en permettant le développement d'une offre de soins de proximité ;*
- *améliorer la qualité des soins et le suivi des patients dialysés et greffés ;*
- *satisfaire une demande en soins dans des délais raisonnables en se substituant à d'éventuels déplacements des patients et en optimisant le temps médical dans un contexte de démographie médicale en diminution ;*
- *avoir un impact sur les recours aux soins (consommations de soins, transports) ».*

¹⁶ Voir par exemple : <http://pharm.ucsf.edu/kidney> (University of California, Sans Francisco).

En France métropolitaine, la majorité des projets identifiés concernait le développement d'UDM fonctionnant par télémedecine : 64 projets recensés dans l'ensemble des régions de France métropolitaine dont la plupart étaient opérationnels à la date de juillet 2014. Ces projets sont fondés sur l'utilisation de la télémedecine entre un centre de dialyse et une UDM, permettant d'assurer la télésurveillance médicale des séances réalisées sur le site de l'UDM et la réalisation de téléconsultations. Dans certains cas, le système permet également la télésurveillance médicale des séances d'hémodialyse réalisées en unités d'autodialyse ou même la transformation de certaines unités d'autodialyse en UDM.

Les autres projets identifiés en France métropolitaine étaient les suivants :

- Huit projets portant sur la télésurveillance des séances de dialyse réalisées à domicile, principalement pour la dialyse péritonéale, avec pour objectifs l'amélioration du suivi du traitement des patients et la prévention de complications.
- Quatre projets concernant les patients transplantés rénaux avec comme objectif principal l'amélioration de la qualité du suivi post-transplantation fondée sur le développement d'applications de téléconsultation et télé-expertise.
- Sept autres projets concernant la mise en place de téléconsultations de néphrologie (en routine ou à la demande) concernant des patients en traitement de suppléance et des patients en IRC à différents stades de la maladie.
- En outre, un projet multicentrique sur 3 régions (projet e-chronic/e-nephro) cherche à démontrer l'efficacité d'un système de télémedecine pour la prise en charge de l'IRC dans différentes populations.

Dans les départements d'outremer, la majorité des projets avaient pour objectifs l'amélioration de l'accès aux soins et de la qualité des prises en charge pour des populations géographiquement isolées. Ils concernaient :

- le développement d'UDM fonctionnant par télémedecine ;
- la mise en place de téléconsultations et de télé-expertises ;
- la télésurveillance médicale des séances d'hémodialyse et de dialyse péritonéale à domicile.

L'état d'avancement de ces différents projets est variable, et on ne dispose pas encore de données d'évaluation à ce jour.

Transplantation rénale

En matière de transplantation, plusieurs axes innovants sont à mentionner, visant l'augmentation du nombre et l'amélioration de la qualité des greffons.

Greffe à partir de patients décédés à cœur arrêté¹⁷.

- La première greffe rénale sur ce mode a été réalisée en octobre 2006 à Lyon, suivie de 43 greffes sur 7 sites en 2007. Après 14 mois d'étude de faisabilité (de novembre 2006 à décembre 2007) et compte tenu du caractère positif de l'expérience en termes de faisabilité, de résultats des greffes, du vécu apparent des familles et des personnels impliqués, l'Agence de la biomédecine a décidé que tous les établissements qui le souhaitaient, sous réserve de remplir l'ensemble des conditions requises, pourraient prétendre à une autorisation de

¹⁷ Agence de biomédecine, Conditions à respecter pour réaliser des prélèvements d'organes sur des donneurs décédés après arrêt circulatoire de la catégorie III de Maastricht dans un établissement de santé, octobre 2014.

prélèvement sur les donneurs décédés après arrêt circulatoire (catégories I et II de la classification de Maastricht¹⁸).

- Ce programme a désormais plus de 7 ans de fonctionnement avec un total de 785 donneurs recensés, 468 greffes rénales et 13 greffes hépatiques impliquant 16 sites de prélèvement dont un centre hospitalier non universitaire au 31/12/2013.

En 2014, toutefois, le nombre de greffes réalisées sur ce mode est en baisse marquée, avec 54 greffes contre 78 en 2013 et 81 en 2012.

« La difficulté à développer ce type de greffe tient aux importantes contraintes du prélèvement des donneurs répondant aux critères Maastricht I et II, seuls autorisés en France jusqu'en 2014. Le prélèvement de donneurs, décédés après arrêt circulatoire contrôlé dans le cadre d'une limitation ou arrêt de thérapeutique répondant aux critères de Maastricht III, est autorisé depuis février 2014 et a conduit à l'élaboration d'un protocole national auquel participent des équipes volontaires. Le premier prélèvement de ce type a été réalisé en décembre 2014. Cette nouvelle activité devrait permettre d'élargir progressivement le nombre de donneurs après arrêt circulatoire et l'expérience accumulée dans les pays qui la pratiquent laisse espérer de bons résultats » (source ABM).

- Enfin, un programme a été lancé par l'ABM, après une réflexion éthique approfondie, sur le prélèvement d'organes sur personnes décédées des suites d'un arrêt cardiaque après un arrêt des traitements (catégorie III de Maastricht). Le bilan de la phase pilote, réalisée dans 5 établissements, a été publié début 2016. Au total, 15 donneurs ont été prélevés d'au moins un organe en 2015 (48% des donneurs recensés) mais seuls les organes prélevés sur 14 donneurs ont été greffés car les deux reins d'un même donneur se sont avérés contre indiqués pour une greffe, ce qui représente 26 greffes rénales fonctionnelles. Ce programme a été évalué positivement, et **son extension est recommandée**.

Ce type de greffon représente un très fort potentiel de développement : 51% des greffes rénales réalisées aux Pays Bas, 38% au Royaume Uni et 19% en Belgique (source ABM).

Utilisation de machines à perfusion pour améliorer la qualité des reins prélevés (diminution de la vasoconstriction intra-rénale, amélioration de la perfusion du cortex rénal, diminution de l'œdème tissulaire...) sur les donneurs à critères élargis et des reins prélevés sur donneurs décédés après arrêt cardiaque. Il est établi que la préservation des reins sur ces machines améliore la survie des greffons.

Dans la situation de pénurie qui est celle du nombre de greffons, l'utilisation de ces machines permet de prélever des greffons qui seraient sans cela écartés, et ce, sans augmenter le risque d'échec primaire de la greffe.

L'amélioration de l'ergonomie, la miniaturisation des composants, l'élaboration de machines facilement transportables ont permis la diffusion de la technique et son utilisation en routine.

En 2014, 645 reins ont été mis sous machine à perfusion, dont 550 pour des donneurs décédés en mort encéphalique à critères élargis¹⁹, 54 pour des donneurs décédés après arrêt circulatoire non contrôlé, 41 pour des donneurs décédés en mort encéphalique à critères standards.

¹⁸ Cette classification établie en 1995 comprend 4 stades :

- les personnes qui font un arrêt cardiaque en dehors de tout contexte de prise en charge médicalisée et pour lesquelles le prélèvement d'organes ne pourra être envisagé que si la mise en œuvre de gestes de réanimation de qualité a été réalisée moins de 30 minutes après l'arrêt cardiaque (stade I) ;
- les personnes qui font un arrêt cardiaque en présence de secours qualifiés, aptes à réaliser un massage cardiaque et une ventilation mécanique efficaces, mais dont la réanimation ne permettra pas une récupération hémodynamique (stade II) ;
- les personnes pour lesquelles une décision d'un arrêt de soins en réanimation est prise en raison de leur pronostic (stade III) ;
- les personnes décédées en mort encéphalique qui font un arrêt cardiaque irréversible au cours de la prise en charge en réanimation (stade IV).

L'Agence de biomédecine préconise une poursuite de la montée en charge de l'utilisation de ces machines.

Une fois le greffon en place, de **nouveaux traitements pharmaceutiques** peuvent améliorer sa survie et donc limiter ou retarder les retours en dialyse, ce qui peut avoir un impact significatif sur la liste d'attente (plus de 20% des patients en attente le sont pour une 2^{ème} ou 3^{ème} greffe).

B. Innovations organisationnelles

L'un des principaux leviers pour faire évoluer le système et réduire les disparités régionales (en termes d'inscription sur la liste de greffe, de taux de greffe, de taux de patients dialysés à domicile) paraît être **une plus grande implication du patient**, à travers :

- son implication aussi précocement que possible dans l'évolution de sa maladie rénale, dans un parcours de soins incluant le recours précoce à un néphrologue, afin de retarder autant que faire se peut le stade terminal de l'IRC et de préparer le traitement de suppléance dans de bonnes conditions ;
- son information sur les différentes modalités de prise en charge, neutre et objective, ce qui peut passer par un module d'éducation thérapeutique pré-suppléance, qui devrait être organisé et financé dans toutes les régions de façon transversale aux équipes de soins ; des initiatives multiples émanant des centres de néphrologie ou des associations de patients ont montré tout l'intérêt de ce type de module ; la mobilisation des outils numériques pourrait être aussi d'une grande aide dans le même objectif ;
- sa participation éclairée au choix, avec garantie de pouvoir accéder à toutes les modalités sur l'ensemble du territoire (ce qui malgré les efforts des pouvoirs publics dans cette direction, n'est pas encore le cas).

Les Etats Généraux du Rein, organisés en juin 2013, ont souligné à cet égard « l'absence de libre choix » du patient, mal informé, dépendant du « pouvoir discrétionnaire du médecin », ainsi que les inégalités dans l'accès aux différentes techniques de suppléance. Une enquête récente menée par Renaloo.com sur son site internet auprès de 1 000 patients indique que 1 sur 3 estime avoir peu ou pas participé au choix de son traitement²⁰.

Cette exigence d'information du patient concerne aussi sa famille et ses proches dans le cadre du don vivant : il faut mettre en place une information complète, objective, et garantir l'autonomie de décision du donneur.

Par ailleurs, la HAS recommande de promouvoir l'éducation thérapeutique des receveurs de greffon rénal afin d'améliorer l'observance du traitement et du suivi néphrologique, et ainsi augmenter la survie des patients et du greffon.

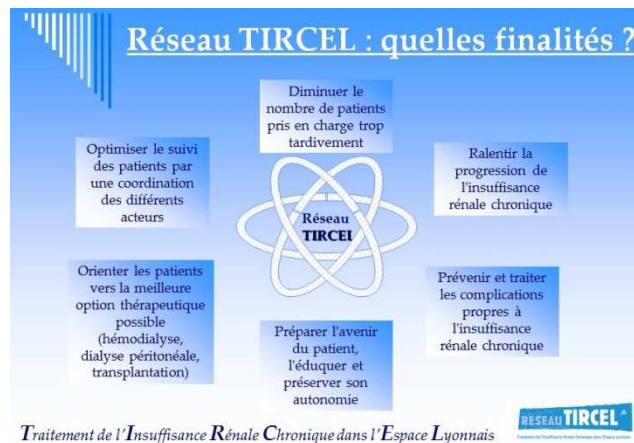
Certains **réseaux de santé** mettent en place cet ensemble de mesures.

Un exemple est donné par le réseau TIRCEL à Lyon, qui vise à la fois la prise en charge précoce, la formation des professionnels, l'information des patients :

¹⁹ Définis comme les donneurs âgés de plus de 60 ans ou de 50 à 59 ans, avec au moins deux des facteurs de risque suivants :

- cause de décès vasculaire,
- antécédent d'hypertension artérielle,
- créatininémie supérieure à 130 µmol/l.

²⁰ Etude : Information et participation à la décision médicale sur le choix des traitements (dialyse, greffe), Renaloo.com février 2016. A noter par exemple que 55% estiment avoir été mal ou pas informés sur la possibilité d'être greffé sans passer par la dialyse.



Les dispositifs mis en place sont de plusieurs natures :

- dossier médical partagé et informatisé,
- cellule de coordination,
- programme personnalisé de soins,
- séances d'information collective des patients ,
- consultations de diététique, psychologue...,
- formation des médecins adhérents,
- référentiels.

Le réseau couvre un bassin de l'ordre de 2 millions d'habitants. Environ 450 professionnels de santé sont adhérents.

Une évaluation réalisée en 2010 a démontré que la prise en charge dans le réseau conduisait à une amélioration du contrôle de la pression artérielle ainsi qu'à une amélioration de la correction des désordres métaboliques secondaires à l'insuffisance rénale chronique.

La récente inscription dans la Loi d'une **expérimentation de parcours de soins du patient atteint d'IRC** (LFSS 2014) devrait de la même façon permettre de concrétiser certaines pistes d'amélioration. Les expérimentations, préparées en 2015, devraient démarrer en 2016 dans 6 régions pilotes²¹ : Alsace-Champagne Ardenne-Lorraine, Aquitaine-Limousin-Poitou-Charentes, Languedoc-Roussillon et Midi Pyrénées, Pays-de-la-Loire, La Réunion et Auvergne-Rhône-Alpes. L'objectif est de « *favoriser un meilleur accès aux soins en luttant contre les inégalités régionales d'accès à la greffe et en optimisant les prises en charge – notamment les alternatives à la dialyse en centre – par une meilleure anticipation de la phase d'aggravation ainsi qu'une orientation plus efficiente des patients via un bon accès à l'information.* » Les ARS ont la responsabilité d'organiser ces actions avec deux axes principaux :

- en amont de la phase dite « sévère » d'IRC, avec pour objectif de faire baisser le nombre de patients arrivant au stade de suppléance et de diminuer de moitié les dialyses évitables réalisées en urgence : coordination de la prise en charge et du suivi ; interventions pluridisciplinaires (autour de l'éducation thérapeutique, du conseil diététique, du soutien psychologique, etc.) ;

²¹ DGOS, communiqué de presse du 6 avril 2015.

Décret no 2015-881 du 17 juillet 2015 relatif à des expérimentations tendant à améliorer la prise en charge des personnes atteintes d'insuffisance rénale chronique.

Arrêté du 17 mai 2016 fixant la liste des régions concernées par les expérimentations tendant à améliorer le parcours de soins des personnes atteintes d'insuffisance rénale chronique, les orientations nationales pour l'élaboration des cahiers des charges régionaux et la charte des professionnels.

orientation et préparation du patient en cas de survenue d'une insuffisance rénale sévère (réunions de concertation pluridisciplinaires, information, etc.) ;

- pendant la phase d'IRC sévère : mise en œuvre des parcours favorisant la greffe, l'orientation hors centre et le développement des dialyses de proximité.

Ces actions s'appuient sur les travaux de la HAS précisant comment doivent être organisés les parcours de soins et fournissant des outils *ad hoc* : dispositif d'inclusion dans l'expérimentation, dispositif d'annonce et décision partagée, éducation thérapeutique, concertation pluri-professionnelle, *checklist* du parcours maladie rénale chronique en pré-suppléance, schéma des parcours de soins des personnes atteintes de maladie rénale chronique...

On pourra observer que l'un des principaux objectifs initiaux, qui était de tester de nouvelles modalités de tarification au parcours, a été abandonné. Sans cet objectif, il s'agit en pratique d'appliquer les recommandations de bonnes pratiques de la HAS, qui en réalité s'adressent à tous les acteurs dans toutes les régions, pour tous les patients.

Par ailleurs, une problématique organisationnelle spécifique porte sur le **suivi de la file active des patients greffés** : la file active augmente (+3% par an entre 2009 et 2013) et les équipes des centres greffeurs se trouvent de plus en plus saturées par le suivi de ces patients, suivi demandant une expertise particulière. Des organisations en réseau avec des correspondants de ville ont été mises en place dans certaines régions pour gérer cette montée en charge, et de telles initiatives gagneraient à être encouragées et généralisées.

Les outils de partage d'informations médicales informatisées et de télémédecine peuvent être mobilisés dans ce but. Ainsi, par exemple, dans la région Pays de la Loire, est développé le projet Télégraft, étude clinique conduite sur 80 patients au CHU de Nantes et proposant le recours à la téléconsultation pour le suivi post-greffe. La moitié des patients de l'étude sont dotés d'une tablette sur laquelle ils renseignent certains paramètres médicaux (tension, diurèse, etc.), transmis automatiquement au praticien avant la téléconsultation. Début 2016, 235 téléconsultations avaient déjà été réalisées depuis le lancement de l'étude en 2012.

Dans le domaine des prélèvements d'organes, déjà depuis de nombreuses années, existent des réseaux inter-hospitaliers, permettant d'impliquer les établissements non universitaires, de favoriser le recensement des donneurs potentiels, d'organiser les actes de prélèvement.

D'autres évolutions déjà engagées sont pour beaucoup dans l'augmentation de l'activité de greffe rénale ces dernières années : développement du donneur vivant, via une plus grande mobilisation des équipes ; dons croisés ; programmes de désimmunisation qui permettent de réaliser des greffes qui étaient inenvisageables jusque-là, etc.

Pour alléger le travail des néphrologues, des **protocoles de coopération entre néphrologue et infirmière clinicienne** se mettent lentement en place pour le suivi de patients en IRC²², avec plusieurs objectifs :

- Suivi des patients en liste d'attente de greffe et organisation du don vivant : exemple du protocole de « mise en place d'une consultation infirmière pour la surveillance des patients en attente de transplantation rénale et pour la prise en charge et le suivi des donneurs vivants avant et après greffe rénale, avec prescription d'examens ». Ce protocole est mis en place par l'AP-HP/Groupe hospitalier Necker-Enfants malades et la région Aquitaine.
- Prescription d'EPO chez les patients dialysés en autodialyse ou UDM, pour améliorer la prise en charge de l'anémie et diminuer les délais de réajustement des traitements après bilan : protocole proposé par l'Association des insuffisants rénaux de la région Beauce et Perche sur « l'adaptation

²² <https://coopps.ars.sante.fr/coopps/init/index.do>.

des doses d'agent stimulant de l'érythropoïèse après interprétation du bilan biologique, par une infirmière en lieu et place d'un néphrologue ».

- Suivi des patients avant le stade terminal de l'IRC : projet développé en Alsace (CH de Colmar et Mulhouse) pour la « mise en place d'une consultation assurée par un personnel infirmier en lieu et place du néphrologue afin d'optimiser le suivi des patients insuffisants rénaux chroniques sévères ». Ce protocole est en cours de finalisation, avec quatre impacts recherchés :
 - optimiser le suivi du patient en IRC dans le respect des recommandations nationales (au moins une consultation tous les deux mois),
 - ralentir la progression de la maladie, afin de retarder l'entrée en IRC terminale,
 - préparer le patient à cette échéance, et le mettre en mesure de choisir les modalités de sa prise en charge en toute connaissance de cause,
 - limiter l'arrivée en urgence en épuration extra-rénale, responsable d'une morbi-mortalité majorée.
- Evaluation et traitement de la douleur chronique par un personnel infirmier, en lieu et place du néphrologue, chez des patients dialysés : projet promu en région Lorraine. L'amélioration vise particulièrement les patients bénéficiant d'une dialyse hors centre, c'est-à-dire sans présence médicale obligatoire à chaque séance de dialyse.

Ces différents protocoles cherchent à faire face à une pénurie relative de néphrologues pour ces consultations et à pouvoir mettre en place un suivi plus rapproché des patients.

C. Innovations tarifaires

A plusieurs reprises dans le passé, des réflexions ont eu lieu sur la création de **forfaits par patient atteint d'IRCT**, non pas en fonction de la modalité de prise en charge mais en fonction de ses caractéristiques propres : âge, pathologie rénale, comorbidités,... à charge pour les acteurs d'orienter le patient dans la modalité la plus adaptée à son cas dans le cadre du forfait. Ces réflexions n'ont pas abouti, les professionnels craignant qu'un forfait inadapté conduise à des choix trop contraints pour le patient. La Cour des comptes, dans son rapport 2015, évoque à nouveau cette option, parlant d'un « tarif unique »²³ modulé selon l'âge, la présence de comorbidités, et autres facteurs discriminants, incluant les transports, les examens biologiques, les suppléments nutritionnels, l'éducation thérapeutique, etc. Dans la logique d'une telle option, un forfait serait alloué aux acteurs ou à la coopération d'acteurs prenant en charge le patient, pour tout ou partie de son parcours, calculé sur la base d'un algorithme prenant en compte l'ensemble des paramètres discriminants influant sur les coûts. Ce « paiement au parcours » pourrait être révisé à chaque changement de caractéristique. Et surtout, il ne privilégierait pas *a priori* une modalité de prise en charge. Il devrait aussi permettre de maîtriser le poste « transports ».

Une telle évolution pourrait aussi être appliquée au parcours des patients en IRC avant la phase terminale, pour intégrer et promouvoir les actions de prévention, avec l'objectif de retarder l'entrée en dialyse. Ce « parcours de prévention » pourrait concerner l'ensemble d'une clientèle (d'un médecin traitant, d'une MSP...), voire l'ensemble d'une zone géographique, en mobilisant l'ensemble des acteurs concernés.

Un tel système ne peut être mis en place qu'assorti de référentiels précis sur les parcours de soins (incluant des référentiels sur le recours aux transports, aux examens biologiques, etc.), d'une connaissance des coûts de ces parcours, et d'un contrôle de qualité des prestations, des prises en charge et des résultats (à partir d'indicateurs comme la proportion d'admission en dialyse en

²³ Le terme de « tarif unique » est de fait impropre puisqu'il y aurait dans une telle hypothèse une grille tarifaire prenant en compte les différents paramètres discriminants en termes d'impact sur les coûts.

urgence), vérifiant notamment l'absence de sélection pour des raisons tarifaires. La HAS a déjà intégré plusieurs indicateurs de qualité des soins des patients en dialyse sur SCOPE-Santé, même s'il ne s'agit à ce stade que d'indicateurs de moyens.

De tels référentiels de qualité et de soins à atteindre se substitueraient aux actuelles normes techniques de fonctionnement.

Indicateurs de qualité HAS

Les 7 indicateurs publiés sur SCOPE-Santé, dont 6 sous la forme de deux indicateurs agrégés :

- Suivi des patients hémodialysés qui agrège : Surveillance du statut martial du patient traité par ASE ; Surveillance du bilan phosphocalcique ; Surveillance sérologique des hépatites ; Surveillance nutritionnelle : Statut nutritionnel,
- Appréciation de la qualité de la dialyse qui agrège : Prescription de 3 séances et 12 heures hebdomadaires ; Mesure de la dose de dialyse
- Évaluation de l'accès à la transplantation rénale.

Les 7 autres indicateurs étudiés :

- Maîtrise de l'anémie,
- Réalisation des dosages en milieu de semaine,
- Respect des prescriptions médicales de dialyse,
- Surveillance nutritionnelle - Consultation diététicienne,
- Évaluation de l'abord vasculaire - Fistule artério-veineuse,
- Évaluation de l'abord vasculaire - Fistule artério-veineuse native,
- Évaluation annuelle de l'accès à la transplantation.

Les avantages d'une telle option seraient les suivants :

- Le paiement « à l'épisode » ou « au parcours » (par rapport au paiement à l'acte ou au séjour) incite à la substituabilité de plusieurs options de prise en charge. Les offreurs de soins sont incités à mettre en place la combinaison de moyens la plus efficiente pour chaque épisode, c'est-à-dire les prises en charge les moins coûteuses à qualité égale.
- Il incite les acteurs à se coordonner entre eux, afin de réduire le taux de complications et de réhospitalisations, d'admission en urgence, et d'améliorer ainsi autant l'efficacité que la qualité des soins. C'est en effet un puissant facteur pour rompre avec la logique « en silos » du système de soins et pour décroiser les différents segments du système de soins.

Il ne faut cependant pas oublier les risques et les limites que peut comporter une telle orientation :

- Eventuels problèmes de sélection des patients liés à l'hétérogénéité des coûts par patient au sein du forfait :
 - Pour éviter au maximum ce type de problème, il est nécessaire de stratifier les patients en groupes les plus homogènes possible en termes de consommations de ressources, en fonction de caractéristiques observables (âge, comorbidités, environnement social et familial le cas échéant...) ; il y aurait autant de forfaits que de groupes ainsi constitués.
 - En outre, peut être prévue une procédure exceptionnelle pour des patients « outliers », à savoir des cas catastrophes qui, après un certain seuil de dépenses, feraient l'objet d'un remboursement complémentaire.
- Baisse de la qualité des prises en charge :
 - Ce risque, inhérent à tout système de paiement forfaitaire, contrebalancé par l'éthique des professionnels de santé, demande que des indicateurs de qualité soient mis en place et suivis, dans le cadre de protocoles de prise en charge précis.

- Il peut aussi être envisagé l'intégration dans le forfait d'objectifs de qualité.
- Complexité des circuits financiers dans les systèmes non intégrés : le système d'information doit permettre de suivre les prestations des différents acteurs pour un patient donné, pour disposer des éléments de répartition du forfait. D'une manière générale, ces procédures de paiement forfaitaire au parcours demandent une étroite coordination entre les différents acteurs de la prise en charge, et dans un système éclaté comme le système français, cela suppose que soient mis en place des dispositifs de coordination *ad hoc*.
- Surcoûts induits :
 - Coûts de mise en place et de gestion du système (mise en place du système d'information, suivi des pratiques...), coûts de coordination.
 - Risque de déport d'une partie de la dépense vers des soins « hors forfait » (*i.e.* non liés à la pathologie principale). Là encore, l'existence de ce risque nécessite la mise en place d'un système de contrôle et d'évaluation.

Malgré ces difficultés, cette piste tarifaire paraît receler suffisamment d'avantages pour être explorée et faire l'objet d'une expérimentation dans quelques territoires volontaires, comme cela devait être le cas dans les expérimentations « LFSS 2014 » dont il a été question plus haut. Ces territoires pourraient être choisis parmi ceux présentant une organisation des soins néphrologiques déjà bien coordonnée, voire intégrée.

Une autre option pour démarrer un tel programme serait de s'intéresser en premier lieu au « parcours de prévention » avant la phase terminale, comme évoqué plus haut.

Incitations tarifaires en faveur de la dialyse hors-centre

Une autre réflexion ancienne a porté sur l'impact fortement désincitatif au « hors centre » de la tarification à l'acte ou à la séance : en effet, le néphrologue libéral, quelle que soit son éthique professionnelle, ne pouvait que constater que pour un patient donné, il percevait, pour une prise en charge en centre d'hémodialyse, 3 forfaits par semaine de 38,35 €, alors que, pour une prise en charge à domicile, par exemple en dialyse péritonéale, il ne percevait qu'une consultation de temps à autre. L'incitation n'allait pas dans le bon sens. Pour lever cette anomalie, un forfait spécifique de prise en charge du patient en IRCT traité par dialyse péritonéale a été créé par négociation entre les professionnels et l'assurance-maladie en 2011 ; ce forfait hebdomadaire a été fixé à 56 € pour « rémunérer les néphrologues pour l'ensemble des activités médicales pour les patients bénéficiant de cette technique de dialyse à domicile. »

Cette nouveauté dans la tarification constitue un pas important dans la résolution du problème, mais depuis la mise en place de la T2A, de façon globale, la situation désincitative au hors-centre s'est aggravée, touchant non seulement les centres privés mais aussi les établissements antérieurement sous dotation globale. Les établissements souhaitent avant tout « remplir » leur centre de dialyse avant d'envisager d'orienter les patients vers des prises en charge hors-centre, avec des stratégies de contournement de l'esprit des directives nationales, par exemple la création d'une UDM au sein de l'établissement, jouxtant le centre de dialyse²⁴. La Cour des comptes a mis en exergue en outre la forte rentabilité des centres de dialyse, notamment privés à but lucratif, plaidant pour une baisse des tarifs en centre en faveur d'une hausse des tarifs régissant les modalités hors centre. De tels ajustements nécessiteraient de prendre en compte précisément les contraintes d'équilibre économique des différents types de structures existantes.

Mais, même si un tel mouvement paraît logique, il ne réglerait pas la difficulté à court terme puisqu'on a affaire dans la majorité des régions à des institutions différentes : en règle générale, les

²⁴ Ce constat peut apparaître brutal, mais les enquêtes qualitatives relèvent de nombreux témoignages de praticiens en établissements publics faisant état de « pressions » de la part de leur direction en ce sens.

centres sont gérés par les établissements de santé, publics ou privés, ou des centres autonomes de dialyse privés, et les prises en charge à domicile ou en autodialyse sont pour l'essentiel assurées par les associations de dialyse à domicile (établissements de santé à but non lucratif) passant des conventions avec les établissements de santé²⁵. De la sorte, le centre, quels que soient les tarifs, cherchera à rentabiliser sa structure, tout déport de patients vers le hors-centre, quand il ne le gère pas, constituant une perte de son point de vue. Toutefois, si le mouvement de bascule tarifaire était suffisamment important (c'est-à-dire sans se limiter à 1 ou 2%), certains établissements pourront évoluer dans leur stratégie et s'orienter vers des prises en charge hors centre de manière plus volontariste, permettant à moyen terme de trouver un nouvel équilibre entre centre et hors centre.

En d'autres termes, la segmentation du système de prise en charge des patients joue en défaveur d'une optimisation des parcours de soins. Toute évolution devrait prévoir une meilleure intégration des différentes modalités, le minimum étant de proposer au patient une information objective et complète sur les différentes modalités et de lui garantir un accès équitable sur l'ensemble du territoire à ces modalités, ainsi que discuté plus haut. Ce point est déjà inscrit dans la réglementation (décrets de 2002), mais peine à passer dans la pratique. Dans l'enquête récente réalisée auprès de 1 000 patients dialysés, sur le site Renaloo, déjà citée, 1 sur 2 estime être mal ou pas informé sur la possibilité de faire de l'hémodialyse à domicile, et plus de 40% estiment être mal ou pas informés sur la dialyse péritonéale à domicile.

Il reste qu'au minimum, il faudrait s'assurer que les organismes gérant les modalités hors-centre bénéficient de tarifs suffisants pour couvrir leurs coûts. A cet égard, la baisse des tarifs de dialyse en centre décidée dans les années récentes ne s'est pas accompagnée d'une hausse significative des tarifs des modalités de dialyse autonome.

Il est urgent que l'enquête nationale de coûts des structures de dialyse, prévue depuis plusieurs années, puisse enfin produire des résultats pour baser ces évolutions tarifaires.

Dans le domaine de la transplantation rénale, l'Agence de biomédecine souligne l'importance de lever les obstacles tarifaires à la réalisation de l'activité (sans même parler d'incitation). Cela passe par plusieurs leviers, en particulier :

- Couverture suffisante des coûts engagés pour les machines à perfusion, et d'une manière générale pour les expérimentations menées en vue d'accroître les possibilités de prélèvement (notamment prélèvement sur donneur à cœur arrêté).
- Garantie de couverture totale des dépenses et pertes financières indirectes engagées par la personne faisant le don d'un rein à un proche, dans des délais rapides (l'Agence de biomédecine a rédigé récemment un guide spécifique sur cette question à destination des acteurs de santé²⁶). Il ne peut qu'être regretté une hétérogénéité des pratiques entre établissements sur ce point.
- Financement dans chaque établissement concerné d'infirmières cliniciennes pour faciliter la mise en place des protocoles de coopération (cf. plus haut).
- Financement spécifique d'infirmières coordinatrices de greffe pour l'activité de don vivant, pour laquelle on ne devrait pas pouvoir observer de phénomène de file d'attente.

²⁵ Nous décrivons là la situation majoritaire, mais les organisations peuvent être plus intriquées : les activités hors centre des centres de dialyse se développent et il est de plus en plus fréquent que l'association ouvre un ou plusieurs centres d'hémodialyse pour compléter sa palette d'intervention et assurer une présence dans certaines zones mal desservies. Les UDM et l'autodialyse sont assurées par les deux types de structures, en fonction de la géographie de la région.

²⁶ Agence de biomédecine, Guide de prise en charge financière des donneurs vivants d'éléments du corps humain, février 2015.

4. Perspectives et recommandations

Nous l'avons vu au cours de ce panorama, les problèmes sont bien identifiés et de nombreuses actions sont d'ores-et-déjà engagées pour tenter d'améliorer la situation. A cet égard, il semble que la tenue des Etats Généraux du Rein (EGR) en 2012-2013, associant l'ensemble des institutions et partenaires impliqués²⁷, ait permis, dans un réel exercice de démocratie sanitaire, d'accélérer certains dossiers, certaines recommandations des EGR ayant été suivies d'effet : expérimentation sur les parcours de soins, travaux sur les indicateurs de qualité, recommandations HAS sur la décision partagée et le dispositif d'annonce, sur l'accès à la liste d'attente de greffe,...

Pour autant, d'importants blocages subsistent. Or, il semble possible de viser des objectifs ambitieux à l'horizon de 10-15 ans, en exploitant les opportunités offertes par les innovations technologiques et organisationnelles, comme il a été détaillé plus haut.

A cet horizon de moyen terme, des objectifs volontaristes pourraient être fixés pour guider l'action des pouvoirs publics et de la communauté des néphrologues et des patients en IRCT :

- Stabilisation de l'incidence de l'IRCT par une meilleure prévention, un dépistage plus précoce de l'IRC et un parcours de soins mieux coordonné, des incitations pour les néphrologues et les établissements ;
- Augmentation de l'activité de greffe et amélioration de la survie des greffons, de manière à stabiliser, puis à diminuer le nombre des patients inscrits sur les listes d'attente de greffe ;
- Résorption des inégalités territoriales en termes d'accès à la greffe et aux modalités de dialyse autonomes ;
- Diminution du coût individuel moyen de traitement par dialyse, toutes modalités confondues.

En l'absence d'une telle politique volontariste actionnant les bons leviers, dans une vision systémique, la situation observée à l'heure actuelle risquerait à l'inverse de s'aggraver : le nombre de malades continuera à augmenter, la greffe ne répondra pas aux besoins, les centres de dialyse seront saturés, et les dépenses liées à ces prises en charge ne feront que croître.

A. Développer la transplantation rénale

Les actions à mener les plus importantes paraissent sans conteste porter sur le **développement de la transplantation rénale**, au regard des données rassemblées par la HAS et l'Agence de biomédecine, de même que par les Etats Généraux du Rein. Ce développement, qui peut s'appuyer pour certains aspects sur des innovations technologiques, passe avant tout par des modifications organisationnelles et réglementaires, afin :

²⁷ • **Les associations de patients** : Renaloo, FNAIR, Association Française des diabétiques, Trans-forme, Ligue Rein et Santé, AIRG-France, PKD France.

• **Les Sociétés savantes et organisations professionnelles** : Société de néphrologie, Société de néphrologie pédiatrique, Société francophone de dialyse, Société Francophone de transplantation, Association française d'urologie, Société Française d'Anesthésie et de Réanimation, Société de réanimation de langue française, Société française de Santé Publique, Club des jeunes néphrologues, Fondation du Rein, ANTEL, AFIDTN, ANILAD, France Transplant, UTIP, Réseau National des Psychologues en Néphrologie, Association des Assistants Sociaux de Néphrologie, Association Française des Diététiciens Nutritionnistes, Néphrolor, Rénif, Tircel, Syndicat des Néphrologues Libéraux, Syndicat National des Internes de Néphrologie, Chaire santé Sciences Po, Comité d'Education Sanitaire et Sociale de la Pharmacie Française (Cespharm), Mutualité Française, MGEN.

• **Les organismes de recherche** : Aviesan.

• **Les fédérations hospitalières** : FEHAP, FHF, FHP.

• **Les institutions** : Agence de la biomédecine, Caisse Nationale d'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés, Caisse Nationale de Solidarité pour l'Autonomie, DGOS, Haut Conseil de Santé Publique, Haute Autorité de Santé.

- D'encourager le don vivant : organisation de l'information des patients et des familles, mise en place de postes d'infirmières coordinatrices de greffe à partir de donneur vivant, organisation du suivi des patients...
- De développer l'activité de prélèvement d'organes sur donneurs décédés :
 - En analysant les causes de disparités entre régions et en visant une homogénéisation des pratiques et des résultats entre régions, un alignement avec les meilleures pratiques internationales, en matière de recensement des donneurs potentiels et de prélèvements, de même que de communication auprès de la population pour expliquer les enjeux et sensibiliser au don.
 - En travaillant sur le taux de refus des familles afin d'en comprendre les déterminants et d'agir sur ces déterminants.
 - En développant les techniques de prélèvement sur donneur à cœur arrêté.
- De résorber les inégalités territoriales d'accès à la greffe et diminuer les délais d'inscription sur la liste d'attente.
- D'organiser, dans l'esprit d'un véritable parcours de soins, le suivi des patients greffés, dans un partenariat entre les centres greffeurs et les correspondants de ville, pour alléger la charge de consultation des centres greffeurs et permettre un suivi plus proche du domicile des patients.

B. Renforcer la place des patients

Une autre action au moins aussi stratégique porte sur **la place des patients** dans le système. Il s'agit de faire en sorte :

- que le choix des patients puisse être éclairé, via des actions d'information et des programmes d'éducation thérapeutique, tout au long du parcours, programmes pour lesquels un financement pérenne devrait être trouvé,
- qu'il y ait une réelle garantie d'accès à l'ensemble des modalités de prise en charge,
- et que le patient puisse ainsi, dans le cadre du dialogue avec son médecin, opter pour la prise en charge la plus adaptée pour lui (décision partagée)

Il s'agit sans doute du principal levier pour faire évoluer la situation, caractérisée par des blocages multiples, identifiés depuis plus de vingt ans et toujours non résolus.

Les Etats Généraux du Rein proposaient sur ce point la mise en place généralisée d'un dispositif d'orientation des patients, pluridisciplinaire et pluriprofessionnel (DOPP), impliquant le médecin traitant, et d'un dispositif formalisé d'annonce et d'information. Ce sujet paraît prioritaire.

Les associations de patients ont soulevé une question complémentaire concernant le registre REIN : les conditions d'accès aux données prévoient qu'elles ne peuvent faire l'objet d'une externalisation qu'après une agrégation régionale. Toute publication des données relatives à chaque établissement est interdite par la convention, ce qui empêche de disposer d'indicateurs par centre sur les taux d'orientation par modalité, les taux d'inscription sur liste de greffe, etc., indicateurs dont on sait déjà qu'ils sont très hétérogènes d'une région à l'autre. Cette limitation de la transparence a été l'un des principes fondateurs du registre pour une adhésion de l'ensemble des acteurs qui remplissent ce registre, la montée en charge de celui-ci ayant d'ailleurs été compliquée et longue (pour un démarrage en 2002, l'ensemble des régions n'a été couvert qu'en 2013).

Ce point devrait faire l'objet d'un débat réel, dans le but de favoriser la démocratie sanitaire dans ce champ et renforcer la transparence sur les pratiques des centres, sans mettre à mal la qualité et l'exhaustivité du registre.

C. Mettre en œuvre un véritable programme de prévention et de dépistage précoce

Il est indispensable de mettre en œuvre et financer un véritable **programme de prévention et de dépistage précoce** pour retarder l'entrée en dialyse des patients en IRC et réduire le taux de patients arrivant en dialyse dans un contexte d'urgence, via une information plus largement diffusée auprès du grand public sur les maladies rénales et leur évolution, la maîtrise des facteurs de risque, en particulier dans l'emploi des médicaments néphrotoxiques.

Actuellement, ce dépistage est assuré par le médecin traitant, sur la base des analyses biologiques décrivant la fonction rénale, mais au regard du nombre de patients découvrant leur insuffisance rénale avec retard, une plus grande sensibilisation des médecins traitants à ce problème devrait être entreprise. Des actions de formation et d'information renforcées auprès des médecins de première ligne sont ainsi à promouvoir, pour améliorer les connaissances sur l'évolution de la maladie rénale chronique et diffuser les bonnes pratiques en matière de prévention et de dépistage.

Le suivi des patients dépistés par le néphrologue pourrait par ailleurs largement bénéficier des protocoles de coopération médecin/infirmière, afin de densifier ce suivi et libérer du temps de néphrologue.

Il s'agit d'un thème retenu dans le cadre des expérimentations sur le parcours de soins des patients en insuffisance rénale chronique, mais ces actions devraient logiquement être entreprises dans l'ensemble des régions.

Ce thème pourrait faire l'objet d'expérimentations tarifaires innovantes à base territoriale, comme évoqué plus haut.

D. Augmenter les prises en charge à domicile

Enfin, en matière de modalités de dialyse, les promesses offertes par la technologie (miniaturisation, appareils d'hémodialyse à domicile transportables, télémédecine...) devraient pouvoir se traduire au sein de l'organisation des soins par une **augmentation des prises en charge à domicile**, ce mouvement devant être facilité par l'utilisation des leviers réglementaires et tarifaires.

A minima, une augmentation significative des tarifs d'hémodialyse à domicile, autodialyse et dialyse péritonéale serait nécessaire, dans la limite bien sûr des coûts observés (en soulignant l'urgence de disposer des résultats de l'enquête de coûts des structures de dialyse).

En parallèle, le financement de la télémédecine en dialyse devrait entrer dans les outils de tarification des actes médicaux.

Bibliographie

C. Baudelot, Y. Caillé, O. Godechot, S. Mercier, Maladies rénales et inégalités sociales d'accès à la greffe en France, Population, 2016, 71(1), 23-52

Rapport annuel 2014 du registre français des traitements de suppléance de l'insuffisance rénale chronique (REIN), Agence de biomédecine, mars 2016

HAS-Renaloo, Indicateurs Pour l'Amélioration de la Qualité et de la Sécurité des Soins - Prise en charge des patients hémodialisés chroniques - Résultats nationaux de la campagne 2015 - Données 2015, novembre 2015

HAS, Transplantation rénale – Accès à la liste d'attente nationale : Recommandations pour la pratique clinique : Argumentaire scientifique et Recommandations, octobre 2015

Cour des Comptes, rapport 2015 sur la Sécurité Sociale, chapitre X – L'insuffisance rénale chronique terminale : favoriser des prises en charge plus efficaces, septembre 2015

Les Etats Généraux du Rein : 2 ans après, Une actualité permanente, septembre 2015

CNAMTS, Rapport 2016 sur les Charges et Produits : Améliorer la qualité du système de santé et maîtriser les dépenses : propositions de l'Assurance maladie pour 2016, juillet 2015

Documents sur l'expérimentation des parcours de soins des patients atteints de maladie rénale chronique (dispositif d'annonce d'insuffisance rénale avancée et de décision partagée sur le mode de suppléance, parcours de soins), HAS, mai 2015

Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France, HAS, Agence de biomédecine, octobre 2014 : argumentaire ; synthèse et conclusions

CNAMTS, Rapport 2015 sur les Charges et Produits : Améliorer la qualité du système de santé et maîtriser les dépenses : propositions de l'Assurance maladie pour 2015, juin 2014

Rapport annuel médical et scientifique 2013 de l'Agence de biomédecine, chapitre sur la greffe rénale

Etats généraux du rein, 2012-2013 : synthèse des propositions

Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France. Volet : Analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale en France, HAS, Agence de biomédecine, juin 2012 : argumentaire ; synthèse et conclusions

Instruction N° DGOS/R3/DSS/ MCGR/ 2012/52 du 27 janvier 2012 relative au Programme de gestion du risque sur l'insuffisance rénale chronique terminale

Plan Greffe II 2012-2016, Agence de biomédecine, avril 2012

La réactivité des établissements de santé aux incitations tarifaires, volet sur la dialyse à domicile, DREES, juillet 2011

Les conditions de mise en œuvre de la télémédecine en unité de dialyse médicalisée, HAS, 2009.

Blotière PO, Tuppin P, Weill A, Ricordeau P, Allemand H. Coût de la prise en charge de l'IRCT en France en 2007 et impact potentiel d'une augmentation du recours à la dialyse péritonéale et à la greffe. *Nephrol Ther* 2010, 6(4):240-247

C. Maynard, D. Cordonnier, Le recours tardif des diabétiques insuffisants rénaux aux néphrologues a un coût humain et financier très élevé, *Diabetes Metab.* 2001, 27, 517-521

Livre blanc de la néphrologie, IRC 2000, sous la direction du Pr D. Cordonnier, *Néphrologie*, 1996

La prise en charge en cancérologie

La question de la prévention n'est pas traitée dans cette étude. Elle fait l'objet de travaux du HCAAM dans le cadre de son programme 2016-2017.

Synthèse

Depuis 2003, la lutte contre le cancer en France est structurée par des plans nationaux visant à mobiliser tous les acteurs autour de la prévention, du dépistage, des soins, de la recherche et de l'accompagnement du patient et de ses proches. La cancérologie est un terrain d'innovations majeures, qu'il s'agisse d'innovations scientifiques, techniques ou organisationnelles. Concentrant enjeux de santé publique et questions économiques, c'est également une discipline modélisatrice pour le système de santé justifiant une analyse spécifique dans le cadre des travaux du HCAAM sur l'innovation. Cette monographie permet d'illustrer plus concrètement les perspectives et les évolutions attendues pour assurer la soutenabilité du système de soins dans ses différentes dimensions sociales, économiques et financières.

Quelles sont ces innovations ?

Concernant les médicaments anticancéreux, une véritable rupture dans la conception des traitements et la prise en charge des patients est en marche, favorisée par les avancées en bio-ingénierie et les capacités à fabriquer des bio-médicaments complexes. Les progrès de la recherche permettent de préciser les mécanismes biologiques qui sont à l'œuvre dans le développement et la progression des cancers. Des traitements spécifiques sont développés en conséquence. Ils visent à cibler précisément les mécanismes biologiques qui jouent un rôle dans le développement des tumeurs. Cette dimension « moléculaire », transversale vient compléter l'approche par organe basée classiquement sur les caractéristiques histologiques des tumeurs. Cette « médecine de précision » repose actuellement sur deux types de traitements : les thérapies ciblées et l'immunothérapie spécifique (qui permet de restaurer ou d'améliorer les capacités du système immunitaire à se défendre et donc à combattre le cancer). Toutefois, ces médicaments ne concernent ni tous les cancers ni tous les patients, certains traitements étant prescrits en fonction des caractéristiques de la tumeur.

Eu égard à leurs modes d'action qui reposent sur des mécanismes physiopathologiques et des justifications pharmacologiques claires, les nouveaux médicaments qui arrivent sur le marché bénéficient d'une diffusion précoce contribuant à l'effacement des frontières entre soins et recherche. Ce modèle de continuum soins-recherche qui semble se dessiner appelle à des évolutions sensibles en termes d'évaluation notamment en développant des évaluations en vie réelle et une plus forte intégration au niveau européen. Il nécessite également de s'interroger sur les modalités d'accès au marché et à la fixation des prix. Par ailleurs, le développement de formes orales ou sous-cutanées qui contribue au développement de l'ambulatoire pose la question de leur utilisation dans un environnement sécurisé pour les patients et de la mobilisation du numérique pour l'observance et le suivi des traitements à domicile.

Sur le plan des techniques, de nombreuses innovations apparaissent également, conduisant à un degré élevé de spécialisation des prises en charge. Par exemple, les techniques de radiologie interventionnelle permettent des actes plus précis et moins invasifs. Il s'agit d'accéder en profondeur à des tumeurs par les voies naturelles, par voie endovasculaire ou par voie transcutanée et de détruire localement des petites tumeurs ou des métastases. La radiothérapie peropératoire vise quant à elle la désescalade thérapeutique. Par exemple pour le cancer du sein, il s'agit de remplacer 25 séances de radiothérapie par une seule séance au moment de l'acte chirurgical. Cette technique

est en cours d'évaluation par la HAS. Enfin, avec le développement d'outils d'analyse de l'ADN de plus en plus performants, il devient possible d'obtenir, pour un grand nombre de patients, un profil de plus en plus complet de chaque tumeur (appelé « portrait moléculaire »).

Ces techniques favorisent les évolutions de pratiques permettant des prises en charge ambulatoire plus nombreuses, des prises en charge plus légères ou de mieux cibler les patients éligibles ou non à tel ou tel type de prise en charge. Toutefois, certaines évolutions sont mal identifiées. Des pratiques échappent à la veille technologique ou se diffusent plus ou moins librement. Au-delà de la question des délais d'intégration de l'innovation dans les nomenclatures, la reconnaissance du bien-fondé de ces pratiques et l'information des patients et des professionnels de santé qui les suivent sur l'existence de prises en charge innovantes, sécurisées et efficaces sont des enjeux cruciaux. Il s'agit également de donner aux usagers et aux patients les moyens d'être plus actifs et participatifs dans la prise de décision concernant leur prise en charge.

La cancérologie qui bénéficie de filières de prise en charge spécifiques et bien identifiées est également un terrain d'expérimentation fertile pour les innovations organisationnelles. Des dispositifs sont déjà déployés ou en cours de déploiement au niveau national comme la généralisation des réunions de concertation pluridisciplinaire pour tous les patients, le diagnostic d'annonce ou la mise en place d'un dossier de cancérologie communicant. La mise en place dans toutes les régions de plateformes de génétique moléculaire qui ont pour vocation de réaliser des tests moléculaires innovants a été soulignée comme un grand succès au niveau international. Sur le plan organisationnel, la coordination des soins est un enjeu majeur. Est ainsi en cours d'expérimentation au niveau national la place des infirmières pour la coordination des soins. Au niveau local, des initiatives plus ponctuelles sont menées par les acteurs afin notamment d'améliorer les échanges et la transmission d'information. Ces solutions de coordination qui reposent de plus en plus sur les nouvelles technologies de l'information se développent à ce niveau et ce bien qu'elles ne bénéficient pas toujours d'un modèle économique pérenne. Elles devraient faire l'objet d'une politique harmonisée au niveau national et plus volontariste au risque de voir se développer des projets locaux qui à terme risquent d'obérer l'implémentation de solutions nationales.

Quelles sont les perspectives pour le système de soins à moyen terme ?

Le cancer est la cause d'une morbidité et d'une mortalité importante dans la population. En France, environ 3 millions de personnes de 15 ans ou plus vivent avec un cancer ou un antécédent de cancer. Grâce aux progrès médicaux, les guérisons et la survie globale augmentent et la maladie se chronicise. Aujourd'hui environ une personne sur deux guérit après un diagnostic de cancer. Toutefois, le risque de cancer augmentant avec l'âge (40% des cancers surviennent chez des personnes âgées de 75 ans ou plus), le nombre de cas de cancer va inéluctablement croître dans l'avenir avec le vieillissement de la population. D'après des travaux de l'INCa, les projections démographiques conduisent toutes choses égales par ailleurs à estimer un accroissement du nombre de cas de 20% chez les plus de 75 ans ce qui porterait le nombre de nouveaux cas diagnostiqués à 135 000 en 2025 (contre 112 000 en 2012) dans cette tranche d'âge.

Les dépenses de soins liées au cancer pèsent fortement sur les dépenses d'assurance maladie. Elles représentent environ 10% de la dépense totale dans le champ de l'ONDAM. Ces dépenses croissent plus vite que les effectifs de personnes prises en charge : 4,3% vs 0,7% sur la période 2011-2013. Le poids des dépenses de médicaments est particulièrement problématique pour l'avenir. À ce jour, 46 médicaments de précision sont disponibles dans 18 types de cancer. En 10 ans la part des thérapies ciblées dans le marché des anticancéreux est passée de 11% à 46%. Les dépenses de médicaments pourraient doubler d'ici 3 ans pour atteindre 5 milliards d'euros. Cette croissance serait portée par les thérapies ciblées et l'immunothérapie spécifique qui arrive sur le marché. Le développement de l'immunothérapie spécifique pourrait en effet être massif notamment du fait d'indications larges dans le cancer du poumon. A cela, il convient d'ajouter la multiplication des options thérapeutiques, elles-mêmes potentiellement coûteuses puisque ces nouvelles molécules

viennent enrichir les stratégies médicamenteuses existantes sans s'y substituer. L'extension des indications et les prescriptions hors AMM seront par ailleurs très probables. Le prix unitaire très élevé de ces traitements pose des questions quant à la capacité de notre système à absorber ces coûts. Compte tenu que des associations de ces molécules sont déjà envisagées, il faut penser un nouveau modèle d'accès au remboursement et de fixation des prix. Il s'agit également d'agir sur le prix des médicaments. Cela passe par une meilleure coordination entre les Etats au niveau international.

Des évolutions dans les prises en charge doivent également être anticipées. Ces évolutions ont un impact sur l'organisation des établissements et les besoins en équipements lourds (scanners, IRM, TEP,...). En se basant sur les travaux d'Unicancer qui viennent d'être réactualisés, il est à prévoir d'ici 2025, une augmentation des files actives (environ 10% pour l'ensemble des centres de lutte contre le cancer) et des besoins croissants pour l'ensemble des segments d'activité qu'il s'agisse de l'activité en hôpital de jour, en médecine ou en chirurgie, du développement de la radiothérapie stéréotaxique ou de la radiologie interventionnelle. Cette évolution se traduirait par une baisse de l'activité en hospitalisation complète pour la chirurgie au profit de la chirurgie ambulatoire. La décroissance de la durée moyenne de séjour se poursuivrait également pour les séjours en hospitalisation complète. Toutefois, d'un point de vue systémique, même si les hospitalisations conventionnelles devraient être de plus en plus courtes, il s'agira de faire face à un accroissement du nombre de recours liés aux évolutions démographiques et à la chronicisation de la maladie.

Innovations médicales : quelles évolutions organisationnelles appellent-elles ?

Augmentation des files actives, brouillage des frontières entre soins et recherche, hyperspécialisation des prises en charge, développement des possibilités de prise en charge ambulatoire et à domicile, coût élevé des nouveaux traitements, les défis pour le système de soins sont nombreux et s'articulent autour de l'intégration et du décloisonnement des prises en charge et de la soutenabilité financière du système. Pour les patients, il s'agit d'assurer l'accès à des soins très techniques et de qualité répondant précisément à leurs besoins sur l'ensemble du territoire tout en préservant la continuité et la fluidité des parcours de soins qui conditionnent la qualité de vie et les résultats des traitements eux-mêmes. Avec la chronicisation de la maladie, les phases de transition ville-hôpital vont se multiplier. Mais la majeure partie du parcours des patients se réalisant en ambulatoire ou à domicile, les enjeux de la coordination entre les professionnels intervenant aux différents niveaux de prise en charge s'en trouvent renforcés. L'enjeu est donc de maîtriser à la fois l'accès à des traitements de précision hyper-spécialisés et la poursuite des soins à domicile pour des patients aux besoins très différents. Il s'agit de relever les défis de l'intégration et du décloisonnement : intégration de la recherche aux soins et parallèlement décloisonnement et intégration des prises en charge au plus près du lieu de vie des patients dans un environnement sécurisé. Il s'agit aussi de répondre à l'augmentation d'activité et de diminuer les délais de prise en charge.

Les évolutions portées par une hyperspécialisation des professionnels et le développement de plateaux techniques de haute technicité vont de pair avec une offre de plus en plus spécialisée incitant à la concentration des ressources et à la gradation des prises en charge. Le HCAAM préconise ainsi une approche graduée des prises en charge permettant une meilleure allocation des ressources en fonction des situations avec, dans ce cadre, une clarification du rôle des acteurs en particulier du rôle de chaque établissement en lien avec la ville sur un territoire donné. Il s'agit de donner un sens concret aux objectifs d'organisation qui doit être en phase avec le continuum des soins et les évolutions des prises en charge (ambulatoire, chimiothérapie à domicile, radiothérapie hypofractionnée, allongement des durées de traitement...). Une mise en œuvre concrète impose une meilleure lisibilité et une clarification des missions, des champs d'intervention clairs et des articulations formalisées entre les acteurs. En particulier les établissements qui participent aux prises en charge (structures de courts séjours, HAD, SSR, ...) doivent être clairement identifiés dans les

parcours de soins. Dans ce cadre, il faut également penser à accompagner la dynamique d'hyperspécialisation par une politique permettant d'assurer l'accès des patients à des soins spécialisés éloignés de leur lieu de résidence, en développant des hébergements temporaires non médicalisés.

La coordination des soins bénéficie d'une attention particulière mais morcelée. Des solutions visant à améliorer la coordination sont implémentées ou expérimentées que ce soit au niveau national garantissant une certaine cohérence de l'action publique ou au niveau local avec le risque de fragmentation et d'épuisement en raison de leur fragilité et du fait qu'elles reposent sur la bonne volonté et le dynamisme des acteurs locaux. Un bilan complet de ces dispositifs doit être réalisé afin d'en tirer les enseignements et de mettre œuvre une politique réaliste et partagée. Les besoins de connaissance sont importants sur l'ensemble des parcours de soins des patients dont l'analyse en particulier médicoéconomique reste fragmentée et ne permet pas d'avoir une vision stratégique de la place de nouveaux acteurs du parcours. Ces analyses doivent être promues. En particulier, la question se pose de développer des paiements incitatifs à la coordination et si oui, lesquels. Enfin, formaliser la coordination n'est pas coordonner. Il faut mobiliser davantage les patients et les acteurs intervenant dans les prises en charge des cancers et créer les conditions qui favorisent l'intérêt à agir.

Introduction

En France, 3 millions de personnes vivent avec ou après un cancer. Grâce aux progrès médicaux, les guérisons et la survie globale augmentent : plus d'une personne sur deux guérit après un diagnostic de cancer. Toutefois le cancer reste la première cause de mortalité notamment avant 65 ans, chez les hommes comme chez les femmes.

La France bénéficie d'une politique nationale de lutte contre le cancer très volontariste et portée au plus haut niveau qui facilite la recherche et la diffusion de l'innovation. Depuis 2003, la lutte contre le cancer en France est structurée par des plans nationaux visant à mobiliser tous les acteurs autour de la prévention, du dépistage, des soins, de la recherche et de l'accompagnement du patient et de ses proches. Elle est portée et coordonnée depuis la loi d'août 2004 par l'Institut national du Cancer (INCa) qui a donné une impulsion très forte dans la lutte contre le cancer en développant notamment une vision intégrée de la pathologie. Le Plan cancer 2014-2019 a pour ambitions de mettre plus rapidement les innovations au service des malades et de donner à chacun, sur l'ensemble du territoire, les mêmes chances de guérir.

La cancérologie est un terrain d'innovations scientifiques et techniques d'excellence. Bénéficiant de filières de prise en charge spécifiques et identifiées, c'est également un champ expérimental pour les innovations organisationnelles. L'essor de nouveaux types de traitement (chimiothérapie orale, chirurgie ambulatoire, radiologie interventionnelle, radiothérapie hypofractionnée...) dans un contexte d'évolution de la population cible (plus âgée et polypathologique) nécessite une adaptation des organisations.

L'enjeu est de maîtriser à la fois les traitements de précision hyper-spécialisés et la poursuite des soins à domicile (incluant les établissements substituts du domicile) pour des patients aux besoins très différents. Il s'agit de relever les défis de l'intégration et du décloisonnement : intégration de la recherche aux soins et parallèlement décloisonnement et intégration des prises en charge au plus près du lieu de vie des patients dans un environnement sécurisé.

Il s'agit aussi de répondre à l'augmentation d'activité et de diminuer les délais de prise en charge.

D'après l'INCa, les dépenses relatives aux médicaments du cancer seront très fortement impactées dans les 3 à 5 ans notamment avec la diffusion de l'immunothérapie. Le prix unitaire très élevé des innovations médicamenteuses tiré à la hausse par un marché international (où les prix sont libres dans la plupart des cas) pose des questions quant à la capacité de notre système à absorber ces coûts. Compte tenu que des associations de ces molécules sont déjà envisagées, il faut penser un nouveau modèle d'accès au remboursement et de fixation des prix et de façon plus globale à un nouveau modèle de régulation transversale de l'oncologie médicale.

1. Etat des lieux et perspectives

A. Les chiffres du cancer

Données épidémiologiques

En France, environ 3 millions de personnes âgées de 15 ans ou plus ont des antécédents de cancer ou vivent avec un cancer en cours de traitement. Les cancers les plus fréquents sont les cancers de la prostate chez l'homme et les cancers du sein chez la femme, suivis par les cancers du poumon et du colon-rectum. L'âge médian au diagnostic est de 67 ans chez les femmes et 68 ans chez les hommes. En termes de morbidité, les cancers sont la deuxième cause de reconnaissance d'affection de longue

durée (ALD) après les maladies cardiovasculaires. Fin 2013, près de 2 millions de personnes affiliées au régime général de l'assurance maladie bénéficiaient d'une ALD pour tumeur maligne (ALD 30)²⁸.

En 2015, on estime à 385 000 le nombre de nouveaux cas de cancer survenus en France métropolitaine (211 000 chez les hommes et 174 000 chez les femmes)²⁹. Ce chiffre a plus que doublé depuis 1980. Le risque de cancer augmentant avec l'âge, la hausse est en partie attribuable à l'augmentation de la population et à son vieillissement. Chez l'homme, l'augmentation du nombre de nouveaux cas de cancer entre 1980 et 2012 se décompose ainsi : 31% sont attribués à l'accroissement de la population, 34% à son vieillissement et 43% à l'augmentation du risque lui-même. Chez la femme, ces chiffres sont respectivement de 34%, 22,5% et 55%³⁰. Si l'on rapporte le nombre de cas à l'ensemble de la population, les taux d'incidence (estimés à 362,4 pour 100 000 hommes et 272,6 pour 100 000 femmes en 2015) ont globalement cru depuis 25 ans mais une inversion de tendance semble se dessiner depuis 2005 avec une baisse de l'ordre de 1% par an chez les hommes et un ralentissement de la progression chez les femmes (+0,2% par an). Les évolutions d'incidence sont complexes à interpréter, car elles sont à la fois la traduction de l'évolution du risque d'être atteint d'un cancer (exposition aux risques liés à des facteurs individuels comme le tabagisme ou la consommation excessive d'alcool, aux pratiques individuelles de dépistage et à l'exposition à des facteurs environnementaux comme la pollution ou l'exposition aux pesticides) mais reflètent aussi l'évolution des techniques médicales conduisant à avancer le moment du diagnostic ou à diagnostiquer des tumeurs qui seraient autrement passées inaperçues.

Aujourd'hui, on estime que plus d'une personne sur deux guérit après un diagnostic de cancer. Toutefois les tumeurs sont depuis 2004 la principale cause de décès devant les maladies de l'appareil circulatoire. On observe une différence chez les hommes et les femmes pour lesquelles les maladies cardio-neurovasculaires restent encore la première cause de décès. En 2015, le nombre de décès par cancer est estimé à 84 000 chez les hommes et 65 500 chez les femmes². Les tumeurs représentent plus de 40% des décès avant 65 ans³¹. A tous les âges, la mortalité chez les hommes est plus élevée que celle des femmes. Pour la mortalité par tumeurs, la surmortalité est encore plus marquée : le taux standardisé de mortalité par tumeurs malignes est 2 fois plus élevé chez les hommes et la surmortalité masculine concerne toutes les localisations cancéreuses, à l'exception de celles spécifiquement féminines (sein, ovaire, utérus). On retrouve ici le poids de la mortalité prématurée attribuable à l'alcool et au tabac, mais également celui des expositions professionnelles et des comportements nutritionnels plus favorables aux femmes. Toutefois, l'évolution des comportements des femmes vis-à-vis du tabac et de l'alcool est dès à présent lisible dans l'évolution des taux standardisés de mortalité pour les tumeurs des voies aériennes supérieures, du poumon et du foie³².

Personnes âgées et cancers

L'INCA estime en 2008, que sur les 3 millions de personnes âgées de 15 ans et plus vivant en France métropolitaine et ayant eu un diagnostic de cancer au cours de leur vie près de 40% d'entre elles sont âgées de 75 ans et plus. L'incidence du cancer augmente régulièrement au cours de la vie. En 2012, 115 000 nouveaux cas de cancer (53,7% chez l'homme) sont estimés chez les personnes âgées de 75 ans ou plus en France métropolitaine, soit près d'un tiers des cancers diagnostiqués tous âges confondus. Pour les personnes plus âgées (85 ans ou plus), environ 36 000 nouveaux cas sont estimés, soit près de 10% de l'ensemble des cas des cancers diagnostiqués. D'après les projections réalisées (figure) en 2025, le nombre de cas de cancers diagnostiqués pourrait augmenter de près de 20% dans cette tranche d'âge.

On retrouve, en matière d'incidence, la même répartition des types de cancers que dans la population tous âges. Les cancers les plus fréquents sont, chez les hommes de 75 ans et plus, le cancer de la prostate, le cancer colorectal et le cancer du poumon et, chez les femmes, le cancer du sein, le cancer colorectal et le cancer du poumon. La survie varie considérablement selon la localisation du cancer et diminue avec l'âge. Le pronostic moins bon chez les sujets âgés s'explique par un diagnostic plus tardif, à un stade plus avancé et des comorbidités limitant le traitement curatif. La décision

²⁸ Données de l'assurance maladie – site ameli.

²⁹ Leone N, Voirin N, Roche L et al. Projection de l'incidence et de la mortalité par cancer en France métropolitaine en 2015. Rapport technique – InVS – novembre 2015.

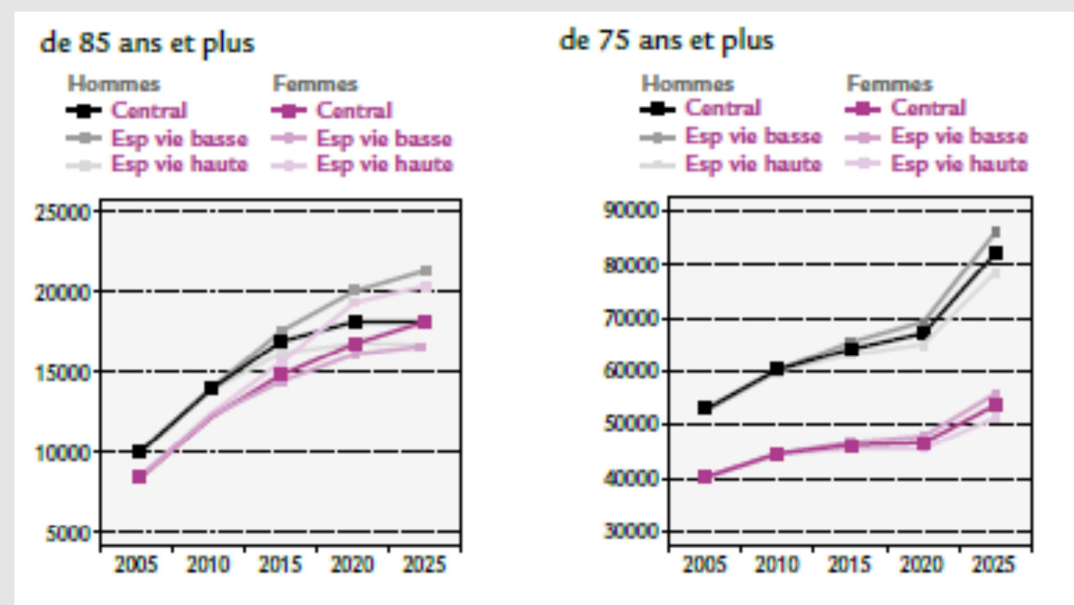
³⁰ Les cancers en France, édition 2014. INCa. 245p.

³¹ La part des décès survenant avant 65 ans (mortalité prématurée) est globalement de l'ordre de 20%.

³² L'état de santé de la population en France. DREES - édition 2015, 326p.

de traiter dépend de la balance bénéfice-risque liée à l'efficacité des traitements d'une part et à leur toxicité d'autre part. Cette balance est plus défavorable chez les patients âgés. Toutefois on estime globalement que les personnes âgées sont à risque de sous-traitement. Les cancers des personnes âgées peuvent être traités avec autant de succès que chez l'adulte plus jeune mais nécessitent des prises en charge adaptées à la polypathologie et aux comorbidités souvent associées.

Figure – Évolution du nombre de cas de cancers dans la population jusqu'en 2025*



* en fonction des scénarios d'évolution de la population + hypothèse de maintien des taux par âges estimés pour 2005

Sources : INCA

Depuis 2003, la lutte contre le cancer en France est structurée par des plans nationaux. L'oncogériatrie s'est imposée à la faveur du plan cancer 2003-2007. Le plan 2009-2013 a introduit la notion de prise en charge personnalisée et initié le développement d'unités de coordination ou d'antennes en oncogériatrie. Le Plan cancer 2014-2019 consacre deux de ses actions spécifiquement à l'oncogériatrie. De nombreux outils (par exemple des outils d'évaluation gériatriques pour le repérage des fragilités afin d'adapter les traitements) et des organisations (unités de coordination et antennes en oncogériatrie) se sont développés pour améliorer la prise en charge des personnes âgées et pour développer et structurer la recherche clinique. La coordination des soins à domicile demeure l'un des points faibles de la prise en charge des personnes âgées souffrant de cancer. Elle a donné lieu à des expérimentations de parcours personnalisés des patients pendant et après le cancer.

Sources : INCA

Pour l'ensemble des cancers, on observe globalement depuis 1980 une baisse de la mortalité par cancer. La mortalité dépend du nombre de cas incidents (nouveaux cas), de la proportion de cas de stade avancé au moment du diagnostic et de l'efficacité des prises en charge. Parmi les nouveaux cas, les cancers de mauvais pronostic sont à la baisse. L'apparition de nouveaux traitements et les modifications des pratiques médicales qui entraînent des diagnostics plus précoces expliquent en partie ces évolutions et expliquent également que la survie des personnes atteintes de cancers soit en augmentation et comparable ou supérieure à la moyenne européenne. En France, globalement la survie augmente d'environ 1,5% par an depuis 15 ans. Il convient toutefois de noter que la survie à 5 ans³³ varie considérablement selon la localisation cancéreuse, de 4% pour le mésothéliome pleural

³³ Il s'agit de la survie nette, c'est-à-dire la survie que l'on observerait si le cancer était la seule cause de décès possible. Le calcul a été réalisé sur la période 2005-2010 chez des personnes atteintes de cancer diagnostiqué entre 1989 et 2010. La survie nette est un indicateur épidémiologique important car, en s'affranchissant des éventuelles variations de mortalité liées aux autres causes de décès, elle permet de comparer l'efficacité du système de soins entre différentes périodes dans un même pays ou entre pays, ce qui n'est pas le cas avec la survie observée. Seules les tumeurs solides ont été analysées, les hémopathies malignes ne sont pas de le champ de l'étude.

Toutes les données présentées sont issues du rapport « Survie des personnes atteintes de cancer en France métropolitaine 1989-2013 ». Anne Cowppli-Bony et al. Étude à partir des registres des cancers du réseau Francim. Février 2016. INCa, InVS, HCL, Francim.

à 96% pour le cancer du testicule chez les hommes et de 7% pour le cancer du pancréas à 98% pour le cancer de la thyroïde chez les femmes. Un quart des cancers diagnostiqués ont une survie nette inférieure à 33% à 5 ans. Ces cancers de mauvais pronostic représentent 31% des cancers chez les hommes et seulement 17% chez les femmes. Ces différences entre hommes et femmes s'expliquent en grande partie par le fait que plusieurs cancers de très mauvais pronostic (cancer du poumon, de l'œsophage, du foie,...) sont plus fréquents chez les hommes. De plus, il est probable que les femmes bénéficient d'une plus grande précocité de diagnostic liée à une sensibilisation accrue à la prévention et au dépistage. Les facteurs qui influencent la survie sont nombreux. Parmi ces facteurs, l'efficacité des traitements anticancéreux a un rôle majeur. On notera, par ailleurs, que l'existence d'un dépistage peut avoir des conséquences paradoxales sur la survie. C'est le cas du cancer du col utérin dont la survie diminue entre 1989 et 2010. Le dépistage permet le diagnostic de lésions précancéreuses, se traduisant par une baisse de l'incidence. Ainsi, les cancers diagnostiqués au stade invasif sont moins nombreux, mais comportent une proportion plus importante de cancers de mauvais pronostic, ce qui induit une baisse de la survie des cancers invasifs diagnostiqués²⁹.

Dépenses de soins

En 2013, sur les 56 millions de personnes affiliées au régime général, 34% ont eu un recours à des soins pour une maladie chronique parmi lesquelles 2,5 millions ont été prises en charge pour un cancer.

Les dépenses liées au cancer dans le champ de l'ONDAM se sont élevées à 15,1 milliards d'euros et représentent 10% de la dépense totale. C'est le 2^e poste de dépense pour les maladies chroniques derrière les maladies psychiatriques, au même niveau que les maladies cardio-neuro-vasculaires. Les soins hospitaliers concentrent la majorité des dépenses à hauteur de 55%. Au sein des soins de ville qui représentent 37% de la dépense totale, les médicaments représentent le poste de dépense le plus important (45% des dépenses), suivi des soins de médecins et des transports (16% pour chaque poste)³⁴. Les dépenses moyennes par patient sont très variables selon que le cancer est en phase active ou non (tableau 1).

Les dépenses liées au cancer croissent plus vite que les effectifs de personnes prises en charge pour cancer qui ont peu évolué depuis entre 2011 et 2013 (4,3% an vs 0,7%). L'accroissement est de 545 millions d'euros sur la période.

Tableau 1. Effectifs et dépenses moyennes remboursées par an et par patient en 2013 pour le cancer*

	Effectifs	Dépense moyenne totale	dont soins de ville	dont hospitalisations	dont prestations en espèces
Cancers	2 460 700	5 155 €	1 936 €	2 867 €	352 €
dont					
Cancers actifs ³⁵	1 031 700	10 893 €	3 685 €	6 663 €	544 €
Cancers surveillés	1 499 700	966 €	642 €	120 €	204 €

Champ : régime général (y compris SLM). France entière

* Ces montants restent élevés quand on les compare aux autres grandes pathologies prévalentes (maladies cardio-neurovasculaires : 3 569 euros pour 3,5 millions de bénéficiaires traités ; diabète : 2 174 euros pour 2,9 millions de bénéficiaires traités ; maladies respiratoires chroniques hors mucoviscidose : 870 euros pour 2,9 millions de bénéficiaires traités). D'autres pathologies sont plus coûteuses mais concernent moins de personnes : pathologies cardio-

³⁴ CNAMTS, Analyse médicalisée de l'ONDAM, rapport Charges et produits 2016. 186p.

³⁵ Un **cancer actif** est défini sur deux ans à partir du PMSI-MCO (DP ou DR spécifiques du cancer, y compris les formes *in situ*, ainsi que les codes en Z de chimiothérapie et radiothérapie) et/ou des ALD apparues sur les deux ans. Un **cancer sous surveillance** est défini à partir du PMSI-MCO (DP ou DR spécifiques dans les cinq ans, ou DA dans l'année n ou n-1) et/ou des ALD. Un cancer est donc considéré comme actif s'il a donné lieu, dans les deux ans (année n ou n-1), soit à une hospitalisation pour traitement à l'exclusion des hospitalisations pour bilan seul, soit à une hospitalisation pour métastase, soit à l'initiation d'une prise en charge pour ALD, soit à un traitement par certaines thérapies ciblées (trois délivrances l'année n ou n-1).

neurovasculaires aiguës (n= 310 800 : dépenses moyennes remboursées = 10 045 euros) ; dialyse chronique pour les patients en Insuffisance rénale chronique terminale (n= 39 400 : dépenses moyennes remboursées = 65 091 euros).

Source : CNAMTS, Analyse médicalisée de l'ONDAM.

En 2014, 5,6 millions de patients ont été transportés (tous régimes), soit 8% de la population des consommateurs, et le coût de ces transports pour l'Assurance Maladie s'est élevé à 4 milliards d'euros. La répartition des dépenses de transport en fonction des pathologies des patients montre que 22% des dépenses, soit 860 millions d'euros, concernent des patients atteints de cancer. C'est la première cause des dépenses de transport.

En 2014, les médicaments de spécialité (traitement du VIH, du cancer, de la polyarthrite rhumatoïde de la sclérose en plaques, de la DMLA...) continuent d'être les principaux moteurs d'augmentation des dépenses. Hors rétrocession, ils s'accroissent de 156 millions d'euros par rapport à 2013. Parmi ces médicaments, les traitements du cancer ont enregistré la plus forte croissance (+ 150 millions d'euros, soit + 8,4%).

B. La lutte contre le cancer : une volonté politique affirmée

Depuis les États généraux du cancer organisés par la Ligue nationale contre le cancer en 1998, le cancer bénéficie d'une attention accrue des pouvoirs publics. En devenant une « priorité présidentielle », la lutte contre le cancer s'est amplifiée en France dès 2003. Le premier plan de lutte national contre le cancer 2003-2007 a été renouvelé en 2009 puis en 2014 (3^e plan cancer). Mesure emblématique du 1^{er} plan cancer, la création par la loi de santé publique du 9 août 2004 de l'institut national du cancer (INCa), agence d'expertise sanitaire et scientifique chargée de coordonner les actions de lutte contre le cancer, a permis d'impulser une dynamique décisive dans la lutte contre le cancer et dans la prise en charge des malades et de jouer un rôle d'accélérateur de progrès, en apportant une vision intégrée de l'ensemble des dimensions sanitaire, scientifique, sociale, économique liées aux pathologies cancéreuses ainsi que des différents champs d'intervention (prévention, dépistage, soins, recherche).

Le Plan cancer 2003-2007 a défini une première stratégie globale de lutte contre le cancer et permis d'organiser une coordination des acteurs à l'échelon territorial en créant les réseaux régionaux de cancérologie (RRC), les centres de coordination en cancérologie (3C), et les sept cancéropôles³⁶ ; le deuxième plan cancer (2009-2013) a introduit la notion de prise en charge personnalisée. L'accès à l'innovation était au centre de ce plan. Le Plan cancer 2014-2019 a pour ambitions de mettre plus rapidement encore les innovations au service des malades et de donner à chacun, partout en France, les mêmes chances de guérir.

Parmi les avancées significatives de ces dix dernières années, on peut citer la généralisation du dépistage organisé du cancer du sein et plus récemment du cancer colorectal. Des critères définissant le standard minimum de qualité dans la prise en charge ont été établis, les établissements de santé devant satisfaire à ces critères pour être autorisés à traiter des malades atteints de cancer (en chirurgie, en radiothérapie et en chimiothérapie)³⁷. Des innovations en matière de prise en

³⁶ 7 cancéropôles ont été créés dès 2003 lors du premier Plan cancer. Ce sont des structures de **coordination des opérateurs de recherche** à l'échelle d'une région ou d'une inter-région, et qui exercent leur mission dans un champ disciplinaire unique : la cancérologie. Ils ont été labellisés une première fois par l'INCa en 2011. Les cancéropôles sont reconduits par le Plan cancer 2014-2019, avec une adaptation de leurs objectifs et de leurs missions. En 2014, l'INCa a organisé une nouvelle procédure de labellisation de ces structures pour la période 2015-2017.

³⁷ Le 3e plan cancer prévoit l'évolution des critères d'autorisation des établissements prenant en charge les patients atteints de cancer en définissant des indicateurs de qualité de prise en charge des patients par localisation de cancer, établis en lien avec les professionnels, et rendus progressivement accessibles au public par établissement. En outre, le dispositif des autorisations et les critères d'agrément doivent évoluer pour intégrer les nouvelles modalités de prise en charge (telles que la chimiothérapie orale ou la radiologie interventionnelle).

Un changement du régime des autorisations est prévu par la loi de modernisation du système de santé (article 51). Il s'agit de passer d'un système autorisant les équipements d'imagerie appareil par appareil à un système plus dynamique

charge et de coordination des soins (réunions de concertation pluridisciplinaire, plan personnalisé de soins, dispositif d'annonce, soins de support, consultation de fin de traitement) instaurées dès le premier plan cancer dépassent maintenant pour certains dispositifs le cadre strict de la cancérologie (expérimentations PAERPA).

La volonté politique particulièrement affirmée de faire de la lutte contre le cancer une priorité nationale se traduit par une médiatisation importante des plans cancers et par des financements conséquents. L'obligation de résultats est à la mesure des attentes et des financements accordés. A cet égard, un premier rapport de la Cour des comptes en 2008³⁸ était assez critique sur l'absence de suivi, notamment budgétaire et économique et d'évaluation du plan cancer. Depuis, une gouvernance des plans cancer a été mise en place. Des rapports d'étapes sont publiés annuellement par l'INCa et les plans cancer font l'objet d'évaluations par des organismes indépendants. En 2009, des évaluations ont été menées par le Haut Conseil de la Santé Publique (HCSP)³⁹ et par l'IGAS sur le volet prévention et organisation des soins du 1^{er} plan cancer⁴⁰. Le Plan cancer 2009-2013 fait l'objet d'une évaluation en cours par le HCSP, dans le cadre de l'évaluation de dix ans de lutte contre le cancer. Une évaluation à mi-parcours a été publiée⁴¹. Des diverses évaluations, il ressort que l'articulation ville-hôpital reste un échec des différents plans : « *l'articulation entre la prise en charge hospitalière et la prise en charge en ville est incontestablement l'un des points les plus faibles du plan cancer. L'accompagnement continu des patients au-delà du traitement initial, notamment dans les périodes charnières entre le traitement curatif et la surveillance, les rechutes, les décisions de non traitement et les soins palliatifs n'est pas assuré et les procédures ne sont formalisées dans aucune des régions visitées* ». Concernant le deuxième plan cancer, il était préconisé de renforcer le rôle central du médecin généraliste dans le parcours des personnes avant, pendant et après la maladie mais aucune mesure précise n'y était associée et cet objectif n'a pas été atteint⁴². De plus, la coordination du parcours de soins reste très hospitalo-centrée sans intervention explicite du secteur médico-social en particulier.

C. Le cancer en France : perspectives

Avec le vieillissement de la population, le nombre de cas de cancers va inéluctablement augmenter dans l'avenir. Toutefois, l'exercice de projection est complexe car il dépend de nombreux paramètres qu'il est difficile de maîtriser pour certains. En particulier, l'évolution des taux d'incidence et de prévalence en fonction de l'âge dépend à la fois du risque d'avoir la maladie, donc des facteurs de risque auxquels les différentes générations ont été exposées, mais aussi très largement des comportements en matière de dépistage ou de diagnostic qui peuvent être à l'origine d'une anticipation du diagnostic. Par exemple, la diminution de l'utilisation des traitements hormonaux substitutifs de la ménopause aura probablement un impact important à long terme sur l'incidence des cancers du sein qu'il est difficile de prévoir. La prise en compte de facteurs compétitifs du fait de l'augmentation de co-morbidités avec l'âge est également délicate⁴³. En faisant l'hypothèse d'un maintien des taux d'incidence des cancers par âge observés en 2005, et à partir des projections démographiques du scénario central de l'INSEE⁴⁴, des travaux menés par l'INCa estiment que 130 000

autorisant une activité d'imagerie. Cette nouvelle approche instaurera des règles de qualité, de sécurité et de compétences professionnelles.

³⁸ « La mise en œuvre du plan cancer ». Rapport thématique – Cour des comptes, juin 2008, 176 pages,

<http://www.ladocumentationfrancaise.fr/rapports-publics/084000337/index.shtml>.

³⁹ <http://www.ladocumentationfrancaise.fr/rapports-publics/094000084/index.shtml>.

⁴⁰ <http://www.ladocumentationfrancaise.fr/var/storage/rapports-publics/094000353.pdf>.

⁴¹ <http://www.hcsp.fr/explore.cgi/avisrapportsdomaine?clefr=296>.

⁴² Pr A. Buzyn. Les apports des Plans cancer à la cancérologie. Oncologie (2014) 16: HS4–HS6.

⁴³ Par exemple les cancers prostatiques surviennent à des âges où la mortalité compétitive est forte. Un gain théorique de deux années de survie permet donc fréquemment de mourir d'autre chose que de son cancer.

⁴⁴ Robert-Bobée I, Projections de population 2005-2050 pour la France métropolitaine : méthode et résultats, Documents de travail de l'Insee, n° F0603. Juillet 2006.

cas de cancer seront diagnostiqués en 2025 chez les personnes âgées de 75 ans ou plus (contre 90 000 en 2005)⁴⁵.

Une difficulté de l'exercice de prospective au-delà de l'analyse des évolutions tendanciennes tient largement à la place que l'on accorde ou non à la prévention dans les *scénarii*. Prévenir le cancer, c'est l'ensemble de ce que l'on peut faire, à titre individuel et collectif, pour diminuer le risque de survenue de la maladie. En l'état actuel des connaissances, on estime que 40% des cancers pourraient être évités par des modifications des comportements individuels et collectifs. Si la prévention apparaît ainsi comme un moyen d'action essentiel et efficace pour faire reculer la survenue du cancer, elle nécessite de renforcer les politiques publiques de prévention et de promotion de la santé qui ne porteront leurs fruits et ne seront quantifiables pour le système de santé que des décennies plus tard. Il s'agit également par cette voie de lutter efficacement contre les inégalités de santé car les comportements en matière d'alimentation ou d'activité physique favorables à la santé sont souvent liés à des déterminants sociaux ou économiques et contribuent ainsi aux inégalités observées en France face au risque de cancer. Or ces politiques dépassent largement le champ de la santé. Pour agir sur l'ensemble des déterminants de la santé, il faut une action coordonnée, ainsi que des stratégies et des initiatives communes interministérielles.

Le traitement du cancer associe trois types d'interventions qui peuvent être utilisés seuls ou en association : la chirurgie, la radiothérapie et la chimiothérapie (par voie intraveineuse ou plus rarement par voie sous-cutanée ou orale). Pour la grande majorité d'entre eux, ces traitements nécessitent une hospitalisation en établissement de santé mais peuvent être éventuellement réalisés à domicile pour les chimiothérapies⁴⁶. Conjointement aux soins spécifiques oncologiques dans la prise en charge des malades, les soins de support sont indispensables afin d'assurer la meilleure qualité de vie possible aux patients tout au long de la maladie, sur le plan physique, psychologique et social en prenant en compte la diversité de leurs besoins, ceux de leur entourage et ce quels que soient leurs lieux de soins. L'étude d'Unicancer « Quelle prise en charge des cancers en 2020 ? » identifie les évolutions suivantes : le développement de la chirurgie ambulatoire, la réduction du nombre de séances de radiothérapie (radiothérapie hypofractionnée), le renforcement des chimiothérapies à domicile, le développement de la biologie moléculaire au stade du diagnostic et du traitement grâce aux thérapies ciblées, ainsi que le développement de la radiologie interventionnelle et des soins de support⁴⁷. D'après cette étude qui vient d'être réactualisée, le nombre de séjours de chirurgie ambulatoire devrait quadrupler jusqu'en 2025. Ainsi, le taux de chirurgie ambulatoire passerait de 17% en 2012 à 75% pour la chirurgie du cancer du sein et de 3% à 15% pour la chirurgie des cancers de l'ovaire. Globalement, cela se traduirait par une diminution de 20% de lits en hospitalisation classique en faveur d'une augmentation d'environ 40% de places de chirurgie ambulatoire. Des besoins croissants pour l'ensemble des segments d'activité qu'il s'agisse de l'activité en hôpital de jour, en médecine ou en chirurgie, du développement de la radiothérapie stéréotaxique ou de la radiologie interventionnelle sont anticipés.

Les innovations sur le médicament (développement des thérapies ciblées et de l'immunothérapie, formes orales) et les innovations technologiques (développement d'activité à très forte valeur technologique comme le séquençage haut débit ou la radiothérapie hypofractionnée) ont un impact sur les pratiques de soins et sur la recherche ainsi que sur le développement de bases de données cliniques. L'enjeu sera de maîtriser à la fois ces traitements de précision hyper-spécialisés et la poursuite des soins à domicile pour des patients aux besoins très différents. Il s'agit de relever les

⁴⁵ Etat des lieux et perspectives en oncogériatrie. Collection Rapports et Synthèses – INCa, mai 2009 – 381p.

⁴⁶ Seuls les établissements d'HAD et les réseaux territoriaux de cancérologie sont actuellement en mesure de réaliser des chimiothérapies injectables au domicile.

⁴⁷ Quelle prise en charge des cancers en 2020 ? De la chirurgie ambulatoire aux soins de support : les six tendances les plus structurantes pour la prise en charge des patients atteints d'un cancer à horizon 2020. UNICANCER - Dossier de presse 2013 36p.

défis de l'intégration et du décloisonnement : intégration de la recherche aux soins et intégration des prises en charge au plus près du lieu de vie des patients.

2. Continuum soins-recherche : une nouvelle problématique

A. Les médicaments innovants, sources d'incertitude, favorisent l'émergence d'un modèle d'expérimentation permanent

Selon les définitions proposées par l'ANSM, une thérapie est qualifiée de « standardisée » quand elle fait appel à un traitement dit d'ancienne génération qui n'implique pas une thérapie « ciblée » dictée par une cible génomique ou protéique. Une thérapie est qualifiée de « stratifiée » quand elle peut bénéficier à une « strate » ou cohorte de patients qui ont en commun une particularité biologique comme par exemple, l'hyper expression de HER 2 dans le cancer du sein et l'utilisation des médicaments anti HER 2. Une thérapie pourrait devenir « personnalisée » lorsqu'il sera possible de personnaliser les traitements au vu non seulement du génotypage de la tumeur mais aussi du profil des patients (état général, comorbidités, profil génétique...). Le processus de « thérapie personnalisée » n'est donc pas actuellement validé et s'inscrit encore clairement dans le domaine de l'expérimentation⁴⁸.

D'après l'ANSM, les premiers résultats d'identification des anomalies moléculaires montrent que la capacité à proposer un traitement spécifique dicté par les caractéristiques génomiques de la tumeur serait actuellement au mieux de l'ordre de 20% des cas mais devrait s'accroître dans les prochaines années. D'après le rapport d'activité 2014 de l'INCa, le nombre de thérapies ciblées ayant une AMM en cancérologie et disponibles avec un test « compagnon » est passé de deux pour trois indications en 2004 à 16 pour une vingtaine d'indications en 2014.

Un changement de paradigme dans la conduite des essais cliniques

Une nouvelle approche ou porte d'entrée des traitements anticancéreux est articulée autour des caractéristiques moléculaires de la prolifération tumorale et non plus seulement de la localisation et du type histologique de la tumeur. De plus, le développement des connaissances scientifiques améliore la compréhension de la biologie des tumeurs et l'identification de nouvelles cibles d'action permettant le développement de nouveaux traitements agissant directement sur la cellule tumorale ou son environnement. Sont par exemple identifiées les voies utilisées par certains cancers pour inhiber la réponse immunitaire⁴⁹.

⁴⁸ Rapport ANSM. Conduite des essais cliniques de médicaments en onco/hématologie ciblés, guidés par la génomique. Décembre 2014. 15p.

⁴⁹ Au cours de ces dernières années, un nouveau mécanisme d'échappement tumoral a été mis en évidence. Ainsi après l'activation d'un lymphocyte T (LT), des mécanismes de régulation négatifs de cette activation sont mis en place reposant sur l'augmentation d'expression de molécules de co stimulation inhibitrices. Ces molécules secondairement induites sur les LT vont, après interaction avec leurs ligands souvent exprimés par les cellules tumorales, inhiber différentes fonctions lymphocytaires T. Des essais cliniques ont montré que l'administration d'anticorps dirigés contre ces molécules ou leurs ligands permettait de lever cet état d'anergie avec des résultats cliniques spectaculaires. Ainsi un traitement immunomodulateur par l'anticorps anti- CTLA-4 (cytotoxique T-lymphocyte antigen) ou ipilimumab a démontré son efficacité chez des patients atteints de mélanomes métastatiques. L'administration d'un anticorps anti-CTLA-4 augmente la survie des patients. Cet anticorps est aujourd'hui commercialisé et l'ipilimumab a obtenu une extension d'AMM pour le traitement en 1^{ère} ligne du mélanome avancé (avis de la commission de la transparence du 19 novembre 2014). D'autres anticorps bloquant la molécule PD-1 ou son ligand PDL-1 ont également entraîné des réponses cliniques objectives chez des patients atteints de mélanomes métastatiques, de cancer du rein et de cancer du poumon. De façon intéressante, les réponses cliniques observées sont souvent persistantes. Ces molécules levant un frein physiologique à l'activation des LT, des effets secondaires de type auto immunitaire ont été observés lors de l'emploi de ces molécules de façon plus marquée avec l'anti-CTLA-4 qu'avec le blocage de l'axe PD-1- PDL1.

<http://journee-chip.com/files/92/calendrier/carcinose-et-immunotherapie.pdf> (IGR).

De nouveaux modèles d'essais cliniques, essais précoces et combinatoires, apparaissent à la faveur de l'émergence de ces nouveaux traitements (traitements ciblés, immunothérapies spécifiques).

Outre le principe même de ces essais intrinsèquement novateur, des méthodologies nouvelles et très variées leur sont appliquées incluant notamment des protocoles intégrés (plusieurs phases en un seul essai), des « design » adaptatifs, des utilisations/comparaisons de plusieurs médicaments parfois sans AMM (novel-novel)... et ils sont jugés sur des résultats intermédiaires comme le pourcentage de rémission complète. Les essais ne sont plus figés et sont modifiés ou s'adaptent selon les résultats préliminaires, voire selon l'arrivée de nouveaux médicaments ou la découverte de nouvelles mutations. Ces essais peuvent aussi inclure des patients présentant des tumeurs de localisation différentes. Par exemple, le crizotinib, initialement prescrit dans le cancer du poumon, cible des tumeurs présentant des altérations de gènes retrouvées dans plus de 20 types de cancers différents. Par ailleurs, plusieurs anomalies génomiques peuvent être recherchées, pouvant donner ainsi accès à plusieurs thérapies ciblées. Ils sont dits essais « Umbrella ».

Les problèmes méthodologiques pour l'évaluation sont nombreux. En premier lieu, il est difficile de mettre en place des études de puissance statistique suffisante pour une population cible restreinte (par exemple dans le cas d'anomalies moléculaires touchant moins d'1% des patients). Il s'agit également d'analyser conjointement une stratégie diagnostique et l'efficacité d'un traitement ce qui fait appel à des méthodes d'évaluation spécifiques⁵⁰. Les stratégies thérapeutiques sont par ailleurs très évolutives et souvent combinées (associations, usage séquentiel de différentes molécules), rendant difficile l'évaluation *a priori* de l'apport thérapeutique d'un médicament et remettent en cause les critères d'évaluation actuels et les méthodes de conduite d'essais reconnues (larges essais de phase III). Le plus complexe est de déterminer si l'utilisation est préférable en première, deuxième ou troisième ligne.

Ces difficultés n'empêchent pas la mise sur le marché de ces médicaments potentiellement très efficaces pour certains patients. Dans le cadre des procédures européennes, des indications thérapeutiques sont ainsi accordées sur la base d'essais non comparatifs, avec un niveau de preuve plus faible que celui habituellement nécessaire pour l'octroi d'une AMM. La majorité des indications accordées le sont sur des critères d'évaluation autres que la survie globale (critère d'évaluation le plus robuste) comme la survie sans progression ou un taux de réponse qui sont habituellement considérés comme des critères intermédiaires d'évaluation. Il s'agit toutefois de médicaments dont le mode d'action repose sur une justification pharmacologique bien appréhendée, ayant démontré un taux de réponse élevé, dans une situation rare et sans alternative thérapeutique disponible. Les AMM accordées dans ces situations sont presque systématiquement des AMM conditionnelles⁵¹ qui garantissent une diffusion précoce de ces molécules dans un cadre sécurisé.

Ce contexte est source d'incertitudes pour les autorités de remboursement et de fixation des prix : la nouveauté du mécanisme d'action et l'ignorance résultante en termes de sécurité à long terme (exemple des immuno-modulateurs) ; l'hétérogénéité observable de l'efficacité, identifiée par des réponses différentes par sous-groupe ; la difficulté de prévoir la durée de traitement (les rechutes sont fréquentes en raison de l'émergence de sous-clones tumoraux résistants au médicament utilisé) ou inversement de définir une règle d'arrêt de traitement ; l'absence d'essai contre comparateur, ou une durée d'essai jugée trop courte rendent complexes l'anticipation d'un impact budgétaire ou le calcul d'un ratio coût-efficacité⁵². D'un point de vue budgétaire, il faut également prévoir que les traitements à venir vont s'ajouter au développement des autres thérapeutiques anticancéreuses avec un **accroissement de l'offre thérapeutique précoce**. L'avenir est clairement à l'étude de médicaments donnés en combinaison, de façon à circonvier ou à contourner les résistances. Des

⁵⁰ Méthodologie d'évaluation d'un test compagnon – Guide méthodologique. HAS, Service évaluation des actes professionnels - Février 2014.

⁵¹ Situation de la chimiothérapie des cancers en 2013 – Rapport INCa, 126p.

⁵² G. de Pourville, L.Mongrédien . L'accès au marché remboursé pour les médicaments : les contrats de partage de risque fondés sur les résultats — ESSEC-CES – 2012.

résultats très prometteurs laissent penser que la combinaison (ou l'administration séquentielle) de médicaments ciblés inhibant la croissance tumorale, comme les inhibiteurs de certaines tyrosine-kinases, avec d'autres agents intervenant à d'autres étapes du développement tumoral, comme la réponse immunitaire ou l'angiogénèse, apportera des réponses thérapeutiques beaucoup plus durables.

La nécessité de faire évoluer les dispositifs d'évaluation et d'accès au marché

On le voit, les méthodologies des essais pour les nouveaux traitements ne sont pas standardisées. Le plan cancer 2014-2019 prévoit de faire évoluer les modèles des essais en fonction des évolutions conceptuelles induites par l'arrivée des thérapies ciblées (action 5.6)⁵³. En 2013, on dénombre environ 800 molécules ciblant des anomalies particulières liées à la transformation cellulaire, en cours de développement ou en cours d'évaluation. Ces adaptations des modèles des essais doivent être liées à l'évolution des dispositifs d'évaluation (action 5.7). En particulier, le gain de ces traitements pour les patients dans telle ou telle nouvelle indication devrait être mieux appréhendé à un stade précoce. Les autorités d'évaluation et de tarification doivent arbitrer l'intérêt de financer ou non un dispositif de prise en charge précoce par la collectivité ou d'autoriser une AMM précoce et dans quelles conditions.

Le besoin d'outils permettant de hiérarchiser et d'évaluer ces essais est donc impérieux. Il s'agit de privilégier l'évaluation rapide de l'efficacité d'un traitement innovant afin de l'arrêter s'il n'est pas efficace ou s'il n'a qu'un impact marginal sur la durée de survie. Une échelle d'évaluation a été proposée par les professionnels (regroupés au sein de l'ESMO, société européenne d'oncologie médicale) pour estimer la magnitude du bénéfice attendu des traitements du cancer (oncologie solide uniquement) à partir d'essais comparatifs (étude randomisée, étude comparative de cohortes, méta-analyse)⁵⁴. L'utilisation d'échelles de ce type est intéressante car elle vise à signaler quels médicaments présentant d'importants avantages cliniques devraient être considérés afin que les patients puissent y accéder rapidement.

En France, une telle échelle pourrait trouver une utilité lors de l'évaluation de l'éligibilité au remboursement, lors de l'évaluation d'ATU de cohorte et de RTU, étant donné l'évolution rapide des pratiques de prise en charge dans le traitement des cancers, le raccourcissement du cycle des innovations et le nombre croissant d'anticancéreux disponibles. Il s'agit de permettre l'accès des patients aux médicaments incontournables de la pathologie.

Le développement des thérapies ciblées et de l'immunothérapie spécifique et parallèlement les modalités de régulation particulières mises en place par la puissance publique (délivrance d'ATU dès la phase II de développement d'un médicament, AMM conditionnelles, AMM précoces, ASMR conditionnelles demain) favorisent l'émergence d'un modèle d'expérimentation permanent. Dans ce cadre, les modalités de l'évaluation sont questionnées. Pour certains, ces évolutions préfigurent un modèle d'évaluation en 2 étapes articulé autour d'études en vie réelle : (i) une phase d'AMM conditionnelle, en amont de la fixation des tarifs, « phase d'expérimentation en situation semi-réelle de prescription » avec recueil de données dans le cadre d'études observationnelles de grande ampleur ; (ii) une phase post AMM en aval de la prise en charge de ces traitements par la collectivité, reposant sur des données issues des bases de données publiques ou privées (SNIIRAM, PMSI, CépîDc, bases de données cliniques, etc.)⁵⁵. De telles évolutions ne sont toutefois pas sans risques et nécessitent de définir les modalités concrètes de l'évaluation en termes méthodologiques et techniques ainsi que le champ d'application, de façon concertée entre les acteurs, probablement à

⁵³ L'ANSM a ainsi publié fin 2014 une première série de recommandations pour la « Conduite des essais cliniques de médicaments en onco/hématologie ciblés, guidés par la génomique ».

⁵⁴ N. I. Cherny *et al.* A standardised, generic, validated approach to stratify the magnitude of clinical benefit that can be anticipated from anti-cancer therapies: the European Society for Medical Oncology Magnitude of Clinical Benefit Scale (ESMO-MCBS). *Annals of Oncology* 26: 1547–1573, 2015.

⁵⁵ http://www.sante-2025.org/wp-content/uploads/2010/03/Sante_2025-fiche-66.pdf.

un niveau européen. La question du financement de ce type d'études est également soulevée afin d'éviter un transfert de la charge de la preuve sur la collectivité et sur la recherche publique dans le cadre du développement des produits.

La mise à disposition précoce de médicaments innovants nécessite de revoir la doctrine de prescription hors AMM

Des effets des nouveaux traitements, parfois très importants dans certains sous-groupes peuvent être décrits, justifiant une mise à disposition accélérée. Il faut s'attendre à un accroissement de ce type de demande avec le développement des thérapies ciblées. La mise à disposition précoce de médicaments innovants doit s'accompagner de dispositions garantissant aux patients un accès équitable et sécurisé.

L'encadrement juridique existe (cf. encadré). Toutefois, ces dispositifs s'adressent généralement à peu de patients et l'ensemble des situations cliniques potentiellement cibles ne sont pas toujours couvertes, tous les cas ne faisant pas l'objet d'une stratégie de développement de la part des laboratoires pharmaceutiques. De plus, la population cible d'un traitement est susceptible de s'élargir en fonction de l'évolution des connaissances et des résultats de la recherche, que les méthodologies des nouveaux types d'essais cliniques permettent, ouvrant la voie à l'accroissement de prescriptions hors AMM.

Encadrement juridique

L'accès facilité pour les patients aux innovations, notamment aux molécules innovantes avant AMM est possible dans le cadre d'**essais cliniques de phase I ou II** réalisés au sein des centres d'essais cliniques de phase précoce (CLIP) labélisés par l'INCa depuis 2010. En 2015, 16 centres de recherche clinique de phase précoce en oncologie ont à nouveau été labellisés pour une durée de quatre ans. Ces centres se répartissent en 5 centres de lutte contre le cancer (CLCC), 4 centres hospitalo-universitaires (CHU) et 7 regroupements de CHU-CLCC. Le nombre de patients inclus dans des essais cliniques de phase précoce est en constante augmentation depuis 2010 mais finalement assez faible. Au total, entre 2010 et 2013, 9 972 patients ont été inclus et 671 nouveaux essais ont été réalisés⁵⁶.

Cet accès précoce est aussi possible via les dispositifs spécifiques que sont l'ATU et la RTU :

- L'ATU (autorisation temporaire d'utilisation) est une mesure dérogatoire à l'autorisation de mise sur le marché (AMM) inscrite dans le code de la santé publique (articles L 5121-12 et R 5121-68 à 71). Elle peut être accordée, à titre exceptionnel, si le médicament vise à traiter une pathologie rare ou grave, s'il n'y a pas de traitement alternatif approprié et si l'efficacité et la sécurité du médicament sont fortement présumées (s'agissant de l'ATU de cohorte) ou présumées (pour ce qui concerne les ATU nominatives). Les médicaments faisant l'objet d'une ATU sont pris en charge par l'assurance maladie à prix libre à 100% pendant la durée de validité (financement MERRI à l'hôpital et sur l'enveloppe ONDAM – soins de ville pour les médicaments rétrocedés). L'**ATU de cohorte** est demandée par l'industriel, qui doit s'engager à déposer une demande d'AMM. Tous les patients de la cohorte sont traités et surveillés suivant des critères établis dans un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations. Les **ATU nominatives** sont délivrées à la demande et sous la responsabilité du médecin prescripteur. L'octroi d'une ATU nominative est soumis à condition par l'ANSM qui demande que soit remplie l'une des conditions suivantes : (i) demande d'une ATU de cohorte ou d'AMM en cours ; (ii) essai ou demande d'essai clinique conduit en France ne pouvant inclure le patient concerné. La mise en place d'un protocole d'utilisation et de recueil d'information n'est pas systématique.
- La réglementation actuelle permet également des prescriptions hors AMM encadrées notamment au travers des **recommandations temporaires d'utilisation RTU** (après signalement par l'INCa ou avis de l'INCa après saisine de l'Ansm). Après l'AMM, la loi introduit ainsi la possibilité de recourir à une RTU dans une indication donnée, qui peut être proposée par l'ANSM, dans des conditions très règlementées, s'il existe des données ou des preuves d'efficacité. Un suivi doit être mis en place et financé par le laboratoire (mais le médicament est financé par la collectivité sous réserve d'un avis favorable de la HAS). La durée de la RTU, est désormais renouvelable sans précision de durée. Le dispositif est sans obligation d'extension de l'indication pour les laboratoires et les prescripteurs ne sont pas contraints à prescrire conformément à la RTU. La mention sur l'ordonnance « prescription sous RTU » doit permettre de distinguer ces prescriptions de celles hors AMM.

⁵⁶ <http://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-la-recherche/Recherche-clinique/Structuration-de-la-recherche-clinique/Les-CLIP2>.

La prescription hors AMM se fait sous la responsabilité du médecin prescripteur et doit être documentée dans le dossier médical du patient pour assurer une traçabilité. On constate que c'est une pratique très répandue dans le champ de la cancérologie. Fin 2014, une analyse des remontées des OMEDIT concernant 6 médicaments anticancéreux de la liste en sus⁵⁷ montrait que 19% des prescriptions étaient identifiées hors AMM (PTT⁵⁸ compris), 17% hors référentiels (hors AMM et hors PTT). Les utilisations hors AMM signalées pouvaient correspondre à des localisations différentes de cancer, à des associations non prévues, à une cible moléculaire identique mais pour un cancer d'organe différent. La part réelle du hors AMM est certainement plus importante en volumétrie si l'on considère également les médicaments hospitaliers pris en charge au sein des GHS et les médicaments disponibles en ambulatoire, notamment les thérapies ciblées administrées *per os*.

Ces résultats posent la question de la définition du hors AMM, de son bien-fondé, de son évaluation, de son encadrement et de la limite des outils réglementaires disponibles (RTU). L'usage hors AMM d'un médicament innovant ne permet pas la collecte d'informations en termes notamment de pharmacovigilance et d'efficacité. Il est donc nécessaire de mieux encadrer la prescription de ce type de médicament associé à un risque plus élevé d'effets indésirables⁵⁹. S'il s'agit de garantir aux patients les meilleures conditions de sécurité, se pose aussi la question de l'égalité d'accès à ces thérapeutiques sur le territoire. De plus, à l'heure où de nouvelles immunothérapies spécifiques très prometteuses arrivent sur le marché (anti PD-1, anti PDL-1), la part du hors AMM concernant les médicaments innovants et coûteux est susceptible de croître considérablement à court ou moyen terme.

Une réponse proposée par l'INCa est le programme AcSé⁶⁰ visant à faciliter et sécuriser l'accès hors AMM aux traitements innovants pour l'ensemble des établissements autorisés pour l'activité « traitement médical du cancer » disposant d'une capacité à réaliser de la recherche clinique et couverts par des assistants de recherche clinique (ARC) de cancérologie ou des équipes mobiles de recherche clinique. Ce programme est cependant limité aux thérapies ciblées. Ce dispositif concerne les molécules pour lesquelles une indication existe déjà pour un autre organe ; 2 essais sont ouverts à ce jour : AcSé crizotinib et AcSé vemurafenib. Les traitements sont étudiés dans le cadre d'essais cliniques de phase 2 ouverts à des patients, adultes et enfants, atteints d'un cancer et en situation d'échec thérapeutique (ce dispositif permet donc de pallier le déficit d'essais cliniques chez ces patients), et dont la tumeur présente une altération génétique ciblée par le médicament. Les médicaments concernés ont obtenu ou vont obtenir une AMM pour une autre indication de cancer. Les plateformes de génétique moléculaire pour cette activité (réalisation des tests préalable à l'identification des indications lors de l'élaboration de l'essai et pour l'inclusion des patients) sont financées par l'INCa. En revanche, par convention, c'est le laboratoire qui assure la fourniture gratuite de la molécule en quantité suffisante pendant la durée de l'essai. D'après les données de l'INCa, environ 150 patients ont reçu le crizotinib et environ 70 le vemurafenib.

La doctrine d'encadrement du hors AMM doit être revue. Il s'agit *in fine* de privilégier l'inclusion dans les essais plutôt que l'usage hors AMM des médicaments afin de garantir un accès sécurisé à l'innovation et la conduite d'évaluations cliniques dans les règles de l'art. La réglementation actuelle permet un encadrement des prescriptions hors AMM au travers des RTU. Une alternative est la reconnaissance du bien-fondé d'une utilisation dans des recommandations ou référentiels de bonne

⁵⁷ Ce dispositif expérimental répondait à la recommandation du rapport de l'IGAS d'avril 2012 visant à renforcer le soutien de l'échelon national en matière d'appréciation du bien-fondé des justifications des prescriptions hors référentiel relevées par les ARS dans les établissements de santé. Les données concernant 22 195 patients en instauration de traitement sur une période de trois mois ont été collectées auprès des OMEDIT (19 régions) pour 6 médicaments « traceurs » (Alimta® (pemetrexed), Avastin® (bevacizumab), Erbitux® (cetuximab), Herceptin® (trastuzumab), Mabthera® (rituximab), Vectibix® (panitumumab)).

⁵⁸ PTT : protocole temporaire de traitement (ont disparu au profit des RTU).

⁵⁹ Tewodros Eguale *et al.* Association of Off-Label Drug Use and Adverse Drug Events in an Adult Population JAMA Intern Med, 2015.

⁶⁰ <http://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-la-recherche/Recherche-clinique/Le-programme-AcSe2>.

pratique mais d'autres outils réglementaires pourraient être nécessaires. Pour les thérapies ciblées, il pourrait s'agir d'une évolution vers des AMM moléculaires. Cela suppose dans tous les cas d'identifier les situations devant prioritairement faire l'objet d'une évaluation en vue d'un éventuel encadrement. Des critères de sélection devraient permettre de qualifier l'écart constaté par rapport à l'AMM (écarts dits « majeurs », tels que l'utilisation d'un médicament dans une localisation tumorale autre que celle visée par son AMM ; risques potentiels en termes de sécurité voire de pertes de chance, etc.). Ces analyses devraient se fonder sur les données fournies par les OMEDIT, afin d'identifier rapidement les prescriptions non acceptables ou au contraire celles susceptibles de faire l'objet d'une RTU. Cela nécessite des pratiques harmonisées concernant le recueil et l'analyse des données entre OMEDIT.

Il n'est pas envisageable d'évaluer toutes les situations hors référentiels dans la mesure où elles sont trop nombreuses, et concernent souvent un nombre restreint de patients, ou qu'elles sont « non majeures ». Néanmoins la traçabilité des prescriptions est nécessaire et l'amélioration de la qualité des informations transmises par les prescripteurs aux OMEDIT devrait être un objectif fort au service de l'amélioration de la qualité et de la pertinence des soins. Ainsi, les « contrats de bon usage des médicaments et des produits et prestations » conclus entre les ARS et les établissements de santé doivent être renforcés en ce sens.

B. Des pratiques professionnelles insuffisamment documentées : faire évoluer les dispositifs de veille et d'accès précoce aux innovations techniques

L'évolution des pratiques professionnelles a pour objectif d'améliorer les soins en mobilisant de nouveaux traitements, des traitements supposés plus efficaces ou avec moins d'effets secondaires. L'innovation est le moteur principal de l'évolution des pratiques : des dispositifs médicaux et des actes moins invasifs accompagnent ou remplacent peu à peu les traitements classiques dans de nombreuses situations cliniques. Ainsi, la coelioscopie a remplacé la laparotomie, le développement d'examens morphologiques à visée diagnostique (échographie, scanner ou IRM) permet de cibler les indications chirurgicales, la radiologie interventionnelle permet de proposer des actes diagnostiques ou thérapeutiques moins invasifs que la chirurgie ou inaccessibles à celle-ci et permet de réduire le temps de retour aux activités normales du patient. En cancérologie, de nouvelles pratiques émergent liées au développement de la radiologie interventionnelle, ou de la radiothérapie utilisée en per-opératoire.

Des dispositifs de veille institutionnelle permettent d'identifier les innovations médicamenteuses et techniques qui vont arriver à court, voire à moyen terme. Cependant, ces dispositifs restent insuffisants. Les innovations technologiques sont susceptibles d'induire des évolutions organisationnelles qui doivent être anticipées. En particulier, pour les établissements de santé il s'agit de prévoir les adaptations nécessaires à leur implémentation (adaptation des plateaux techniques, ressources en personnels, besoins de formation...).

De même que pour le médicament, des dispositifs existent pour accompagner le développement et la diffusion précoce de dispositifs médicaux et d'actes innovants. Certains sont spécifiques à la cancérologie comme le dispositif de soutien aux essais en cancérologie. La mise en œuvre du Référentiel des actes Innovants Hors Nomenclature (RIHN) permet également un accès aux actes de biologie et d'anatomopathologie, innovants pour la cancérologie. En dehors de ces actions spécifiques, l'encadrement précoce pour les actes innovants reste circonscrit aux innovations de rupture ou à celles dont l'impact médico-économique est supposé élevé. Ainsi, la radiothérapie per-opératoire dans le cancer du sein a fait l'objet d'un appel à projets lancé en 2011, et l'évaluation par la HAS est en cours⁶¹. Les travaux d'inscription à la nomenclature pourront être lancés si l'évaluation

⁶¹ Note de cadrage. Evaluation de la radiothérapie peropératoire dans le cancer du sein. HAS – octobre 2015.

démontre le bénéfice médico-économique de l'intervention. Pour le forfait innovation, deux arrêtés ont été publiés à ce jour. Le premier, dans le champ de la cancérologie, est relatif à la prise en charge de la destruction par ultra-sons focalisés de haute intensité par voie rectale d'un adénocarcinome de la prostate (arrêté du 7 mai 2014).

En réalité, la diffusion de nouvelles pratiques de soins est possible dès que les dispositifs médicaux associés ont obtenu un marquage CE et/ou sont accessibles sur le marché (inscription sur ligne générique existante, équipements sous le régime des autorisations,...). Celle-ci peut-être facilitée dans les grands centres du secteur public ou ayant des missions de service public (CHU, CLCC, EBNL) car ces centres bénéficient de crédits recherche ou d'autres lignes budgétaires permettant la réalisation d'actes innovants, pouvant être à l'origine d'inégalités d'accès en fonction du secteur de prise en charge. Ces pratiques posent surtout la question de la diffusion de dispositifs dont le niveau de preuve est encore insuffisant. C'est le cas en particulier des tests pronostiques et prédictifs qui peuvent être financés par les ARS sur le Fonds d'intervention régionale (FIR). Aussi, ceux-ci font-ils l'objet d'une attention particulière dans le plan cancer 2014-2019.

La diffusion peut être toutefois freinée par les délais d'intégration dans la Classification commune des actes médicaux (CCAM). Ces délais peuvent être très longs^{62,63}. Diverses mesures ont été prises pour les réduire⁶⁴ mais des marges de progrès existent encore. Dans le champ du cancer, l'action 5.12 du plan cancer 3 prévoit différentes mesures visant à accélérer le processus de tarification des actes et traitements innovants pour un accès plus rapide.

Bien qu'interdits par le code de la sécurité sociale (art. L162-1-7), des codages par assimilation d'actes non inscrits à la CCAM sont parfois réalisés pour obtenir une valorisation tarifaire via un Groupe homogène de séjour (GHS), mais cette valorisation ne permet pas de prendre en compte la spécificité de l'acte concerné. De plus, l'activité ne peut être tracée. Par exemple pour la chirurgie robotique mini-invasive qui se développe depuis 10 ans, en l'absence de documentation spécifique, il est difficile de quantifier le volume d'actes concernés et leurs indications, ceux-ci ne pouvant par définition être identifiés dans les bases médico-administratives. Ainsi, il est probable qu'en pratique, des actes innovants pour lesquels un tarif n'a pas été défini sont associés à des actes plus classiques qui permettent de valoriser les séjours au cours desquels ils sont réalisés. C'est sans doute le cas pour les traitements par cryothérapie qui accompagnent une résection tumorale plus classique. Car, si l'on en croit les pratiques affichées par certains établissements sur leur page d'accueil, le traitement des tumeurs et métastases par cryothérapie est réalisé (dès lors que cette activité est autorisée) dans de nombreuses indications alors que le seul acte technique identifié dans la CCAM est JGND002 « cryothérapie de prostate ».

Il manque ainsi tout un pan d'informations permettant d'objectiver la réalité de la diffusion dans l'exercice professionnel de pratiques innovantes dès lors qu'elles sont possibles. L'INCa et la HAS ne sont souvent au courant que trop tardivement et la question se pose de l'efficacité de pratiques qui échappent potentiellement à l'évaluation dans le cadre d'essais *ad hoc* et donc du gain potentiel de ces techniques, de la perte de chance pour des patients qui ne seraient pas dans les « bonnes filières » de prise en charge ou qui seraient traités à tort. Ces questions qui ne sont pas spécifiques à la cancérologie sont cependant particulièrement cruciales et sensibles dans ce champ où les enjeux de connaissance pour les patients et les professionnels de premier recours sont évidents pour une orientation précoce et adaptée des patients.

⁶² Dans le cas du traitement des symptômes du bas appareil urinaire liés à l'hypertrophie prostatique par laser, le marquage CE des DM associés était effectif au moment de la demande d'évaluation de l'acte par la société française d'urologie en février 2009. La HAS a rendu son rapport d'évaluation positif pour une inscription de l'acte à la CCAM, en novembre 2013. L'inscription de l'acte à la CCAM n'est toujours pas effective au moment de la rédaction de ce rapport.

⁶³ Centre d'analyse stratégique. « Le dispositif médical innovant - Attractivité de la France et développement de la filière ». La documentation Française. 2013, n°54. 140p.

⁶⁴ Article 52 de la LFSS 2014.

<https://www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do?cidTexte=JORFTEXT000030258165&categorieLien=id>.

Pour appuyer une demande d'inscription d'un acte aux nomenclatures, les sociétés savantes fournissent parfois des données dont on peut légitimement interroger la validité en l'absence de méthodologie de recueil clairement établie. La surveillance (au sens épidémiologique) de l'innovation dans sa phase de diffusion précoce, nécessite de tracer individuellement les actes. Une solution serait la mise en œuvre d'une CCAM « descriptive ». Ce dispositif existe depuis le 1^{er} janvier 2015 sur le champ des établissements de santé (CCAM descriptive à usage PMSI⁶⁵) mais il ne concerne que les actes en attente de tarification c'est-à-dire les actes qui ont fait l'objet d'une évaluation avec un « service attendu suffisant » ou « service attendu indéterminé » par la HAS (actes « 800 »). Il existe une incitation au codage puisque les actes sont associés à des GHS correspondants. La généralisation d'un tel dispositif à un ensemble d'actes innovants avant avis de la HAS ou même seulement en cours d'évaluation devrait être analysée.

La pérennité d'un dispositif de veille technologique nécessite l'adhésion des professionnels et la garantie de l'indépendance des flux de collecte pour la surveillance d'une part, et pour la tarification d'autre part. Les acteurs peuvent jouer un rôle d'alerte important sur leurs pratiques, susceptible d'améliorer les prises en charge, que cela justifie ou non de revoir les tarifications. Les informations sur les options thérapeutiques engagées pour un patient sont en général colligées dans le dossier médical du patient et dans les comptes-rendus opératoires pour les actes chirurgicaux. Ainsi, une veille sur les pratiques innovantes pourrait être réalisée par les sociétés savantes et les établissements sous l'égide de la HAS et/ou de l'INCa garantes de la méthodologie quant aux bonnes pratiques de collecte et de restitution dans le cadre d'un observatoire des pratiques innovantes.

La numérisation et les dispositifs de reconnaissance sémantique ouvrent de larges perspectives pour une organisation de la veille sur les pratiques à moyen terme à partir de dossiers médicaux informatisés.

Au-delà de l'organisation d'une veille technologique et des actes innovants il faut élaborer une doctrine concernant l'accès précoce et sécurisé à ces innovations pour les patients ainsi qu'à leur prise en charge par la collectivité dans l'attente d'une évaluation permettant la création d'actes techniques et leur tarification dans des délais cohérents avec les besoins. A cet égard, il convient probablement de distinguer les actes techniques déjà inscrits à la CCAM dans une autre indication, d'actes complètement nouveaux. Le forfait innovation (qui s'applique également aux actes) devrait être réservé à cette dernière catégorie d'actes. Pour les autres actes, par analogie avec le médicament et la possibilité de prescription hors AMM, il faut réfléchir à un dispositif intermédiaire. Un tel dispositif devrait s'appuyer sur les professionnels.

Enfin, il semble indispensable d'engager une réflexion sur les moyens qui permettraient de réduire de manière significative les délais d'inscription des actes à la CCAM.

3. Accès aux soins innovants

L'accès à l'innovation en cancérologie est un sujet qui mobilise aujourd'hui tous les acteurs de la santé. Le débat est surtout focalisé sur les aspects tarifaires et budgétaires et plus particulièrement sur les coûts des nouveaux traitements qui sont abordés plus loin (*cf.* partie 5). Mais d'autres enjeux se jouent pour les patients et les professionnels de premier recours qui les accompagnent. Faciliter l'accès aux soins innovants passe en premier lieu par un partage par tous d'une information accessible, fiable et compréhensible. Les délais de réalisation des différents examens ont un impact sur les délais de prise en charge et renvoient également à des problématiques d'organisation des soins sur les territoires (*cf.* partie 4). Il s'agit d'assurer une orientation rapide et adaptée des patients, éventuellement dans le cadre d'essais cliniques. A cet égard, les réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) ont un rôle crucial. Par ailleurs, le développement des analyses génomiques

⁶⁵ Pour la 1^{ère} édition, seuls les actes évalués par la HAS entre 2005 et 2010 ont été concernés. En 2015 un rattrapage est prévu pour les actes évalués depuis 2010.

des tumeurs qui transforment l'exercice de l'anatomocytopathologie en cancérologie appelle à des évolutions de pratiques. Enfin, les analyses génétiques personnalisées se développent, facilitées par l'apparition de nouvelles techniques de séquençage (séquençage haut débit) et posent des questions éthiques. Leur encadrement doit être anticipé.

A. Les enjeux d'information et de communication

Le dispositif d'annonce intégré à l'organisation des établissements de santé autorisés pour le traitement du cancer prévoit des temps de discussion et d'explication sur la maladie et les traitements afin d'apporter au patient une information adaptée sur sa prise en charge. Mais avant la tenue du dispositif d'annonce qui suit la RCP c'est le médecin traitant qui est au cœur de l'échange d'information. Le médecin de ville est bien souvent celui qui fait « la première annonce » au patient lors de l'examen clinique qui amènera au bilan de dépistage, ou lors des résultats de ce premier dépistage avant l'orientation vers une consultation spécialisée.

Les usagers et les patients doivent avoir les moyens d'être plus actifs et participatifs dans la prise de décision concernant leur prise en charge. L'information a pour but de faire comprendre les options thérapeutiques dans une situation clinique donnée mais également d'aider le patient à se repérer dans le système de soins. La diversité des sources d'information désormais disponibles est de nature à réduire l'asymétrie d'information entre professionnels et patients mais en réalité il est difficile de faire le tri. Il s'agit moins d'un manque d'information que d'un problème de lisibilité et de hiérarchisation dans l'environnement informationnel dense et souvent confus. Ces difficultés concernent aussi bien les patients que les professionnels de santé.

Sur les différents sites, l'information disponible est ainsi souvent cloisonnée en fonction de la spécificité des rédacteurs ou renvoie à d'autres sites pour les plus généralistes ou à des documents pas toujours à jour ou qui ne sont pas harmonisés entre institutions. De plus, il ne faut pas négliger les fortes attentes des patients concernant les pratiques de soins non conventionnelles souvent peu exprimées auprès des médecins traitants (alimentation, homéopathie, ostéopathie, sophrologie...) ⁶⁶ :

- Les opérateurs nationaux tels que la HAS, l'INCa ou l'ANSM mettent régulièrement à disposition des recommandations concernant les prises en charge, les médicaments ou les technologies de santé à destination des professionnels de santé. Des documents à destination des patients sont également produits mais ne sont pas toujours connus du grand public. La plateforme « Cancer info » qui constitue la mise en application de la mesure 19.5 du plan cancer 2009-2013 propose des guides thématiques, cancer par cancer ou sur des problématiques transversales ⁶⁷.
- Dans les régions, les ARS, les centres de coordination en cancérologie (3C), les établissements de santé eux-mêmes ou les réseaux de soins diffusent de nombreuses informations relatives à l'organisation et à l'offre de soins locale tandis que les OMEDIT délivrent par ailleurs des outils et fiches médicaments développés localement à destination des professionnels et des patients de leur région. La HAS diffuse également via Scope Santé des informations sur la certification et la qualité des soins (sécurité, satisfaction...) des établissements autorisés à pratiquer une activité de cancérologie.

A ce niveau, les informations délivrées sont nombreuses, redondantes et parfois hétérogènes, à la fois entre les régions et au sein même des régions. Ces observations appellent à un réagencement permettant d'apporter une information fiable et structurée aux patients et aux professionnels en fonction d'orientations nationales claires sur les objectifs et le contenu des informations que l'on souhaite dispenser.

⁶⁶ « Les soins de support. Pour mieux vivre les effets du cancer ». La ligue contre le cancer. Août 2009. 43p.

⁶⁷ Cancer info comprend trois modes d'accès : (i) des guides thématiques, cancer par cancer ou sur des problématiques transversales ; (ii) une rubrique internet (www.e-cancer.fr/cancer-info); (iii) une ligne téléphonique 0 805 123 124 (ouverte du lundi au vendredi de 9h à 19h et le samedi de 9h à 14h).

- Enfin, les associations de patients ou des patients eux-mêmes via des forums sont des relais de diffusion sur les pratiques, les établissements... Ces associations peuvent être moteur pour la diffusion d'informations non couvertes par ailleurs. On peut citer en exemple le site « la vie autour »⁶⁸ qui recense sous forme de carte interactive les associations qualifiées proposant des soins de support sur l'ensemble du territoire. Typiquement ces sites devraient pouvoir bénéficier d'un audit permettant de leur délivrer ou non un label de qualité.

L'hétérogénéité des informations reste problématique, notamment pour ce qui concerne les opérateurs publics en région. Il convient en particulier d'améliorer la lisibilité de l'offre locorégionale (voire interrégionale pour les cancers rares ou les situations complexes). Certains pays comparables à la France se sont dotés d'un site d'information en santé de référence. Il constitue une porte d'entrée unique sur les questions de santé, à destination du grand public (malades, familles et citoyens) et des professionnels de santé. La création d'un Service public de l'information santé, inscrite dans la loi de modernisation du système de santé (article 21) participe de cette volonté. Il s'agit d'organiser un service public d'information global sur la santé, de la prévention à l'orientation dans le système. C'est un chantier multi-institutions qui doit être considéré comme prioritaire sachant qu'il est également prévu des portes d'entrées régionales via les ARS.

Se pose par ailleurs la question de la validité et de la qualité des informations diffusées dans le public. La HAS a dans ses missions la certification des sites internet santé. La politique menée en matière de certification des sites internet a consisté jusqu'en 2013 à promouvoir auprès des éditeurs de sites internet une « homologation » fondée sur le respect des 8 principes du HONcode. Ces critères reposent majoritairement sur le respect et le suivi d'un cahier des charges de transparence et de bonne pratique éditoriale⁶⁹. La certification ne donne donc pas de garanties sur la qualité du contenu des sites. En pratique, les internautes croisent fréquemment les informations, cherchent des interlocuteurs dans la même situation qu'eux, sans se reposer sur des labels qualité. Afin de faire évoluer le dispositif, la HAS travaille avec des représentants de patients, des usagers et des professionnels de santé sur des « repères » à proposer aux internautes pour une navigation « privilégiant l'esprit critique des internautes » mais ne prévoit pas de création d'un label de qualité à proprement parler pour les sites web consacrés à la santé. Ce type de dispositif existe toutefois dans le champ de la prévention. Depuis fin 2014, l'INPES (Institut national de la prévention en santé⁷⁰) propose un label « Aide en santé » pour les dispositifs de prévention et d'aide à distance en santé (associant des lignes téléphoniques et des sites internet)^{71,72}. Basé sur une démarche volontaire des candidats, un audit indépendant permet de s'assurer que les services répondent bien à des exigences précisées dans un cahier des charges. Un comité d'attribution valide ensuite l'attribution sur la base de constats objectifs. Le label est valable trois ans et renouvelable. Cette première expérience devrait être mobilisée par les pouvoirs publics et servir de socle de réflexion pour proposer une labellisation plus large des sites santé notamment dans le champ de la cancérologie.

⁶⁸ <https://www.lavieautour.fr/>. Ce site a été développé par l'Association Francophone pour les Soins Oncologiques de Support.

⁶⁹ Les sites certifiés s'engagent à respecter les principes suivants : (i) les qualifications des rédacteurs ; (ii) la complémentarité : compléter et non remplacer la relation patient-médecin ; (iii) la politique de confidentialité des informations personnelles soumises par les visiteurs du site ; (iv) la/les source(s) des informations publiées et les dates de publication/actualisation sur les pages de santé ; (v) les justifications des affirmations sur les bienfaits ou les inconvénients de produits ou traitements ; (vi) l'accessibilité de l'information, l'identification du webmestre, une adresse de contact ; (vii) les sources de financements ; (viii) la séparation entre la politique publicitaire et la politique éditoriale.

⁷⁰ L'Institut de veille sanitaire (InVS), l'Inpes (éducation et prévention) et l'EPRUS, l'établissement de préparation et de réponse aux urgences sanitaires sont regroupés au sein d'un Institut pour la prévention, la veille et l'intervention en santé publique : Santé Publique France.

⁷¹ http://www.inpes.fr/10000/themes/telephonie_sante/label_aide_en_sante.asp.

⁷² La ligne téléphonique Cancer Info de l'INCa est en cours de candidature pour le label qualité INPES « Aide en Santé ».

B. Accès aux essais cliniques

Avec le brouillage des frontières entre soins et recherche, les essais précoces deviennent de fait des voies d'accès à l'innovation thérapeutique, notamment pour les patients atteints de cancers avancés, et le débat bioéthique se déplace sur le terrain de la justice et de l'égalité d'accès à la recherche bien que la question de la protection des sujets reste essentielle⁷³. Des revendications sur les « droits à l'essai » se font jour en cancérologie comme pour le VIH-Sida dans les années 1990⁷⁴. Dans ce contexte, garantir un accès équitable aux essais cliniques devient un enjeu majeur. Une des composantes de ce débat devient de ce fait la transparence de l'activité de recherche c'est-à-dire la publication de tous les essais et surtout les essais négatifs ou interrompus, ce qui n'est pas la politique éditoriale actuelle et représente une perte d'information du public dans ce débat éthique. La question de la prise en charge des séjours liés à ces essais se pose aussi.

En supposant que la connaissance est susceptible de faciliter l'inclusion de patients qui seraient demandeurs, l'INCa publie les répertoires d'essais en cancérologie et certains grands centres en cancérologie font de même. Il s'agit d'une information exhaustive et actualisée concernant les essais cliniques en cancérologie menés en France. Un moteur de recherche intégré au registre permet de filtrer spécifiquement les essais cliniques en fonction de différents critères. Le rapport d'activité de l'INCa 2014-2015 rapporte qu'au 31 décembre 2014, le registre affichait 1 886 essais cliniques de promotion industrielle et académique, dont 563 essais ouverts aux inclusions.

Selon les orientations du plan cancer 2014-2019 (objectif 5), l'objectif est d'inclure 50 000 patients par an dans des essais cliniques. L'enquête annuelle menée en 2014 par l'INCa auprès des établissements ayant reçu, dans le cadre des plans cancer, des financements pour des personnels de soutien aux investigateurs dans l'inclusion et le suivi des patients, a permis l'évaluation des activités de recherche clinique en 2014. Une hausse sensible du nombre de patients inclus dans les essais cliniques en cancérologie a été observée : une augmentation de 97% entre 2008 (année de référence) et 2014, + 122% pour les patients participant aux essais académiques et + 22% pour les patients participant aux essais industriels au cours de la même période.

Diverses mesures organisationnelles concourent à l'atteinte de cet objectif. Une étape décisive a été franchie en 2006 avec la mise en place des 28 plateformes de génétique moléculaire⁷⁵, accessibles à tous les malades sur le territoire permettant l'accès aux traitements ciblés. La création des plateformes de séquençage moléculaire est une mesure emblématique de l'accès à des soins innovants pour tous. Le programme AcSé participe également à cette politique. Ce programme propose un accès précoce et sécurisé (conditions d'un essai de phase 2) à des thérapies ciblées à des patients atteints de cancer en échec thérapeutique, et dont la tumeur présente une même altération génétique. A terme, la question de l'organisation du séquençage se posera pour d'autres pathologies. Une mission pilotée par Aviesan (Inserm) est en cours pour faire des propositions d'organisation sur l'ensemble du territoire. Afin d'apporter un soutien aux établissements de soins et de faciliter leur participation aux essais cliniques, il est également prévu de poursuivre le soutien aux centres d'essais précoces⁷⁶ (CLIP²) et de développer les équipes mobiles de recherche clinique (EMRC) composées de personnels spécialement formés dans la conduite des essais.

⁷³ Valérie Gateau, Philippe Amiel. Essais précoces en cancérologie, éthique et justice. La lettre du cancérologue, 2012, XXI (10), pp.514-518.

⁷⁴ http://www.liberation.fr/societe/2010/06/08/cancer-un-malade-en-colere_657377.

⁷⁵ Actuellement ces plateformes sont financées sur l'enveloppe MERRI. Ces actes vont être financés par le biais du Référentiel des Actes Innovants Hors Nomenclature (RIHN) à compter de 2016. L'INCa finance également les plateformes pour des programmes spécifiques, comme le programme des biomarqueurs émergents, l'implémentation du NGS ou encore l'activité de criblage dans le cadre du programme AcSé.

⁷⁶ L'activité de ces CLIP a été publiée et est consultable sur le site e-cancer.fr. La procédure de partenariat public/privé mise en place par l'INCa dans le cadre du deuxième Plan cancer permet aux 16 centres labellisés INCa de phase précoce (CLIP²) de conduire des essais cliniques de phase précoce avec des molécules mises à disposition gratuitement par des laboratoires dans des indications ne faisant pas partie des priorités de leurs développements. Par ailleurs, la labellisation des CLIP² en

Cependant, malgré un environnement facilitateur, la trajectoire des patients jusqu'aux essais précoces dépend des réseaux institutionnels existants et de l'implication de l'oncologue lui-même, qui reste la principale source d'informations pour les patients⁷⁷. Avec la complexification croissante des traitements et du fait que les traitements ne s'adressent qu'à un nombre limité de patients dans le cadre d'essais cliniques, ces réseaux ont un rôle important dans la prise en charge des patients. A cet égard, le rôle des réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) est central. Lieu d'échanges entre spécialistes de plusieurs disciplines sur les stratégies diagnostiques et thérapeutiques en cancérologie, la RCP est organisée par un établissement, un groupe d'établissements ou un réseau de cancérologie, dans le cadre des centres de coordination en cancérologie (3C). C'est à ce niveau que doit être proposée l'inclusion d'un patient dans un essai ou un protocole de recherche. La RCP est un élément obligatoire et opposable mis en place au sein des établissements autorisés en cancérologie et l'évaluation régulière des RCP doit rendre compte d'une amélioration continue de la qualité des soins et du service médical rendu au patient (indicateur de qualité IPAQSS)⁷⁸. Localement leur généralisation peut toutefois poser des problèmes liés au manque de ressources et de disponibilité des praticiens. Depuis leur développement à la suite du premier plan cancer, les RCP ne cessent d'évoluer. Schématiquement, on distingue les RCP territoriales, en général des RCP d'organe qui permettent de gérer 95% des situations cliniques et les RCP de recours ou d'expertise qui concernent les tumeurs rares par exemple les tumeurs neuro-endocrines ou oncopédiatriques organisées à un niveau régional ou national. Plus récemment, les RCP d'appui, préconisées par le rapport Vernant⁷⁹ en cas d'échec thérapeutique se développent. Elles sont destinées à proposer soit une poursuite de traitements spécifiques basés sur les données de la littérature, soit une prise en charge palliative.

Avec le déploiement des plateformes de génétique moléculaire et du programme AcSé, des RCP moléculaires se développent progressivement dans les grands sites notamment en pneumologie et en pathologie mammaire pour les formes avancées métastatiques. Ces RCP moléculaires étant une porte d'entrée pour l'accès aux traitements innovants, il est nécessaire d'en organiser le déploiement au niveau national pour garantir un accès précoce équitable pour tous les patients sur l'ensemble du territoire.

C. Enjeux autour des laboratoires d'anatomocytopathologie

Le rôle des anatomopathologistes est essentiel dans le parcours de soins des patients atteints de cancer. Le rôle traditionnel de l'anatomocytopathologie (ACP) est, par l'analyse morphologique des cellules et des tissus, d'établir ou d'aider au diagnostic des maladies. La preuve et le typage histologique du cancer restent sauf exception indispensables avant la mise en route d'un traitement. Le résultat d'anatomopathologie doit être obtenu dans les meilleurs délais pour éviter les retards à l'initiation des traitements. Par ailleurs, les progrès de la biologie moléculaire se traduisent par l'explosion des techniques de recherche de caractéristiques de la tumeur généralement appréciées par la mise en évidence *in situ* d'anomalies génétiques ou de modification de l'expression de certaines protéines (exemple de HER2 dans le cancer du sein) qui peuvent aider au diagnostic de tumeur, ou prédire la réponse tumorale à un traitement. L'évaluation des biomarqueurs se fait à l'aide de tests associés aux thérapies ciblées, aussi appelés tests compagnons. Les tests compagnons sont de trois types : (i) les tests biochimiques et immunohistochimiques, comprenant les analyses de protéines et d'enzymes ; (ii) les tests cytogénétiques qui font appel aux chromosomes (caryotypage,

2010 a aussi permis d'augmenter le nombre de patients inclus dans les essais cliniques de phase précoce. Les deux-tiers des essais réalisés portaient sur des thérapies ciblées et 12% sur des immunothérapies.

⁷⁷ Sylvain Besle. Etude des structures de coordination entre soins et recherche : le cas des essais précoces en cancérologie. http://www.paris-sorbonne.fr/IMG/pdf/BESLE_Sylvain_2015_position_de_these.pdf.

⁷⁸ Globalement ce sont environ 80% des patients qui bénéficient aujourd'hui d'une RCP pour la prise en charge initiale d'un primo diagnostic de cancer et les taux varient selon les types d'établissements, les spécialités et le volume d'activité. Axés sur la traçabilité dans le dossier médical et la pluridisciplinarité (RCP datée avec proposition de prise en charge et au moins 3 spécialités représentées), ces résultats nationaux ne donnent pas d'information sur l'orientation des patients vers un essai ou un protocole de recherche. HAS. Réunion de Concertation Pluridisciplinaire en cancérologie - Campagne 2014.

⁷⁹ Recommandations pour le troisième Plan Cancer. Rapport Vernant – juillet 2013.

hybridation *in situ* par fluorescence, FISH) ; (iii) les tests moléculaires qui font appel à l'ADN et à l'ARN. Si les tests moléculaires sont réservés de fait aux plateformes moléculaires, les tests biochimiques et cytogénétiques peuvent être réalisés en ville. La validité analytique, c'est-à-dire la capacité du test à détecter les modifications moléculaires qu'il est supposé détecter, est elle-même fonction de la précision et de la fiabilité des procédures⁸⁰. Il est primordial de garantir des contrôles de qualité des laboratoires réalisant ces tests. En l'état actuel de la législation, les services d'ACP hospitaliers, de même que les structures libérales exerçant en cabinet de spécialité, ne sont pas soumis à l'accréditation obligatoire selon la norme ISO 15189. Parmi les structures réalisant des actes d'ACP, seuls sont soumis à l'accréditation obligatoire (sous l'égide du COFRAC⁸¹) les laboratoires de biologie médicale. *A contrario*, les structures d'ACP qui s'engagent dans une démarche d'accréditation le font sur la base du volontariat, sans contrainte réglementaire de délai en termes d'entrée dans la démarche, à l'inverse des laboratoires de biologie médicale.

Le développement des thérapies ciblées en oncologie a un impact sur les analyses réalisées par les laboratoires. De nombreux prélèvements arrivent pour être analysés dans les laboratoires de ville, à la recherche de cellules tumorales permettant d'établir le diagnostic. C'est le cas par exemple pour les suspicions de mélanomes dont l'ablation est réalisée en ville. Dans ce cas, il peut être nécessaire de récupérer le tissu d'exérèse afin de procéder à l'analyse génomique de la tumeur ou de relire des lames afin d'aider à la décision thérapeutique (notamment dans le cadre des RCP). Il s'avère d'une part que ce ré-adressage du produit d'exérèse vers les plateformes de génétique moléculaire dédiées peut être long. D'autre part, il s'accompagne d'un dédommagement des laboratoires d'ACP par les plateformes de génétique moléculaire pour le désarchivage et l'envoi des blocs.

Les enjeux à moyen terme sont d'une part d'organiser « le parcours des prélèvements tumoraux » permettant une meilleure fluidité des circuits de transmission des produits d'exérèse vers les plateformes de génétique moléculaire lorsque cela est requis, de développer la numérisation des lames et d'autre part de renforcer le contrôle qualité des procédures dans les laboratoires. Il y a en effet un besoin urgent à mettre en place une telle démarche globale et reconnue, complétant celle déjà accomplie par la profession.

4. Les défis organisationnels

Les innovations techniques et technologiques vont profondément bouleverser les modes de prises en charge et l'organisation des soins. A titre d'exemple on peut citer la radiothérapie per-opératoire qui est une innovation majeure. Dans le cancer du sein, cette pratique vise à remplacer 25 séances de radiothérapie par une seule séance au moment de la chirurgie. Elle est actuellement en cours d'évaluation par la HAS. Ces évolutions portées par une hyperspécialisation des professionnels et le développement de plateaux techniques de haute technicité (chirurgie mini-invasive, radiologie interventionnelle, radiothérapie peropératoire) vont de pair avec une offre de plus en plus spécialisée incitant à la concentration des ressources et à la gradation des niveaux de prise en charge.

D'un point de vue systémique, même si les hospitalisations conventionnelles seront de plus en plus courtes, il s'agit de faire face à un accroissement du nombre de recours (augmentation des files actives) lié d'une part aux évolutions démographiques et d'autre part à une adaptation des prises en charge pour des patients dont l'espérance de vie augmente. Le développement de la chirurgie ambulatoire nécessitera une profonde réorganisation des unités de chirurgie.

Pour les patients, il s'agit d'assurer l'accès à des soins très techniques et de qualité répondant précisément à leurs besoins sur l'ensemble du territoire tout en préservant la continuité et la fluidité des parcours de soins qui conditionnent la qualité de vie et les résultats des traitements eux-mêmes.

⁸⁰ Expertise collective INSERM. Tests génétiques. Questions scientifiques, médicales et sociétales. Novembre 2008, 390p.

⁸¹ Comité français d'accréditation.

Avec la chronicisation de la maladie, les phases de transition ville-hôpital vont se multiplier mais la majeure partie du parcours des patients se réalisant en ambulatoire, les enjeux de la coordination entre les professionnels intervenant aux différents niveaux de la prise en charge s'en trouvent renforcés.

A. Graduer les niveaux de prise en charge

L'offre est aujourd'hui structurée par le dispositif des autorisations. En 2015, 935 établissements de santé et centres de radiothérapie de statut libéral étaient ainsi autorisés par les agences régionales de santé à prendre en charge des patients atteints de cancer⁸². Le Plan cancer 2014-2019 prévoit de faire évoluer le périmètre du dispositif des autorisations de traitement du cancer, afin de prendre en compte notamment les évolutions dans les techniques de prise en charge et l'accès à l'innovation (action 2.6). Les critères d'agrément seront également révisés, pour s'adapter à l'état de l'art des différentes disciplines et améliorer notamment l'orientation des situations complexes (action 2.5). Un changement du régime des autorisations relatives aux équipements d'imagerie, porté par la loi de modernisation du système de santé (article 51) est également en cours. Il s'agira de passer d'un système autorisant les équipements d'imagerie appareil par appareil à un système plus dynamique autorisant une activité d'imagerie. Cette nouvelle approche instaurera des règles de qualité, de sécurité et de compétence professionnelle.

Dispositif d'autorisation

Depuis 2009 et conformément à deux décrets du 21 mars 2007⁸³ et à un arrêté du 29 mars 2007⁸⁴, les établissements de santé doivent disposer d'une **autorisation spécifique, délivrée par l'agence régionale de santé (ARS) pour une durée de cinq ans, pour l'activité de traitement du cancer** (chimiothérapie, chirurgie du cancer, radiothérapie).

L'autorisation repose sur trois critères : des **conditions de qualité** (exemples : mise en place d'un dispositif d'annonce, tenue d'une réunion de concertation disciplinaire, accès pour la personne malade à des soins « de support »), des **critères d'agrément** (comme la présence permanente d'un radiothérapeute et d'un radiophysicien pendant la durée du traitement) et des **seuils d'activité** minimale pour certains traitements et types de cancer :

- en matière de chirurgie des cancers, l'activité minimale par an et par établissement est de 30 interventions pour la chirurgie du sein, digestive, urologique et thoracique, 20 pour la gynécologie et l'oto-rhino-laryngologie (ORL) ;
- pour la radiothérapie externe, le seuil d'activité minimale est d'au moins 600 patients traités chaque année ;
- pour la chimiothérapie, le seuil d'activité minimale est fixé à au moins 80 patients traités par an, dont au moins 50 en ambulatoire. Des aménagements sont prévus ; ainsi, si un établissement a une activité inférieure aux seuils en chimiothérapie, il pourra continuer à participer à l'offre de soins en réalisant des chimiothérapies en tant qu'« établissement associé ». Des dispositions spécifiques s'appliquent à l'HAD selon que celle-ci est rattachée ou non à un établissement autorisé ; il n'y a pas de notion de seuil d'activité minimale.

L'organisation des soins en cancérologie a évolué de façon très importante au cours de la dernière décennie notamment sous l'impulsion forte des plans cancer successifs et avec la création de l'Institut National du Cancer. Les agences régionales de santé sont responsables de la déclinaison du Plan cancer dans leur région. Elles organisent la concertation au sein de la conférence régionale de santé et de l'autonomie (CRSA) et des conférences de territoire. Les SROS-PRS, schémas d'organisation sanitaire en région, prévoient de structurer l'offre de soins en cancérologie sur le principe d'une organisation graduée et d'un fonctionnement en réseau⁸⁵. Cette organisation est

⁸² Voir la carte interactive sur le site de l'INCa : <http://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-sante/L-organisation-de-l-offre-de-soins/Traitements-du-cancer-les-etablissements-autorises/Carte-interactive-de-l-offre-de-soins-en-cancerologie>.

⁸³ <http://www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do?cidTexte=JORFTEXT000000275848>.

⁸⁴ http://www.legifrance.gouv.fr/jopdf/common/jo_pdf.jsp?numJO=0&dateJO=20070330&numTexte=68&pageDebut=05963&pageFin=05964.

⁸⁵ http://social-sante.gouv.fr/IMG/pdf/Guide_SROS.pdf.

renforcée au niveau régional par des centres de coordination en cancérologie (3C)⁸⁶, la formalisation explicite d'un réseau régional de cancérologie⁸⁷ ainsi que le développement d'une coopération interrégionale⁸⁸. De nombreuses innovations ont été implémentées dans ce cadre telles que le dispositif d'annonce, la pluridisciplinarité au sein de réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP), l'engagement de plans personnalisés de soins et la mise en œuvre de soins de support, notamment la prise en charge de la douleur et des soins palliatifs.

Ces activités de soins sont ainsi théoriquement organisées en 4 niveaux dont 3 niveaux de recours autour de sites de cancérologie (offre ville-établissement de proximité, plateau technique de recours infrarégional, niveau de recours régional et niveau de recours interrégional voire national) et d'un fonctionnement en réseau centré autour du patient et de son médecin traitant en fonction des compétences, de l'environnement technique et des activités des établissements de santé. En réalité, cette structuration n'est pas opérationnelle. Le dispositif en vigueur concernant les autorisations ne repose d'ailleurs pas à ce jour sur un modèle de gradation des soins. Aussi, observe-t-on une insuffisante lisibilité des activités assurées par les établissements, une gradation mal identifiée entre « établissements de recours », « établissements à activité spécialisée », « établissements de proximité », ainsi qu'une insuffisance de conventions entre établissements de santé qui nuisent sur le terrain à la fluidité des parcours de soins. Une illustration des difficultés est donnée par la difficile mise en place des pôles régionaux de cancérologie institués par le premier plan cancer qui devaient être constitués d'établissements de santé exerçant des missions régionales hautement spécialisées, de recours et d'expertise, de recherche clinique et d'innovation. Prévus initialement pour fonctionner sur un mode coopératif (coopération entre CHU et CLCC notamment), ils n'ont pas toujours débouché et ne sont plus portés comme modèle par les orientations nationales en matière de lutte contre le cancer (ne sont plus mentionnés dans les plans cancers 2 et 3)⁸⁹. De plus la coopération infrarégionale notamment entre ARS et 3C mériterait d'être clarifiée.

Il s'agit à présent de donner un sens concret aux objectifs d'organisation. L'organisation doit être en phase avec le continuum des soins et les évolutions des prises en charge (ambulatoire, chimiothérapie à domicile, radiothérapie hypofractionnée, allongement des durées de traitement...) et doit être capable d'absorber un accroissement des besoins de soins en cancérologie, de faire face à une hyperspécialisation des prises en charge et d'accroître les capacités de prise en charge au domicile des patients. Une mise en œuvre concrète impose une meilleure lisibilité et une clarification des missions, des champs d'intervention clairs et des articulations formalisées entre les acteurs. En particulier les établissements qui participent aux prises en charge (structures de courts séjours, HAD, SSR, ...) et leurs missions (initiation du traitement, suivi, etc.) doivent être clairement identifiés dans les parcours de soins. Aujourd'hui par exemple, il existe des « SSR de cancérologie » par reconnaissance contractuelle mais pas dans les mentions complémentaires en tant que telles⁹⁰. Ces établissements peu nombreux existent en Ile-de-France notamment par le biais d'un cahier des charges spécifique.

⁸⁶ Les centres de coordination en cancérologie (3C) ont pour mission d'assurer la qualité et de fédérer la pluridisciplinarité au niveau d'un ou plusieurs établissements de santé, notamment par l'organisation et le suivi des réunions de concertation pluridisciplinaires.

⁸⁷ L'appartenance à un RRC fait partie des obligations que doivent remplir les établissements de santé pour être autorisés à pratiquer les traitements du cancer. L'Institut national du cancer a finalisé fin 2013 la procédure de reconnaissance des 25 réseaux régionaux de cancérologie (8 réseaux sont implantés dans des CLCC).

⁸⁸ Cette coopération interrégionale est encore rare mais on peut noter la mise en place d'organisations interrégionales pour la cancéropédiatrie (OIR).

⁸⁹ Cour des comptes. Rapport sur l'application des lois de financement de la Sécurité sociale. Chapitre VIII - Les centres de lutte contre le cancer : un positionnement à redéfinir dans l'offre de soins, Septembre 2015.

⁹⁰ Les décrets prévoient en effet une seule modalité d'autorisation avec des possibilités de mentions complémentaires (décrets n° 2008-376 et 2008-377 du 17 avril 2008 relatifs aux conditions techniques de fonctionnement applicables à l'activité de soins de suite et de réadaptation. Journal officiel 2008;20 avril).

Le maillage territorial doit également permettre de répondre à des situations complexes. Ainsi, le cas des tumeurs fréquentes à prise en charge non standard doit être intégré⁹¹ : certains plateaux d'analyse, d'expertise et les praticiens de ce plateau peuvent ne pas être disponibles de manière homogène sur les territoires. Ne pas y avoir accès est une perte de chance pour les patients alors qu'une organisation permettant de faciliter cet accès optimiserait les chances de gain de survie des patients que les bilans ou les traitements soient réalisés en totalité ou pour partie dans les centres experts.

Le HCAAM préconise ainsi une approche graduée des prises en charge permettant une meilleure allocation des ressources en fonction des situations avec dans ce cadre une clarification du rôle des acteurs en particulier du rôle de chaque établissement en lien avec la ville sur un territoire donné.

Dans ce schéma :

- Le niveau 3, le plus élevé concerne les établissements assurant des fonctions de recherche, de soins et d'enseignement (type CLCC et CHU). Ces établissements assureraient le pilotage d'un réseau d'établissements de santé (inscrits dans le projet d'établissement). Des antennes pourraient opérer depuis ces centres de niveau 3 sur le modèle des équipes mobiles permettant la mobilité de professionnels spécialisés (radiothérapeutes, oncologues spécialisés) depuis ces centres. Des consultations avancées en oncologie médicale pourraient être créées.
- Le niveau 2 est constitué d'établissements favorisant une offre de soins « continue » permettant de réserver le niveau 3 aux prises en charge rares ou très spécialisées et d'éviter les hiatus dans les prises en charge. Dans un contexte dynamique de continuum soins-recherche (voir partie 2), outre le développement des équipes mobiles de recherche clinique, il pourrait être proposé le développement d'unités de recherche clinique localisées dans ces établissements. Ces « niches d'expertise » doivent permettre d'assurer un accès plus large aux innovations thérapeutiques.
- Le niveau 1 s'inscrit dans un maillage territorial « communautaire » au plus près des patients et de leur médecin traitant. A ce niveau, il est nécessaire de garder une certaine souplesse. D'une part, il s'agit de prendre en compte les réalités des territoires. Les filières de prise en charge doivent être fondées sur les synergies et les complémentarités au niveau local et donc être construites en partenariat après la réalisation de diagnostics territoriaux permettant d'identifier les acteurs (HAD, SSIAD, réseaux de soins, professionnels libéraux...) et leur périmètre d'activité sur l'ensemble des champs d'intervention qu'il s'agisse de soins curatifs mais également de soins de support et de soins palliatifs. D'autre part, le dispositif doit pouvoir être évolutif.

Aujourd'hui l'organisation doit intégrer la diffusion des chimiothérapies orales, le développement de la chirurgie ambulatoire et la prise en charge à domicile de patients polypathologiques dont la symptomatologie varie (patients en rémission, paucisymptomatiques, oligométastatiques ou en fin de vie). Il est donc nécessaire de prévoir une organisation fonctionnelle intégrant ces diverses composantes. Le développement de structures proposant une offre transversale avec « guichet unique » répond à cette exigence d'intégration de soins entre la ville et l'hôpital. Dans ce contexte, il s'agit d'assurer la présence d'une offre globale cohérente, comprenant les différentes catégories de services à des niveaux satisfaisants pour couvrir les besoins du territoire, une graduation des accompagnements et des prises en charge, la mutualisation des moyens logistiques ou humains.

L'hyperspécialisation et la concentration des compétences dans des pôles en nombre limité doit conduire à revoir les critères d'autorisation des activités. Les conséquences d'un éloignement géographique des patients des lieux de soins doivent également être anticipées. Il faut pouvoir garantir aux patients l'accès à des soins spécialisés, par exemple des traitements itératifs de radiothérapie, parfois éloignés de leur lieu de résidence. Les hébergements temporaires non

⁹¹ Ravaud Alain, « Parcours de soins en cancérologie et financement. », *Journal de gestion et d'économie médicales* 2/2014 (Vol. 32), p. 105-112.

médicalisés sont une condition préalable à l'essor des pratiques ambulatoires qu'il convient d'accompagner.

Des structures d'hébergement pour patients, hors établissement de santé existent déjà à l'étranger, notamment dans les pays d'Europe du nord : Danemark, Finlande, Norvège, Suède. Dans ces exemples, les prestations proposées sont généralement partiellement médicalisées avec par exemple la présence d'une infirmière ou la délivrance de certains soins⁹². En France, le dispositif réglementaire est limité à une circulaire de la CNAMTS datant de 1993⁹³ et les expériences recensées sont très limitées. L'article 53 de la LFSS 2015 prévoit une expérimentation nationale pour les hébergements à proximité des établissements de santé destinés exclusivement aux patients quel que soit leur type (hôtels hospitaliers, MAH⁹⁴, appartements individuels, chambres d'hôtes,...) et des travaux de la HAS, sur saisine de la direction générale de l'offre de soins (DGOS), ont précisé les critères d'éligibilité des patients au dispositif prévu par l'expérimentation⁹⁵. La prise en charge à terme de ces dispositifs d'hébergement pourrait relever de l'assurance maladie. Il s'agit de prendre en charge des patients résidant loin des établissements de santé et qui nécessitent des transports coûteux et /ou une hospitalisation la veille ou le lendemain de l'intervention ou du soin ; à des situations de patients attendant, en fin d'hospitalisation, un avis diagnostique, une décision médicale ou une procédure diagnostique proposée par l'établissement, sans nécessiter de surveillance médicale ou paramédicale la nuit. Une telle évolution mérite d'être discutée.

B. Articuler les différents niveaux, les enjeux de la coordination et du parcours

Les progrès médicaux et la chronicisation de la maladie complexifient les parcours des patients avec la réalisation de soins très techniques et ponctuels dans des centres hyperspécialisés tandis qu'une part croissante de traitements est prodiguée en ambulatoire, en périphérie des grands centres du fait de la standardisation des protocoles, voire au domicile des patients avec le développement des chimiothérapies orales et la simplification des protocoles de chimiothérapie parentérale. Ces évolutions, allongement des parcours de soins et multiplicité des interventions et des intervenants aux divers stades de la prise en charge dans différents segments du système de soins, appellent une coordination accrue entre les professionnels hospitaliers et les professionnels de santé de proximité (médecin traitant, infirmier, pharmacien, professions paramédicales). Cette exigence de coordination, notamment celle de coordination entre la ville et l'hôpital, partagée par l'ensemble des acteurs est permanente dans la politique de lutte contre le cancer mais reste à concrétiser, les plans cancer successifs n'ayant pas à ce jour réussi à avancer de façon significative dans cette voie.

⁹² http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2015-05/experimentation_d_hotels_pour_patients_-_feuille_de_route.pdf.

⁹³ DGR n° 27/93 - ENSM n° 6/93. Circulaire précisant les conditions de prise en charge des structures appelées "Hôtel pour Malades".

⁹⁴ Les maisons d'accueil hospitalier (MAH) se sont développées depuis les années 1970 pour permettre de rester auprès de la personne hospitalisée (adulte ou enfant) et pour donner la possibilité aux patients de poursuivre des soins ambulatoires dans des établissements éloignés de leur domicile. La loi de modernisation du système de santé (article 26) donne un statut aux activités mises en œuvre par les MAH. Un cahier des charges doit préciser les conditions de conventionnement des MAH avec les établissements de santé. Actuellement, on compte environ 70 MAH sur le territoire. Les modes de financement sont variés en fonction des publics, de la nature des conventions etc. Certaines complémentaires prévoient comme les mutuelles, la prise en charge de tout ou partie des hébergements.

⁹⁵ Les critères d'éligibilité des patients à un hébergement à proximité d'un établissement de santé retenus pour la HAS : (i) l'accord du patient ; (ii) les conditions d'accès et de prise en charge : critère d'éloignement du lieu de résidence du patient de l'établissement de santé et critère relatif aux conditions d'hébergement précisant l'absence de besoin de surveillance continue par les professionnels de santé ; (iii) l'organisation et le périmètre de la prise en charge (en amont de l'hospitalisation, en alternance avec une hospitalisation et après une hospitalisation) et l'insertion dans le parcours de soins du patient ; (iv) les caractéristiques des patients, en particulier, critères médicaux et relatifs à l'autonomie ; (v) des critères sociaux ; (vi) les conditions relatives aux autres personnes hébergées ; (vii) la durée de la prestation d'hébergement.

HAS. Rapport d'orientation. Critères d'éligibilité des patients à un hébergement à proximité d'un établissement de santé, Novembre 2015. 64p.

Le patient est au centre des enjeux. Il s'agit de réduire les délais de prise en charge, d'éviter la réalisation redondante d'examens, de prévenir l'apparition de complications ou d'événements indésirables, d'éviter des ruptures dans les prises en charge et d'améliorer la qualité de vie des patients. C'est aussi une question d'efficience pour le système de santé. Ce coût mériterait d'ailleurs d'être évalué comme cela a pu être fait par exemple aux Etats-Unis⁹⁶.

Le cœur de la coordination concerne l'échange d'informations et la communication entre les intervenants dans le parcours de soins d'un patient. Le partage du dossier médical apparaît dans ce cadre comme un outil informatique indispensable, même si en fonction des évolutions des pratiques et des prises en charge ainsi que des évolutions technologiques, les formes de la coordination peuvent évoluer nécessitant de réinterroger régulièrement à l'aune des objectifs qu'on leur assigne les outils et les solutions proposés. Ainsi le plan cancer 2014-2019 propose de nouvelles actions pour renforcer l'articulation ville-hôpital en s'appuyant sur le développement d'outils et d'échanges dématérialisés : généralisation du dossier communicant en cancérologie (DCC), dématérialisation et intégration des plans personnalisés de santé (PPS) dans le DCC, développement de supports d'information informatisés⁹⁷, télémedecine (actions 2.19 à 2.22). De nouveaux acteurs de la coordination apparaissent : infirmières de coordination, gestionnaires de cas, pharmaciens hospitaliers et pharmaciens d'officine dans la sécurisation du circuit du médicament. Le plan cancer prévoit de tester l'apport d'infirmière de coordination en cancérologie (action 16.5 du plan cancer 3) dans le parcours de soins des patients⁹⁸.

Des solutions sont expérimentées pour favoriser les échanges entre professionnels. Par exemple, en Alsace, Simral (Service d'imagerie médicale en région Alsace) est une solution régionale de partage d'images médicales pour les radiologues et les médecins cliniciens, avec des fonctions mutualisées d'archivage neutre, de gestion des images (Pacs) et de systèmes d'information radiologique (SIR). Une phase pilote a débuté début 2014. Ce projet est fondé sur la mutualisation d'une solution industrielle comprenant un bouquet de services auxquels les adhérents pourront s'abonner selon leurs besoins, avec un paiement à l'usage. Il devrait permettre un meilleur suivi et un accès aux examens durant les réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP). Le centre Léon-Bérard de Lyon a mis en place un dossier patient informatisé ouvert sur l'extérieur.

Il n'existe pas par ailleurs de répertoire opérationnel des ressources ou d'orientation spécifique à la cancérologie permettant de programmer efficacement la sortie et le parcours des patients. Pourtant l'éloignement de lieux de soins hyperspécialisés du lieu de vie des patients accentue la nécessité de ces outils. Il s'agit de renforcer l'articulation des prises en charges entre les différents niveaux.

Du fait de la segmentation des prises en charge, les parcours de soins sont assez peu analysés dans leur globalité depuis l'entrée dans le parcours de soins en intégrant la dimension ville-hôpital. Focalisées sur des segments de prise en charge (parcours intrahospitalier, réseaux de soins...), les études menées visent d'abord à améliorer l'efficience des structures qui en sont les promoteurs. Il

⁹⁶ Donald M. Berwick, Andrew D. Hackbarth, "Eliminating Waste in US Health Care" JAMA 307, no. 14 (April 11, 2012):1513–6.

⁹⁷ Dans le cadre du développement des chimiothérapies à domicile, l'INCa publie ainsi des recommandations de bonnes pratiques qui ont pour but d'aider les professionnels de santé, notamment de premier recours, à gérer plus efficacement les toxicités les moins graves liées à ces traitements, à éviter le recours à certaines hospitalisations et à orienter rapidement les patients nécessitant une prise en charge spécialisée en cas de toxicités plus importantes. Ces premières recommandations concernent la prévention et la gestion des effets indésirables liés aux chimiothérapies par voie orale. Elles s'adressent aux professionnels de santé, oncologues et spécialistes d'organes, médecins généralistes, pharmaciens et infirmiers notamment. Deux guides ont été publiés à ce jour.

⁹⁸ Depuis 2010, afin de répondre aux enjeux du parcours de soins en cancérologie en termes d'information des patients et de coordination des professionnels, des postes d'infirmiers de coordination en cancérologie (IDEC) ont été créés, dans 35 établissements pilotes. Cette première expérimentation a révélé l'important apport du dispositif pour les patients et leur entourage, contrastant néanmoins avec des effets plus mitigés sur la coordination ville-hôpital. Dans ce contexte, une deuxième expérimentation a été lancée en 2014 par la DGOS en coordination avec l'INCa.

s'agit « d'optimiser », « d'améliorer la performance » des segments de parcours au bénéfice de l'organisation des structures. Les patients qui sont pourtant au centre des parcours sont assez peu mobilisés, ni comme objet d'étude, ni comme partie prenante de l'organisation.

Ainsi, c'est plutôt l'analyse des parcours intrahospitaliers facilitée par l'existence de systèmes d'information internes et de l'existence de méthodologies partagées (la méthode des chemins cliniques, benchmarking et indicateurs de qualité) qui guident les actions d'amélioration des parcours de soins. Toutefois, les réalisations sur lesquelles ces études débouchent débordent le cadre strict des établissements. Par exemple, les Hospices Civils de Lyon en Rhône-Alpes ont développé une hotline réservée aux médecins de ville afin de faciliter l'accès à une prise en charge rapide des patients. L'objectif est de proposer un rendez-vous téléphonique aux médecins traitants dans les 5 jours. A partir de travaux réalisés sur les parcours de soins⁹⁹, l'Institut Gustave Roussy met en place un dispositif expérimental « CAPRI » combinant TIC (mise à disposition de tablettes aux patients pour le suivi des traitements, développement d'un portail dédié sur le site de l'IGR permettant la gestion des agendas, outils de télésurveillance...), création de postes d'infirmières dédiées à la coordination et à la gestion des alertes et développement de l'éducation thérapeutique. Une expérimentation des oncologues de l'Institut Curie et du centre René Huguenin de Saint-Cloud (Hauts-de-Seine) vise quant à elle à déployer une application d'aide à la décision en cas de toxicité des chimiothérapies orales. Cette application doit permettre au patient d'être bien orienté dans ce type d'urgence spécifique.

Sur le champ ambulatoire, la HAD peut faire l'objet d'évaluations médicoéconomiques afin de préciser sa place dans les prises en charge. Par exemple, dans le cadre du développement des chimiothérapies à domicile des travaux ont été menés par la HAS¹⁰⁰. Ces travaux comparent prise en charge en HDJ et prise en charge en HAD (cf. partie V). La place des réseaux de soins n'était pas envisagée dans cette analyse. Toutefois, une étude publiée en 2011¹⁰¹ a comparé ces coûts des chimiothérapies à domicile par des réseaux à ceux associés aux séjours hospitaliers (HDJ). A durée égale, les coûts étaient relativement proches lorsque les coûts de transports n'étaient pas intégrés. Sous réserve d'une volumétrie permettant de mutualiser un certain nombre de charges et à condition qu'elle soit intégrée dans une gestion globale de la prise en charge, la chimiothérapie à domicile coordonnée par un réseau de santé était considérée comme une solution tout à fait compétitive sur le plan médicoéconomique.

De façon assez générale, la place des réseaux est en débat¹⁰². Le plan cancer 2003-2006 précisait ainsi que « *les réseaux, qui devront faire toute leur place aux praticiens libéraux et notamment aux médecins généralistes, seront régulièrement évalués et appliqueront des normes de qualité fixées au niveau national et régional* ». Hétérogènes, fragiles financièrement et intrinsèquement car dépendants de la bonne volonté des acteurs locaux, ils ne répondent pas à un mode d'organisation univoque. Toutefois des initiatives ont été prises pour préciser leur contour. La DGOS a publié en 2012 un guide visant à faire évoluer les réseaux de santé vers la polyvalence et une mission d'appui aux médecins généralistes et aux équipes de premiers recours pour la prise en charge des situations

⁹⁹ Ces travaux montrent que les typologies de parcours de soins sont assez circonscrites et que l'on peut considérer trois niveaux d'organisation : les patients les plus courants, pour lesquels l'organisation de la sortie, une information claire et une coordination légère sont suffisantes ; les patients complexes, qui nécessitent une programmation ajustée et des interventions complémentaires, avec un support au niveau des soins à domicile et des outils de suivi réactifs ; et enfin les patients très complexes, qui souvent allient co-morbidités et vulnérabilité sociale, pour lesquels un monitoring rapproché est à mettre en place. Ils relèvent de ce qui est communément appelé le « case-management ». Rapport d'activité IGR – 2014.

¹⁰⁰ HAS - Conditions du développement de la chimiothérapie en hospitalisation à domicile : analyse économique et organisationnelle. Service évaluation économique et santé publique. Janvier 2015. 175p.

¹⁰¹ Valérie Buthion, Thierry Lagrange, Anouar Fanidi. La chimiothérapie à domicile : complémentarité ou concurrence dans la stratégie des structures hospitalières ? Journal de gestion et d'économies médicales. 2011, vol. 29 – 18-35.

¹⁰² Hôpital et médecine de ville face au cancer : les enjeux de la coordination de la prise en charge des malades atteints de cancer au sein de réseaux de santé. École doctorale 180 : « Sciences humaines et sociales : cultures, individus, sociétés ». Lucile Hervouet, novembre 2012.

complexes (notamment sur les aspects médico-sociaux)¹⁰³. La HAS, à la faveur de l'expérimentation PAERPA, a développé une batterie d'indicateurs visant à rendre compte de l'évolution demandée aux réseaux de santé en termes de fonctions d'appui et d'assistance au parcours¹⁰⁴.

Au-delà des outils d'échange et de communication qui sont des conditions nécessaires mais pas suffisantes pour la coordination des soins, l'adhésion et la reconnaissance mutuelle des acteurs est fondamentale pour la construction et la réussite de la mise en place de nouvelles organisations¹⁰⁵. Au niveau local les réseaux de santé en sont un bon exemple. De même les RCP peuvent être considérées comme une réussite mais elles avaient déjà l'adhésion des professionnels en s'inscrivant dans une culture déjà ancienne de pluridisciplinarité.

Pour le HCAAM, les enjeux de coordination de moyen terme portent sur la sécurisation de la chimiothérapie à domicile, le renforcement de la place du médecin traitant dans la coordination des soins afin d'assurer la continuité des prises en charge et le développement d'outils permettant d'orienter les patients.

La coordination des soins en cancérologie bénéficie d'une attention particulière mais morcelée. Des solutions visant à améliorer la coordination sont implémentées ou expérimentées que ce soit au niveau national garantissant une certaine cohérence de l'action publique ou au niveau local avec le risque de fragmentation et d'épuisement car fragiles et reposant sur la bonne volonté et le dynamisme des acteurs locaux. Un bilan complet de ces dispositifs doit être réalisé afin d'en tirer les enseignements et mettre œuvre une politique réaliste et partagée.

Les enjeux de la coordination sont partagés entre les acteurs mais les besoins de connaissance restent importants sur l'ensemble des parcours de soins des patients dont l'analyse en particulier médicoéconomique reste fragmentée et ne permet pas d'avoir une vision stratégique de la place de nouveaux acteurs du parcours. Ces analyses doivent être promues. En particulier, la question se pose de développer des paiements incitatifs à la coordination et si oui, lesquels.

Les solutions de coordination qui reposent de plus en plus sur les nouvelles technologies de l'information se développent au niveau régional et ce bien qu'elles ne bénéficient pas toujours d'un modèle économique pérenne. Elles devraient faire l'objet d'une politique harmonisée au niveau national et plus volontariste sous peine de voir se développer des projets locaux qui à terme risquent d'obérer l'implémentation de solutions nationales.

Formaliser la coordination n'est pas coordonner. Il faut mobiliser davantage les patients et les acteurs intervenant dans la prise en charge des cancers et créer les conditions qui favorisent l'intérêt à agir.

5. La chimiothérapie des cancers

La prescription des anticancéreux est très réglementée. Elle ne peut être faite que par un spécialiste ayant la qualification ordinaire en cancérologie. Les patients doivent bénéficier de l'avis d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) qui s'appuie sur les référentiels de bon usage établis par l'INCA et les recommandations de bon usage des médicaments (RBU) retenues dans le cadre des contrats passés entre l'ARS et les établissements autorisés (qui conditionnent les remboursements à 100% des médicaments de la liste en sus).

¹⁰³ Guide méthodologique - Améliorer la coordination des soins : comment faire évoluer les réseaux de santé ? DGOS – octobre 2012.

¹⁰⁴ http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_2040388/fr/tableau-de-bord-des-indicateurs-de-suivi-des-reseaux-de-sante.

¹⁰⁵ Innovation organisationnelle et prise en charge des maladies chroniques. La coopération entre partenaires distants. Huard P., Schaller P. Pratiques et Organisation des Soins. Volume 42 n°2/avril-juin 2011. Améliorer la prise en charge des maladies chroniques. Stratégie. Huard P., Schaller P. Pratiques et Organisation des Soins. Volume 41 n°3/juillet-septembre 2010.

La chimiothérapie s'inscrit dans une dynamique en très forte évolution avec la diffusion des thérapies ciblées et des immunothérapies spécifiques¹⁰⁶ qui commencent à arriver sur le marché. Ces médicaments modifient profondément la prise en charge et le pronostic de certains cancers. C'est le cas notamment des nouveaux traitements du mélanome métastatique jusqu'alors sans alternative thérapeutique. Ils permettent dans d'autres cas d'obtenir des bénéfices thérapeutiques importants en association ou de façon séquentielle avec d'autres médicaments.

Depuis quelques années, le nombre de personnes traitées par chimiothérapie croît plus vite que le nombre de nouveaux cas de cancers du fait de nouvelles indications de chimiothérapie correspondant à davantage de situations de cancer et donc de patients, de la prolongation des traitements liée la chronicisation de certains cancers avec un plus grand nombre de cycles de chimiothérapie par personne et de l'augmentation du nombre de lignes de traitements proposés (traitements des stades avancés/métastatiques de la maladie).

Si certaines chimiothérapies sont dispensées dans le cadre de séjours hospitaliers, la plupart sont réalisées en ambulatoire. Ces séances se déroulent selon diverses modalités : dans les hôpitaux de jour des centres hospitaliers publics ou privés, dans le cadre d'une prise en charge en Hospitalisation à Domicile (HAD), ou par des infirmières libérales coordonnées par un réseau de santé au domicile du patient. La prescription du médecin hospitalier initie le processus de soins et influe sur les prescriptions qui seront poursuivies en ville en fonction des produits de santé sélectionnés. Les anticancéreux administrables à domicile ne sont pas déterminés de manière réglementaire et leur liste n'est pas figée¹⁰⁰. Il peut s'agir de traitements intraveineux, sous-cutanés ou sous forme orale. C'est au médecin prescripteur, en lien avec le patient, de juger, dans le cadre d'une concertation pluridisciplinaire, la possibilité ou pas de déléguer à domicile la réalisation de la chimiothérapie.

La dépense pour ces médicaments anticancéreux aux prix unitaires très élevés va s'accroître très vite sur un modèle de « niche-busters ». Cette stratégie est facilitée (i) par le développement des techniques de séquençage du génome qui permettent de cibler les sous-groupes de patients potentiellement répondeurs, (ii) par les potentialisations de produits qui conduisent à des possibilités de combinaisons de traitements, complexes à évaluer et à tarifier, (iii) par le système de la liste en sus.

Une réflexion autour des modèles d'accès au remboursement et de fixation du prix des médicaments est indispensable et urgente afin d'asseoir les principes qui permettront d'assurer de façon pérenne l'accès à ces traitements.

Chimiothérapie en France – quelques chiffres

D'après le rapport INCa – situation de la chimiothérapie des cancers en 2014

MCO

Séjours et séances

2,5 millions d'hospitalisations, soit 9,4% des hospitalisations en MCO réalisées en France, mentionnent une chimiothérapie en 2013 ; 89,8% sont réalisées en séances, les autres au cours de séjours avec au moins une nuitée.

77% de l'activité est concentrée sur un quart des établissements autorisés. La part du secteur public (établissements de santé antérieurement sous dotation globale : CH, CHRU, CLCC et privé à but non lucratif) est prédominante pour les séances (68,1%), comme pour les séjours avec nuitée (90,4%). Depuis 2011 le nombre de séances progresse davantage dans les établissements publics que dans les établissements privés et le nombre de séjours est en baisse dans les deux secteurs.

Les dépenses d'hospitalisation (séjours et séances) pour/avec chimiothérapie en 2013 s'élèvent à 1,754 milliard d'euros (945,2 millions d'euros pour les séjours, 808,4 millions d'euros pour les séances) soit une augmentation de 5,5% par rapport à 2012 à périmètre constant. Cette évolution est plus importante pour les hospitalisations (+ 7,8%) que pour les séances (+ 2,0%).

¹⁰⁶ L'immunothérapie spécifique permet de restaurer ou d'améliorer les capacités du système immunitaire à se défendre ou à combattre le cancer.

Patients

En 2013, l'activité de chimiothérapie a concerné 292 406 personnes soit une hausse de 1,6% par rapport à l'année précédente et de 3,7% par rapport à l'année 2011. L'âge des personnes est stable par rapport à 2012, avec un âge moyen de 62,2 ans et un âge médian de 64 ans ; 20% des personnes ont plus de 75 ans et 1,4% moins de 18 ans. Une prise en charge a eu lieu en établissement privé pour 27% des personnes, en CH pour 28%, en CHU-R pour 24%, en CLCC pour 16% et en établissement privé non lucratif pour 5%.

HAD

Il existe deux modes de prise en charge en HAD en lien avec l'activité de chimiothérapie anticancéreuse : la **surveillance post-chimiothérapie** et l'**administration de chimiothérapie**. La surveillance de chimiothérapie anticancéreuse est prépondérante. En 2013, elle représente 338 842 journées pour 6 219 personnes. Le nombre de journées réalisées avec chimiothérapie anticancéreuse est de 128 930 pour 4 264 personnes. Cela ne représente que 3% des journées d'HAD toutes pathologies confondues et 4,1% des personnes prises en charge en HAD. On note une progression par rapport à 2011, avec respectivement 41 618 journées et 1 731 personnes supplémentaires (+ 47% et + 68%) portées pour 60% par des établissements de santé privés à but non lucratif, pour 25% par des établissements publics et pour 15% par des entités privées de statut commercial.

SSR

L'activité de chimiothérapie est marginale en SSR. En 2013, on décompte 75 887 journées de SSR réalisées avec chimiothérapie anticancéreuse pour 2 156 personnes. Cela représente moins de 1% des journées et des personnes prises en charge en SSR mais il existe des établissements de SSR très spécialisés en cancérologie.

Chimiothérapie à domicile

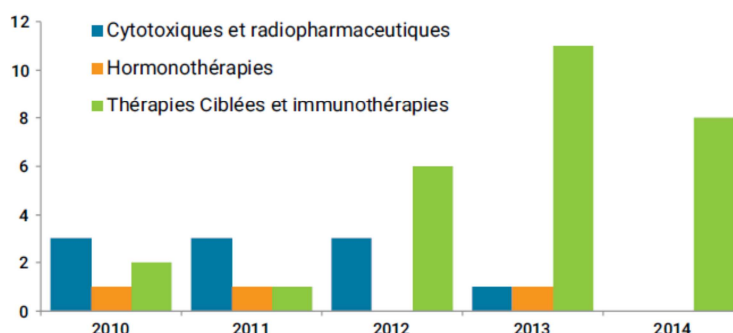
Concernant les chimiothérapies à domicile, on ne dispose que de données indirectes sur les volumes et le montant global des remboursements réalisés par l'assurance maladie pour les médicaments placés sur la liste de rétrocession ainsi que sur les médicaments délivrés en officine.

A. Antinéoplasiques : une offre importante et innovante et des dépenses croissantes

Une spécificité française relevée par des travaux réalisés pour la commission des comptes de la sécurité sociale concerne le recours plus rapide aux médicaments innovants en France comparé à d'autres pays¹⁰⁷. Entre 2010 et 2014, 67 nouveaux médicaments anticancéreux ont été autorisés (97 indications au cours de la dernière décennie). En moyenne 8 AMM initiales par an (molécules mises à disposition pour la 1^{ère} fois) ont été accordées. Ces AMM concernent le plus souvent les thérapies ciblées et les immunothérapies spécifiques (71% des nouvelles AMM – 29 en 5 ans).

Ces molécules ont pour la majorité un bénéfice thérapeutique reconnu : 32% des ASMR attribuées aux indications des anticancéreux sur la même période sont de niveau I à III ; 32% des ASMR sont de niveau IV.

Figure : classes des molécules mises sur le marché pour la première fois sur la période 2010-2014.



Source : INCa (la chimiothérapie orale du cancer en 2014 – note d'analyse, décembre 2015).

¹⁰⁷ Rapport à la commission des comptes de la sécurité sociale. Juin 2016 – pages 120-123.

En 2013, les dépenses associées aux traitements anticancéreux pour l'Assurance maladie s'élèvent à 2,6 milliards d'euros (contre 2,4 milliards en 2012), répartis comme suit (hors dépenses intra GHS)¹⁰⁸ :

- 1,5 milliard lié aux médicaments de la liste en sus à l'hôpital ;
- 200 millions pour la rétrocession dont près de 150 concernent les thérapies ciblées ;
- 880 millions pour l'officine¹⁰⁹, soit une augmentation de 14% par rapport à 2012, essentiellement portée par les thérapies ciblées (avec une part de 54,4% et une croissance de +15,7%) et l'hormonothérapie. Les anticancéreux oraux représentent quant à eux environ 86% des montants remboursés par l'assurance maladie pour les médicaments anticancéreux.

Les médicaments anticancéreux représentent la moitié du montant total de la liste dite « en sus » et ce, pour 36 médicaments du cancer, avec une augmentation du montant consacré à ces médicaments de +6,7% entre 2012 et 2013, et avec des particularités notables : des dépenses concentrées sur très peu de ces molécules (5 molécules représentent près de 840 millions d'euros de dépenses).

Seize thérapies ciblées sont inscrites sur la liste en sus, elles sont à l'origine d'une dépense de 1,1 milliard d'euros soit 40% du montant total consacré par l'assurance maladie à la liste en sus et 74% du montant consacré par l'assurance maladie aux anticancéreux de la liste en sus. Il faut souligner que ces montants ne prennent pas en compte les dépenses liées à la réalisation préalable des tests génétiques (analyse moléculaire des tumeurs) qui concernent une population beaucoup plus large que celle susceptible de bénéficier du traitement ciblé, entre 1% et 20% des cas selon les anomalies. Ces analyses sont financées sur l'enveloppe RIHN (MERRI) et l'INCa complète le financement pour le programme des biomarqueurs émergents.

D'après l'INCa, les dépenses relatives aux médicaments du cancer devraient doubler dans les 3 à 5 ans notamment avec la diffusion de l'immunothérapie spécifique inhibitrice des points de contrôle. Le premier médicament de cette classe est un anticorps anti-CTL4 (ipilimumab) autorisé en 2011 dans le traitement du mélanome métastatique qui a considérablement amélioré la survie de ce cancer. Viennent d'arriver sur le marché en France des molécules qui étaient déjà disponibles dans le cadre d'ATU de cohorte : les anticorps monoclonaux anti-PD1 qui sont très prometteurs pour des patients atteints de cancer du poumon non épidermoïde, non à petites cellules, la forme la plus fréquente du cancer du poumon et, dans le traitement en première ligne du mélanome avancé.

B. Quelles évolutions possibles ?

... pour maîtriser les prix des médicaments innovants

L'arrivée de nouveaux traitements à l'efficacité prometteuse, mais à des prix unitaires très élevés, interroge notre modèle d'accès au remboursement et de fixation du prix des médicaments. Ainsi une cure d'ipilimumab coûte 80 000 euros pour quatre injections. Aux États-Unis sur 58 médicaments anticancéreux approuvés entre 1995 et 2013, le prix tenant compte de l'inflation et des années de vie gagnée, a augmenté de 10% par an en dollars constants (8 500 \$/an)¹¹⁰.

Le potentiel de développement des thérapies ciblées est majeur si l'on considère le nombre de mutations par tumeur, entre 50 et 1 500, qui sont autant de cibles thérapeutiques possibles¹¹¹. Il faut souligner que la fréquence de chaque anomalie est rare. Ainsi, le nombre de patients concernés reste encore faible. Mais ces nouveaux traitements ne sont pas substitutifs, ils augmentent l'arsenal

¹⁰⁸ Situation de la chimiothérapie des cancers en 2014. Juillet 2015 – INCa – 84 pages.

¹⁰⁹ Les données concernant les médicaments délivrés à l'officine ne portent que sur le régime général de l'Assurance maladie, elles ne couvrent donc que les personnes affiliées à ce régime, soit 73% de la population totale.

¹¹⁰ David H. Howard, Peter B. Bach, Ernst R. Berndt, and Rena M. Conti . « Pricing in the market for anticancer drugs », National Bureau of Economic Research. January 2015. <http://www.nber.org/papers/w20867.pdf>.

¹¹¹ La chimiothérapie orale du cancer en 2014 – note d'analyse, décembre 2015. INCa.

thérapeutique à disposition des professionnels pour traiter les cancers et s'ajoutent aux traitements existants. La prévalence des patients recevant ces traitements augmente donc en conséquence. De plus, il n'y a pas de durée optimale de traitement : à la différence des chimiothérapies conventionnelles, les thérapies ciblées se caractérisent par une prise au long cours jusqu'à progression de la maladie ou intolérance. Pour l'immunothérapie, les schémas thérapeutiques ne sont pas stabilisés et dans l'avenir, ces traitements vont profondément modifier les prises en charge : les populations cibles vont rapidement s'élargir du fait soit de l'extension de leurs indications à d'autres cancers, soit de leur utilisation en première ligne dans des formes moins avancées de cancer, soit en association ou avec d'autres traitements (chimiothérapie conventionnelle, thérapie ciblée).

Le mécanisme de fixation des prix basé sur l'ASMR est inflationniste par construction. De plus, la fixation du prix des molécules bénéficiant d'une ATU pèse également dans les négociations *a posteriori*. Le présent rapport (volume I) ouvre des pistes pour une évolution de la politique tarifaire (prix cible, tarification temporaire, tarification individuelle, fixation des prix par indication, partage des risques). Le rapport suggère également un renforcement de la coordination européenne, la mobilisation des marges d'économies possibles par l'encouragement d'une prescription économe. L'exemple du cancer nourrit cette réflexion.

Dans un contexte de continuum soins-recherche tel que l'on peut l'anticiper, une difficulté pour la fixation des tarifs des nouveaux traitements contre le cancer tient, comme on l'a vu, d'une part aux incertitudes concernant leur efficacité et leur sécurité (voir paragraphe 2) et d'autre part à l'évolution dans le temps de la population traitée par rapport à la population cible initiale. La place de ces traitements dans les stratégies de prise en charge est en effet difficile à préciser *ex-ante*. Or cela conditionne le tarif qui sera proposé par le CEPS. Certains mécanismes permettraient d'amortir les dépenses (prix à la performance, remises glissantes). La mise en œuvre de contrats de risque partagés fondés sur les résultats ou la mise en place d'un remboursement temporaire¹¹² sont-elles des options à privilégier pour l'accès au marché remboursé de ces médicaments ? Il est effectivement important d'assortir la fixation du prix de ces médicaments à des clauses incluant un accord de suivi et d'études en vie réelle tel que prévu par l'accord cadre du 31 décembre 2015. Un comité de suivi des études en vie réelle a été créé, il réunit CEPS/CT/CEESP¹¹³. La question du tarif pour des associations de médicaments est un autre enjeu. Une doctrine partagée entre organismes responsables de la fixation des prix et industriels reste à élaborer.

Le développement d'études en vie réelle est donc une clé pour l'avenir. La France dispose d'outils puissants qui pourront être mobilisés dans ce cadre (PMSI, SNIIRAM, registres). Toutefois la « généralisation » d'études en vie réelle est une proposition ambitieuse qui nécessitera outre des travaux techniques et une mobilisation de l'ensemble des acteurs, un portage volontariste. Des évolutions en ce sens sont en cours pour la constitution de bases de données en vie réelle. Quelques exemples peuvent être mentionnés mais des progrès doivent encore être accomplis pour s'assurer de la représentativité de ces bases à des fins d'évaluation. On peut notamment citer le programme ESME (Epidémiologie-Stratégie Médico-Economique) lancé sous l'égide d'UniCancer et Roche qui adopte une approche transversale par pathologie (cancer du sein métastatique)¹¹⁴ et le programme PRM (programme de remboursement personnalisé) qui vise à décrire l'utilisation des traitements développés par produits en vie réelle. L'objectif est « d'ouvrir une voie vers l'amélioration de modèles de financement »¹¹⁵.

¹¹² D.Polton. Rapport sur la réforme des modalités d'évaluation du médicament. Novembre 2015. 168p.

Il s'agit d'un remboursement pour une durée limitée durant laquelle seraient collectées des données cliniques et médico-économiques qui permettraient à la HAS, à l'issue de la période d'affirmer son jugement et d'évaluer si la promesse est réellement tenue (page 72 du rapport).

¹¹³ Les produits de santé à l'hôpital – FHF – rapport 2015.

¹¹⁴ http://www.unicancer.fr/sites/default/files/DP_ESME_UNICANCER_Roche_07.10.14.pdf.

¹¹⁵ http://www.pharmaceutiques.com/archive/une/art_1568.html.

La crainte d'une évolution non maîtrisée des dépenses qui pourrait pénaliser à terme les patients se fait jour. En témoignent des sessions dédiées au prix des médicaments anticancéreux lors de congrès internationaux de professionnels ou la publication de plaidoyers et tribunes qui se succèdent dans la presse spécialisée ou généraliste. Selon une étude récente publiée dans le *Lancet*, les disparités entre pays européens, varient considérablement pour les prix faciaux des nouveaux anticancéreux. D'après les données publiées, la Grande-Bretagne, le Portugal et les pays méditerranéens – la Grèce, l'Espagne – paient le prix unitaire le moins élevé pour ces anticancéreux, alors que la Suède, la Suisse et l'Allemagne paient le prix fort¹¹⁶. Les accords confidentiels que les industriels négocient directement avec les Etats ne sont pas pris en compte dans cette étude. Si la comparaison tend donc à surestimer les écarts de coût, ces travaux ont surtout le mérite d'une part de témoigner de l'opacité du dispositif de fixation des prix qui les tire à la hausse dès lors qu'un prix facial élevé a été obtenu (contre remise) dans les pays référents et d'autre part de rendre compte de l'asymétrie qui existe entre les industriels qui sont en situation de monopole face à des Etats en situation de concurrence pour obtenir les prix les plus bas.

Le développement médiatique de la question du prix des médicaments anticancéreux qui dépasse largement nos frontières est peut-être la promesse d'une réflexion internationale qui peine jusqu'à présent à se mettre en place. Pourtant cette réflexion est nécessaire et urgente. C'est en ce sens que vont les initiatives récentes du gouvernement français.

... pour lever les freins au développement des chimiothérapies à domicile

Un mouvement se fait de l'hôpital vers la ville avec des possibilités croissantes de réalisation de chimiothérapie à domicile, mais le modèle de financement de l'hôpital qui est le prescripteur des chimiothérapies (*via* des GHS bien rémunérés et la liste en sus) n'incite pas à la coopération et au développement des chimiothérapies en dehors de l'hôpital, que ce soit pour les patients les plus complexes, nécessitant une prise en charge en HAD (alternative à l'hospitalisation conventionnelle) ou pour les patients moins lourds par un réseau de santé spécialisé à leur domicile. Toutefois, l'INCa a été saisi par la DGOS en août 2015 pour proposer un référentiel organisationnel pour les chimiothérapies orales (en cours). Les premiers travaux ont permis de modéliser le contenu de la consultation de primo-prescription, qui devrait faire l'objet d'un financement spécifique en MIG à partir de 2016.

D'après les travaux de la HAS¹¹⁷, bien que les chimiothérapies en HAD soient réalisées dans les mêmes conditions de qualité et de sécurité qu'en HDJ, cette activité peine à émerger. En 2013, 4 264 patients ont bénéficié d'une chimiothérapie anticancéreuse en HAD ce qui représentait près de 129 000 journées soit une part très marginale de l'activité de chimiothérapie. Cette activité progresse peu dans le temps. Le coût de la prise en charge en HAD est généralement plus faible que celui de l'hospitalisation conventionnelle mais reste lié aux modalités de tarification retenues en HAD (par jour et séquences) et est protocole dépendant. Une autre étude médicoéconomique a permis de mettre en évidence qu'un traitement alterné HDJ/HAD pouvait permettre jusqu'à 16,5% d'économie pour l'assurance maladie par rapport à un traitement exclusivement réalisé en HDJ¹¹⁸.

Les raisons du faible investissement dans cette activité sont multiples. Il existe en particulier des blocages liés au mode de tarification qui ne semble pas bien adapté à l'activité de chimiothérapie en

¹¹⁶ Sabine Vogler, Agnes Vitry, Zaheer-Ud-Din Babar. Cancer drugs in 16 European countries, Australia, and New Zealand: a cross-country price comparison study, décembre 2015.

[www.thelancet.com/oncology](http://dx.doi.org/10.1016/S1470-2045(15)00449-0) Published online December 3, 2015 [http://dx.doi.org/10.1016/S1470-2045\(15\)00449-0](http://dx.doi.org/10.1016/S1470-2045(15)00449-0).

¹¹⁷ Conditions du développement de la chimiothérapie en hospitalisation à domicile : analyse économique et organisationnelle. HAS – Service évaluation santé publique et médicoéconomique – Janvier 2015.

¹¹⁸ Touati M., Moreau S., Lefort S. *et al.* Le dispositif ESCADHEM de chimiothérapie injectable à domicile du Réseau HEMATOLIM : Evaluation médicoéconomique par modélisation d'une prise en charge alternée entre l'Hôpital de Jour et l'Hospitalisation à Domicile d'un traitement par Bortezomib. Poster, Société Française d'Hématologie, Paris, 26-28 Mars 2014.

HAD¹¹⁹ et d'autre part, le coût du transfert (charge de travail des oncologues prescripteurs) n'est pas nul voire important selon les cas pour l'établissement prescripteur mais non rémunéré et donc peu incitatif au transfert de patients vers l'HAD, même si localement des expériences fructueuses de prise en charge coordonnées peuvent se développer comme en Limousin avec Hématolin. De plus, le modèle de tarification (tarification de l'activité et facturation des molécules onéreuses sur la liste en sus) incite les établissements à réaliser les chimiothérapies en HDJ.

Il existe un réel problème de la prise en charge financière de certains médicaments hors des structures d'hospitalisation MCO notamment en SSR, en HAD et dans le secteur médico-social (EHPAD, MAS et FAM). Les chimiothérapies en sous cutanée ou orales peuvent être suivies en dehors de l'hôpital, et non plus en hospitalisation de jour où sont administrées les chimiothérapies injectables mais leur coût en HAD ou en SSR est incompatible avec les tarifs d'HAD (si elles ne figurent pas sur la liste en sus) ou la dotation annuelle de financement en SSR. Or, il devrait être possible de poursuivre en SSR un traitement par chimiothérapie initié en MCO sans avoir de rupture de parcours c'est-à-dire sans avoir à réhospitaliser un patient en HDJ-MCO pour des raisons financières parce que les molécules relèvent de la liste en sus MCO.

L'impact du coût des médicaments n'est en effet pas le même dans un financement au séjour et dans un financement à la journée. C'est d'ailleurs la difficulté du champ HAD, payé par journée d'hospitalisation, et qui, ayant la même liste de molécules onéreuses que le champ MCO, subit le poids de la dépense en spécialités pharmaceutiques à la journée pour un modèle qui a été construit au séjour. La liste des molécules onéreuses est gérée uniquement en fonction du champ MCO. Aujourd'hui la tarification de l'HAD en journée et non en séjour, amplifie les difficultés en cas de radiation d'une spécialité de la liste en sus. L'enveloppe des listes remboursées hors GHS représente pour l'HAD un montant de 20,9 millions d'euros en 2013¹⁰⁸.

Faciliter le développement de la chimiothérapie à domicile nécessite en particulier des travaux d'ajustement des modèles tarifaires pour éviter les effets contre-incitatifs (la HAS a proposé de développer des forfaits d'externalisation vers l'HAD), de développer une offre spécifique et spécialisée permettant d'assurer une continuité des soins basée sur la confiance des acteurs (s'appuyer sur les tutelles – ARS et OMEDIT – et les centres de coordination en cancérologie ; favoriser l'usage d'outils communs – logiciels, documentation de procédures types, etc.). Les travaux conduits en 2015 avec les fédérations hospitalières ont permis de mettre en place un recueil des consommations des médicaments onéreux hors liste en sus¹²⁰. Les consommations ainsi recueillies devraient donner lieu pour la campagne tarifaire 2016 à un versement de crédits d'aide à la contractualisation.

...pour maîtriser la dépense

La régulation actuelle des traitements anticancéreux est hétérogène avec trois segments : médicaments délivrés sur la « liste en sus » en établissement de santé, médicaments délivrés dans les établissements de santé en dehors de « liste en sus » (financés par les GHS), médicaments délivrés en ville (rétrocédés ou via les officines).

Les anticancéreux de la « liste en sus » regroupent les médicaments les plus coûteux et en principe innovants. Une difficulté liée à cette liste réside dans le frein à des parcours fluides de patients : dans la mesure où cette liste n'est pas en vigueur dans les structures de SSR ou les EHPAD, le patient doit rester ou revenir en MCO pour la délivrance du produit. D'apparente gratuité pour l'hôpital car financé en sus des GHS, ce dispositif est un puissant incitatif en faveur de la prescription des produits

¹¹⁹ D'après le rapport de la HAS « (i) Certains séjours peuvent bénéficier d'une tarification relativement avantageuse (quand l'intervalle entre deux injections est inférieur à 5 jours, le patient peut rester en HAD durant toute cette période), alors que d'autres ne peuvent tarifier que le jour de l'injection (intervalle supérieur à 5 jours entre deux injections) ; (ii) le coût de certains traitements hors liste en sus peut s'avérer prohibitif pour les établissements par rapport au tarif journalier perçu.

¹²⁰ Instruction n°DGOS/R4/2015/304 du 9 octobre 2015 relative à la mise en place d'un recueil d'information sur les traitements coûteux hors liste en sus consommés dans les établissements d'hospitalisation à domicile.

les plus coûteux et un incitatif à faire de l'établissement le site privilégié de l'administration du traitement ce qui n'est pas favorable à une maîtrise de ce poste de dépense. On note à cet égard, que la suppression de certaines molécules de la liste en sus est considérée par les professionnels de santé comme un « déremboursement ».

En matière budgétaire, des mesures sont proposées par voie réglementaire pour contrôler la dépense de médicaments, dans le cadre des lois de financement de la sécurité sociale ou non : contrat de bon usage visant à garantir la pertinence des prescriptions des médicaments de la liste en sus, régulation spécifique de la liste en sus, taux L pour les médicaments délivrés en ville, en rétrocession ou figurant sur la liste en sus... Certaines mesures sont plus ponctuelles. Par exemple, l'article 63 de la LFSS 2015 prévoit que certains GHS sont dorénavant « minorés d'un montant forfaitaire. L'arrêté du 12 février 2015 (paru au JO du 17 février) fixe le montant du forfait à 40 euros et limite cette mesure aux GHS de séance de chimiothérapie tumorale ou non tumorale : GHM 28Z07Z et 28Z17Z. Par ailleurs, la circulaire relative à la campagne budgétaire et tarifaire du 22 avril 2015 apporte des éléments « de sensibilisation » dans son annexe XI pour une meilleure prescription des anticancéreux, notamment dans les indications avec une ASMR IV et V.

On peut s'interroger sur la cohérence d'incitations tarifaires segmentées et ponctuelles et de leurs effets systémiques. Des mesures globales et transversales plus ambitieuses sont nécessaires afin de favoriser les prises en charge les plus efficaces.

Une piste d'évolution pourrait être de définir l'allocation des moyens alloués sur la base des prises en charge transversales, regroupant l'ensemble des postes de dépenses concernées, indépendamment du lieu de réalisation du traitement : dépenses des produits anticancéreux, qu'ils soient récents ou non et qu'ils soient délivrés en ville ou à l'hôpital, dépenses de laboratoires directement liées (analyses génomiques en particulier), GHS de séances, GHT de l'HAD, soins infirmiers et/ou médicaux à domicile (incluant l'acte de prescription) et dépenses de transports engagés spécifiquement pour cette activité. Cela nécessite la mise en place d'un système d'information complet, chaînant les différentes briques existant à l'heure actuelle : GHS, FICHCOMP, délivrance en ville, fiche de RCP, fiche de délivrance de la PUI, dossier médical électronique partagé d'oncologie.

Un tel schéma paraît ambitieux et demande de nombreux travaux techniques, mais à titre d'étape intermédiaire, il pourrait déjà être mis en place une enveloppe partielle « oncologie hospitalière » regroupant les dépenses de médicaments anticancéreux, les GHS de séances, les tests biologiques. Cela ne répondrait qu'à une partie des problèmes identifiés. Il faudrait dans ce cadre lever *a minima* la contre-incitation qui existe pour la prise en charge à domicile en trouvant des solutions de rémunération pour l'établissement de santé prescripteur : (i) tarification à un niveau élevé de la consultation de prescription d'une chimiothérapie *per os* ; (ii) forfait pour l'ensemble de la cure, qu'elle soit réalisée dans l'établissement ou à domicile.

Présentation des rapports de prospective sur l'innovation en santé

Roland CASH

Note de synthèse sur les rapports de prospective publiés en France ces 20 dernières années

La présente note propose un bilan synthétique des sujets évoqués par les rapports de prospective sur l'évolution du système de santé produits au cours de ces dernières années. Elle confronte, en outre, ces exercices à la réalité afin de voir en quoi et pourquoi, le cas échéant, ceux-ci avaient omis certains facteurs ou exagéré certaines évolutions.

A. Sélection des rapports analysés

Ont été retenus dans la présente note les rapports et travaux ayant, au moins pour une partie de leur contenu, à la fois :

- Une réflexion sur le système de santé en termes prospectifs
- Une présentation des innovations intervenant dans le système de santé (innovations portant sur les connaissances, les produits, les technologies, les procédures...)
- Une analyse sur l'impact de la réflexion prospective et des innovations sur l'organisation du système de santé

Chaque rapport a fait l'objet d'une fiche de synthèse (cf. ci-dessous).

D'autres rapports, plus descriptifs sur tel segment de l'innovation ou prospectifs mais ne comportant pas de volet sur l'organisation des soins, ont été rassemblés mis à profit essentiellement pour discuter des aspects de veille stratégique et technique.

B. Description des rapports

Dans la recherche bibliographique effectuée, trois types de rapports ont été identifiés :

- des travaux prospectifs globaux, abordant les différents aspects d'évolution du système de santé : démographiques, épidémiologiques, sociologiques, techniques... dans le cadre d'une analyse systémique :
 - le rapport « Santé 2010 » réalisé par le Commissariat général du Plan, rédigé en 1993
 - le rapport « Quel système à l'horizon 2020 ? » du Ministère de la Santé et de la DATAR, rédigé en 2000
 - le rapport de l'Office de prospective en santé de Sciences Po, 2008.

La perspective adoptée dans ces travaux est proche : une fois passés en revue les différents facteurs pouvant avoir un impact sur le système de soins (facteurs démographiques, épidémiologiques, sociétaux, techniques), la réflexion porte sur ce que ces facteurs pourront induire comme évolutions. Tout se passe comme si le progrès technique était considéré comme un facteur exogène au système de soins, une « donnée extérieure », venant modifier les équilibres, le système devant s'y adapter. Les évolutions dans l'organisation des soins sont ainsi conçues comme des conséquences, même si plusieurs scénarios restent possibles ; à cet égard, le

rapport Santé 2010 développe 3 scénarios contrastés, dont le scénario tendanciel, proche de ce qui a été observé (cf. encadré).

Toutefois, dans le rapport Santé 2020, qui se place de manière plus volontariste dans la perspective de mettre en place une organisation des soins cible, le progrès technique est davantage vu comme un possible facilitateur en faveur de cette organisation cible, notamment au regard des possibilités offertes par les NTIC.

- des analyses réalisées du point de vue industriel et/ou des institutions de recherche :
 - soit assez globales, comme le rapport « Santé 2025 » du LEEM et le rapport Alcimed réalisé pour la CNSA et l'ANR ;
 - soit sectorielles, notamment sur les nouvelles technologies de l'information et de la communication et la télémédecine, mais aussi sur les dispositifs médicaux et l'imagerie (rapports PIPAME).

Dans ces approches, le point de vue est différent : il s'agit d'identifier les pistes de développement industriel qui à la fois répondent à des besoins de santé et permettent à l'industrie française d'occuper une position significative. Les questions d'organisation des soins sont abordées soit comme leviers, soit comme obstacles, sans parler des aspects réglementaires et tarifaires, régulièrement critiqués pour les freins qu'ils imposent à la diffusion de l'innovation.

- Une analyse centrée sur un domaine pathologique particulier, le cancer : le rapport d'Unicancer « Quelle prise en charge des cancers en 2020 ? »

La synthèse réalisée s'appuie surtout sur les trois premiers rapports, en empruntant quelques éléments aux autres travaux, mais l'ensemble de ces documents ont été mis à contribution dans la suite des travaux du HCAAM.

Encadré : les trois scénarios présentés dans « Santé 2010 »

Le scénario tendanciel

Les objectifs de croissance des dépenses de soins sont gérés à court terme ; ils font l'objet de négociations sectorielles annuelles ; des objectifs de santé publique sont fixés ; mais leur mise en œuvre reste disparate. Le principe du libre choix du médecin est confirmé.

La prise en charge des techniques nouvelles n'est pas anticipée et se fait sous pression des professionnels, des industriels ou des usagers.

Les industriels développent les techniques du système biomédical qu'ils pensent pouvoir faire reconnaître par les cliniciens et prendre en charge par les régimes d'assurance-maladie.

Le champ des techniques diagnostiques et curatives s'est largement diversifié. Les progrès de l'imagerie tridimensionnelle, l'utilisation de la robotisation et de la miniaturisation permettent des interventions précoces par des procédés peu invasifs sur les problèmes vasculaires et tumoraux.

Les techniques de suppléance moyenne ont nettement progressé, elles sont largement solvabilisées.

Les thérapies géniques sont pratiquées dans les centres autorisés selon des protocoles multicentriques européens et internationaux. Le Comité national d'éthique a donné son accord pour le traitement par thérapie génique des maladies monogéniques, mais tout dépistage systématique par les techniques de prédiction génétique est interdit dans le cadre de programmes de santé publique.

Les techniques de suppléance légère et d'aide à la vie quotidienne sont laissées à l'initiative de la solidarité locale, les prises en charge sont très disparates. Ceux qui les connaissent et qui en ont les moyens s'organisent pour pouvoir en bénéficier.

La médecine de spécialité garde sa prépondérance, le libre accès au spécialiste n'est pas remis en cause. Mais localement, les « contrats-santé » proposés par les généralistes peuvent trouver des développements importants. La médecine à l'acte reste le principe d'organisation et de financement des soins ; mais les actions de prévention et de dépistage sont intégrées à la pratique de la médecine libérale pour la mise en œuvre régionale des objectifs de santé publique.

Le nombre de lits hospitaliers a été modérément réduit ; les prises en charge ambulatoires se multiplient mais les besoins d'hébergement pour personnes dépendantes et démentes augmentent fortement.

Les procédures d'allocation de ressources sont vécues comme arbitraires par les professionnels et par les gestionnaires hospitaliers qui voudraient voir mieux prises en compte la sévérité des maladies et la qualité des soins prodigués.

Les usagers se regroupent en associations pour défendre leurs intérêts et pour faire valoir leurs besoins.

Une certaine maîtrise des dépenses est obtenue, mais personne n'est satisfait ; les débats sont toujours parcellaires et conflictuels...

Cette régulation à court terme du développement des techniques se traduit par une prolongation significative de l'espérance de vie, mais les effets sur l'espérance de vie sans incapacité sont insuffisants : on est dans un scénario d'extension de la morbidité.

Le scénario technique : les professionnels organisés

L'orientation a été prise de maîtriser la dépense sociale de soins et de laisser une large part du financement des soins aux fonds privés de façon à ouvrir au maximum l'éventail des réponses techniques de l'ensemble du système de santé. Le système d'assurance sociale couvre la prise en charge des techniques sur base forfaitaire. Elle correspond à un protocole technique de base. Des protocoles alternatifs peuvent être choisis par les patients qui ont alors à leur charge les différences de coûts. Les usagers sont ainsi incités à faire des arbitrages explicites entre leur charge financière et des avantages de confort, de temps, de qualité, etc.

L'objectif de santé est de faire reculer au maximum les limites actuelles de la maladie et de la mort. Pour ce faire, on pense qu'il faut laisser les techniques donner progressivement la pleine mesure de leurs potentialités et favoriser leur développement indépendamment du coût et de leur impact. Les professionnels gardent l'entière maîtrise de leur mise en œuvre et promeuvent pour garder la confiance des usagers et des financeurs le développement d'une médecine d'experts.

Les médecins sont regroupés en réseaux de spécialistes organisés autour de la prise en charge d'un organe ou d'un système fonctionnel. Les innovations sont rapidement intégrées à l'arsenal thérapeutique et les professionnels mettent en place un système de certification obligatoire préalable à l'exercice de toute nouvelle technique. Les hôpitaux établissent des contrats avec les producteurs de soins, réduisent leur nombre de lits. Les centres de soins ambulatoires se multiplient.

L'organisation technique du domicile et de l'environnement (télématique, domotique...) est possible. Elle permet aux personnes handicapées et dépendantes, solvables (ou assurées), de se maintenir à domicile.

Cette expansion technique doit permettre de retarder l'âge moyen d'apparition des maladies dégénératives et de la sénescence ; l'espérance de vie s'accroît ; la durée de vie sans incapacité est accrue ; on est potentiellement en situation de compression de la morbidité.

Cependant, les failles du système de solidarité, les possibilités de connaissance des risques individuels de maladie grèvent l'action sur les facteurs sociaux et environnementaux et les pathologies qui leur sont liées. L'exclusion des personnes à risque élevé devient un nouveau problème social.

Le faible niveau de la prise en charge publique crée rapidement des problèmes d'accès aux techniques nouvelles et amplifie les différences d'état de santé (et de mortalité) liées aux conditions économiques et sociales individuelles.

La dépense sociale est maîtrisée à court terme, les réponses techniques immédiates sont de très haut niveau, mais les coûts résiduels pour les usagers ou les assureurs complémentaires sont élevés ; la dépense de santé pèse de plus en plus lourd dans le budget des ménages et dans le PIB.

Le scénario de la santé organisée

Des objectifs de santé publique cadrent les actions de maîtrise des dépenses et le développement des techniques. Le ministère de la Santé définit tous les cinq ans des objectifs de réduction de la mortalité évitable. Les déterminants sociaux mais aussi génétiques des problèmes de santé des individus et d'une collectivité fondent l'organisation des actions de santé. Les programmes de prévention des risques et de dépistage ajustés sur les risques individuels sont valorisés et mis en œuvre par les entreprises et les collectivités locales.

Les professionnels font les arbitrages entre les techniques ; ils peuvent être amenés à justifier leurs choix techniques devant les commissions médicales spécialisées des assureurs.

Les techniques curatives ayant démontré leur efficacité se développent, et l'acharnement thérapeutique et les techniques suppléatives lourdes (assistance cardiaque...) sont fortement remis en cause. Le nombre de lits d'hospitalisation a été réduit de 60%, les anciens hôpitaux gardent à un niveau régional la responsabilité des techniques chirurgicales lourdes.

Pour tenir compte des aspects sociaux et environnementaux de la santé, des instances médico-sociales sont mises en place. Elles sont responsables de l'état de santé d'une population, et disposent pour ce faire d'un forfait annuel par personne. Elles ont la capacité de mobiliser rapidement un système de soins de proximité. Pour l'essentiel ceux-ci peuvent être organisés et le suivi en ambulatoire mis en œuvre grâce au développement des techniques d'auto-surveillance, des logiciels d'aide à l'auto-médication, des systèmes d'aide au diagnostic et de consultations par vidéo-téléphone.

Le champ de la prise en charge s'élargit par la mise à disposition du plus grand nombre des techniques qui ont pour objet de réduire dépendance et handicap et de prévenir les risques : suppléance fonctionnelle « légère », aménagement du domicile et de l'environnement, systèmes d'alarme voire systèmes de surveillance intégrés.

Les interventions médicales sont orientées sur la prise en charge globale des personnes, le nombre de spécialistes diminue, le champ des prestations de soins solvabilisées effectuées par des non-médecins s'élargit (ergothérapie, psychothérapie).

L'espérance de vie globale augmente peu, mais l'espérance de vie sans incapacité est nettement accrue ; on est en situation de compression de la morbidité. Les inégalités et les problèmes de santé liés à la pauvreté sont limités. Le niveau d'éducation sanitaire s'est élevé.

Cependant, des pressions fortes s'exercent pour rouvrir des espaces individuels dans la gestion de la maladie, de ses risques et des recours aux soins.

La dépense médicale et sociale est élevée ; les arbitrages financiers qui ont amené en début de période à faire de la santé une priorité sont remis en cause ; il faut trouver d'autres modes de solidarité plus privés pour que s'expriment les préférences individuelles.

C. Les thématiques évoquées couvrent un champ très vaste

Les différents rapports évoquent de façon constante les thèmes suivants :

- **Biotechnologies** dans les domaines diagnostiques et thérapeutiques, avec dans certains rapports, un développement spécifique sur la médecine prédictive liée à la connaissance du génome humain (par exemple dans la pratique du diagnostic prénatal).

Les thérapies géniques sont discutées avec prudence, en dehors des pathologies rares. Il est reconnu qu'elles pourront prendre une place dans l'arsenal thérapeutique, mais de façon limitée en raison de leur complexité et de leur coût ; la thérapie cellulaire serait aussi limitée dans son développement du fait des freins réglementaires et éthiques, et des questions de sécurité (risque d'évolution cancéreuse).

- **Techniques d'imagerie médicale** de moins en moins invasives, avec plus grande précision des images, reconstructions 3D, imagerie moléculaire (par exemple pour un bilan d'extension tumorale)...
- Dans le domaine pharmaceutique, développement de la **médecine personnalisée** et meilleur ciblage des traitements grâce à la pharmacogénomique.
- **Chirurgie moins invasive**, avec miniaturisation et robotisation
- **Techniques de suppléance fonctionnelle** : il est même évoqué le concept de « l'homme reconstruit », à travers cinq champs : les biomatériaux, les transplantations, la culture cellulaire et les cellules souches, la bionique, les nanotechnologies, avec des combinaisons entre ces technologies, dans le cadre d'une véritable ingénierie biologique et tissulaire
- **Développement des NTIC** comme support aux activités de soins, avec de multiples aspects :
 - Intégration dans les équipements des laboratoires de biologie, les appareils d'imagerie...
 - Systèmes experts d'aide au diagnostic
 - Dossier médical informatisé
 - Télé-suivi à domicile, grâce au nombre croissant d'appareils biomédicaux miniaturisés et communicants, de capteurs, voire de systèmes couplant diagnostic et délivrance de produits
 - Télé-consultations, télé-imagerie, etc.

Le développement de ces outils est perçu à la fois comme un moyen de répondre à des besoins ressentis par des praticiens et des patients, et un moteur de la diffusion de pratiques collectivement jugées bonnes (travail en réseau, partage de l'information et de l'expertise,

évaluation...). A cet égard, leur diffusion est soumise à une volonté collective devant se traduire par un modèle économique adapté.

- Dans le rapport de Sciences Po de 2008 (mais pas dans les rapports plus anciens), un long développement est effectué sur les **nanotechnologies**, avec plusieurs types d'applications :
 - Délivrance des médicaments : vecteurs pour transporter des principes actifs ou les encapsuler, en ciblant des tumeurs par exemple ;
 - En neurosciences, implantation d'électrodes pour commander une prothèse ;
 - Possibilité de coupler diagnostic et traitement, via des dispositifs miniaturisés in vivo réalisant le diagnostic en temps réel et délivrant la dose adaptée de produit ;
 - Puces intégrées, capteurs, orientant l'individu sur des comportements de prévention ; services médicalisés aux particuliers utilisant les réseaux de communication.
- Dans le rapport d'Alcimed, un long développement porte sur les **technologies favorisant l'autonomie** des personnes, faisant appel en particulier aux NTIC et aux dispositifs médicaux mais dans une optique spécifique : aides techniques pour la motricité, outils de communication, domotique, assistance robotique...

Il est souligné que même s'il est commode de distinguer ainsi les principaux champs, certaines innovations résultent de l'utilisation simultanée de différentes technologies : systèmes experts pour la recherche en génétique, utilisation de matériaux biocompatibles pour développer une suppléance fonctionnelle plus performante.

Dans les rapports récents, ce principe de **convergence des technologies** est largement souligné, avec de possibles apports conjoints de la biologie, de l'imagerie, de la microélectronique, des technologies de l'information, des sciences cognitives... Les « nanosciences », les différents types de capteurs constituent des illustrations de telles convergences.

Les **innovations organisationnelles** ont été parfois discutées comme un thème à part entière, avec les réseaux de soins, les cabinets de groupe, un exercice orienté vers une prise en charge globale et coordonnée, incluant la prévention, le développement de l'évaluation et des démarches qualité. Des propositions sont formulées pour accompagner ce mouvement, car par définition, ces innovations doivent faire l'objet de démarches volontaristes ; elles ne vont pas s'imposer par elles-mêmes.

D. Ces rapports de prospective identifient un impact fort du progrès technique sur l'organisation des soins

Les grandes tendances évoquées à l'œuvre dans le système sont les suivantes :

- Réduction des explorations et thérapeutiques invasives, et donc diminution des risques et de la pénibilité des interventions, diminution des durées de séjour, réduction des effets secondaires, amélioration de l'efficacité des prises en charge ;
- Constat d'une inadaptation du système de santé à la prise en charge des maladies chroniques : nécessité de promouvoir le travail en équipe, un exercice plus collectif et plus coordonné des soins ; rôle croissant de l'éducation thérapeutique et de l'information du patient, qui devient davantage acteur de sa santé (mouvement qui pourrait être favorisé par les dispositifs d'auto-diagnostic, d'auto-suivi, etc.) ;
- Demande sociale en faveur du maintien à domicile ;
- Sur le plan financier, plusieurs évolutions sont discutées :
 - gains de productivité permis par l'allègement des séjours, l'apport des NTIC, etc.

- extension du champ des possibles, donc de la demande (notamment recul des limites d'âge pour les interventions), induisant à l'inverse une pression sur le financement des soins ;
- coûts unitaires élevés de certaines innovations (organes artificiels, traitements médicamenteux ciblés...).

Sur le plan de l'organisation des soins, les tendances anticipées sont les suivantes :

- Une concentration des plateaux techniques d'imagerie, avec l'aide de la télémedecine et des possibilités d'interprétation à distance.
- Une probable réorganisation des laboratoires de biologie : regroupements des équipements, mise en place de véritables plateformes logistiques de réception des prélèvements. Il est mentionné aussi le développement d'équipements portables plus proches du patient.
- Le développement de la chirurgie « minimale » et de la chirurgie ambulatoire.
- Des possibilités plus grandes de maintien à domicile des personnes dépendantes, du fait des technologies de suivi à distance.

Dans ce domaine des dispositifs et procédures de maintien à domicile, il existe un besoin d'intégration de la production de soins et de l'émergence d'une offre industrielle dans ce but.

- Il existerait en conséquence un double mouvement :
 - Pour les techniques de pointe, concentration de l'expertise et des équipements dans quelques centres spécialisés, renforçant le rôle des centres universitaires ;
 - Pour les interventions allégées par la moindre invasivité des techniques, et grâce aux procédures de travail en réseau et à la télémedecine, l'offre de soins ambulatoires et les établissements de premier recours pourraient voir leur rôle se développer (avec des durées de séjour raccourcies, des traitements en ambulatoire ou à domicile), dans le cadre d'une dispensation plus collégiale des soins.

Des établissements de santé moins spécialisés et centres de convalescence garderaient ainsi toute leur place.

Pour tous ces aspects, il est souligné l'importance d'anticiper l'évolution des métiers et des compétences.

E. Dans ces différents rapports, des difficultés liées à l'émergence de ces innovations sont aussi soulignées

- Les problèmes éthiques posés par la médecine prédictive sont évoqués, notamment pour le diagnostic pré-implantatoire.
- Une autre difficulté majeure anticipée dans ces travaux est le risque d'inégalités d'accès aux nouvelles technologies, non seulement dans le cas où elles seraient trop coûteuses, mais aussi si elles ne sont développées que dans les grands centres universitaires avec un rationnement obligatoire du fait de la technique (comme dans le cas des greffes d'organes) ou du coût. D'autres sources potentielles d'exclusion existent : exclusion par l'information,...

Cette question de la prise en charge est aussi évoquée pour les dispositifs de maintien à domicile et d'auto-suivi (capteurs,...), qui pourraient ne pas rentrer dans le panier de soins remboursables par l'AMO.

- Le coût est en lui-même une difficulté, si la collectivité n'arrivait plus à financer les innovations les plus onéreuses.

- La question de la confidentialité des informations se pose au regard de la mise en place de vastes bases de données de santé via les capteurs et autres dispositifs.
- Le risque de recours non hiérarchisés aux examens complémentaires (facilités par l'innocuité des examens et la rémunération à l'acte), avec en conséquence un risque de prescriptions inutiles, est évoqué, si la substitution entre anciens et nouveaux actes ne se fait pas.
- Pour les innovations souhaitées, la lenteur de diffusion est considérée comme une difficulté importante, du fait des aspects réglementaires et tarifaires, mais aussi des besoins de formation et d'évolution des métiers. A cet égard, l'absence de modèle économique pour la télémédecine est régulièrement considérée comme un frein majeur à son développement, de même qu'au développement d'une offre industrielle structurée.

F. La question de l'intervention publique et de la régulation de la diffusion des innovations est aussi posée

Les attentes vis-à-vis de l'intervention publique abordent différents angles (en dehors des aspects de politique industrielle) :

- arbitrages sur le champ des techniques prises en charge par la collectivité ;
- orientation de la recherche fondamentale, et encouragement de la pluridisciplinarité ;
- définition des critères de santé, de sécurité, d'efficacité pour la mise sur le marché des technologies nouvelles ; clarification et amélioration des méthodes d'évaluation dans les différents champs ;
- régulation de la diffusion des innovations via le système tarifaire et les procédures réglementaires ;
- mise en place d'une cellule de veille des innovations et des pratiques innovantes ;
- mise en place de cycles de formation adaptés pour des spécialisations particulières ;
- mise en place d'un modèle économique adapté pour l'utilisation des NTIC dans l'optique d'une organisation en réseau des différents niveaux d'intervention ;
- organisation du partage des données de santé.

G. Réflexions conclusives

Il est frappant de constater que les évolutions en discussion à l'heure actuelle étaient déjà évoquées dans les travaux anciens. Cela signifie à la fois que ces travaux avaient correctement identifié les principaux enjeux mais aussi que la situation n'a pas dans tous les domaines évolué aussi rapidement que prévu. Par exemple, dans Santé 2010, un accent particulier était mis sur la médecine prédictive et force est de constater qu'en 2010, l'horizon de ce rapport, ce développement n'est pas encore aussi important que prévu. Avec prudence, il était attendu aussi quelques succès en thérapie génique dans la mucoviscidose, mais ce n'est pas encore le cas. Par contre, en cancérologie, les progrès anticipés dans le domaine pharmaceutique ont été au rendez-vous. A l'inverse, concernant le SIDA, tous les espoirs étaient mis dans le développement rapide d'un vaccin, mais le succès dans la lutte contre cette infection est venu des anti-rétroviraux, encore balbutiants en 1993.

Dans le domaine de l'équipement, une réflexion était menée sur les « doctor-tests », équipements de diagnostic biologique portables, au plus près du patient, mais ce développement n'a pas eu lieu.

L'émergence de la chirurgie ambulatoire a été moins rapide qu'anticipé également, même si à l'heure actuelle, ce mode de prise en charge s'est largement développé. D'une manière générale, on peut dire que pour les innovations de rupture, tels les anti-rétroviraux, l'anticipation a été trop prudente, alors que pour des innovations supposant une formation des professionnels, des

changements de pratique et d'organisation, comme la chirurgie ambulatoire, l'anticipation a été trop optimiste sur le délai de diffusion.

Même s'ils discutaient parfois les évolutions possibles en matière d'espérance de vie, ces rapports prospectifs ont cependant omis un phénomène important, qui est celui de la diminution du taux de mortalité dans les principales pathologies (cancérologie et pathologies cardiovasculaires) du fait de progrès lents mais continus. De fait, le débat classique entre « innovations de rupture » et « innovations incrémentales » peut à cet égard paraître trop schématique, tant l'innovation, dans le secteur de la santé, est devenue un processus continu et permanent. A noter que parmi les innovations ayant permis un tel succès dans le traitement de ces affections, entrent en jeu certes des progrès dans les domaines diagnostiques et thérapeutiques mais aussi une meilleure connaissance des facteurs de risque et de la manière de les maîtriser (y compris sur le plan socio-comportemental) et une organisation innovante des dépistages, ainsi qu'une meilleure organisation des soins urgents dans le cas des maladies cardiovasculaires, tous ces éléments n'ayant pas ou peu été anticipés.

Annexes

Annexe 1 : Rapport *Santé 2010*, volet « Innovations technologiques et demandes de santé »

Année : 1993

Promoteur du rapport : Commissariat général au plan

Auteurs : Marie-Laure Pibarot et Christine Meyer

Contributeurs : Claudine Blum-Boisgard, Anne Fargot-Largeault, François Gros, Claude Kornblum, Marcel Legrain, Claude Le Pen

Méthodologie

Réflexion collective à travers des ateliers et des contributions spécifiques demandées à des experts et rédaction d'un rapport de synthèse par les auteurs.

Contributions annexées :

- A. Fagot-Largeault : Questions éthiques
- F. Gros : Les développements de la biologie et leurs effets sur le système de santé
- C. Kornblum : L'impact des technologies sur le système de soins dans la période 1990-2010 : exemples de l'imagerie, de la suppléance fonctionnelle et de l'informatique médicale
- PL. Fagniez et D. Houssin : L'évolution de long terme d'une activité médicale : la chirurgie digestive en France
- SD. Kipman et JM. Thurin : Réflexion prospective sur la santé mentale
- C. Le Pen : Médicament et industrie pharmaceutique : réflexions sur l'avenir

Domaines technologiques couverts

- Biotechnologies dans les domaines diagnostiques, thérapeutiques et de la prédiction, avec un développement spécifique sur la médecine prédictive et la connaissance du génome humain (par exemple dans la pratique du diagnostic prénatal). Mais les thérapies géniques sont discutées avec prudence, en dehors des pathologies rares
- Techniques d'imagerie médicale
- Chirurgie minimale et techniques d'intervention par agents physiques (laser, ultra-sons)
- Techniques de suppléance fonctionnelle :
 - Pathologies cardiovasculaires
 - Orthopédie, handicap, vieillissement : prothèses articulaires, prothèses auditives, appareillages et techniques d'aide à la vie quotidienne...
 - Pathologies chroniques : dialyse rénale, pompes à insuline, respirateurs...
- Développement de l'informatique comme support aux activités de soins, dont :
 - Intégration dans les équipements des laboratoires de biologie, les appareils d'imagerie...
 - Systèmes experts d'aide au diagnostic
 - Développement de l'informatique hospitalière

Il est souligné que même s'il est commode de distinguer ainsi les principaux champs, certaines innovations résultent de l'utilisation simultanée de différentes technologies : systèmes experts pour

la recherche en génétique, utilisation de matériaux biocompatibles pour développer une suppléance fonctionnelle plus performante...

Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- Priorité aux techniques non ou peu invasives : chirurgie (coelioscopie...) et techniques minimales, utilisation de l'IRM ou des ultrasons plutôt que des radiations ionisantes
- Recherche de plus d'efficacité et de fiabilité des techniques (automatisation, robotisation)
- Plus de confort et moins d'effets secondaires
- Enjeux d'une meilleure productivité de l'acte médical et/ou du processus de prise en charge, fonction des négociations tarifaires et de la rapidité des substitutions de techniques

Les points de vigilance :

- Problèmes éthiques posés par la médecine prédictive
- Risque d'addition d'examens complémentaires et de recours non hiérarchisés (facilités par l'innocuité des examens et la rémunération à l'acte), donc risque de prescriptions inutiles
- Coût des nouveaux produits et nouvelles techniques, arbitrages à effectuer selon des priorités sociales ou médicales
- Etre attentif aux questions de diffusion des innovations : distinction entre la phase d'innovation « technique » et la phase d'innovation « clinique », intégrant les questions de formation des professionnels, d'intégration de l'innovation dans les pratiques

Autres conséquences :

- Elargissement des indications des explorations diagnostiques avec l'innocuité des examens, l'amélioration des techniques, la simplicité d'utilisation
- Elargissement du champ de la demande en chirurgie
- Sémiologie nouvelle se référant à des normes biologiques, d'imagerie... non forcément reliées à une expression clinique : le recours au système de soins peut se faire pour des « porteurs sains d'image et/ou de constante biologique anormales »
- Dans le domaine pharmaceutique, développement de produits combinant un prix unitaire élevé, des indications larges et une bonne efficacité thérapeutique

Les impacts sur l'organisation des soins :

- En imagerie, développement de plateaux techniques importants qui concentrent l'essentiel des appareils
- Restructuration des métiers médicaux
- Diffusion en deux temps de l'innovation : d'abord concentration, organisation de centres de référence, évaluation, puis dissémination
- Hospitalisations programmées et écourtées, ou sans hébergement : demande de l'organisation et de la flexibilité
- Développement des soins au domicile avec suivi à distance (avec questions à résoudre : responsabilité, sécurité)

Questions ouvertes sur les politiques publiques

- Sur l'orientation de la recherche fondamentale

- Sur la définition des critères de santé, de sécurité, d'efficacité pour la mise sur le marché des technologies nouvelles
- Sur la régulation de la diffusion des innovations : via le système tarifaire et les procédures

Développement de scénarios

- *Scénario tendanciel* : la prise en charge des techniques nouvelles n'est pas anticipée et se fait sous pression des professionnels, des industriels ou des usagers. Notons que le développement de ce scénario sur les développements techniques, l'organisation des soins, le rôle des professionnels, des usagers, etc. décrit assez bien ce qui s'est passé
- *Scénario technique : les professionnels organisés* : rôle plus important des assureurs complémentaires, grande autonomie des professionnels, médecine d'experts, extension du champ des interventions médicales avec idée de gestion du capital-santé, réseaux de spécialistes, rapide diffusion des innovations, mais exclusion croissante des personnes à risque élevé, augmentation du coût à charge des ménages
- *Scénario de santé organisée* : on fixe des objectifs de santé publique, avec programmes de prévention, etc. Des arbitrages sont faits entre techniques. Accent mis sur la prise en charge globale des personnes, les soins de proximité. Développement de la télématique, des consultations à distance...

Annexe 2 : Rapport préparatoire au schéma de services collectifs sanitaires « Quel système de santé à l'horizon 2020 ? »

Année : 2000

Promoteur du rapport : Ministère de l'Emploi et de la Solidarité - DATAR

Rapporteur principal : Dominique Polton, CREDES

Contributeurs : Comité scientifique d'une trentaine de personnes

Et auteurs de parties du rapport : Marianne Berthod-Wurmser, Jean-Etienne Caire, Marie-Danièle Campion, Roland Cash, Agnès Couffinal, Carole Cretin, Véronique Ghadi, Michel Grignon, Alain Letourmy, Marie-Claire L'Helgouach, François Lhoste, Christine Meyer, Frédéric Rupprecht

Objectif principal du rapport

Préparer la réalisation du schéma de services collectifs sanitaires servant à mettre en perspective, à 20 ans, les travaux conduits dans le cadre de la révision des SROS.

Méthodologie

Réflexion collective à travers des réunions de travail du comité stratégique, des contributions régionales et des contributions spécifiques.

Sur le volet « progrès technique et impact sur les services sanitaires », outre une analyse bibliographique, un panel d'experts a été interrogé par voie de questionnaire. 34 experts ont répondu, sur 140 personnes et institutions sollicitées (notamment l'ensemble des sociétés savantes).

Domaines technologiques couverts

Trois sources d'évolutions du côté de l'offre de soins sont identifiées et discutées :

- Le progrès technique,
- La démographie médicale,
- L'évolution des pratiques professionnelles, des métiers et de l'organisation des soins, chaque paramètre étant en interaction avec les autres.

Trois grands domaines techniques porteurs d'évolutions ont été évoqués :

- La biologie moléculaire et la médecine génétique, avec plusieurs aspects :
 - Le diagnostic et la prédiction de certains risques
 - Les applications thérapeutiques : la thérapie génique et la thérapie cellulaire apparaissaient encore comme incertaines et à échéance lointaine
- Innovations techniques :
 - techniques exploratoires de moins en moins invasives, plus grande précision des images,
 - miniaturisation et robotisation en chirurgie,
 - en biologie, diffusion d'équipements portables plus proches du patient
 - nouveaux médicaments dans les domaines suivants : anticancéreux, antidiabétiques, modulateurs du système immunitaire, antiviraux...
- Nouvelles technologies de l'information et de la communication, qui pourraient constituer un levier majeur de transformation du système, du fait :

- De leur appropriation par les soignants : échange d'informations, accès à des bases de données, télé-expertise, dossier médical partagé, formation continue, outils d'aide à la décision médicale...
- Et de leur appropriation par les patients : portails santé, avis médical en ligne, pharmacie électronique...

Le développement de ces outils est perçu à la fois comme un moyen de répondre à des besoins ressentis par des praticiens et un moteur de la diffusion de pratiques collectivement jugées bonnes (travail en réseau, partage de l'information et de l'expertise, évaluation...).

« Il faut néanmoins garder à l'esprit qu'une telle évolution est avant tout de nature culturelle, même si l'outil technique peut la favoriser et l'accompagner. Il faut donc créer les conditions favorables à cette évolution (par la formation initiale et permanente, par des incitations appropriées). »

En outre, *les innovations de nature organisationnelle* (réseaux, évaluation, organisation de la prévention...) ont été mentionnées comme tout aussi majeures par les experts consultés.

Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- Réduction des explorations et thérapeutiques invasives, et donc diminution des risques et de la pénibilité des interventions, diminution des durées de séjour, amélioration de l'efficacité des prises en charge
- Exercice plus collectif des soins

Les points de vigilance :

- Problèmes éthiques posés par la médecine prédictive
- Gestion de la confidentialité des informations
- En télémedecine, responsabilités juridiques du médecin, de l'expert consulté...
- Question centrale de l'accès de tous au progrès technique, les risques d'exclusion étant multiples (exclusion financière, exclusion par l'information, exclusion par le rationnement de l'offre compte tenu des coûts engagés)

Autres conséquences :

- Les pathologies potentiellement les plus concernées par les avancées thérapeutiques seraient :
 - Les maladies monogéniques,
 - la pathologie cancéreuse,
 - Les pathologies du vieillissement : maladies neuro-dégénératives, ostéoporose, AVC...
- Sur le plan financier, à la fois gains de productivité permis par l'allègement des séjours, l'apport des NTIC, etc. et extension du champ des possibles, induisant une pression sur le financement des soins

Les impacts sur l'organisation des soins :

- Anticipation d'un double mouvement :
 - Pour les techniques de pointe, concentration de l'expertise et des équipements dans quelques centres spécialisés, renforçant le rôle des centres universitaires ;

- Pour les interventions allégées par la moindre invasivité des techniques, développement accru de la chirurgie ambulatoire et extension des indications (notamment recul des limites d'âge). De ce fait et grâce aussi aux procédures de travail en réseau et à la télémedecine, l'offre de soins ambulatoires et les établissements de premier recours pourraient voir leur rôle se développer (avec des durées de séjour raccourcies, des traitements en ambulatoire ou à domicile), dans le cadre d'une dispensation plus collégiale des soins.
- Modification de la structure des spécialités médicales et chirurgicales, impact sur la formation initiale et la formation continue
- Evolution des pratiques professionnelles, avec un exercice :
 - Plus organisé et plus collectif
 - Plus orienté vers une prise en charge globale et vers la prévention et le dépistage
 - Tourné vers une approche plus communautaire et tournée vers la santé publique : fonctions de veille, d'alerte, d'épidémiologie
 - Plus évalué

Avec émergence de nouveaux métiers d'animation, de gestion, d'évaluation au sein des organisations collectives

Questions ouvertes sur les politiques publiques

- Besoin de mise en place d'une cellule de veille des pratiques innovantes
- Mise en place de cycles de formation adaptés pour des spécialisations particulières
- Favoriser l'utilisation des NTIC dans l'optique du schéma, à savoir une organisation en réseau des différents niveaux d'intervention.

Annexe 3 : Rapport 2008 de l'Office de prospective en santé de Sciences Po

Année : 2008

Promoteur du rapport : Chaire Santé Sciences Po

Sous la direction de : Didier Tabuteau

Contributeurs sur le thème de l'innovation technique et l'organisation des soins :

- Mélanie Heard : Les récents rapports de prospective en santé
- François Moutet : L'homme reconstruit : Bilans et perspectives : une réflexion
- Claude Marsault : Prospective en imagerie médicale
- Bertrand Jordan : Génétique et médecine génétique
- Valérie Sabatier et Vincent Mangematin : Les nanobiotechnologies dans la santé à l'horizon 2025
- Elias A Zerhouni : La médicalisation de la société : les transformations du rapport à la maladie
- John-Paul Vader : Les métiers de la santé
- Pierre-Louis Bras : Développement des maladies chroniques et avenir de la médecine générale : un regard à partir d'expériences étrangères
- Gérard Manrique : Les industries des produits de santé

Objectif principal du rapport

Organiser une réflexion prospective sur le secteur de la santé à l'horizon 2025, dans toutes ses dimensions : démographique, épidémiologique, technologique, sociétale, économique, industrielle... (à noter qu'un autre rapport a été publié en 2011 par cet office de prospective, portant sur les rôles et responsabilités des usagers du système de santé)

Méthodologie

Réflexion collective à travers des groupes de travail et séminaires, et contributions rassemblées dans le rapport.

Domaines technologiques couverts

- La biologie moléculaire et la médecine génétique, avec plusieurs aspects :
 - Le diagnostic et la personnalisation croissante des traitements
 - Les applications thérapeutiques : la thérapie génique pourra prendre une place dans l'arsenal thérapeutique, mais de façon limitée en raison de sa complexité et de son coût ; la thérapie cellulaire sera aussi limitée dans son développement du fait des freins réglementaires et éthiques, et des questions de sécurité (risque d'évolution cancéreuse)
 - L'extension du champ du diagnostic pré-implantatoire
- L'imagerie médicale : explorations dynamiques et fonctionnelles, dépistage, radiologie interventionnelle, télé-imagerie...
- Les nanobiotechnologies :
 - Délivrance des médicaments : vecteurs pour transporter des principes actifs ou les encapsuler, en ciblant des tumeurs par exemple
 - En neurosciences, implantation d'électrodes pour commander une prothèse par exemple

- Possibilité de coupler diagnostic et traitement, via des dispositifs miniaturisés in vivo réalisant le diagnostic en temps réel et délivrant la dose adaptée de produit
- Puces intégrés, capteurs, orientant l'individu sur des comportements de prévention ; services médicalisés aux particuliers utilisant les réseaux de communication...
- La suppléance fonctionnelle (« L'homme reconstruit »), à travers cinq champs : les biomatériaux, les transplantations, la culture cellulaire et les cellules souches, la bionique, les nanotechnologies, avec des combinaisons entre ces technologies, dans le cadre d'une véritable ingénierie biologique et tissulaire
- Le marché pharmaceutique : médecine personnalisée, pharmacogénomique... conduisant à des traitements plus ciblés ; développement des vaccins
 - Sont évoqués aussi des thèmes comme les alicaments, les nutraceutiques et compléments alimentaires, en fort développement
- La télémédecine et le nombre croissant d'appareils biomédicaux miniaturisés et communicants : « gérontechnologies »

Émerge l'idée d'une convergence des disciplines : biologie (devenant une biologie des systèmes), imagerie, microélectronique, technologies de l'information, sciences cognitives...

En outre, *l'évolution des métiers est discutée*, à travers quelques exemples de nouveaux métiers possibles : l'intervenant polyvalent en soins ambulatoires (assurant le rôle de coordination et d'effecteur de soins), le gestionnaire d'équipe de prise en charge hospitalière, le responsable « sécurité des soins » à l'hôpital, le responsable site Internet « santé », un évaluateur de l'impact sanitaire...

Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- Constat d'une inadaptation du système de santé à la prise en charge des maladies chroniques, nécessité de promouvoir le travail en équipe
- Selon les travaux du NIH, la médecine devrait être :
 - prédictive : identification des risques individuels en fonction du génome et de l'environnement
 - préemptive¹²¹ : élimination d'un facteur de risque, suivi à distance de constantes biologiques
 - personnalisée : adaptation des traitements en fonction de la génomique
 - participative : participation des individus et des communautés
- Rôle croissant de l'éducation thérapeutique et de l'information du patient

Les points de vigilance :

- Risques éthiques devant les possibilités d'amélioration génétique humaine
- Va-t-on vers un gouvernement des corps ? Une biopolitique d'Etat ?
- Devant la complexité et le coût de certains dispositifs, se posera la question de leur accessibilité

¹²¹ Prévention et préemption sont des notions différentes : « la prévention consiste à stopper un processus déjà lancé, par exemple les premiers signes d'une maladie, alors que la préemption consiste à supprimer l'évènement moléculaire initial pour exclure toute possibilité que quoi que ce soit ait lieu. ».

- En imagerie, des problèmes surgiront devant l'archivage de millions d'images et les règles d'accès à fixer
- Devant la multiplication des actes possibles, se pose le problème de la juste prescription

Les impacts sur l'organisation des soins :

- Développement de centres d'excellence pour une prise en charge spécialisée de haute technologie et développement parallèle d'hôpitaux moins spécialisés, centres de tri ou centres de convalescence (par exemple pour les technologies de « reconstruction » : mise en œuvre à l'hôpital puis surveillance et coordination des interventions de suite au domicile...)
- En imagerie, faudra-t-il regrouper toutes les machines et créer des plateaux techniques imposants ? Cela permettrait d'optimiser l'utilisation des machines onéreuses et de les rapprocher des zones de concentration de compétences. Une aide serait apportée par la télémédecine et les possibilités d'interprétation à distance.
- En biologie, miniaturisation croissante, pouvant aboutir à des « microlaboratoires », au chevet du malade

Mais aussi probable réorganisation des laboratoires : regroupements des équipements, mise en place de véritables plateformes logistiques de réception des prélèvements

- Possibilité de suivi à domicile via des capteurs, des systèmes couplant diagnostic et délivrance de produits, suivi à distance, etc.
- Sur les métiers, à la fois besoin d'expertise et de spécialisation et besoin de polyvalence, pour une prise en charge globale du patient : nécessaires coopérations entre professionnels de santé

Questions ouvertes sur les politiques publiques

- Arbitrages sur le champ des techniques prises en charge par la collectivité
- Adaptation des formations initiales et continues
- Organisation d'une veille prospective et de lieux de débats sur les enjeux politiques de la santé
- Adaptation de la politique de recherche, vers une plus grande pluridisciplinarité
- Orientation du système de santé vers le « chronic care model » : travail en équipe, rémunération à la performance, soutien au patient (plateforme téléphonique, éducation thérapeutique, voire suivi à domicile de paramètres biologiques), utilisation des NTIC...
- Mise en place d'un modèle économique pour les techniques favorisant le maintien à domicile, et la télémédecine en général

Scénarios

Sans construire des scénarios complets, chaque volet analysé fait l'objet d'un rapide développement sur « le pire et le meilleur », évoquant ce qui pourrait se passer dans des situations extrêmes.

Exemple sur la médecine génétique :

Développement d'une médecine personnalisée réservée aux riches des pays riches, discrimination contre les porteurs de « mauvais gènes », amélioration génétique aboutissant à une caste d'individus « améliorés ».

Utilisation intelligente des données génétiques pour la prévention, maîtrise des coûts de santé par une meilleure adaptation des traitements, maintien d'un système de santé universel, refus de toute modification génétique humaine.

Exemple sur la prise en charge des maladies chroniques :

L'organisation du système de soins primaire reste inchangée : prise en charge opportuniste des maladies chroniques, médecin isolé, équipement informatique construit autour d'un simple dossier médical personnel qui n'est qu'un entrepôt de données. Les expériences de disease management sont un échec du fait des contraintes pesant sur leur développement et d'une réaction hostile du corps médical.

Des ruptures culturelles et pratiques permettent une évolution profonde de l'organisation des soins primaires : travail en équipe des médecins de premier recours avec des personnels infirmiers et non-soignants, outils informatiques favorisant un suivi proactif des malades chroniques, cabinets médicaux rémunérés, pour partie, en fonction de leur performance pour leur clientèle de malades chroniques.

Annexe 4 : Rapport « Etude prospective sur les technologies pour la santé et l'autonomie », Alcimed, effectué pour l'ANR et la CNSA

Année : 2007

Promoteur du rapport : ANR et CNSA

Auteurs : Alcimed (A. Poulain, R. Piovan, A. de Varax, M. Letellier)

Objectif principal du rapport

Identifier et caractériser les technologies pour la santé et l'autonomie en matière de marché qu'elles représentent et d'apport de ces technologies pour le secteur industriel français à l'horizon 5-10 ans (hors innovations en termes de services)

Méthodologie

Identification des attentes sociétales, des tendances technologiques, des groupes technologiques porteurs, via :

- Consultation de rapports bibliographiques
- Auditions d'acteurs du secteur
- Conseils du comité de pilotage

Dans le domaine de l'autonomie, 5 besoins sociétaux ont été identifiés : le maintien à domicile, le besoin de communication, le besoin de mobilité, la stimulation des capacités, l'employabilité des personnes handicapées, dans le cadre d'une prise en charge personnalisée.

Pour les groupes technologiques retenus (compte tenu de l'horizon de 5-10 ans et des possibilités de réalisation par l'industrie française : au nombre de 7 pour la santé, 6 pour l'autonomie), la capacité de positionnement et d'innovation de la France sur ces technologies a été mesurée, via la consultation de rapports et bases de données, et d'entretiens complémentaires, dans une dimension internationale (approche surtout qualitative). Pour l'autonomie, cette réflexion s'est basée sur la réponse aux besoins fondamentaux identifiés.

Des recommandations ont enfin été formulées.

Domaines technologiques couverts

Groupes technologiques « porteurs » :

- Dans le champ de la santé :
 - les techniques interventionnelles (avec l'analyse en particulier des Gestes Médicaux Chirurgicaux Assistés par Ordinateur - GMCAO)
 - l'imagerie moléculaire (par exemple pour un bilan d'extension tumorale)
 - l'ingénierie tissulaire, médecine régénératrice (orthopédie, implantologie dentaire, substitution de pancréas...)
 - les dispositifs médicaux implantables intelligents (électrostimulation, neurostimulation, délivrance contrôlée de médicaments...)
 - les systèmes embarqués communicants
 - le diagnostic in vitro
 - les technologies de l'information et de la communication avec des applications santé
- Dans le champ de l'autonomie :
 - les dispositifs de rappel de tâches et de stimulation (exemples : logiciel paramétrable,...)

- les aides techniques pour la motricité (exemples : déambulateurs intelligents,...)
- les technologies d'interface (exemples : dispositifs permettant la transformation du discours oral en discours écrit en temps réel,...)
- le renforcement des outils de communication spécifiques (exemples : technologie basée sur une centrale inertielle qui cartographie l'environnement et permet de situer les déplacements de la personne en mesurant ses écarts par rapport à des points de repères,...)
- la domotique (exemples : élaboration de standards communs dans la conception des bâtiments publics, permettant une accessibilité universelle,...)
- l'assistance robotique, qui peut être vue comme la synthèse des autres développements (exemples : robot animal...)

Dans ces domaines, il est remarqué que « la France possède une force vive d'une cinquantaine de laboratoires publics travaillant sur les 6 axes technologiques analysés. En parallèle des « pôles d'excellence » commencent à émerger au sein desquels on retrouve des laboratoires de recherche publics mais aussi d'autres acteurs (professionnels de santé, Centres d'Investigation Technologiques, jeunes pousses,...). Cependant, cette recherche reste diffuse avec une politique de structuration des travaux de recherche encore trop récente et discontinue, peu multidisciplinaire et peu visible sur la scène internationale. »

Le rapport y ajoute des travaux sur les infrastructures (y compris l'accessibilité numérique).

Principaux enseignements

Les grandes tendances technologiques transversales :

- émergence des nanotechnologies
- miniaturisation
- interopérabilité
- multi-modalité
- numérisation

A noter que « les experts interrogés accordent autant d'importance aux innovations technologiques de rupture qu'aux innovations incrémentales qui contribuent autant à l'augmentation de la qualité des soins. »

Le rapport développe par ailleurs des données sur le marché et la politique industrielle française dans ces domaines :

Le rapport développe les obstacles pour les industriels français : difficultés d'accès au remboursement, lourdeur et opacité des procédures d'évaluation, mise en œuvre de centrales d'achat, manque de visibilité de la politique en la matière (« la France veut-elle faire des économies, faire de la santé pour tous, préparer l'avenir en aménageant les structures de soins pour réagir à l'émergence de nouveaux besoins sanitaires ? »), relations non optimisées entre monde académique et industriel, manque de système de financement intermédiaire.

Les impacts sur l'organisation des soins :

Le fait de développer les technologies pour l'autonomie a pour objectif le maintien à domicile dans de bonnes conditions (cf. liste des besoins sociétaux évoqués plus haut).

Recommandations communes aux deux domaines

- Assurer une visibilité de ces domaines (en particulier, les technologies pour l'autonomie, dont les finalités sont à la fois médico-sociales et/ou sociales et ne correspondent à aucun secteur industriel clairement défini)
- Mettre tout en œuvre pour assurer la prise en charge des technologies innovantes : le système actuel de prise en charge est long, trop complexe, inadapté.
- Soutenir les jeunes pousses et fédérer les PME actives sur ces domaines ; mettre en place et renforcer les pôles d'excellence
- Définir les cadres d'évaluation des technologies innovantes et mettre en place un cadrage éthique
- Développer la multidisciplinarité, par exemple dans la sélection des projets de recherche
- Motiver les équipes académiques et industrielles françaises des TIC à travailler dans ces domaines
- Lancer une action commune aux deux domaines santé et autonomie autour des technologies de l'information et de la communication associant la personne ou le patient et son environnement
- Appréhender ces domaines à l'échelle *a minima* européenne.

Des recommandations plus spécifiques sur le programme TecSan de l'ANR sont également formulées.

Enfin, des recommandations particulières sur le champ de l'autonomie sont proposées :

- Proposer d'introduire une personne ou une équipe dédiée par exemple au ministère du Travail, des Relations Sociales et des Solidarités qui se saisisse de la question des technologies pour l'autonomie
- Renforcer la structuration de « pôles d'excellence » autour des technologies pour l'autonomie et valoriser ces pôles
- Améliorer la sélection des projets financés et renforcer leur accompagnement afin d'assurer leur pérennité et leur adéquation aux besoins des personnes en perte d'autonomie
- Rendre visibles les outils de financement disponibles aujourd'hui et en mobiliser d'autres autour de l'autonomie
- Définir des règles d'évaluation adaptées aux technologies pour l'autonomie
- Créer une prise en charge dédiée des technologies pour l'autonomie au sein de l'APA pour les personnes âgées et simplifier le système de prise en charge des technologies pour l'autonomie
- Faciliter et alléger le processus de développement des technologies pour l'autonomie
- Continuer à soutenir et développer les actions menées par l'observatoire du marché et des prix des aides techniques pour veiller et communiquer sur les besoins des personnes en situation de perte d'autonomie
- Favoriser l'enseignement et l'information sur les technologies pour l'autonomie.

Annexe 5 : Rapport du LEEM « Santé 2025 : un monde d'innovations »

Année : 2010

Promoteur du rapport : LEEM

Sous la direction de : Isabelle Delattre, François Bourse, Régine Monti-Tessier

Contributeurs : comité de pilotage et comité scientifique, associant des membres du LEEM, des chercheurs, des responsables de programmes scientifiques... ; préface de Didier Tabuteau

Objectif principal du rapport

Dans la suite du rapport « Innovation santé 2015 » élaboré en 2007, il s'agit dans ce présent travail « d'approfondir, de renforcer, d'étendre les progrès scientifiques prometteurs dans les domaines des cellules souches, des nanotechnologies, des biomarqueurs, etc. ; de favoriser le passage à l'industrie et au marché de ces axes de progrès pour les transformer en solutions thérapeutiques, et d'encourager le développement des innovations dans toute la chaîne de soins et de santé : qu'elles relèvent du champ de l'organisation, de la technologie de l'information, de la psychologie, etc. »

Méthodologie

Réflexion collective en 4 étapes :

- Constitution d'une base d'informations scientifiques, rédigée par des spécialistes, chercheurs d'AVIESAN, d'ARIIS, des entreprises du médicament (fiches synthétiques disponibles sur www.sante-2025.org, par champ thérapeutique, par type d'innovations...)
- Recueil des représentations de l'avenir des principaux groupes d'acteurs concernés, par voie de questionnaire auprès d'associations de patients, chercheurs, médecins, industriels... (environ 200 personnes)
- Débat public, à travers un séminaire et un colloque (300 participants)
- Construction d'une plateforme commune sur les principaux leviers à actionner en matière d'innovation, via des groupes de travail animés par le LEEM

Trois axes de réflexion

- Innovation et industrialisation : la biologie est passée d'une biologie descriptive à une biologie explicative avec l'essor de la biologie moléculaire, puis à une biologie systémique, intégrative, née de la convergence de l'informatique, de la génomique et des nanotechnologies. Et on peut envisager une biologie de synthèse : création de biomatériaux pour la reconstruction tissulaire, l'administration de médicaments, la médecine prédictive.

Innovations marquantes : imagerie moléculaire, ingénierie tissulaire et médecine régénératrice, vaccins multi-antigènes, anticorps recombinants...

La convergence de plusieurs de ces innovations conduit à la médecine personnalisée.

- Gestion du patrimoine santé, approche plus globale intégrant soins et prévention, médecine plus « individuelle » ; articulation du diagnostic, de l'analyse et du traitement ; outils et techniques de surveillance et suivi de l'état de santé
- Efficience du système de santé :
« Un grand nombre de nouveaux traitements des pathologies chroniques passeront par des associations de molécules de plus en plus adaptées, avec un système de suivi par données physiologiques et/ou via des biomarqueurs de l'état de santé et du respect de la prise de médicament, en y adjoignant des services technologiques comme la télétransmission de données entre le domicile du patient, le cabinet du médecin généraliste, l'hôpital en continuité, de soins à domicile et de services à la personne »

Il y aura nécessité de coordination entre les différents niveaux de soins pour permettre la diffusion des innovations au plus près du patient ; les lieux de soins seront diversifiés et interconnectés, du domicile au centre universitaire expert.

« La diffusion des innovations nécessitera de revoir le schéma centré sur l'information du médecin spécialiste et généraliste en l'élargissant aux acteurs concernés par la production et la distribution des soins : infirmières, thérapeutes, care managers... »

Le schéma suivant résume quelles sont les innovations essentielles étudiées et les transformations induites :



Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- Contexte marqué par des pathologies de plus en plus chroniques mais aussi par une pression accrue pour l'efficacité et l'efficacité des traitements,
- Incertitudes pour le passage de la découverte à l'innovation thérapeutique (contraintes financières, juridiques, formations...) ,
- Contexte propice aux nouvelles approches entre soins et prévention,
- Développement de l'éducation à la santé, de l'éducation thérapeutique, du patient acteur de sa santé,
- Compétition intense et investissements majeurs pour les sciences de la vie et de la santé.

Les points de vigilance :

- Accessibilité à tous, respect du principe de l'égalité d'accès aux soins.

Les impacts sur l'organisation des soins :

- « Pour favoriser la dynamique d'évolution des Sciences de la vie marquée par l'essor de la biologie intégrative d'ici à 2025, il faudra développer l'interdisciplinarité, la mise en place de centres ressources et la mutualisation des grands équipements »,
- Parmi ces équipements, la mise en place de biobanques devient un enjeu stratégique,
- Développement de la recherche translationnelle,
- « Nécessité de pôles et filières de recherche/innovation forts favorisant la création de valeur ajoutée industrielle et la diffusion des innovations thérapeutiques auprès des malades » (ex : IHU, Lyon Biopôle, Institut de la Vision...),
- Développement de la fonction de « care management », à savoir la coordination et l'intégration au plus près du patient,
- Des nouveaux métiers ou nouvelles compétences seront nécessaires,
- Les innovations organisationnelles et le partage des informations contribueront à l'efficacité des soins : outils de diagnostic voire d'intervention à distance, assistance à domicile, télésanté...

Questions ouvertes sur les politiques publiques

- Développer de nouvelles méthodes d'évaluation des dispositifs de santé prenant en compte l'ensemble de la chaîne de soins,
- Développer des filières d'excellence,
- Favoriser la recherche-développement,
- Assurer une promotion collective de la santé,
- Partager les données de santé.

Trois scénarios sur le « renouveau de la sécurité sociale » sont proposés.

Et en termes *de recommandations*, 12 chantiers collectifs sont proposés pour l'émergence et la diffusion des innovations dans notre système de santé, dont :

- la mise en place d'une filière « autonomie à domicile »,
- la révision du processus d'évaluation du progrès thérapeutique,
- l'évolution des métiers et des formations des acteurs de santé,
- la coordination territoriale des lieux d'innovation et l'intégration volontariste du monde industriel,
- l'investissement dans 3 filières d'excellence : industrie de la cellule, nanotechnologies appliquées à la médecine, immuno-vaccins,
- l'information et l'implication des citoyens acteurs de santé,
- la promotion collective de la santé,
- des informations et bases de données partagées,
- et plusieurs chantiers sur les aspects industriels.

Annexe 6 : Rapport « Imagerie médicale du futur », PIPAME

Année : 2013

Promoteur du rapport : Ministère du redressement productif

Auteurs : D&Consultants (D. Carlac'h, E. Grillot, B. de Keukeleire, K. Templier, A. Le Guennec, R. Othman)

Objectif principal du rapport

Mieux faire connaître la filière de l'imagerie médicale française et donner une vision prospective des ruptures technologiques et du positionnement industriel français dans un environnement mondialisé.

Méthodologie

Plus de cent entretiens qualitatifs approfondis auprès d'acteurs industriels, académiques et institutionnels.

Analyse des travaux déjà menés par le CGEIET.

Comité de pilotage regroupant la DGCIS et les ministères intéressés, des acteurs industriels et académiques (LEEM, SFR, ANSM...), des représentants des autorités de réglementation et des représentants de Bpifrance.

Domaines technologiques couverts

- Les différents domaines de l'imagerie médicale. Sont identifiées 6 briques technologiques :
 - les traceurs (agents de contrastes et radiopharmaceutiques) ;
 - la génération du signal ;
 - le traitement du signal ;
 - la visualisation de l'image ;
 - l'archivage, la communication et le stockage des images ;
 - la sécurité et le confort du patient.
- Et différentes finalités sont exposées :
 - l'imagerie structurelle recueille des informations sur la morphologie des organes, tissus ou cellules, comme la taille, le volume, la localisation, ou encore la forme d'une éventuelle lésion, etc. ;
 - l'imagerie fonctionnelle, encore appelée imagerie métabolique et moléculaire, vise à étudier le fonctionnement et l'activité physiologique des organes, tissus ou cellules par notamment la technologie TEP ;
 - l'imagerie interventionnelle correspond à l'ensemble des actes médicaux réalisés sous le contrôle de dispositifs d'imagerie, comme le repérage, le guidage, le contrôle optimal du geste médical, etc.
- L'informatique médicale doit relever les enjeux suivants :
 - adapter l'ergonomie et l'automatisation des logiciels de post-traitement à l'utilisation par un praticien ;
 - héberger et transférer des images quasi instantanément, de manière sécurisée et sans perte d'information utile au diagnostic ;

- contribuer à améliorer la prise en charge des patients ;
- accompagner la croissance de l'hospitalisation à domicile ;
- développer des solutions pour planifier les interventions, faciliter le diagnostic et limiter le temps d'acquisition et d'exposition.

Une description du paysage industriel français et du marché de l'imagerie et de l'informatique médicale, ainsi qu'un diagnostic par filière et par modalités sont fournis.

Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- médecine personnalisée
- des besoins en imagerie croissants, ciblant une meilleure prévention, un diagnostic de plus en plus précoce et un suivi thérapeutique personnalisé
- le patient, acteur de son parcours de soins

Les points de vigilance :

- Parmi les pays de l'OCDE, les établissements de soins français sont en retard dans la mise en place de systèmes d'information. Le parc des systèmes d'information est hétérogène et insuffisamment interopérable, sa gouvernance insuffisante et nécessite des réseaux haut débit entre les infrastructures, même si les programmes « Hôpital numérique » et « Territoire de soins numérique » sont en cours pour y remédier.
- Confidentialité des informations.
- Problème de la capacité des infrastructures pour stocker et échanger une grande quantité de données.

Les impacts sur l'organisation des soins :

- L'imagerie médicale de demain devra répondre aux enjeux d'une organisation efficace et efficiente des soins, principalement en termes d'information médicale, de procédures et de protocoles :
 - Protocolisation et standardisation de la prise en charge des patients,
 - Evolution vers la délégation de tâches,
- « L'imagerie médicale du futur doit être pensée comme un vecteur d'économies de santé dans le cadre de la médecine personnalisée »,
- Un déploiement accéléré de la télé-imagerie dans les établissements de soins :
 - « Compte tenu des répartitions territoriales des établissements de soins et des équipements disponibles, l'imagerie médicale devient communicante. Les établissements s'organisent autour des PACS (Picture Archive and Communication System) et d'un système d'information interopérable. Les pratiques médicales évoluent vers la téléimagerie. Il est probable que des plateaux technologiques, regroupant des équipements coûteux et performants au sein des CHU ou IHU et dédiés à une ou plusieurs pathologies, se multiplieront dans les prochaines années, à l'instar de ce que existe déjà en Allemagne »,
 - La téléimagerie pourrait participer à l'optimisation de l'efficacité du système de soins,
- « La France dispose d'un taux d'équipement en dispositifs d'imagerie médicale dédiés aux soins inférieur à la moyenne des pays de l'OCDE pouvant engendrer d'une part des temps d'accès aux

équipements hors des recommandations, d'autre part des examens d'imagerie réalisés en doublon.

On assiste en Europe à une concentration des établissements de soins et à la fermeture de plus petits hôpitaux.

La baisse démographique du nombre de radiologues et les coûts d'investissement en matériels d'imagerie se sont accompagnés de l'émergence de plateaux d'imagerie regroupés, en lien avec les établissements de santé, et permettant une optimisation du parcours de soins du malade, ainsi qu'une interprétation des images à distance ».

- Les professionnels de santé devront être formés à l'utilisation des solutions innovantes communicantes, à la spécificité des logiciels de traitement des images de plus en plus sophistiqués, ainsi qu'à la manipulation des « big data ».

Prospective technologique :

- La France dispose d'une recherche d'excellence, avec des plateaux techniques de pointe, reconnue mondialement, une industrie dynamique et exportatrice, mais sans leader mondial.
- Le rapport détaille le positionnement des industries françaises par segment de marché, et précise l'ensemble des progrès techniques attendus.
- Cinq domaines technologiques ont été identifiés, représentant l'imagerie médicale du futur, à savoir une médecine plus personnalisée, plus prédictive, communicante et à la portée de tous :
 - les traceurs d'imagerie ;
 - les équipements d'imagerie « légers », à fort potentiel d'avenir, en particulier l'imagerie optique (biologique et in vivo dont l'endoscopie) et les ultrasons ;
 - les composants et sous-systèmes, pour des équipements d'imagerie multimodale ;
 - les logiciels de traitement d'images multimodales ;
 - les systèmes d'information.

Recommandations

- simplification du parcours administratif et raccourcissement des délais pour la mise à disposition des innovations aux patients
- optimisation des procédures de prise en charge temporaires par l'assurance maladie (forfait innovation, etc.)
- renforcement des partenariats public-privé
- ...

Et parmi les leviers pour le développement de l'imagerie médicale du futur, figurent les points suivants concernant l'organisation des soins :

- développer et moderniser les systèmes d'information hospitaliers
- déployer les PACS sur tout le territoire et les rendre interopérables
- standardiser les procédures d'acquisition des solutions d'imagerie innovantes
- favoriser la télémédecine en imagerie médicale par une révision de la codification des actes d'imagerie médicale et la formation des professionnels de santé à son utilisation
- optimiser l'accessibilité de l'imagerie aux patients et à la recherche

Des recommandations sur les leviers technologiques et leviers industriels sont également formulées.

Annexe 7 : Rapport « Dispositifs médicaux : diagnostic et potentialités de développement de la filière française dans la concurrence internationale », PIPAME

Année : 2011

Promoteur du rapport : Ministère du redressement productif

Auteurs : Développement et Conseil (D. Carlac'h, E. Grillot, B. de Keukeleire, R. Othman)

Objectif principal du rapport

Proposer des recommandations d'action de soutien pour favoriser le développement de la filière française des dispositifs médicaux, à travers :

- un état des lieux international dans 12 pays-cibles, dont la France,
- un diagnostic sur les capacités de recherche et développement, de production et de commercialisation des entreprises de cette industrie en France,
- l'évaluation du potentiel de développement des entreprises françaises,
- la définition d'une stratégie de soutien des acteurs et des propositions d'accompagnement par les pouvoirs publics

Méthodologie

Recherches documentaires, 40 entretiens auprès d'acteurs ciblés, en France et à l'étranger (entretiens, table ronde).

Comité de pilotage regroupant la DGCIS, des acteurs industriels (SNITEM, APPAMED, SFRL, AVIESAN...).

Domaines technologiques couverts

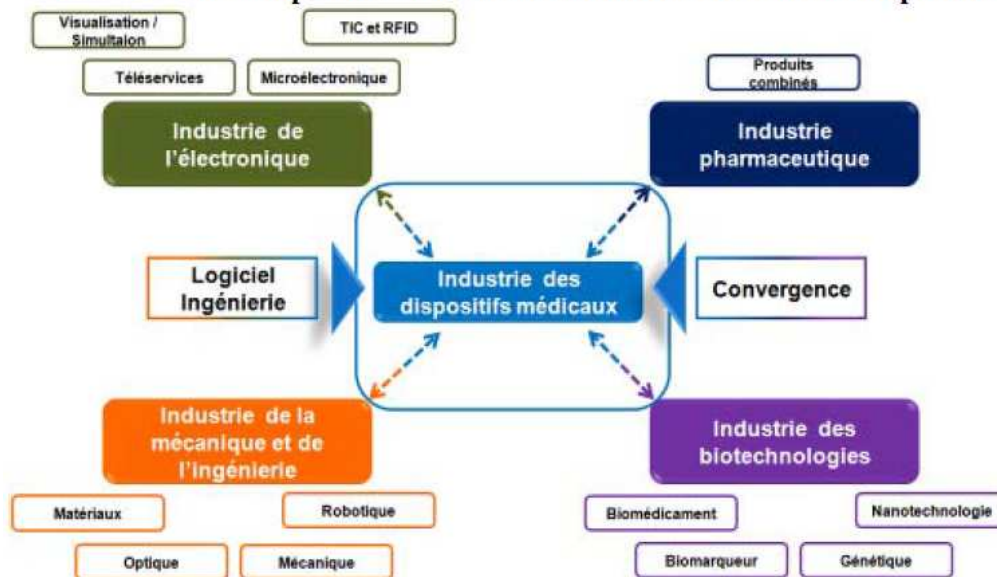
- Dispositifs médicaux, dont certains segments sont particulièrement actifs en France :
 - Diagnostic in vitro
 - Implants actifs et non actifs
 - Optimisation de la délivrance des médicaments
 - Aides techniques et textiles techniques à usage médical
 - Dispositifs médicaux dits d'équipement :
 - Imagerie médicale et préclinique
 - Chirurgie mini-invasive
 - Gestes chirurgicaux assistés par ordinateur
- Technologies de l'information et de la communication pour la santé, E-Santé

Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- La convergence des compétences nécessaires est traduite dans le schéma suivant, soulignant l'importance des collaborations (partenariats avec les acteurs privés, publics, institutionnels, cliniques) et de l'innovation en réseau :

Croisement des compétences nécessaires à l'innovation dans les dispositifs médicaux



Source : Analyse Développement & Conseil, 2011.

- Concernant la position de la France dans cette industrie, « l'analyse comparative des pays ayant des activités significatives dans les dispositifs médicaux fait apparaître une position de l'industrie française comparable à celle du Royaume-Uni ou du Japon, derrière les leaders que sont les États-Unis et l'Allemagne.

L'étude a mis à jour un écosystème technologique, scientifique et clinique significatif pour accompagner le développement des dispositifs médicaux en France, malgré l'absence de *cluster* dédié à la filière.

Les points de vigilance :

- Les exigences réglementaires sont prises en compte souvent tard dans le développement, avec parfois nécessité de reprendre une partie du développement.
- Le temps réglementaire est particulièrement long en France :
« La France est considérée comme le dernier pays à pénétrer en Europe car le temps nécessaire à la création d'un code de remboursement et d'un acte est trop long par rapport aux autres pays (environ six ans pour créer un code et un acte en France contre un peu plus d'un an aux États-Unis et en Allemagne) ».

Or, le cycle de vie d'un DM peut être court.

- Il faut mettre en place une évaluation clinique adaptée à la variété des dispositifs médicaux et orientée pour démontrer le bénéfice patient par rapport au coût du dispositif. Les exigences sont perçues comme plus fortes en France que dans les autres pays européens.
- Manque de compétences et de formations sur les aspects technico-réglementaires en France.

Quelques éléments sur l'organisation de la recherche

- L'industrie des dispositifs médicaux bénéficie en France d'un potentiel collaboratif de R & D important constitué de laboratoires au sein des universités, de CHU, et de grands organismes de recherche (CEA, CNRS, INRIA, INSERM, etc.).
- Certains CHU ont une forte activité de recherche clinique sur les DM, avec des domaines de spécialisation. Par exemple, Le Sud-Est de la France apparaît comme centre de référence pour les essais cliniques des dispositifs médicaux de diagnostic in vitro, alors que le CHU de Grenoble

possède une visibilité européenne sur la recherche biomédicale en robotique pour la neurologie et chirurgie mini-invasive, le CHU de Nantes pour l'ingénierie tissulaire et le CHU de Rennes pour les implants cardiaques.

- Depuis avril 2009, les principaux acteurs de la recherche biomédicale et en santé se sont rassemblés pour créer AVIESAN (Alliance pour les Sciences de la Vie et de la Santé), une alliance née de la volonté d'accroître les performances de la recherche française en favorisant sa cohérence, sa créativité, son excellence et sa visibilité. AVIESAN a confié aux Instituts thématiques multiorganismes une mission de coordination des opérateurs nationaux de la recherche. Dix Instituts thématiques multiorganismes ont ainsi été mis en place, au nombre desquels figure « l'Institut des Technologies pour la Santé » (ITS). L'Institut se décline en cinq segments principaux : l'imagerie, le développement du médicament, les biotechnologies et la bio-ingénierie, la chirurgie, les techniques interventionnelles, l'assistance aux patients et à la personne, l'e-santé.

Recommandations

- L'un des objectifs proposés par les auteurs est, fort logiquement au regard des constats, de raccourcir le temps d'accès au marché des nouveaux dispositifs médicaux, pour atteindre des délais en adéquation avec les cycles de développement et de commercialisation du DM.
- Il s'agirait aussi, dans le même esprit, de résoudre les problèmes de méthodologie d'évaluation des DM innovants.
- Une autre série de recommandations porte sur la mise en place d'un contexte favorable aux partenariats et à l'exportation.

Annexe 8 : Rapport « Prospective organisationnelle pour un usage performant des technologies nouvelles en santé »

Année : 2013

Promoteur du rapport : Ministère du redressement productif, et Conseil général de l'économie, de l'industrie, de l'énergie et des technologies

Auteurs : R. Picard, A. Vial

Objectif principal du rapport

Apporter un éclairage prospectif sur les conditions organisationnelles pour un usage performant des technologies nouvelles en Santé, avec un regard particulier sur la télémédecine

Méthodologie

Entretiens auprès d'experts, réflexions conduites par un groupe de travail pluridisciplinaire, comprenant des décideurs, des chercheurs, des offreurs et représentants des professionnels

Domaines technologiques couverts

Technologies de l'information et de la communication, télémédecine, télésanté, « big data »

Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- Le patient-citoyen acteur du système, pouvant devenir « l'arbitre de l'évaluation de l'offre en même temps qu'une composante clé du financement », pouvant notamment influencer sur les objectifs suivants :
 - éviter l'accès injustifié à des ressources coûteuses ;
 - sécuriser l'environnement extrahospitalier, dans la limite d'un coût de journée inférieur à celui de l'hospitalisation ;
 - supprimer les déplacements évitables classiquement pris en charge, notamment entre le domicile et le lieu de consultation...
- Développement d'outils de « bien vivre » : « pratiquement toutes les branches de l'économie donnent une coloration « Santé » à une partie de leurs gammes : qu'il s'agisse du transport, de l'agro-alimentaire, des jeux électroniques, des objets communicants, de l'habillement, du sport, etc. »
- Nouveaux gisements de données attendus avec les applications de télésanté

Les points de vigilance :

- Inadéquation des approches normatives
- Disparité des approches territoriales
- Une situation industrielle préoccupante :
 - Absence de modèle économique
 - Impossibilité pour un acteur unique de faire une proposition sur le bouquet de services et nécessité de constitution d'un consortium, mais problèmes d'interopérabilité
 - Offres hétéroclites, incompatibles, rendant l'intégration très difficile (absence de règles et conventions partagées)

- Les financeurs potentiels, publics ou privés, peuvent motiver leur engagement de façon très différente voire antagoniste : certains sont partie prenante de l'écosystème local et privilégieront la résolution de problèmes du bassin de vie ; d'autres au contraire, s'inscriront dans une logique de marché national ou supra national ou seront sensibles à la résolution de problématiques macroéconomiques ou sociétales.
- Une demande publique non coordonnée, qui déstructure l'écosystème global, induisant des offres segmentées, incompatibles, ne répondant pas au vrai besoin. Exemple : offre de télémedecine par spécialité.
- Cette diversité et cette non coordination de la demande publique (par exemple entre secteurs sanitaire et médico-social) induisent des surcoûts industriels et limitent le développement d'entreprises et grands groupes spécialisés.
- « Les clivages administratifs, la défense de leurs prérogatives par les diverses structures, le niveau d'expertise requis - tant côté technique que médical ou dans les sciences humaines et de gestion - la méfiance administrative vis-à-vis de l'industrie, rendent extrêmement difficile en pratique un règlement global et concerté de la question ». Et en parallèle, en dehors du système de santé, se développent des outils de « bien vivre » qui jouent sur les comportements des citoyens, leurs connaissances en santé, la relation patient-soignant.
- Le saupoudrage d'argent public qui en résulte favorise plus les approches opportunistes que la structuration de filières potentielles (exemple des appels à projets).
- Faiblesse des maîtrises d'ouvrage.
- Offre encore très centrée sur l'hôpital.

Les impacts sur l'organisation des soins :

- Les TIC peuvent faciliter ou optimiser :
 - le travail des professionnels au service de la personne sur son lieu de vie,
 - l'articulation des activités et la coordination des professionnels
 - les relations avec les établissements de soins
 - l'accès à de nouvelles sources d'informations sur l'état sanitaire et social des populations
 - les échanges d'informations entre acteurs du secteur sanitaire et social
- L'évaluation doit prendre en compte les questions d'organisation et de ressources humaines. Par exemple, la télé radiologie peut, selon le contexte, accroître la valeur d'un appareil sous-utilisé ou bien la productivité d'un praticien en déplacement permanent.
- Se posent aussi des questions de délégation de compétences.

Questions ouvertes sur les politiques publiques / Recommandations

- Le rapport souligne l'inadéquation du cadre institutionnel actuel et l'absence d'un cadre technique et fonctionnel susceptible d'inciter les industriels à investir dans la télésanté.

« On attend encore les règles architecturales, d'urbanisme, les caractéristiques universelles d'une plateforme de service à domicile susceptible de porter les bouquets de service de demain... »
- De nombreuses recommandations sont émises en conséquence, dont :
 - Mettre en place une structure de gouvernance et de régulation transverse chargée d'établir et de piloter une stratégie globale en matière de télésanté et de télémedecine

afin de permettre la mise en adéquation des dimensions économiques, techniques et d'organisation de façon concertée

- Mettre en place un observatoire des outils du « bien-vivre », ou produits du secteur concurrentiel visant la santé
- Mettre en place de façon concertée des règles et solutions techniques et architecturales qui facilitent la prise en main des solutions de télésanté par les communautés d'acteurs et les patients/citoyens et œuvrer à la structuration de l'écosystème
- Accélérer la mise en œuvre d'une solution d'identification numérique unique du patient. Mettre en place des règles homogènes d'identification des autres acteurs de l'écosystème à domicile, aujourd'hui limité à certaines professions. Favoriser la convergence des règles de gestion des SI sur ces bases
- Former individuellement et collectivement les acteurs de la santé, y compris les patients et citoyens, leurs aidants à l'usage de la télésanté, dans la perspective d'une utilisation généralisée et courante de ce type de solution.

Annexe 9 : Rapport prospectif sur le devenir de l'écosystème de santé et les TIC

Année : 2010

Soutien du Conseil Général des Technologies d'Information

Auteurs : Thomas Houy, Laurent Gille

Contributeurs : un groupe de travail composé d'experts TIC et santé de plusieurs organisations (industriels, assureurs, Ordres professionnels, HAS, INSERM...), réuni au sein de Télécom ParisTech, de juillet 2008 à avril 2009

Objectif principal du rapport

Organiser une réflexion prospective sur le secteur de la santé

Méthodologie

Réflexion collective au sein du groupe de travail et rédaction d'un rapport. L'analyse a été organisée suivant trois domaines :

- L'évolution de l'état de santé des populations
- La production de soins
- La régulation de l'écosystème de santé

Domaines technologiques évoqués

- Equipements de monitoring, d'investigation et même de traitement, embarqués, pour le suivi à domicile ; biocapteurs ; objets connectés ; robotique d'assistance, *i.e.* biogérontechnologies, équipement du patient et de son environnement (les aidants)
- Dossier médical informatisé
- Simulation corporelle

Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- Interrogations sur la médecine préventive / prédictive
- Interrogations sur l'auto-prise en charge du patient, du fait des possibilités ouvertes par les dispositifs d'autodiagnostic, d'autoprescription et d'autosuiivi
- Evolution du rapport médecin-patient, avec l'information du patient, l'évolution de la notion de confiance, la télémédecine...
- Prise en charge par une communauté de soignants, exercice collectif de la médecine
- Interrogations sur l'importance et la prise en compte des protocoles : extension de leur rôle avec des systèmes d'aide à la décision ? ou portée limitée aux affections simples ?

Les points de vigilance :

- Question éthique : peut-on imposer un « devoir de santé » aux populations dont la santé est assurée par le système social ?
- Le développement d'équipements d'assistance et de surveillance à domicile déclenche un double questionnement :

- Sur leur prise en charge financière
- Sur leur labellisation et leur manipulation : s'agira-t-il d'équipements médicaux sous une responsabilité d'usage médicale ou s'agira-t-il d'équipements banalisés, "colorés" santé, d'un large usage?
- Secret médical dans le cadre du dossier médical informatisé partagé
- Arbitrage entre la maîtrise de la dépense de santé (ou le déplafonnement de cette dépense, avec hausse de la part des assurances privées) et la réduction des inégalités d'accès aux soins (ou l'acceptation d'un certain niveau d'inégalité)

Les impacts sur l'organisation des soins :

- Objectifs de réduction des risques iatrogènes et de parcours de soins plus rapides (pas de délai, coordination meilleure)
- « Il y a clairement un besoin d'intégration de la production de soins, et de soins et de services sociaux, pour réduire l'ensemble des coûts de transaction et pouvoir offrir un guichet unique dans la relation du patient au système de soins :
 - Dans le contexte d'un scénario qui maintient de façon centrale la relation médicale, le médecin traitant devra pouvoir assurer, en s'appuyant vraisemblablement sur une infrastructure de services sous-jacente, ces services d'intégration.
 - Dans le cadre d'un scénario où l'organisation des soins est prise en charge par une organisation "industrielle", celle-ci aura la charge de l'intégration des soins, c'est-à-dire la gestion de bout en bout des parcours de soins et en garantira la qualité au sens large, c'est-à-dire aussi l'efficacité ; la question se pose de savoir alors quel type d'acteurs industriels va investir cette nouvelle fonction. »
- « On peut penser que trois types d'organisation industrielle peuvent émerger:
 - Les assureurs, et/ou à travers eux, des opérateurs de centres sociaux, peuvent adresser rapidement les besoins d'intégration des personnes âgées et dépendantes, et ouvrir peu à peu leurs prestations à d'autres populations ;
 - Les sociétés de services à la personne, issues soit des assistants traditionnels, soit des sociétés créées à l'occasion des dispositifs Borloo, peuvent également prendre place sur ce marché, soit directement, soit "en marque blanche", pour d'autres groupements ;
 - Enfin, des associations de professionnels de santé (centres médicaux ou maison de santé rurales ou de quartier, pharmaciens...) peuvent très certainement intervenir, avec le soutien logistique d'autres prestataires, dans ce processus d'intégration, favorisant une intégration centrée sur le maintien d'une relation médicale centrale. »
- Les hôpitaux soit tissent des relations de complémentarité avec la médecine de ville, soit montent des organisations qu'ils contrôlent complètement et dans lesquelles la médecine de ville n'intervient que comme prestataire.
- « La différenciation des établissements médicaux, et leur concurrence, poussent leur spécialisation et vraisemblablement leur excellence. Dans un tel contexte, une attractivité régionale, interrégionale et internationale, devrait se développer. »

Deux scénarios contrastés

- *Scénario de continuité : le médecin reste au centre du jeu*

Maintien de la relation de confiance médecin-patient, peu d'obligations sur le patient, maintien du rôle central du médecin traitant, qui gère le dossier médical informatisé, renforcement du rôle des protocoles. Le médecin traitant peut recourir à des services de coordination. Les dispositifs

technologiques à usage de santé restent sous maîtrise médicale. Les assurances privées voient leur rôle s'accroître, dans certaines limites.

- *Scénario d'ouverture : une garantie sous conditions*

« Ce second scénario place au second plan la relation médicale pour mettre en avant la garantie d'une "marque" (qui pourra être celle d'une institution hospitalière ou d'un groupe "industriel") quant à la qualité et l'efficacité d'un parcours de soins. Un processus de contractualisation s'introduit dans la relation entre le patient et ce nouveau type d'organisation. Si celui-ci devra s'appuyer indéniablement sur les protocoles disponibles, chaque organisation concurrente aura à cœur de chercher à se distinguer par l'intelligence, la personnalisation, l'adaptation des protocoles à la personne soignée et à son contexte. Il est possible que cette structuration de l'écosystème permette d'aboutir à un dossier médical personnel unique transférable, avec intervention de tiers ou médiateurs pour en régler les aspects délicats. »

Les dispositifs d'assistance à la prévention et à la santé se développent. On devrait alors assister à un déplaçonnement des dépenses de santé, les assureurs privés couvrant l'assistance. La notion de devoir de santé devrait s'imposer.

A noter que « la plupart de ces choix ne sont pas liés à la technologie, mais la technologie pourra peser dans les bifurcations qui devront être considérées. »

Annexe 10 : Livre blanc « Télémédecine 2020 »

1^{er} rapport : Faire de la France un leader du secteur en plus forte croissance de la E-Santé, Syntec, 2012 ; 2^{ème} rapport : Modèles économiques pour le télé-suivi des maladies chroniques, SNITEM/Syntec, 2013

Objectif

Apporter de la visibilité sur la création de valeur engendrée par ce secteur, présenter ses potentialités et ses métiers, évaluer son apport sur le plan médicoéconomique, à travers plusieurs études de cas.

Méthodologie

Groupe de travail télémédecine, associant des entreprises et experts du secteur, avec le concours du cabinet JALMA pour le 1^{er} rapport, le cabinet Alixio Care Management Consulting et le groupe AEF pour la 2^{ème} étude.

Analyse documentaire.

Entretiens réalisés auprès d'un panel diversifié et représentatif de 115 acteurs du secteur : fournisseurs de technologies, experts, établissements de soins, instituts de formation, etc.

Les acteurs régionaux publics, ARS et structures chargées du développement de l'e-santé, ont également été associés à cette étude lors d'un séminaire au cours duquel 17 régions françaises ont été représentées.

Domaines technologiques couverts

- Les différents champs de la télémédecine :
 - La téléconsultation
 - La télésurveillance médicale
 - La téléexpertise
 - La téléassistance
 - La réponse médicale apportée dans le cadre de la régulation médicale des urgences ou de la permanence des soins
- Auxquels il faut ajouter les services de santé à distance, comme l'accompagnement à distance des malades chroniques sur le long terme ou des personnes âgées et dépendantes, qui n'impliquent pas nécessairement la participation d'un médecin.

Sont distingués trois ensembles :

- Un premier ensemble, le plus petit, constitué des produits et services de télémédecine, qui comporte : les logiciels destinés aux solutions de télémédecine (ex : applicatifs d'analyse de données de santé, applicatifs d'aide à la décision, systèmes d'alerte, applicatifs d'accompagnement à l'auto-gestion de sa santé) ; les équipements de visioconférence ; les dispositifs médicaux communicants, et le matériel informatique éventuellement associé ; les prestations d'intégration de ces équipements, et de conseil informatique ; les prestations de services de télémédecine (ex : plateforme de suivi à distance, prestations de conseil, services de soins à distance) ; les prestations d'évaluation des solutions de télémédecine.
- Un deuxième ensemble, correspondant aux produits et services de télésanté, qui englobe le précédent et inclut également : les dossiers médicaux partagés, les infrastructures des réseaux de santé, les prestations de services d'hébergement des données de santé, les infrastructures de

télécommunications, les prestations d'intégration de ces équipements, et de conseil informatique.

- Un troisième ensemble, le plus vaste, regroupant les précédents et intégrant plus largement l'ensemble des équipements destinés à l'informatisation du système de santé français, qui comprend :
 - Les systèmes d'information hospitaliers,
 - Les systèmes d'information destinés aux professionnels de santé,
 - Les prestations de services d'archivage des données de santé,
 - Les prestations de services visant à garantir l'interopérabilité des SI.

Principaux enseignements

Etudes de cas lors de la 1^{ère} étude :

- Diabeo : système d'accompagnement à distance des patients atteints de diabète de type 1 et 2 insulinotraités, lancé en 2004 : via un portail web.
- Calydial : système de télésurveillance des patients atteints d'insuffisance rénale terminale suivis en dialyse péritonéale à domicile, existant depuis 2005, utilisant la technologie du stylo communicant.
- SCAD (Suivi cardiaque à domicile) : projet d'amélioration de la prise en charge de l'insuffisance cardiaque déployé en 2006 en Basse-Normandie, qui comporte notamment la mise en place d'un système de suivi à domicile des patients en sortie d'hospitalisation. Il repose sur l'utilisation d'un terminal dédié à écran tactile installé au domicile du patient.
- OncoPL : réseau régional de cancérologie déployé en Pays de la Loire et ayant recours à des solutions de télémedecine pour améliorer la prise en charge et le suivi des patients atteints de cancer. Ce réseau est composé de 50 établissements de santé assurant la prise en charge de patients cancéreux, dont la moitié est équipée de matériel de télé-expertise.

Etudes de cas lors de la 2^{ème} étude, visant à apporter des éclairages sur les modalités de financement des solutions de télémedecine dans des programmes observés à l'étranger :

- Programme CorBene en Allemagne : contrat de soins intégrés dans l'insuffisance cardiaque, avec télésurveillance médicale, afin de diminuer le nombre de séjours hospitaliers, améliorer l'état de santé, améliorer les pratiques. Le service est rémunéré par les caisses d'assurance-maladie sur la base d'un forfait mensuel par patient.
- Programme Mein Herz (Allemagne) : télésuivi de patients atteints d'insuffisance cardiaque (transmission du poids, de la pression artérielle, de l'ECG...) ; dispositif d'économies partagées ex post entre l'établissement de santé et l'organisme payeur, au regard de l'écart entre le coût observé et le coût de référence par patient. La réduction des coûts d'hospitalisation couvre largement le coût du télésuivi et la hausse du coût de traitement médicamenteux.
- Programme TELEMACO et PTP en Italie : télésurveillance et téléconsultation pour des patients atteints de BPCO (entretiens par vidéoconférence avec un infirmier tuteur), dans le cadre d'un programme régional de télémedecine visant à garantir la continuité des soins dans des zones isolées. Les objectifs sont l'amélioration de la prise en charge et la réduction des hospitalisations inutiles ou inappropriées. Les hôpitaux reçoivent de la région un forfait par patient.
- Programme E-Cardiocare aux Pays-Bas : télésurveillance et téléconsultation pour des patients atteints d'insuffisance cardiaque, dans le cadre d'un tarif négocié entre l'assureur et l'offreur de soins. La plateforme installée au domicile comprend du coaching personnalisé (éducation thérapeutique) et la télésurveillance des indicateurs cliniques. Outre la réduction des

hospitalisations et des complications, le programme cherche à mettre en place un prototype pérenne d'organisation et de financement de la télésanté.

- Programme « Patient briefcase » au Danemark : télésurveillance de la fonction pulmonaire et téléconsultation (par connexion internet sécurisée) pour des patients atteints de BPCO. Le Briefcase est un dispositif de la taille d'un ordinateur portable, doté d'une webcam et d'un microphone, ainsi que d'un spiromètre et d'un oxymètre. A noter que les actes de télé médecine sont pris en charge par le système de santé (GHS ambulatoires). Une baisse de 10 à 14% du risque de réadmission à court terme est observée.
- Veterans Health Administration / Programme CCHT aux Etats-Unis : télésurveillance et téléconsultation pour le suivi à domicile de patients à risques (patients en déficit d'autonomie pour au moins 3 activités de la vie quotidienne, malades chroniques), organisé au sein de son propre réseau de soins. La coordination et la prise en charge du dispositif de télésanté sont sous la responsabilité d'un « care coordinator » (souvent du personnel infirmier ou un travailleur social), qui organise la mise à disposition des dispositifs médicaux (outils communicants, outils de télésurveillance, systèmes de téléconsultation) et la formation du patient. Il est en relation avec l'ensemble des professionnels impliqués dans la prise en charge de ses patients via le dossier médical personnalisé VHA. Il transmet chaque mois un rapport résumant les données de télésanté au médecin traitant de ses patients. Plusieurs études attestent de bénéfices médicaux ou économiques.

Les grandes tendances :

- Les gains sont, au moins qualitativement, démontrés. En termes d'efficacité clinique, Diabeo a montré un meilleur équilibre glycémique. L'efficacité économique est même argumentée quantitativement dans le cas de SCAD et dans plusieurs des exemples étrangers.
- Les succès de ces projets dépendent d'une vision stratégique et d'une impulsion politique forte et continue dans le temps, ainsi que d'un ensemble de bonnes pratiques en matière de mise en place de parcours de soins, d'inclusion sélective des patients, de support d'un SI santé, d'articulation avec des systèmes de disease management, d'évaluation, etc.

Les points de vigilance :

- Un modèle de financement instable, largement soumis aux aléas du cadre expérimental
- Un manque de visibilité pour les industriels
- Les gains de coûts issus de la baisse des hospitalisations sont parfois atténués par des hausses de coûts significatifs sur d'autres postes (notamment le médicament).
- Suppose une évolution des pratiques des professionnels, ce qui demandera un effort en termes de conduite du changement.

Les impacts sur l'organisation des soins :

- Dans l'ensemble, les gains relèvent des catégories suivantes :
 - réduction de l'isolement géographique,
 - sécurisation des pratiques médicales (diminution des complications médicales évitables, continuité des soins),
 - suppression de certaines consultations,
 - réduction du nombre d'hospitalisations,
 - transports évités,
 - réorganisation du temps de travail et temps médical économisé.

- Il est noté que les gains devraient être particulièrement importants dans :
 - la prise en charge des maladies chroniques,
 - le maintien à domicile et le retour à domicile post-hospitalisation des personnes âgées dépendantes,
 - la téléradiologie.
- La télémédecine peut transformer la relation soignant-soigné ; plusieurs expériences internationales montrent qu'il est possible et efficace de dématérialiser une partie importante des consultations médicales, afin de rendre possible une plus grande régularité des contacts et dans le même temps de réduire les coûts. Ce peut ainsi être un levier d'efficience dans le système de santé :
 - Cet objectif de réorganisation suppose l'intégration préalable à tout nouveau projet de télémédecine d'un objectif d'optimisation de la chaîne de soins (hôpital, ambulatoire, médico-social), en étant le vecteur de décroissements, de nouvelles délégations de tâches, de transferts de compétences et d'alternatives à l'hospitalisation.
 - L'impératif d'amélioration de l'efficience de la production suppose également de gager tout investissement important dans la télémédecine sur l'objectif de réorganisation des processus de soins dans le sens d'une rationalisation de la pratique médicale.
 - La recherche de l'efficience doit enfin orienter les programmes de télémédecine vers une perspective à très court terme d'industrialisation.

Questions ouvertes sur les politiques publiques / Recommandations

- « Il est impossible de dépasser le stade expérimental sans une source de financement pérenne, c'est-à-dire sans l'implication de l'Assurance-maladie »
- Proposition de mise en place d'une structure de concertation permanente, un lieu d'échange entre tous les acteurs
- La gouvernance doit offrir stabilité et visibilité
- L'implication des patients doit être recherchée
- L'évaluation médico-économique doit être développée, en tenant compte du fait que les investisseurs ne sont pas toujours ceux qui récupèrent directement les bénéfices.
- Il existe un fort besoin de formation des acteurs de la filière.
- ...

Scénarios

Scénarios d'évolution à 5 ans développés dans le 1^{er} rapport

- Le scénario le plus probable est un scénario de continuité, dans lequel on n'observe pas de changement majeur dans la stratégie des pouvoirs publics. Les budgets publics destinés à la télémédecine ne sont pas réévalués ; toutefois des investissements relativement importants, tels que les investissements d'avenir du Commissariat général à l'investissement par exemple, sont réalisés dans le secteur. Ce scénario propose une croissance annuelle moyenne de 15%, c'est-à-dire un taux comparable à ce qui a été observé ces dernières années dans le secteur.

Dans ce cas de figure, la croissance est néanmoins très significative et le secteur doublera en 5 ans. La télémédecine serait amenée à peser 160 à 300 millions d'euros d'ici à 2015.

- Le scénario le plus optimiste avance un taux de croissance annuel du secteur de 30% environ. Il pourrait se réaliser si les acteurs du secteur se mobilisent de façon importante, et que des

investissements conséquents sont réalisés. La télémédecine représenterait alors un domaine d'investissement stratégique pour les pouvoirs publics. Il impliquerait un triplement, voire même un quadruplement du secteur en 5 ans. Le marché de la télémédecine pourrait ainsi atteindre 300 à 520 millions d'euros dans 5 ans.

Dans le 2^{ème} rapport, ce sont des scénarios de prise en charge de la télémédecine qui sont discutés. Plusieurs scénarios sont présentés :

- Remboursement de la télémédecine, à l'acte, au forfait, ou au GHS.
 - Ce scénario, s'il permet de solutionner le financement de la télémédecine, répond peu aux difficultés posées par l'éclatement des structures de gouvernance et de pilotage du système de santé, ainsi qu'aux enjeux de décloisonnement de ce dernier.
- Modèle de soins intégrés, en s'appuyant sur un réseau d'opérateurs tiers.
 - Ce modèle apporte une réponse aux questions du financement de la dépense des soins de télémédecine et de leur organisation dans le champ des maladies chroniques. La contractualisation pilotée par les territoires entre fournisseurs, opérateurs de soins et payeur public permet de créer les conditions d'un déploiement plus souple. Ce modèle permet également de structurer le parcours de santé de façon intégrée et confère à l'organisme payeur une meilleure visibilité sur les conditions du financement de la dépense de santé ainsi que sur la pertinence médico-économique du parcours de santé.
- Idem avec une variante : délégation de service public aux assureurs de droit privé.
- Réseau de soins public dédié, dans le cadre d'une politique nationale « maladies chroniques ». Ce réseau de soins « maladies chroniques » internalise l'ensemble des compétences du parcours de santé : prévention, réalisation des soins, disease management. Le réseau se dote d'une compétence de care management internalisée et déploie une infrastructure informatique de santé dédiée.
- Privatisation de la santé.
- Un dernier scénario, uniquement prospectif et volontairement écarté dans les cas étudiés, pourrait être basé sur un rôle renforcé du citoyen dans la prise en charge de sa santé. Informé, éduqué, équipé de technologies lui permettant de s'auto-suivre et de mesurer ses propres constantes, accédant à des services de suivi en ligne qu'il choisit, ce « super e-patient » finance pour une grande partie sa prise en charge et soutient un marché tourné vers l'innovation et la consommation de masse.

Les auteurs appellent à une prise de conscience rapide et au lancement de programmes d'envergure, et soulignent que « selon une étude récente d'InMedica, environ 308 000 patients seraient télésuivis dans le monde en 2012 dans les domaines de l'insuffisance cardiaque, de la BPCO, du diabète, de l'hypertension artérielle et des maladies mentales. Les Etats-Unis représentent 75% de ce total (227 000 patients), suivis par le Royaume-Uni, l'Allemagne et la Chine. Le cabinet anticipe une forte croissance sectorielle dans les années à venir (+ 600% en 5 ans aux Etats-Unis) et prévoit qu'environ 1,8 millions de patients seront télésuivis dans le monde en 2017. »

Annexe 11 : Rapport Unicancer : « Quelle prise en charge des cancers en 2020 ? »

Année : 2013

Promoteur du rapport : Unicancer

Objectif principal du rapport

Identifier et qualifier les principales évolutions des prises en charge en cancérologie d'ici à 2020 et en évaluer les impacts en termes de capacité (nombre de lits, effectifs...) et d'effectifs médicaux

Méthodologie

Interview de 40 experts (oncologues médicaux, pharmaciens, radiothérapeutes...) avec le concours du cabinet Cap Gemini entre février et juin 2013. Les experts sélectionnés étaient issus des CLCC, mais aussi d'autres structures de soins en France (CHU, cliniques privées) et à l'étranger (hôpitaux spécialisés dans les traitements des cancers aux Pays Bas, aux Etats-Unis et au Royaume-Uni). Enfin, quelques entretiens avec des professionnels de l'industrie pharmaceutique sont venus compléter ce panorama. L'étude a été conduite sous le contrôle d'un comité scientifique composé d'experts des CLCC représentant les différentes disciplines de la prise en charge en cancérologie.

Elle a été réalisée en trois temps :

- Identification des évolutions des thérapeutiques les plus structurantes pour le développement de la cancérologie d'ici 2020.
- Qualification et quantification des six tendances identifiées.
- Evaluation d'impact en termes de nombre de lits/places, de temps d'équipement et de temps médical.

Six tendances identifiées

- Développement de la chirurgie ambulatoire : cible de la moitié des patientes opérées pour cancer du sein (contre 17% en 2012).
- Réduction du nombre de séances de radiothérapie grâce à des techniques plus performantes, notamment le développement de l'hypofractionnement ; la radiothérapie hypofractionnée consiste à intensifier la dose délivrée lors de chaque séance afin de réduire le nombre de séances : devrait concerner 50% des traitements des cancers du poumon, 45% des traitements du cancer du sein, ainsi que 35% des cancers de la prostate.
- Réalisation de la chimiothérapie à domicile grâce au développement des traitements oraux (représentant déjà 25% des traitements et pouvant atteindre 50%) et de l'HAD. En outre, certaines chimiothérapies intra-veineuses pourront être réalisées à domicile.

On devrait assister, du fait des thérapies ciblées, à une baisse relative du nombre de thérapies due à la non prescription de certaines chimiothérapies, notamment dans la prise en charge du cancer du sein, mais aussi à un allongement des durées de traitement et à une croissance du nombre de patients du fait de l'accroissement de l'incidence de la maladie.

- Caractérisation des tumeurs : mieux connaître les tumeurs pour mieux les soigner de manière ciblée. On devrait assister à une généralisation de la caractérisation des tumeurs par biologie moléculaire et du dépistage génétique des populations à risque. Les patients atteints de maladie métastatique devraient avoir un suivi renforcé.
- Développement de la radiologie interventionnelle (amélioration des techniques de guidage, perfectionnement des techniques de dépôt des médicaments...), permettant de réaliser des actes plus précis et moins invasifs : devrait être multipliée par quatre dans les prochaines années.

À titre d'exemples, il est possible, par le seul point d'entrée d'une aiguille, de détruire de petites tumeurs du foie ou des métastases du poumon, par un courant électrique (radiofréquence), par le froid (cryoablation) ou en les brûlant par des microondes (thermoablation).

Le guidage de toutes ces interventions par l'imagerie confère une précision jusqu'ici inégalée aux gestes, y compris quand ils sont effectués en profondeur, et en particulier quand ils se déroulent dans des zones à risque élevé. Les organes cibles sont les métastases osseuses, hépatiques, pulmonaires.

- Développement des soins de support pour prendre en charge le patient dans sa globalité.

Principaux enseignements

Les grandes tendances :

- Nouveaux modes d'organisation moins fondés sur le séjour hospitalier et nécessitant une plus grande coordination entre tous les acteurs de la prise en charge
- « La prise en charge des patients atteints de cancer se caractérisera par une succession d'interventions très spécialisées lors des épisodes aigus, suivi de phases d'accompagnement et de surveillance. Les établissements de santé spécialisés devront devenir le pivot de l'organisation du parcours des patients atteints d'un cancer. »

Les points de vigilance :

- En radiothérapie, le mode actuel de financement basé sur le nombre de séances freine l'évolution vers les nouvelles pratiques. Une évolution vers la forfaitisation pourrait lever ce frein.
- De même en radiologie interventionnelle, la tarification devra être adaptée.

Les impacts sur l'organisation des soins :

- Le développement de la chirurgie ambulatoire nécessitera une profonde réorganisation des unités de chirurgie. Cela se traduira par une diminution de 20% de lits en hospitalisation classique en faveur d'une augmentation de 40% de places de chirurgie ambulatoire.
- En radiothérapie, on devrait avoir moins de séances avec des séances plus longues, et un temps de préparation plus long. Le besoin en accélérateurs serait accru de 9%.
- L'évolution en chimiothérapie nécessitera une meilleure articulation avec les autres acteurs de la médecine de ville (médecins, pharmaciens, infirmières...) et devra s'appuyer sur les programmes d'éducation thérapeutique afin d'assurer une bonne observance des traitements. Les prescriptions des traitements par voie orale demandent aussi des consultations plus longues afin d'améliorer l'observance et d'expliquer les éventuels effets indésirables. Une augmentation de 9% du nombre d'oncologues serait nécessaire.
- Des équipes communes biopathologistes-oncogénéticiens devraient se créer, avec augmentation des effectifs de 40%.
- Développement des séjours pour radiologie interventionnelle, dont un tiers en ambulatoire, et diminution en conséquence de 5% des séjours en chirurgie.
- Doublement des effectifs consacrés aux soins de support.

Questions ouvertes sur les politiques publiques

- Adapter la tarification aux évolutions évoquées
- Créer une MIG « soins de support » dont l'allocation serait fixée en fonction de l'activité carcinologique des établissements.

Annexe 12 : Technologies clés 2015, Direction générale des entreprises

Mars 2011

Objectif

« L'étude technologies clés 2015 a pour objectif d'identifier des segments stratégiques de notre économie et de mener une analyse des forces et faiblesses du développement de ces technologies en France.

Technologies clés 2015 est le résultat des nombreux échanges organisés avec plus de 250 spécialistes, experts, représentants du monde socioéconomique sur les enjeux qui se posent à notre société tant sur le territoire national que sur les marchés mondiaux.

Les technologies clés sont présentées sous une forme très synthétique de description de la technologie, de ses applications, de son état de diffusion, de l'état de la concurrence et des acteurs qui lui sont associés ». Un chapitre est consacré à la « *santé et à l'agro-alimentaire* ».

Ingénierie cellulaire et tissulaire

La recherche dans le domaine de l'ingénierie tissulaire consiste à reconstruire des tissus humains complets tels que la peau, le cartilage et les ligaments. Les cellules peuvent être autologues (provenant de l'organisme receveur lui-même) ou allogéniques. Il peut également s'agir de cellules différenciées ou de cellules souches adultes ou embryonnaires.

Applications : la thérapie cellulaire peut s'appliquer en immuno-oncologie, en cardiovasculaire, en orthopédie, en neurologie, pour traiter le diabète, etc. Aujourd'hui, une quarantaine de produits est commercialisée dans le monde.

Position relative de la France : la France figure parmi les acteurs majeurs du domaine de la thérapie cellulaire. Elle a été pionnière dans le champ des cellules de sang de cordon ombilical et elle se distingue également dans le champ des cellules souches mésenchymateuses et des cellules souches adultes.

Ingénierie génomique

Le génome peut être manipulé afin de faire pénétrer un ou plusieurs gènes d'intérêt dans les cellules ou les tissus d'un organisme vivant. De nouvelles recherches sont aujourd'hui développées et reposent sur des petits ARN interférents (ARNi). Cette technique de ciblage cellulaire des ARNi permet le blocage des ARN messagers (ARNm) par les ARNi et ainsi la correction d'un dysfonctionnement d'une protéine. Le transfert de gènes et la vectorisation sont des facteurs clés dans la maîtrise de l'ingénierie génomique.

Applications : l'ingénierie génomique trouve de nombreuses applications très connues en agronomie et agroalimentaire (OGM). Mais les enjeux sont tout d'abord médicaux. Les maladies concernées sont nombreuses mais actuellement, si les essais sur les animaux sont porteurs d'espoir, le passage de l'animal à l'homme ne paraît pas être pour tout de suite.

Position relative de la France : la France possède une bonne position en recherche avec la présence de plusieurs centres de recherche de pointe en génétique et génomique.

Ingénierie du système immunitaire

L'ingénierie du système immunitaire a pour but de mieux le manipuler. L'objectif principal est de modifier et d'optimiser tous les composants du système immunitaire (cellules ou molécules). Par exemple, la manipulation d'une cellule dendritique présentant un antigène d'une tumeur stimulera la destruction de la tumeur par le système immunitaire.

Bonne position de la France dans la recherche fondamentale en immunologie et en vaccinologie.

Technologies pour la biologie de synthèse

La biologie de synthèse associe le séquençage de l'ADN, la synthèse de cet ADN et la modélisation informatique.

Applications : à long terme, ses champs d'application en biologie sont : médicaments personnalisés, détection précoce de certaines pathologies, intervention médicale au niveau moléculaire plutôt que chirurgical.

Le positionnement de la France est modeste.

Systèmes bio-embarqués

Les systèmes bio-embarqués résultent d'une forte interdisciplinarité : compétences médicales, biologiques, chimiques, physiques (matériaux, mécanique et électronique). Les technologies utilisées sont notamment issues des secteurs de l'aéronautique et des télécommunications.

Les recherches actuelles et futures portent sur les grands axes suivants :

- pour la médecine régénératrice, combiner une partie synthétique – un polymère – avec des cellules différenciées et des cellules souches du patient (exemple de vaisseaux à partir de polymères biodégradables qui se remodelent en artères biologiques fonctionnelles lorsqu'elles sont combinées avec des cellules) ;
- plus largement combiner l'approche système mécanique et système biologique, en couplant avec des principes actifs ou agents thérapeutiques ;
- utiliser des technologies de membranes et de traitement de surface de plus en plus sophistiquées ;
- intégrer dans les systèmes bio-embarqués des capteurs de suivi en temps réel et des logiciels analysant les données et appliquant les décisions résultantes (par exemple pour la délivrance de principes actifs) ;
- mettre au point des systèmes résorbables ne laissant aucun corps étranger quelques mois-années après la mise en place ;
- annihiler les possibilités de rejet ;
- augmenter la durée de vie, en luttant contre les phénomènes de corrosion et de vieillissement, et en dotant les systèmes bio-embarqués d'alimentation en énergie adaptée ;
- augmenter le niveau de fiabilité des systèmes tout en les miniaturisant le plus possible.

Applications : les systèmes bio-embarqués possèdent des applications dans tous les domaines de la santé, notamment en chirurgie orthopédique, dentaire et traumatologique, en cardiovasculaire, ainsi que dans le domaine du sport et des neurosciences.

Position relative de la France : la France est plutôt en bonne position (fortes compétences dans les technologies aéronautiques, microélectroniques, biologiques et médicales).

Capteurs pour le suivi en temps réel

On distingue plusieurs typologies de capteurs :

- les biocapteurs, incorporant un matériau biologique comme des enzymes ou des anticorps, des cellules ou de l'ADN ;
- les capteurs basés sur un signal électrique (capteurs chimiques potentiométriques, capteurs à polymère conducteur, etc.) ;
- les capteurs basés sur une interaction avec des ondes électromagnétiques ;

- les capteurs basés sur une interaction avec des ondes ultrasonores ;
- les capteurs basés sur des variations de fréquence, ou impliquant des agents sélectifs ;
- les capteurs basés sur des technologies MEMS / MOEMS et NEMS / NOEMS (systèmes respectivement micro et nano-électromécaniques).

Applications en santé : les capteurs pour le suivi en temps réel trouvent des applications majeures en télésurveillance

Position de la France : la recherche sur les capteurs en santé, et notamment en télémédecine, est particulièrement poussée aux États-Unis... la France possède des acteurs phares tels que ST Microelectronics et des compétences académiques fortes.

Technologies de diagnostic rapide

On distingue plusieurs types de systèmes pour le diagnostic rapide :

- des tests ayant pour support des bandelettes basées sur des membranes, nécessitant une seule goutte d'échantillon ;
- des tests moléculaires ;
- des tests basés sur des technologies « compact disc » ;
- des dispositifs microfluidiques, décrits comme des laboratoires sur puce, permettant d'intégrer, sur une surface de quelques centimètres carrés, l'ensemble des volumineux appareils d'analyse biologique ;
- la PCR temps réel (réaction de polymérisation en chaîne) qui permet en temps réel d'amplifier in vitro une séquence génomique spécifique de la présence de la cible recherchée et de détecter simultanément « en temps réel » l'apparition des séquences amplifiées.

Applications : de nombreuses pathologies et situations cliniques sont concernées : infections, maladies cardiovasculaires, situations d'urgence, soins intensifs, etc. Par ailleurs, le diagnostic rapide permet de prendre en charge rapidement un blessé ou une personne malade lors de son évacuation.

Position relative de la France : la France dispose de fortes compétences académiques et d'environ 200 entreprises, des start-up et des PME travaillant sur la convergence de la biologie, des biomatériaux, de la microélectronique et des nanotechnologies.

Technologies pour l'imagerie du vivant

Les enjeux de l'imagerie du vivant sont particulièrement importants en santé. L'imagerie fonctionnelle du cerveau permet par exemple d'améliorer la cartographie des fonctions cérébrales. L'imagerie permet également de mieux comprendre les anomalies de développement et de dysfonctionnement mais aussi de réaliser un suivi de l'efficacité thérapeutique du traitement.

Par ailleurs, l'imagerie du vivant constitue un outil de choix dans le développement de molécules, biomarqueurs et produits, pour comprendre les mécanismes biologiques en jeu.

Position relative de la France : forte compétence mais sur le plan industriel, le marché mondial est verrouillé par les trois géants que sont Siemens, Philips et General Electric. Un espoir... En France, SuperSonic Imagine est aujourd'hui la seule entreprise au monde à proposer un appareil d'imagerie multi-ondes, utilisé en cancérologie.

Annexe 13 : AVIESAN, Institut thématique multi-organismes : Technologies pour la santé, orientations stratégiques

Décembre 2011

Un état des lieux a été effectué dans 5 domaines : imagerie, chirurgie et techniques interventionnelles, biotechnologies et bio-ingénierie, médicament et e-santé.

Cet état des lieux comprend : le nombre de chercheurs enseignants chercheurs et le nombre de techniciens/ingénieurs, la taille et le nombre des unités de recherche, leur répartition géographique, leur appartenance aux différents organismes de recherche (CNRS, INSERM, CEA, INRA, Curie...), les publications, les formations.

En ce qui concerne les publications des unités dans le domaine des technologies pour la santé, pour les années 2006-2007, selon les « Top 1% WOS » représentant les publications de la France dans le premier percentile du corpus mondial, on compte 28 publications en biotechnologie, 39 en chirurgie, 77 en imagerie et 108 pour le médicament, soit 230 publications sans doublon sur un total de 9294 publications françaises sur cette période.

Domaine de l'imagerie

3 sous-domaines sont distingués : l'imagerie anatomique ou morphologique, l'imagerie fonctionnelle (pour visualiser la fonction des organes) et l'imagerie interventionnelle qui aide à une intervention chirurgicale ou radiothérapeutique.

Les futurs développements passent par exemple, par l'amélioration des détecteurs pour augmenter la sensibilité et les résolutions spatiale et temporelle de l'imagerie, le développement de l'imagerie endoscopique, le développement de sondes chimiques (organiques et inorganiques) ou des bio-sondes moléculaires pour observer un échantillon en utilisant différentes modalités d'imagerie.

En France, des structures d'excellence existent :

- dans le domaine du développement des détecteurs et de l'imagerie moléculaire (instituts CNRS : IN2P3 et INST2I ; instituts CEA : I²BM, LETI, IRFU + l'ESPCI) et des PME (Biospace, Mauna Kea Technologies, Supersonic Imagine, Trixel, ...) en partenariat avec les grands groupes industriels.
- dans les domaines de la modélisation et de l'analyse des signaux, des données et des images (Inria, Institut Telecom, CNRS, CEA, Universités).

Domaine des biotechnologies et bioingénierie

Le domaine est vaste et s'étend des biomatériaux aux biomarqueurs pour la médecine préventive et la médecine personnalisée, des bioprocédés (catalyseurs biologiques pour transformer une matière première chimique ou biologique en produits possédant les qualités d'usage requises) à l'intégration des nanotechnologies.

En France, le domaine des dispositifs implantés connectés à la bioingénierie est fortement compétitif.

Les laboratoires dans le domaine des micro-nanotechnologies pour le diagnostic sont de compétitivité internationale. Par rapport aux autres biotechnologies, il existe une bonne valorisation (création de start-up) dans le domaine des dispositifs médicaux à l'interface avec la chirurgie et l'aide au patient. Mais ceci est contrebalancé par le nombre insuffisant de dépôts de brevets associés à des licences et à des créations d'entreprise dans le domaine biotechnologique. Le manque d'interaction entre les structures de valorisation des organismes de recherche mais aussi l'incapacité des structures d'évaluation à prendre en compte les travaux d'innovation technologique et la valorisation peuvent expliquer cette insuffisance. Il serait donc nécessaire selon les auteurs du rapport

d'augmenter la valorisation et la collaboration industrielle pour soutenir un développement important des entreprises de biotechnologie françaises.

Domaine du médicament

Ce domaine regroupe les technologies pour notamment produire des médicaments personnalisés. Il existe en France des domaines d'excellence : chimie médicinale, modélisation chémo-informatique, la recherche et le ciblage de composés biologiquement actifs, la délivrance et le ciblage du médicament, le métabolisme et le transport, la pharmacogénétique, les essais cliniques.

De plus, le monde académique français est en bonne position au niveau européen et mondial pour la mise en commun de larges collections des produits du patrimoine des laboratoires à des fins de criblage grâce à une convention nationale regroupant près de trente institutions.

Domaine de la chirurgie, des techniques interventionnelles et assistance au patient et à la personne

Cette thématique couvre les technologies chirurgicales incluant la simulation, la navigation, la comanipulation et la télé opération, les instruments, les accessoires et appareillages associés, mais également la radiologie interventionnelle, la radiothérapie, les dispositifs implantables, les dispositifs de suppléance fonctionnelle, les prothèses et orthèses, et aussi la rééducation et l'assistance aux personnes âgées ou handicapées.

Les défis technologiques concernent principalement les techniques chirurgicales et interventionnelles, la radiothérapie, les dispositifs médicaux implantables actifs (DMIA), l'assistance à la personne (systèmes d'assistance ergonomiques peu encombrants).

Les domaines d'excellence sont nombreux avec par exemple le développement des premiers stents coronaires (Toulouse), le traitement de la maladie de Parkinson et du tremblement par stimulation électrique cérébrale profonde (Université Joseph-Fourier/CHU Grenoble/Inserm), la chirurgie robotisée à distance et chirurgie mini invasive sans cicatrice (IRCAD/CHU Strasbourg), la conception à Grenoble (TIMC-Imag) de dispositifs de GMCAO (robots et systèmes de navigation) mis en œuvre sur plusieurs dizaines de milliers de patients...

De plus, la France voit se développer des PME de taille critique et très dynamiques positionnées sur les biocapteurs et les systèmes électroniques avec des applications santé. Ces sociétés fournissent des solutions innovantes pour les leaders internationaux des DMIA (MXM). Autres points positifs : la présence de grands acteurs industriels internationaux sur le territoire, un partenariat industriel (PME locales, MXM et Vivaltis) assurant un transfert de technologie efficace, etc.

Mais il existe des points de faiblesse : un positionnement du tissu industriel français exclusivement sur quelques briques technologiques et qui n'intègre pas l'ensemble du système de GMCAO contrairement à ce que font les leaders mondiaux, l'absence d'acteurs industriels en robotique intéressés par les applications médicales,...

E-santé

L'e-santé est l'application à la santé des technologies de l'information et de la communication, ce qui regroupe l'ensemble des systèmes d'information dans le domaine de la santé (incluant le champ d'exploitation des données collectées) et la télésanté.

Les défis sont multiples : aider à la décision médicale et à l'augmentation de la qualité des soins, exploiter au mieux les systèmes d'information, favoriser le partage de l'information, faciliter l'accès des patients au diagnostic et aux soins, offrir des solutions économiquement viables aux questions liées au vieillissement de la population, à la dépendance et au maintien de l'autonomie, etc.

Des discussions portent sur le Dossier Patient Informatisé, la connexion des bases de données nationales d'origine médico-administrative avec les bases de données issues de la recherche...

La télésanté est en elle-même un très vaste domaine avec le développement de biocapteurs, l'analyse des signaux et leur stockage, l'imagerie médicale et la robotique. Tous ces éléments vont dans le sens d'une santé personnalisée.

En France, il existe des petites et très petites entreprises, dynamiques mais en nombre insuffisant.

« Le déploiement de solutions d'E-Santé dépend essentiellement de la capacité de notre système de santé et de notre organisation médico-sociale actuelle à se réformer et à évoluer vers une prise en charge des questions de santé de façon décentralisée. Par ailleurs ces mêmes solutions ne pourront être déployées que si la réglementation évolue dans le sens d'une prise en charge de ce type de dépense. »

Sur plusieurs thèmes, le rapport souligne le manque de coordination entre les acteurs académiques, l'absence de coordination scientifique nationale conduisant à des recherches redondantes, de même que la faiblesse de la coordination entre structures en charge de la valorisation. Un autre point faible fréquent est l'absence d'acteurs industriels français de niveau international.

Principales recommandations organisationnelles

- Assurer une meilleure coordination des recherches
- Accroître l'efficacité du transfert depuis la recherche fondamentale vers la recherche clinique
- Améliorer l'accès, la gestion et l'interconnexion des plateformes
- Amplifier l'offre de formation multidisciplinaire et promouvoir une meilleure reconnaissance des métiers des technologies pour la santé

Principales recommandations opérationnelles

- Engager, au niveau national, une réflexion sur le mode de gestion et de fonctionnement des grandes plateformes d'imagerie
- Créer un groupe de travail chargé de recenser l'ensemble des candidats "agents d'imagerie" sur lesquels travaillent les équipes
- Mettre en place une interface entre cohortes de patients et nouveaux outils technologiques en prenant exemple sur ce qui se fait notamment en Suède et en Hollande
- Contribuer à la mise en place de formations initiales dans le domaine des biotechnologies émergentes
- Créer un « atelier » du médicament dont la mission serait de promouvoir auprès des communautés académique et industrielle, les technologies et savoir-faire les plus innovants et compétitifs pour la conception de candidats médicaments et leur promotion vers le développement clinique de Phase I/II
- Consolider l'état des lieux de la recherche chirurgicale et proposer des moyens permettant de mieux la structurer au sein du tissu hospitalier et universitaire pour améliorer sa visibilité
- Définir de nouveaux programmes de formations multidisciplinaires et interuniversitaires (ingénieur, médecin, biologiste) sur le long terme avec des bourses d'études spécialement dédiées et favoriser la diffusion des techniques actuelles par le biais de formations continues.

Annexe 14 : Articles de synthèse parus dans « Science et Santé », INSERM, entre 2011 et 2014

Médecine personnalisée- Les promesses du sur-mesure, mai-juin 2013

La médecine personnalisée grâce au séquençage automatique de l'ADN de chaque patient va-t-elle devenir une réalité ? A partir de notre génome, il est possible d'identifier les prédispositions à certaines maladies et les indices permettant d'affiner un pronostic ou de développer des thérapies ciblées. De nombreux exemples existent déjà.

Les premiers pas ont consisté à caractériser les prédispositions génétiques de certains patients afin d'adapter la surveillance des traitements. L'exemple le plus connu est le cancer du sein lié aux gènes BRCA1 et BRCA2 mutés. Les femmes porteuses de ces gènes mutés ont un risque élevé (50%) de développer un cancer du sein. Il en est de même pour le diabète avec le gène GYS1 et son allèle AA2 dont la présence suggère une augmentation du risque de développer un diabète de type 2.

Dans le cas du diabète, certains patients développent cette maladie suite à la défection de canaux dans le pancréas empêchant la libération de l'insuline ; ce défaut est lié à des mutations du gène ABCC8. Or il existait depuis longtemps un traitement hypoglycémiant agissant sur les canaux. Ces patients, en nombre restreint certes, ont pu ainsi utiliser ce traitement hypoglycémiant sans injection d'insuline !

Un autre exemple est le VIH où la sensibilité au traitement varie selon l'allèle HLA-B*5701 : les patients porteurs de cet allèle ont un risque plus élevé d'intolérance au traitement par abacavir. En conséquence, avant de prescrire ce traitement, un test génétique doit être effectué.

Ainsi la médecine personnalisée se développe mais il faut remarquer que les gènes impliqués dans les maladies ou les thérapeutiques ne sont repérables que chez très peu de patients ; la vaste majorité des patients sont encore sous des thérapeutiques ou des préventions de pathologies standardisées.

Actuellement, l'objectif reste la détection des cancers.

L'utilité de la médecine spécialisée grâce au séquençage de l'ADN s'observe à différents niveaux :

- Au niveau de l'efficacité thérapeutique

Dans le cas du cancer du sein, a été trouvé un lien entre la résistance au traitement et une surexpression du gène HER2. Le traitement proposé est une molécule qui agit directement sur les récepteurs HER2 des cellules cancéreuses. Dans le cas de cancers colorectaux, l'analyse génomique des tumeurs permet de prédire leur réponse à certains traitements (gène KRAS dont la mutation réduit l'efficacité d'une molécule ciblant un facteur de croissance) ; comme cette mutation est fréquente, il est donc nécessaire maintenant de la détecter avant de traiter... pour rien !

- Au niveau de la découverte de nouveaux traitements

Dans le cas des leucémies myéloïdes chroniques et les leucémies aiguës lymphoblastiques avec mutation des gènes BCR et ABL qui occasionne un dérèglement de la tyrosine kinase régulant la division cellulaire, un médicament interagissant spécifiquement avec l'enzyme a permis de guérir les patients atteints.

- Au niveau des biomarqueurs

Des biomarqueurs non invasifs permettent de suivre l'efficacité du traitement, comme les cellules tumorales circulantes, signes de métastases à venir, ou l'ADN tumoral circulant pour suivre l'évolution de la maladie. Il s'agit d'un premier bilan prometteur mais il ne touche qu'un nombre restreint de malades. Dans l'avenir, tout ne sera pas génétique ! Les facteurs d'hygiène de vie restent essentiels. Ensuite les tests donnent des probabilités de développer une maladie, non un diagnostic. Et un point noir émerge : au moment où le coût de la santé augmente année après année et dépasse

les possibilités financières des pays, ces tests et thérapies ciblées ont un coût de développement important. Il faut que le coût des tests permettant de détecter les cancers soit peu onéreux quand on l'applique à toute une population... Il est probable que des choix de prise en charge devront être faits.

Les nanotechnologies, mars-avril 2012

Les applications de ces technologies au domaine de la santé sont nombreuses et offrent de grandes potentialités :

- A visée diagnostique : des diagnostics in vitro sont réalisés grâce à des labopuces pas plus grosses qu'un quart de timbre-poste et capables grâce à la PCR miniaturisée de détecter des brins d'ADN viral par exemple, comme ce fut le cas lors de l'épidémie de grippe aviaire quand il fallut tester des dizaines d'échantillons très vite.
- Ces technologies sont aussi utilisées dans ce qu'on appelle l'imagerie moléculaire : des objets nanoscopiques sont envoyés en « éclaireurs » dans les tissus afin qu'ils s'attachent aux molécules recherchées (par exemple des protéines tumorales) et permettent de les visualiser, par fluorescence par exemple. Cela peut permettre de guider le geste du chirurgien lors de l'ablation de petites tumeurs.
- A visée thérapeutique : transport de traitements ciblés. Une protéine, l'albumine, contient un agent anti-cancéreux, paclitaxel, et devient un 'nanovéhicule' capable de détruire sa cible, la cellule tumorale du sein métastatique. C'est un exemple emblématique de la thérapeutique par les nanotechnologies. Il existe 27 nanomédicaments anticancéreux actuellement. Les liposomes sont les vecteurs de choix car ils sont capables de véhiculer un médicament en l'encapsulant.
- Implantation d'objets miniaturisés : neuroprothèses lors d'handicap moteur ou sensoriel en cours d'étude, avec neurostimulation... On peut imaginer également des micro-pompes implantées capables de délivrer des médicaments (dans le diabète, sur des sites des tumeurs inopérables...).

Sur le plan général, la toxicité des nanoparticules est insuffisamment connue, et l'évaluation des risques est parcellaire.

La répartition des brevets en nanomédecine est largement dominée par les USA avec 51% des brevets (contre 9% en France). Les études ciblent surtout les nanomédicaments pour lutter contre les cellules cancéreuses.

L'imagerie médicale, une révolution continue, janvier-février 2014

Les innovations en imagerie sont nombreuses. Elles sont soit en cours d'application médicale soit encore dans le domaine de la recherche. Quelques-unes sont citées :

- La technologie EOS permet de réaliser à la fois des radiographies de face et de profil, des pieds à la tête afin d'obtenir une image en 3D, utile à la chirurgie orthopédique.
- Une équipe lyonnaise met au point des techniques de tomographie X à l'échelle nanométrique, en faisant appel au rayonnement issu du synchrotron. Les images obtenues ont une meilleure résolution et les radiations sont moindres. Ces travaux ont permis d'explorer le réseau de lacunes et de canaux du tissu osseux.
- L'imagerie fonctionnelle par ultrasons permet de réaliser une image du cerveau entier en fonctionnement avec une grande résolution ; son application pourrait être utile par exemple chez les enfants prématurés.
- Les radioéléments peuvent être fixés sur des nanobodies (anticorps très petits) reconnaissant par exemple une molécule d'adhésion présente sur les cellules de la paroi des vaisseaux et

surexprimée dans les plaques d'athérome. La visualisation de ces plaques grâce au marquage radioactif serait possible.

- En IRM, une technique permet de s'affranchir des mouvements physiologiques, comme la respiration, donnant des images plus nettes.
- La magnétoencéphalographie repose sur la mesure du champ magnétique induit par les courants post-synaptiques des neurones activés ; ces applications seraient surtout pour le moment concentrées sur l'épilepsie.
- Le recours à de nouvelles molécules de ciblage spécifiques des tissus à étudier constitue une autre source de progrès, comme les aptamères, des oligonucléotides que l'on peut synthétiser sur commande. Ce nouveau type de ligands présente des propriétés d'affinité comparables à celles des anticorps. Marqués par une molécule fluorescente, ce sont de possibles agents de ciblage pour l'imagerie optique. Par exemple, deux aptamères ciblent des protéines surexprimées à la surface de plusieurs cellules cancéreuses de différentes origines.

Greffe – L'homme réparé, novembre-décembre 2011

De grands progrès ont été réalisés dernièrement. Par exemple aux USA, après avoir induit une tolérance via l'injection de cellules immunitaires du donneur, 8 greffés sur 12 ont pu arrêter leur traitement anti-rejet. C'est une avancée d'autant plus importante que les immunosuppresseurs utilisés pour l'implantation du greffon dans l'hôte induisent des infections et augmentent le risque de cancer chez les patients greffés.

Le grand problème de la greffe est le manque de greffon, et cela quelque soit l'organe à greffer.

En cardiologie où la greffe représente le traitement de l'insuffisance cardiaque, des recherches portent sur les thérapies cellulaires cardiaques qui consisteraient à injecter de nouvelles cellules musculaires dans les zones 'mortes' du myocarde. Pour cela, les meilleures cellules sont les cellules embryonnaires humaines qui ont la capacité de se transformer en cellules myocardiques. Une autre piste : la mise au point de cœurs artificiels.

D'autres pistes sont explorées pour les autres organes, comme :

- les nouveaux implants cochléaires insérés directement dans le tronc cérébral ;
- une paire de lunettes munie d'une caméra, qui transmet des images à un capteur situé à la surface de l'œil, qui, lui-même, envoie ces informations à une prothèse nantie de 60 électrodes, posée sur la rétine. L'implant stimule alors les neurones rétinien pour recouvrer une forme de vision ;
- la pompe à insuline pour remplacer le pancréas défaillant : les besoins en insuline, mesurés par capteur, sont dispensés par la pompe, via une canule, directement sous la peau ;
- une prothèse de la main bionique : des électrodes attachées aux muscles de l'avant-bras récupèrent les signaux nerveux générés par les nerfs, reflète des intentions de mouvements de la main. Un microprocesseur les traduit pour qu'une prothèse prenne le relais pour les réaliser ;
- un exosquelette capable d'amplifier les mouvements du corps. Lorsqu'un membre bouge, un capteur posé sur la peau le détecte et commande à la prothèse externe sur laquelle il est fixé d'accompagner le mouvement, chez les personnes dont les commandes motrices sont affectées.

Pour les cancers touchant les cellules sanguines, les thérapies cellulaires ont ouvert d'importantes perspectives, en greffant des cellules souches saines (auto-greffes, allo-greffes). Et d'autres applications de ces thérapies devraient émerger.

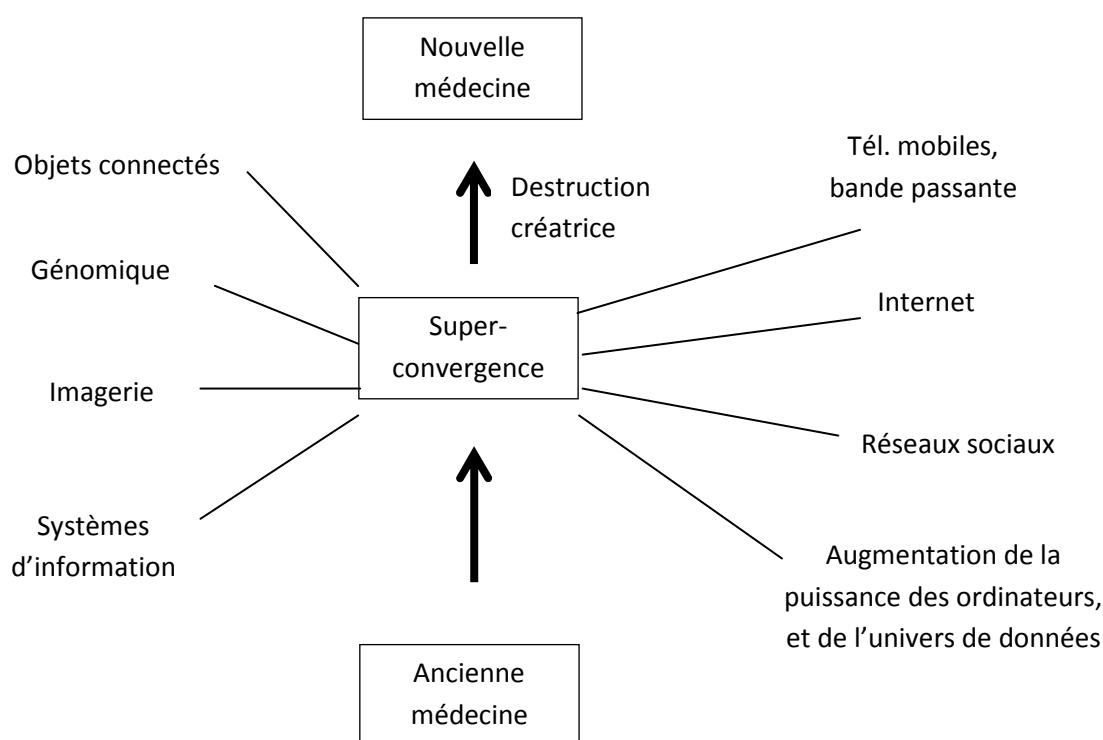
On doit aussi souligner dans ces domaines l'importance des questions éthiques, notamment dans la levée des freins au prélèvement des greffons.

Annexe 15: The creative destruction of medicine, Dr. Eric Topol, 2012

L'auteur est cardiologue, exerçant dans la Clinique Scripps et est professeur sur le génome à l'Institut de Recherche Scripps. Il a écrit de nombreux articles et livres sur la cardiologie à l'intention des médecins.

« Les médecins prescrivent des traitements qu'ils connaissent mal, pour soigner des maladies qu'ils connaissent encore plus mal, à des organismes humains auxquels ils ne comprennent rien » (Voltaire)

Le titre de l'ouvrage comme l'introduction se réfèrent à l'analyse de Schumpeter, le terme de destruction créatrice reflétant la transformation qui accompagne une innovation radicale. Et l'auteur voit dans la révolution numérique en cours un tel mouvement d'innovation, qui va toucher le secteur de la santé, pour le moment épargné (tant le secteur semble conservateur !). Cette révolution passera par les consommateurs s'ils se saisissent de cette occasion. Un autre facteur devant accélérer ce processus est la numérisation de l'humain, à travers la génomique, le recueil en continu de paramètres physiologiques (actuellement par des objets connectés, mais bientôt par des nanocapteurs à l'intérieur du corps), l'imagerie 3D... devant conduire à une médecine personnalisée, une médecine de l'individu et non de la population, y compris dans le domaine de la prévention.



En face, pour le moment, il y a une médecine sclérosée, avec paiement à l'acte, recommandations de bonnes pratiques basées sur la population moyenne, dépistages et traitements s'appliquant à tous de la même façon alors qu'il faudrait les adapter aux individus ; du coup, il y a surutilisation évidente ; on est dans une médecine imprécise.

Pour entrer dans le sujet, en effet, l'auteur souligne l'inadaptation des prises en charge et thérapeutiques actuelles, avec quelques exemples :

- médicaments pris en prévention, aux coûts élevés et dont les effets ne sont manifestes que pour une petite proportion de personnes. Par exemple les statines : sur 100 patients (sans antécédent) traités, seuls 1 ou 2 éviteront un accident cardiaque, alors pourquoi en donner à tout le monde ? (surtout que, pour quelques-uns, cela va enclencher un diabète...). Tout cela parce que les études prennent souvent comme objectif la baisse de LDL cholestérol, pas le taux d'accidents cardiaques.

Autre exemple : le Plavix, anti-coagulant comparé à l'aspirine... de même, 2 patients sur 100 bénéficient du traitement. Tous les patients ne répondent pas de la même façon, en fonction du métabolisme de Plavix dans le foie ; une analyse du gène concerné permet de savoir qui répondra le mieux (c'est le problème du principe « même dose pour tout le monde » !).

- efficacité comparée de la destruction d'un caillot dans l'infarctus du myocarde par deux types de médicaments : la streptokinase et le t-pA (tissue-plasminogen activator), beaucoup plus coûteux ; ce dernier sauve un patient sur 100 de mieux que la streptokinase. Et on ne sait pas pourquoi, on ne sait pas encore déterminer quels patients en bénéficient le plus.
- prévention des cancers après 50 ans : détection du cancer de la prostate par PSA (mauvais marqueur : nombreux faux positifs), cancer du sein (mammographie), cancer de l'intestin (coloscopie tous les 5 ans) pour TOUS ! Alors que la mammographie donne des faux positifs (environ 10%), impliquant biopsie, IRM... Avec un taux non nul (de 1 à 5 pour 1000) de surdiagnostic et de thérapeutiques agressives qui s'ensuivent et qui ne seraient pas nécessaires.
- questionnement sur le sérieux des évaluations : face à une statine (ezetimibe) dont l'efficacité est douteuse et qui a montré par ailleurs qu'elle augmentait le risque de développer le cancer, l'American College of Cardiology et l'American Heart Association (recevant toutes les deux de l'argent des industriels) ont déclaré que cette molécule était valable !
- stents (record : 67 stents posés sur un patient en 10 ans !) posés d'une manière excessive. Pour 1000 personnes, il y a 437 stents posés contre 192 en France. Qui a raison ? « La différence ne peut pas être simplement liée à la moindre consommation de vin rouge français ».
- sur le plan du comportement des consommateurs, on assiste à une ruée sur des traitements non évalués, en accès libre (vitamine E, omega 3...) ou des procédures interventionnelles non valables (exemple dans la SEP : dilatation des veines du cou).

Comment se sortir de ces mauvaises pratiques ? Le but étant d'arriver à une situation où on aurait le bon médicament, à la bonne dose, pour le bon patient, prescrit par le bon médecin, à un coût raisonnable...

Dans cette affaire, les capacités et connaissances du consommateur sont importantes de sorte qu'il puisse choisir de façon éclairée son traitement : enjeu de l'information de qualité, notamment sur le web et dans les réseaux sociaux, dont certains sont spécialisés dans la santé (ex : « PatientsLikeMe »). Sans compter le rôle des classements des hôpitaux.

La clé du changement : le recueil des données, l'accès à l'information

Recueil des données physiologiques, objets connectés

Des données au plus près des patients :

- Possibilité de recueillir des données par internet, mail, téléphone par exemple pour les hypertendus ; est citée aussi la balance Withings fonctionnant en wifi.
- Exemple déjà connu des pacemakers et défibrillateurs implantables : surveillance à distance.
- Monitoring en continu pour les diabétiques : avec une aiguille sous la peau de l'abdomen dosant le glucose et envoyant les données toutes les 5 minutes, pendant 3 à 7 jours pour contrôler le glucose et mieux le réguler, surtout pour le diabète insulino-dépendant. C'est une étape vers le pancréas artificiel.
- Troubles du rythme cardiaque : Holter connu depuis des décennies, et maintenant « iRhythm » : patch qui envoie les données au patient par mail, renvoyé au médecin pour interprétation.
- Signes vitaux : par exemple en obstétrique (« Airstrip ») donnant les signes de contraction utérine et le pouls du fœtus par smartphone en temps réel. Autre application avec le smartphone : télémonitoring de la pression artérielle comme en soins intensifs.

- Asthme : suivi à distance de l'utilisation de l'inhalateur ; patch pour détecter les pollens ; monitoring des signes vitaux pour détecter la réaction des bronches afin de prévenir une crise.
 - Diagnostic de l'apnée du sommeil : suivi du sommeil à domicile plutôt qu'au laboratoire hospitalier.
 - Pour les troubles dépressifs, il existe des applications pour détecter la tonalité de la voix au téléphone, qui caractérise l'humeur du patient.
 - Autres exemples de systèmes de recueil à distance : épilepsie, glaucome, maladie de Parkinson...
- Ces capteurs peuvent être intégrés au smartphone. Ils peuvent aussi contrôler la santé d'un conducteur (analyse du rythme cardiaque, du taux de glucose, du taux d'alcool dans l'haleine...).

Quels sont les objectifs du recueil de ces données à distance ?

- fixer les patients chez eux : concept de « smart medical home », surtout pour les personnes âgées, avec système de détection des chutes, etc. Enjeu de compatibilité technique entre les différents dispositifs de recueil.
- améliorer l'observance : appels par téléphone ou SMS, jusqu'au patch cutané contenant le médicament et le délivrant via un message d'activation à distance ; ou encore capteur intégré à chaque pilule s'activant lors du passage dans l'estomac et envoyant un message à un patch cutané puis au smartphone ; ou la « i Pill » qui peut être activée à distance pour délivrer le médicament à un certain endroit du tractus gastro-intestinal.
- faciliter la consultation virtuelle du médecin, en substitution à la consultation en face à face : à New York ou San Francisco, un système a été mis en place pour que les patients puissent échanger avec leur médecin par mail, SMS, vidéo ; la consultation face à face n'a lieu que moins d'une fois par an.

Séquençage du génome des patients

Trois intérêts sont évoqués :

- Diagnostic des maladies monogéniques, ouvrant des perspectives de traitement (exemple de la mucoviscidose provoquée par une mutation précise et pour laquelle est développé un traitement ciblé)
- Facteurs de susceptibilité de maladies : important pour le cas de maladies transmissibles à ses enfants ; ou pour mettre en place des mesures de prévention et de surveillance pour éviter ou retarder la réalisation du risque. Dans ce cas, le séquençage permet d'effectuer une prévention ciblée.
- Les critiques portent sur les corrélations existantes entre le risque de développer un cancer (ou autre affection) et la présence de tel ou tel gène. Il y a un manque de consensus bien souvent. Mais il est devenu clair que le cancer est moins une maladie d'un organe qu'une affection touchant le génome et les voies métaboliques.
- Se posent cependant des problèmes d'interprétation des données : qui le fait ? quel accès pour le patient ?...
- Pharmacogénomique : en fonction du profil génétique, identification des répondants et des non répondants, adaptation de la posologie... permettant la réalisation d'économies (contrairement à la « médecine de masse ») et la diminution des effets secondaires.

En effet, des molécules anticancéreuses ne sont efficaces que chez certains patients portant un gène particulier ; pour les autres patients, ce traitement est inutile et... onéreux, sans parler des effets secondaires.

Dans le cas des traitements anticancéreux, on s'oriente vers le séquençage de l'ensemble de l'exome (=gènes exprimés) pour cibler les traitements.

Puis suivent les analyses du transcriptome (ARN transcrits), l'épigénomique (expression différentielle de l'ADN en fonction des cellules) et le microbiome (flore intestinale) qui apparaît avoir un rôle important dans le métabolisme, dans l'obésité...

Anatomie : de l'imagerie 3D à « l'impression » d'organes

- Les examens avec radiations ionisantes impliquent une exposition aux radiations (notamment scanner) et ne peuvent être utilisés en prévention, d'autant que le coût est important
- RMN et autres imagerie... devenues si performantes que certains pensent imprimer des organes en 3D ! Dans un futur lointain... car il n'y a pas que la forme de l'organe à imprimer, il faut que l'organe fonctionne réellement.

Dossier médical électronique et système d'information de santé

- Devraient permettre d'améliorer l'efficacité des traitements et de diminuer les erreurs médicales.
- Inclure les données dans un nuage ? Deux questions se posent alors :
 - les données resteraient-elles privées et sécurisées ?
 - le volume de ces données de patients va rapidement devenir gigantesque.

Convergence des données

Rôle central du Smartphone, avec plusieurs combinaisons possibles :

- combinaison objets connectés/génomique : mise en place d'un nanocapteur pour ceux dont le génome a montré des prédispositions aux crises cardiaques ; autres types d'application en cancérologie (détection d'ADN ou de cellules cancéreuses dans le sang pour ceux qui sont prédisposés à ce type de maladie), pour surveiller le rejet de greffe, pour surveiller le diabète de type I, l'asthme, etc.
- combinaison génomique/développement de médicaments, via par exemple les cellules souches : elles peuvent se différencier en cellules d'organe à étudier ; s'il existe une anomalie visualisée in vitro, celle-ci pourrait être testée vis-à-vis d'un médicament, d'où choix d'un médicament approprié.
- la « peau électronique » : une puce électronique insérée dans la peau permet de mesurer différents indicateurs (rythme cardiaque, etc.)
- diagnostic d'anomalie génétique en pré-natalité en séquençant le génome en prénatal.

Quel avenir pour la médecine ?

La place des médecins

Les médecins ont du mal à s'adapter (en général !) ; il faudrait donc lever de nombreux obstacles : changer la formation initiale et la formation continue en donnant une large place au numérique (avec des webinaires, etc.), s'intéresser à la démographie médicale (orientation vers le travail en équipes), à la manière de payer les médecins (le paiement à l'acte est un puissant frein aux évolutions), diffuser des données comparatives d'évaluation à destination des consommateurs, faire évoluer la consultation médicale (la moitié des consultations en face à face serait inutile) vers des consultations de support avec email sécurisé, SMS, réseaux sociaux (qui constituent aussi un outil de coordination des soins entre professionnels), etc. et en développant la télémédecine (« skype »...) ; il existe déjà des nouveaux modèles comme « Hello Health » avec des consultations via vidéo sur le net (on paye un droit d'entrée plus 100 à 200\$ par heure en ligne), ou « One medical group » constitué d'un

groupe de médecins encourageant l'utilisation de l'email et du téléphone sur abonnement (200\$ par an).

Il se posera toutefois des problèmes de responsabilité médicale, à résoudre.

Les industries de la santé (essentiellement l'industrie pharmaceutique)

En difficulté à cause du développement des génériques, de la diminution du nombre de nouvelles molécules mises sur le marché et de l'augmentation des coûts de la R&D.

Trois évolutions sont discutées :

- La wikimédecine : pour les études cliniques, pour les collaborations de recherche entre l'université et les industriels, avec une plus grande transparence, une diminution du coût des études (en ciblant mieux les patients, en pouvant travailler sur de petits échantillons).
- Le modèle de garantie de résultat : devant le coût de plus en plus élevé des traitements, on peut demander de payer au résultat. Et cela est rendu possible avec l'adaptation des traitements en fonction du génome, la diffusion de capteurs, la précision de l'imagerie, etc. surtout dans les maladies fréquentes comme l'HTA, le diabète, le cancer, l'Alzheimer. Il devient possible de mesurer l'effet d'un traitement.

Ces techniques sont aussi précieuses pour une pharmacovigilance réactive (cf. apport de Google dans la détermination du début de l'épidémie grippale...).

Elles peuvent aussi permettre d'améliorer l'observance.

- Nouvelles méthodes de marketing et de ventes basées sur le numérique : utilisation de réseaux sociaux ; être au plus près de la prescription et de ses effets.

En conclusion

Les conséquences des nouvelles technologies, la « numérisation » de l'individu, la convergence des techniques pourraient permettre :

- une « vraie » prévention, avec un meilleur ciblage et une action sur la cause : cf. exemple du cancer du col de l'utérus et du papillomavirus contre lequel on peut vacciner ; dépistage des maladies génétiques (séquençage du génome chez le fœtus ?) ; profil pharmacogénomique.
- dans les hôpitaux : un besoin de soins hospitaliers en diminution, restreint aux soins intensifs et au monitoring (donc diminution du coût), avec transfert de la surveillance des maladies chroniques à domicile.
- on pourrait s'attendre à 50-70% des consultations remplacées par le monitoring à distance, l'enregistrement numérique des données, des appels téléphoniques, des téléconsultations.

La médecine du futur pour les patients se baserait sur 3 piliers : son génome, son téléphone mobile et les réseaux sociaux (pour échanger avec sa communauté sur sa santé, ses données, s'encourager, indiquer les traitements prometteurs, leurs effets secondaires...), le tout étant enrichi par les données physiologiques et anatomiques.

Pour accélérer les choses, pour une démocratisation de la médecine, il faudrait un mouvement actif des consommateurs, pour contrer le conservatisme du corps médical et des institutions, pour refuser la médecine de masse.

Quelques difficultés des évolutions évoquées sont soulevées :

- Diminution du contact humain : les patients se satisferont-ils d'une médecine virtuelle où l'on traite un ensemble de données ? ne risque-t-on pas une dépersonnalisation des soins ?
- Le déluge de données pose plusieurs problèmes :

- problèmes de standards partagés et d'interopérabilité
- problèmes d'exploitation des données
- protection de ses données de santé, de la vie privée
- protection contre le piratage
- augmentation de la cyberchondrie ?
- problèmes éthiques :
 - par exemple sélection de gènes pour la procréation (risque d'eugénisme)
 - syndrome de « Big Brother » de la personne surveillée dans son lit 24h/24, engendrant une dépression
 - risque d'accroissement des inégalités de santé via des inégalités d'accès à ces techniques

Une autre question : est-ce qu'on pourra un jour se passer des médecins (malgré leur utilité relationnelle et psychologique pour les patients) ? Il y aura en tout cas une meilleure parité de l'information en lieu et place de l'actuelle asymétrie d'information.

Liste des documents disponibles sur le site du HCAAM¹²²

Document 1 : Rétrospective des dépenses, des progrès en matière de santé et du progrès médical (*séance du 24 septembre 2015*)

Document 2 : Les systèmes de veille en France et à l'étranger

- Mettre en place un système de veille ambitieux (*séance du 28 janvier 2016*)
- Les dispositifs de veille existants dans le monde (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 3 : L'évaluation médicoéconomique

- Mieux définir la place de l'évaluation médicoéconomique (*séance du 28 janvier 2016*)
- Quelques éléments sur le Royaume-Uni (*séance du 22 janvier 2015*)

Document 4 : Les politiques de soutien et d'aide à l'innovation dans le secteur de la santé (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 5 : La place du citoyen et du patient dans le processus d'innovation en santé (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 6 : Ressources humaines et organisation du travail en santé : constats et conditions pour l'émergence et la généralisation des innovations organisationnelles (*contribution de Yann Bourgueil, Directeur de recherche à l'IRDES, séance du 23 avril 2015*)

Document 7 : Un cadre favorable à la transformation des organisations (*séance du 22 octobre 2015*)

Document 8 : L'organisation de parcours de soins : l'apport des expériences étrangères pour passer du concept aux actions (*contribution de David Bernstein, séance du 22 octobre 2015*)

Document 9 : Personnes âgées, état de santé et dépendance : quelques données statistiques (*séance du 23 avril 2015*)

- Personnes âgées et perte d'autonomie
- Santé des personnes âgées : données statistiques

Document 10 : L'hôpital demain (*séance du 28 mai 2015*)

- Perspective organisationnelle et technologique de l'hôpital (*contribution de l'EHESP*)
- Les plateaux techniques (*contribution de l'ANAP*)
- Penser l'hôpital de demain (*contribution de Gérard de Pouvourville, Professeur de la chaire ESSEC santé*)

Document 11 : Le numérique

- Utiliser le levier du numérique (*séance du 24 septembre 2015*)
- Le Danemark, un exemple de stratégie de déploiement des outils de télésanté et de prise en charge globale des personnes âgées (*séance du 23 avril 2015*)

Document 12 : L'administration des dispositifs médicaux (*séance du 28 janvier 2016*)

Document 13 : Les équipements lourds d'imagerie (*séance du 28 janvier 2016*)

¹²² <http://www.securite-sociale.fr/L-actualite-du-HCAAM>

Document 14 : Structure de l'ONDAM et modalités de régulation (*séance du 25 février 2016*)

Document 15 : Expérimenter des modalités innovantes de financement (*séance du 25 février 2016*)



Haut Conseil pour l'avenir
de l'assurance maladie

Créé par décret du 7 octobre 2003, pérennisé par la loi du 19 décembre 2005 de financement de la sécurité sociale pour 2006, le Haut Conseil pour l'avenir de l'assurance maladie (HCAAM) rassemble les acteurs du système d'assurance maladie et des personnalités qualifiées, et contribue à une meilleure connaissance des enjeux, du fonctionnement et des évolutions envisageables des politiques d'assurance maladie. Les travaux du HCAAM (rapports et avis), élaborés sur la base d'un programme de travail annuel et de saisines ministérielles, sont publics et peuvent être consultés sur le site Internet de la sécurité sociale.

**Dernières publications
et actualités du HCAAM**
[www.securite-sociale.fr/
L-actualite-du-HCAAM](http://www.securite-sociale.fr/L-actualite-du-HCAAM)

Contact

hcaam@sante.gouv.fr - 01.40.56.56.00

Adresse postale HCAAM

14 avenue Duquesne - 75350 PARIS 07 SP

Locaux HCAAM

18 place des Cinq Martyrs du Lycée Buffon
75696 Paris cedex 14

Le HCAAM
est membre du réseau



FRANCE STRATÉGIE
ÉVALUER. ANTICIPER. DÉBATTRE. PROPOSER.