Le rôle de la Commission de la transparence de la HAS dans la pertinence de l'admission au remboursement des médicaments par l'Assurance maladie

Gilles Bouvenot
Président de la Commission de la transparence
Membre du Collège de la Haute Autorité de Santé

La Commission de la Transparence (CT) de la Haute Autorité de Santé (HAS) est une commission consultative de 26 membres, professionnels de santé en exercice. Parmi ses missions, une est de se prononcer sur le bien-fondé de la prise en charge des médicaments par la solidarité nationale et leur agrément aux collectivités via un critère réglementaire d'évaluation appelé Service Médical Rendu ou SMR. Une autre, en cas d'avis favorable à cette prise en charge, est de dire si ce médicament apporte ou non un progrès thérapeutique par rapport à l'existant et de quantifier cet éventuel progrès en utilisant un second critère réglementaire : l'Amélioration du Service Médical Rendu ou ASMR.

Le niveau de SMR attribué à un médicament dont la firme exploitante souhaite l'inscription sur la liste des médicaments remboursables conditionne non seulement l'avis favorable ou non à sa prise en charge, mais encore est-il assorti d'une proposition de taux de remboursement. C'est ainsi qu'à un SMR important correspond une proposition de taux de remboursement de 65 %, à un SMR modéré un taux de 30 % et à un SMR faible un taux de 15 %. Lorsque la CT se prononce en faveur d'un SMR insuffisant, elle émet du même coup un avis défavorable au remboursement. L'ASMR attribuée décline en cinq niveaux : ASMR I : progrès majeur ; ASMR II : progrès important ; ASMR III : progrès modeste ; ASMR IV : progrès minime ; ASMR V : pas de progrès. Il contribue, pour partie, à la fixation des prix des médicaments. Enfin, la CT a aussi mission de définir et de quantifier, pour tout médicament, la population cible des patients qui en seront justiciables et, éventuellement, celle des patients les plus susceptibles d'en bénéficier.

Les avis de la CT, consultatifs, sont destinés au Comité Économique des Produits de Santé (CEPS) organisme interministériel qui fixe les prix des médicaments, au Directeur général de l'Union Nationale des Caisses d'Assurance Maladie (UNCAM) qui fixe le taux du remboursement et au Ministre qui, *in fine*, décide de la prise en charge ou non. La CT est donc, dans notre pays, une instance clé pour l'admission au remboursement des médicaments par l'Assurance maladie et par conséquent pour l'accès des patients à la meilleure qualité possible des soins. Aussi, la pertinence de ses avis conditionne-t-elle, pour une grande part, celle de l'admission au remboursement du médicament en France. Nous présentons, dans les lignes qui suivent, les principes, les méthodes et les outils permettant à la CT de garantir cette pertinence.

La CT intervient en aval des autorités d'enregistrement qui octroient l'autorisation de mise sur le marché et en définissent le libellé précis. Pour remplir ses missions, elle s'appuie sur un cadre réglementaire, des données scientifiques et médicales, une méthodologie et un raisonnement qui constituent sa doctrine. Dans les dix dernières années, son niveau d'exigence s'est accru,

tenant compte en particulier de l'évolution de l'environnement scientifique et médical qui se caractérise par une pharmacopée plus étoffée couvrant une majorité de besoins thérapeutiques, ainsi que par des exigences méthodologiques plus rigoureuses lors de l'élaboration de la preuve scientifique.

I. Pluridisciplinarité, pluralité, indépendance, transparence

La CT est une commission pluridisciplinaire de professionnels de terrain qui placent, dans leurs débats comme dans leurs votes, le patient au centre de leurs préoccupations et au centre du système de soins pour en améliorer la qualité. La pluralité (26 membres) permet de surcroît l'expression d'un large éventail de points de vue et d'expertise. Mais ce qui importe le plus, dans l'esprit de la loi du 13 août 2004 créant la Haute Autorité de Santé indépendante, c'est l'exercice de cette indépendance de la manière la plus rigoureuse, tant vis-à-vis des pouvoirs publics que des organismes payeurs, des industriels du médicament ou des instances professionnelles, pour rendre des avis les plus impartiaux possibles. Le principe appliqué est que si des liens entre des membres et des laboratoires ne sont pas interdits, les membres peu nombreux qui ont de tels liens avec le laboratoire exploitant un médicament en évaluation ou avec ceux exploitant ses concurrents, ne participent ni aux débats ni aux votes. Le principe retenu est donc celui de : « zéro lien » avec le sujet traité. Les mêmes règles s'appliquent aux experts extérieurs apportant leur concours à la Commission, sauf dans les cas exceptionnels des indications correspondant à des maladies rares : les responsables des centres de références étant les seuls à même de bien connaître ces maladies et leurs stratégies de prise en charge, sont alors sollicités pour éclairer la CT sur la pathologie plus que sur l'évaluation du produit. Par ailleurs, l'instruction des dossiers par un service de la HAS sans lien avec les entreprises du médicament, assure un exposé des données disponibles sans biais de lecture. Une garantie supplémentaire touchant à la pertinence des avis scientifiques (purement médicotechniques) rendus tient à ce que, pendant et au terme de leurs débats, les membres de la CT n'ont à se préoccuper que de porter un jugement sur les performances médicales du médicament et d'optimiser la prise en charge des patients, non de se préoccuper du coût que la mise à disposition des nouveaux médicaments est susceptible d'induire. S'il n'en était pas ainsi, on imagine de quelle suspicion de mélange des genres et d'arrière-pensées comptables leurs conclusions feraient l'objet. Enfin, une transparence rigoureuse des procédures et des débats (votes à main levée, enregistrement des séances, droit d'identification et d'explicitation des avis minoritaires, publication des comptes rendus des débats sur le site de la HAS, large publicité des avis et de leurs synthèses…) ne permettent pas de douter de cette indépendance en même temps qu'elle étaie la fiabilité des avis.

II. Nature des principaux déterminants de l'évaluation du SMR par la CT

Dans l'appréciation du SMR d'un médicament, la CT accorde une grande importance à la gravité de la maladie à traiter, à l'existence ou non d'alternatives thérapeutiques dans le domaine (le besoin thérapeutique est-il couvert ou non par les médicaments déjà

disponibles ?), mais aussi et surtout aux performances de ce nouveau médicament, essentiellement sa « quantité d'effet », et aux preuves apportées pour les démontrer. À noter que le SMR d'un médicament s'apprécie notamment au regard des autres thérapies disponibles.

Pour ce qui est de la gravité de la maladie à traiter, des SMR modérés (taux de 30 %) ou faibles (taux de 15 %) sont souvent attribués à des médicaments destinés à traiter des affections dépourvues de gravité. À l'inverse, un médicament de performances modestes ne peut prétendre à un SMR important au seul prétexte que la maladie à traiter est grave. C'est ainsi que certains traitements de cancers n'ont obtenu que des SMR faibles, eu égard à la médiocrité de leurs effets, par exemple un mois seulement de prolongation de vie au regard de la survenue d'effets indésirables délétères pour la qualité de vie des patients.
La notion de quantité d'effet, élément essentiel de l'appréciation des performances d'un médicament par la Commission, ne remet jamais en cause un rapport bénéfice/risque favorable apprécié par les autorités d'enregistrement, seules légitimes en ce domaine. Elle représente la quantité d'efficacité exprimée préférentiellement en réduction du risque absolu (et non relative) d'un critère de morbidité ou de mortalité (critères fiables ayant un sens fort pour les patients), observée et prouvée par les études réalisées avec le médicament. Cette quantité d'effet ne saurait s'abstraire de la notion de pertinence clinique de l'effet observé : en effet, il ne suffit pas que le « plus » observé soit statistiquement significatif, encore doit-il être cliniquement pertinent. La quantité d'effet s'apprécie au regard du critère de jugement choisi qui doit être le plus « clinique » possible. Ainsi, un critère intermédiaire, telle une variable biologique, a moins d'intérêt pour le patient qu'une modification de son handicap ou la réduction de son risque de voir survenir une complication de sa maladie, y compris une issue fatale.
Toutes les allégations de l'industriel relatives au médicament évalué doivent être scientifiquement démontrées. Les données remises par l'entreprise exploitant le médicament sont analysées selon les critères de la médecine fondée sur les preuves (*Evidence-Based Medicine*). En cas d'essais de non-infériorité d'un nouveau médicament par rapport au médicament de référence déjà disponible sur le marché, la Commission est très attentive au choix du seuil de non-infériorité choisi, afin d'éviter toute perte de chances pour les patients. Il importe toujours, en outre, de déterminer la transposabilité des résultats fournis dans les essais au système de soins français.

III. Eléments de doctrine de la CT en matière de SMR

Il résulte de l'utilisation des critères *objectifs et vérifiables* de l'évaluation des médicaments par la CT qu'un certain nombre de facteurs sont identifiables comme pouvant conduire à l'attribution d'un SMR insuffisant : une quantité d'effet très minime sans pertinence clinique au regard d'effets indésirables notables ; un niveau d'efficacité dont la démonstration manque de fiabilité ; une efficacité seulement démontrée dans une population autre que celle qui correspond à l'autorisation de mise sur le marché ou démontrée dans une population dont la transposabilité à la population effectivement ciblée n'est pas certaine ; une absence de place dans la stratégie thérapeutique des affections visées par ses indications ; une indication correspondant à une pathologie ou à un symptôme à traiter bénin ou spontanément curable ; l'existence d'alternatives thérapeutiques (médicamenteuses ou non) ayant fait la preuve d'une efficacité plus fiable, plus importante ou dont les effets indésirables sont moins graves, le nouveau médicament étant alors susceptible d'induire une situation de perte de chance pour les patients ; une association de médicaments à doses

fixes peu compatible avec une prise en charge adaptée à des situations pathologiques évolutives ou à des besoins thérapeutiques variables dans le temps.

A contrario, contribuent à l'attribution d'un SMR suffisant : une démonstration méthodologiquement fiable d'une efficacité dont la quantité d'effet est notable pour le patient ; une démonstration d'efficacité réalisée sur un critère clinique de morbi-mortalité (exceptionnellement sur un critère intermédiaire) ; une place reconnue du médicament dans la stratégie thérapeutique au regard de la maladie concernée ; une maladie grave, mais en rappelant que la gravité de la maladie ne permet pas de justifier à elle seule d'un SMR suffisant (les performances du médicament constituant l'élément essentiel de l'appréciation) ; des alternatives peu nombreuses ou absentes (besoin thérapeutique insuffisamment couvert ou non couvert) ; un médicament sans démonstration de supériorité par rapport à l'existant, mais dont la tolérance est supposée meilleure ou le mécanisme d'action, différent, laisse présager une alternative intéressante chez les patients non répondeurs ou intolérants aux traitements disponibles.

IV. Détermination de l'Amélioration du Service Médical Rendu

L'ASMR attribuée résulte d'une évaluation du progrès thérapeutique ou diagnostique apporté par le nouveau médicament en termes d'efficacité ou de tolérance par rapport aux thérapies existantes : elle mesure la valeur médicale ajoutée du nouveau médicament et le progrès qu'il apporte dans le contexte thérapeutique du moment. Cette appréciation ne constitue donc qu'un instantané dans un environnement évolutif. Apprécier l'ASMR présuppose qu'un comparateur « pertinent » a été identifié par la Commission. Ce comparateur peut être un médicament, un dispositif, un acte ou toute autre thérapie (ou méthode diagnostique) non médicamenteuse dès lors qu'il se situe à la même étape de la stratégie thérapeutique que le nouveau produit. Le calendrier des développements des médicaments est pris en compte : si deux médicaments ont été développés dans des temps simultanés ou en chevauchement, et si le premier constitue la « référence », l'absence de comparaison directe est acceptée. Si un comparateur pertinent existe, le fait que le nouveau médicament ait été seulement comparé à un placebo n'est pas acceptable. La situation idéale est celle d'une comparaison directe avec la référence prenant en considération un critère clinique pertinent pour le malade, une quantité d'effet notable et une démonstration fiable. En l'absence de comparaison directe, une comparaison indirecte, réalisée sur des bases méthodologiques définies par la HAS peut être prise en compte.

Une non-infériorité démontre l'absence de progrès ; elle traduit l'absence d'ASMR (niveau V). En cas de supériorité démontrée, l'importance de la différence observée permet de choisir entre quatre niveaux d'ASMR : mineur (IV), modéré (III), important (II), majeur (I). Un progrès thérapeutique majeur s'entend pour des médicaments qui ont démontré une très notable efficacité sur la mortalité dans la prise en charge d'une maladie grave. Les autres niveaux d'ASMR, mineur, modéré, important viennent semi-quantifier le surcroît d'intérêt clinique en termes d'efficacité ou de tolérance, selon son intensité. Cependant, à la date d'examen des dossiers de demande d'inscription, l'absence de recul ne permet que rarement de se prononcer de manière formelle sur une

meilleure tolérance à moyen ou long terme. En cas de doute, c'est l'intérêt du malade qui prime dans l'esprit de la commission.
Des modalités nouvelles d'administration, de galénique…, peuvent être considérées comme des progrès s'il en résulte une amélioration clinique réelle pour le patient.

V. Gestion dynamique du panier de biens et services remboursables

Dans le cadre de la réévaluation quinquennale systématique des médicaments inscrits sur la liste des médicaments remboursables, ou à tout moment si l'évolution du contexte scientifique et médical le réclame, ou encore suite à une saisine des pouvoirs publics, la CT peut être amenée à donner un avis défavorable au maintien de tel ou tel médicament ou de telle ou telle classe pharmaco-thérapeutique sur la liste des médicaments remboursables. Il s'agit alors de remplir sa mission de gestion dynamique du panier de biens et services remboursables inscrite dans la loi du 13 août 2004 portant réforme de l'Assurance maladie, en vue de permettre d'affecter prioritairement les financements collectifs à la prise en charge des traitements les plus performants et les plus utiles, quitte à déclasser ceux dont l'efficacité (pour la CT) et l'efficience (pour la HAS) sont les plus discutables. C'est ainsi que, ces dernières années, certains groupes de médicaments ont été « rétrogradés » voire se sont vu attribuer un service médical rendu insuffisant. Ils ont été proposés au déremboursement du fait de l'arrivée ou de l'existence de produits plus récents et plus performants ou en considération de la médiocrité de leurs performances intrinsèques. Les déremboursements auxquels ces réévaluations ont conduit – et dont l'impact financier a été faible au regard du coût des inscriptions des nouveaux produits –, n'ont nullement nui à la qualité de la prise en charge de la population et s'inscrivent dans un système privilégiant l'accès des patients au vrai progrès thérapeutique. Dans d'autres cas, tout aussi fréquents, la CT est amenée non à proposer le déremboursement d'un médicament, mais à le « dégrader » tant dans son niveau de SMR que dans son niveau d'ASMR, comme il en est résulté par exemple, de la réévaluation des médicaments de la maladie d'Alzheimer en 2011, passées de SMR important à SMR faible et d'ASMR III à d'ASMR V.

VI. Les grains de sable

Une certaine frustration de la CT résulte du fait que, quel que soit le niveau de SMR attribué à un médicament destiné à traiter une maladie figurant au nombre des Affections de Longue Durée (ALD), le taux de prise en charge est le même : 100 %. Si les membres de la CT ne peuvent que se réjouir du caractère exonérant de ces maladies, on ne voit pas bien, en revanche, ce qu'apporte pour ce type de produits une évaluation du SMR (en dehors du cas rarissime d'un SMR insuffisant) aussi discriminante que celle réalisée. En matière de traitement des ALD, le SMR octroyé traduit fidèlement la valeur intrinsèque d'un médicament et son image, mais seule l'ASMR aura des conséquences.
L'objectif de la commission, lorsqu'elle émet un avis favorable au remboursement d'un nouveau médicament par la solidarité nationale, est que la mise à disposition de ce médicament améliorera la qualité de la prise en charge des patients. Mais cela n'est parfois qu'un vœu pieux, pour des raisons qui lui échappent ou qui lui sont étrangères.
Il y a d'abord le cas des nouveaux médicaments qui, bien que n'apportant pas de progrès démontré par rapport à l'existant, sont pourtant susceptibles de présenter un intérêt pour certains

patients résistants ou intolérants aux produits plus anciens ou chez qui ces produits plus anciens sont contre-indiqués. À ces nouveaux médicaments, la CT ne peut attribuer qu'une ASMR de niveau V, ce qui signifie, au regard du Code de la Sécurité sociale, que n'apportant pas de progrès, leur prix doit induire des économies pour l'Assurance maladie. Autant dire que, suite aux négociations de prix, ils ne sont pas toujours mis à disposition. Sans compter que certaines commissions médicales d'établissement sont allées jusqu'à donner pour consigne à leur Comité du médicament de ne pas agréer, dans l'établissement de leur ressort, les produits n'ayant obtenu qu'une ASMR de niveau V. Ce sont quelques-uns de ces médicaments que la CT dénommait naguère des « alternatives utiles » (en particulier lorsqu'ils agissent selon un mécanisme d'action différent et nouveau et sont donc de ce fait susceptibles d'améliorer la prise en charge des patients), terme et concept dont la Cour des comptes a demandé récemment l'abrogation.

A contrario, la CT répugne à donner des avis favorables au remboursement des me-too, qui sont des équivalents chimiquement très proches de produits déjà disponibles et de même indication thérapeutique et qui ne constituent un progrès en aucune manière. Ils ne font souvent qu'encombrer notre pharmacopée déjà pléthorique et satisfaire l'engouement bien connu des prescripteurs et des patients français pour ce qui est nouveau et pas forcément meilleur ; car il n'en va pas des médicaments comme des téléviseurs ou des machines à laver : le plus récent n'est pas systématiquement le meilleur. Ces me-too, régulièrement stigmatisés par bon nombre de responsables politiques, d'organismes payeurs et d'associations d'usagers, sont théoriquement censés induire des économies pour l'Assurance maladie du fait de leurs prix qui devraient être moins élevés que ceux de leurs prédécesseurs. En réalité, leur coexistence avec les produits disponibles, comme les effets du marketing dont ils bénéficient lors de leur lancement, accroissent notablement la pression sur le nombre global des prescriptions, pas toujours justifiées, au sein des classes pharmaco-thérapeutiques auxquelles ils appartiennent. C'est ce qui a été décrit pour les statines. Sans compter qu'ils peuvent parfois constituer de véritables contournements de génériques dès lors que leurs « équivalents » plus anciens ne sont plus protégés par leur brevet. Or, la CT est tenue de résister à la tentation de leur attribuer un SMR insuffisant. Si tel n'était pas le cas, un recours en Conseil d'État contre les décisions ministérielles prises sur ses avis serait solidement étayé au titre de la libre concurrence dans l'Union Européenne et au motif de rupture d'équité de traitement par la HAS entre médicaments équivalents. En tout cas, l'actuelle rédaction du Code de la Sécurité sociale n'implique pas de récuser les nouveaux produits ne faisant pas mieux que les produits disponibles et n'encourage pas la CT à donner un avis défavorable à l'inscription des médicaments ne méritant qu'une ASMR V. Le problème posé par l'admission au remboursement de ce type de produits ne sera donc résolu que lorsque les pouvoirs publics auront clairement affiché leur détermination à ne prendre en charge que ce qui est meilleur que l'existant plutôt que ce qui est seulement non inférieur. Aussi, la question de savoir si les patients français ont réellement besoin de disposer de 5 statines, de 13 inhibiteurs de l'enzyme de conversion ou de 7 antagonistes de l'angiotensine (sartans) dans le traitement de l'hypertension artérielle, est-il toujours en suspens : d'un côté le principe de l'égalité de traitement entre médicaments plaide en faveur de la pléthore, de l'autre le fait que la couverture du besoin thérapeutique est déjà assurée avec les médicaments plus anciens autoriserait de se dispenser de prendre en charge les plus récents. Si donc les pouvoirs publics faisaient

du critère « couverture du besoin thérapeutique » un des critères constitutifs forts du SMR, il en résulterait une simplification notable de notre arsenal thérapeutique et une plus grande pertinence des prescriptions sans pour autant que la qualité de la prise en charge des patients soit mise en péril. À tout le moins, les me-too devraient davantage contribuer à tirer les prix vers le bas.

Une autre difficulté tient au problème du contrôle, par les Caisses d'Assurance maladie, du respect, par les prescripteurs du caractère « partiellement » remboursable de certains médicaments. C'est par exemple le cas lorsqu'un médicament s'est vu octroyer par l'AMM plusieurs indications thérapeutiques. La CT doit alors se prononcer sur le bien-fondé du remboursement du médicament dans chacune des indications, ce qui peut aboutir à l'octroi conjoint de niveaux de SMR différents pour un même produit, voire à l'octroi d'un SMR insuffisant dans une indication et de SMR « suffisants » et parfois à des taux différents dans les autres. Il arrive aussi – non exceptionnellement – que la CT se prononce en faveur d'un périmètre de remboursement beaucoup plus restreint que celui de l'AMM. Dans ces situations, soit pour des raisons tenant au contenu du dossier du médicament soumis par la firme pharmaceutique, soit pour des motifs de bon usage, la CT définit une sous-population « restreinte » qu'elle considère comme la mieux à même de bénéficier du produit et donc du remboursement. Un exemple récent en a été fourni par le traitement médicamenteux du syndrome dit des jambes sans repos. Parce que les médicaments indiqués dans le traitement de ce syndrome sont aussi des médicaments de la maladie de Parkinson aux effets indésirables fréquents et parfois redoutables, parce que ces médicaments n'ont qu'un effet modeste dans le syndrome des jambes sans repos et parce que la très grande majorité des patients qui en sont atteints ne souffrent que de formes légères de ce syndrome, la CT n'a proposé, pour des raisons de santé publique , leur remboursement que dans les formes très sévères, lesquelles sont très minoritaires. Par ailleurs il arrive que, pour des raisons tenant à des exigences de qualité et de sécurité des soins, l'avis favorable au remboursement de la CT soit assorti de conditions concernant la qualification ou la compétence des prescripteurs, l'environnement technique ou l'organisation des soins. Mais qui s'assure de la conformité des prescriptions aux préconisations de la CT ? Et, d'une manière générale, en cas de périmètre de remboursement restreint, est-on réellement assuré que la mention NR (non remboursable) figure bien sur l'ordonnance lorsque le patient traité n'entre pas dans le cadre de la population cible de la prise en charge ? Ce problème est, en revanche, presque résolu dans le cas des médicaments d'exception. Leur coût représentant un enjeu économique important, ils ne peuvent, en effet, être pris en charge que si leur prescription est rédigée sur une « ordonnance de médicaments d'exception » attestant de (garantissant ?) l'adéquation de la prescription aux indications thérapeutiques, posologies et durées du traitement retenues dans la fiche d'information thérapeutique rédigée par la CT, publiée au JO et fournie à cet effet au prescripteur. Mais peut-on n'être strict que pour des motifs économiques et pas pour des raisons de santé publique et de bon usage ?

Il arrive aussi que la commission ne puisse se prononcer, faute de données suffisantes. C'est en particulier le cas de certains médicaments d'homéopathie dont les indications thérapeutiques ne sont pas définies et dont les revendications d'efficacité ne sont pas étayées par des preuves scientifiques.

Un dernier sujet à ne pas occulter est celui de l'inscription ou non, sur la liste en sus, de certains médicaments agrées aux collectivités particulièrement coûteux. Chacun sait qu'un médicament coûteux non inscrit sur la liste en sus, suite à l'avis du Conseil de l'hospitalisation, n'a que peu de chances, sinon aucune, d'être disponible pour les patients : à la différence des médicaments

inscrits sur la liste en sus, il est « à la charge » de l'établissement. Or, parmi les critères sur lesquels se fonde le Conseil de l'hospitalisation pour l'inscrire ou non il y a, avec l'absence d'alternative thérapeutique, le niveau d'ASMR octroyé par la CT et ce niveau d'ASMR doit être d'au moins III. Ce tri a le mérite d'être rationnel ; est-il judicieux pour autant ? Ici, la CT n'a pas la main.

VII. Conclusion

Pour l'admission des médicaments au remboursement par la solidarité nationale, la France a fait le choix de l'inscription sur une liste positive exhaustive des médicaments remboursables et, par la loi du 13 août 2004, confirmé son choix, au sein de la Haute Autorité de Santé instance scientifique indépendante d'aide à la décision, d'une commission consultative d'évaluation médicotechnique : la Commission de la Transparence. Cette commission est chargée de se prononcer, en dehors de toute considération comptable, sur le bien-fondé de la prise en charge des médicaments et de son maintien au cours du temps, sur le niveau de cette prise en charge, tout en contribuant, par l'appréciation du niveau de progrès thérapeutique éventuellement apporté par les nouveaux médicaments, à la fixation de leurs prix. Les critères au moyen desquels la CT évalue les médicaments sont fixés par les pouvoirs publics. Ils sont objectifs et vérifiables. Ils apparaissent dans sa doctrine qui figure au rapport d'activité 2011 de la HAS. On peut cependant regretter que les pouvoirs publics, seuls maîtres en la matière, n'aient pas mieux déterminé la place du curseur destinée à distinguer ce qui doit être pris en charge de ce qui ne doit pas l'être pour une meilleure sélectivité lors de l'inscription sur la liste des médicaments remboursables. Une des missions de la CT est de veiller, pour ce qui la concerne, à l'amélioration constante de la qualité de la prise en charge médicamenteuse des patients, en reconnaissant dans les meilleurs délais le progrès thérapeutique qui lui est soumis, afin d'en permettre la mise à disposition sans retard. Une autre est d'œuvrer en faveur du meilleur usage possible des médicaments. Une troisième est de réévaluer régulièrement les médicaments déjà disponibles afin de s'assurer de la pertinence ou non de les maintenir dans le panier de soins et services remboursables, au vu des performances des nouveaux entrants. À noter toutefois que c'est l'industrie pharmaceutique qui prend l'initiative de proposer ou non son nouveau médicament au remboursement, les pouvoirs publics n'ayant pas dans ce domaine le pouvoir de décision.
Mais il n'est de pertinence, au sens global du terme, en matière d'admission au remboursement, que si l'efficience est prise en compte et pas seulement l'aspect médicotechnique. La détermination de l'efficience a été confiée à la HAS dans le cadre de sa mission médico-économique et, selon les cas, l'évaluation médico-économique des médicaments sera conduite par la Commission d'évaluation économique et de santé publique tantôt parallèlement à l'évaluation médicotechnique de la Commission de la Transparence, tantôt en aval, mais dans tous les cas, pour ajouter de la pertinence à ses avis.

L'auteur déclare n'avoir aucun conflit d'intérêt dans le cadre des thèmes traités dans cet article.
Remerciements. L'auteur remercie le Docteur Anne d'Andon, Chef du Service Évaluation des médicaments à la Haute Autorité de Santé, pour l'aide apportée dans la rédaction de la doctrine de la commission de la transparence.