

NOTE D'AUDITION



Mission

d'information

sur les innovations

thérapeutiques

Avril 2026



MISSION D'INFORMATION SUR LES INNOVATIONS THERAPEUTIQUES

COMMISSION

DES

AFFAIRES SOCIALES

TABLE RONDE DES ASSOCIATIONS DE PATIENTS

La croissance continue des dépenses de santé interroge la soutenabilité de notre système solidaire d'assurance maladie. Concernant les produits de santé, cette dynamique est en grande partie tirée par l'arrivée de nouveaux médicaments, rarement innovants mais le plus souvent coûteux et lucratifs.

Parallèlement, près de 30 % des dépenses de santé correspondent à des soins ou prescriptions peu pertinents ou à faible valeur ajoutée. Cette situation a des conséquences majeures pour les personnes malades, la santé publique et pour la soutenabilité de notre système solidaire.

Le rôle de la puissance publique et la participation des associations agréées du système de santé doivent être renforcées pour promouvoir le développement et l'accès à de véritables innovations répondant à de réels besoins de santé publique.

PROPOSITIONS

1. Rendre obligatoire la publication des essais « négatifs »
2. Intégrer systématiquement la qualité de vie comme critère d'évaluation des médicaments, valoriser la praticité des traitements et l'impact réel sur la vie quotidienne en prenant en compte tous les impacts sur la vie socioprofessionnelle.
3. Associer les associations agréées aux instructions d'accès direct, rendre possible une délivrance en pharmacie d'officine pour faciliter un accès de proximité et éviter la surcharge d'activité des PUI avec des déplacements plus long pour les personnes.
4. Lors de l'arrivée d'un médicament sur la liste en sus, renégocier systématiquement le prix de ses comparateurs déjà inscrits.
5. Intégrer dans la fixation des prix la possibilité de prendre en compte les couts réels de production et les aides publiques perçues.
6. Renforcer le respect des recommandations de la HAS, rendre opposables certaines recommandations pour les prescripteurs.
7. Introduire dans certaines situations spécifiques, un encadrement des prescriptions.

1. « Innovation » et recherche clinique

- L'objectif d'un essai consiste avant tout à tester une hypothèse scientifique, le bénéfice pour les participants est donc par définition incertain.
- La réalité du développement pharmaceutique est sans appel : la grande majorité des médicaments testés échouent en phase de développement, toutes les études concordent pour estimer que seulement 10 à 15 % des molécules qui entrent dans la première phase de développement (Phase 1) atteignent finalement le stade de l'autorisation de mise sur le marché (AMM)^{1, 2,3}. En d'autres termes : 9 médicaments sur 10 testés chez l'être humain ne seront jamais mis sur le marché.
- Nous sommes inquiets sur les évolutions actuelles tant au niveau Européen que National : l'attractivité industrielle doit-elle primer sur la précaution/sécurité/information ?
- Entrer dans un essai clinique n'est pas une garantie d'accès à un traitement efficace
- La participation à un essai clinique expose, quant à elle, les patients à des effets indésirables de traitements encore insuffisamment connus et à l'absence de bénéfice thérapeutique individuel garanti.
- La communication par la France d'un nouveau dispositif d'évaluation accéléré de certains essais cliniques délivre une information déloyale aux potentielles personnes participantes : « faciliter l'accès des patients à des traitements prometteurs »¹.
- **Proposition : rendre obligatoire la publication des essais « négatifs ».**

2. L'illusion de « l'accès à l'innovation : la majorité des nouveaux médicaments mis sur le marché n'apportent aucun progrès

- Des chercheurs se sont penchés sur tous les médicaments mis sur les marchés américain et européen entre 2011 et 2020, et leur évaluation par la Haute Autorité de santé (HAS) et son équivalent allemand². Cette étude révèle que moins de la moitié des médicaments approuvés par les autorités européenne et américaine entre 2011 et 2020 ont une valeur ajoutée substantielle pour leur première indication thérapeutique – maladie ou symptômes pour lesquels ils sont développés – par rapport aux produits déjà existants.
- Une étude publiée dans le *British Medical Journal* a montré que de nombreux médicaments anticancéreux autorisés par l'Agence européenne des médicaments n'avaient pas démontré d'amélioration de la survie ou de la qualité de vie au moment de leur mise sur le marché¹. En d'autres termes : les nouveaux médicaments qui passent positivement toutes les phases de développement clinique puis accèdent potentiellement à une AMM n'apportent pas pour autant une quelconque garantie de progrès.
- Selon le dernier rapport d'activité de la HAS (2024), parmi les 72 nouveaux médicaments ayant reçu un avis favorable au remboursement, seulement 8 peuvent être qualifiés d'innovants au sens d'une amélioration du service médical rendu (ASMR) au moins modérée. Dans le détail, aucun médicament n'a apporté d'amélioration majeure (ASMR I), deux ont apporté une amélioration importante (ASMR II), six une amélioration modérée (ASMR III).
- Proposition : Intégrer systématiquement la qualité de vie comme critère d'évaluation des médicaments, valoriser la praticité des traitements et l'impact réel sur la vie quotidienne.

¹ [Dispositif d'évaluation accélérée des essais cliniques en France \(fast-track\) : les promoteurs pourront soumettre leur demande dès le 16 mars 2026, ANSM, 24 février 2026](#)

² Vivot A., Jacot J., Zeitoun J.-D., et al. *Clinical benefit, toxicity, and cost of cancer drugs approved by the FDA. JAMA Oncology*, 2023.

3. Délais d'accès au marché : La France n'est pas à la traine pour l'accès aux médicaments « innovants »

- France assos santé et ses associations membres sont particulièrement attentives aux délais d'accès aux nouveaux médicaments qui peuvent répondre à des urgences vitales ou à l'absence de traitement approprié pour des personnes atteintes de maladies rares ou graves comme le cancer. Or les données avancées sur ces délais d'accès sont plurielles : elles font l'objet de régulières critiques, polémiques et contre-informations³.
- Les classements industriels comme le wait indicator⁴ mesurent la vitesse de mise sur le marché, mais non l'accès réel des patients. En France, le dispositif d'accès précoce permet un accès anticipé aux médicaments présumés innovants destinés à traiter des maladies graves, rares ou invalidantes.
- Accès rapide ne veut pas dire accès pour tous : les Etats-Unis sont le pays qui bénéficie de l'accès le plus rapide dans le monde. Mais en l'absence de négociations de prix généralisées, un large pourcentage de patients n'a en réalité jamais accès à l'innovation

4. Dispositifs existants (et évolutions)

Accès précoce

- Un dispositif essentiel visant à répondre à de vrais besoins thérapeutiques non couverts (maladies graves, rares ou invalidante, sans traitement approprié disponible, lorsque la mise en œuvre du traitement ne peut pas être différée).
- Une nécessaire recherche d'un juste équilibre pour que le dispositif (1) ne soit pas utilisé pour peser dans les négociations de prix (2) reste suffisamment incitatif pour les industriels (3) garantisse la sécurité des personnes (le dispositif est également un « pari » pour les personnes malades).
- Continuité de traitement post accès précoce : un reste à charge pour les personnes malades si le laboratoire ne fournit pas le médicament à titre gracieux à la fin des 3 mois de prise en charge par l'assurance maladie.

Accès direct

- Une plus-value du dispositif en l'état limité pour les personnes malades (un « signal » pour les industriels).
 - Les autorisations ne font l'objet d'aucune concertation. Dans le cas d'Hemgenix, ni l'association Française des Hémophiles, ni le Centre de Référence de l'Hémophilie n'ont été informés du dépôt de demande du laboratoire. Hors, le produit introduit un nouveau parcours de soins via un modèle de centre injecteur – centre suiveur nécessitant une mise en place coordonnée avec les acteurs institutionnel et l'industriel.
 - Les médicaments ne sont disponibles qu'en Pharmacie hospitalière (rétrocession). Dans le cas de Shingrix, la population cible concernée correspond à 16 millions de patients. Les activités des PUI ne sont pas organisées pour gérer de tels flux.
 - Aucune prise en charge et aucune continuité de traitement ne sont assurées si le prix du médicament et l'inscription au remboursement ne sont pas fixées.
- **Proposition : Associer les associations agréées aux instructions d'accès direct, rendre possible une délivrance en pharmacie d'officine, pour faciliter un accès de proximité et éviter la surcharge d'activité des PUI.**

³ <https://france-assos-sante.org/opinions/transparence-delaiss-acces-medicaments-innovants-avancee-has/>

⁴ [EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2024 Survey, April 2025](#)

Liste en SUS

- Un dispositif essentiel pour assurer une équité d'accès aux médicaments onéreux sur l'ensemble du territoire.
- Une utilisation visiblement déraisonnée en oncologie (prescriptions hors AMM)
- Nous partageons la nécessité d'avoir une liste dynamique (entrée/ sortie)
- Nous ne partageons pas les évolutions présentées par les pouvoirs publics consistant à une (à ce stade éventuelle) inscription limitée dans le temps. Cette mesure ne peut être appliquée de manière indifférenciée à l'ensemble des médicaments (pour certains produits onéreux dans les maladies rares/ ultra-rares la pertinence et la faisabilité d'intégration dans les GHS se posent).
- **Proposition : lors de l'arrivée d'un médicament sur la liste en sus, renégocier systématiquement le prix de ses comparateurs déjà inscrits.**

5. Prix et décision médicale

- Plusieurs analyses américaines, notamment du Government Accountability Office, montrent que le prix des médicaments est largement déterminé par la capacité des systèmes de santé à payer, plus que par leurs coûts réels^{5,6}.
- D'autre part, l'écrasante majorité des pénuries concerne les médicaments matures et les génériques délaissés par les industriels pour s'orienter vers des médicaments nouveaux chers et lucratifs⁷.
- Le prix très élevé des antiviraux d'action directe contre l'hépatite C a conduit les pouvoirs publics à restreindre initialement leur accès aux patients les plus sévèrement atteints, comme l'ont montré plusieurs analyses internationales et le rapport de la Cour des comptes (2014-2016)⁸.
- Des travaux récents montrent que le prix des nouveaux médicaments constitue désormais un élément de la décision médicale, notamment en oncologie⁹.
- Les coûts de production ne sont pas pris en compte dans la fixation du prix des médicaments¹⁰. Le critère actuel basé sur la seule valeur thérapeutique conduit à des prix déconnectés, générant des marges démesurées.
- Les entreprises peuvent cependant demander des hausses de prix dans un contexte de hausse de coût ([article 28 de l'accord cadre LEEM-CEPS](#) et [avenant du 20 juin 2024](#)).
- **Proposition : intégrer dans la fixation des prix la possibilité de prendre en compte les coûts réels de production et les aides publiques perçues.**

⁵ Government Accountability Office (GAO). Prescription Drugs : Value, Price, and Affordability, U.S.– 2021

⁶ Mulcahy A.W., Whaley C., Tebeka M.G., et al. *Prescription Drug Prices in the United States Compared to Other Countries (2024 Update)*. RAND Corporation, 2024.

⁷ Benhabib A, Ioughlissen S, Ratignier-Carbonneil C, Maison P. The French reporting system for drug shortages: description and trends from 2012 to 2018: an observational retrospective study. *BMJ Open*. 2020

⁸ Cour des comptes. *La Sécurité sociale – Rapport 2016*. Chapitre : « Les traitements de l'hépatite C : des innovations à un coût élevé ». Septembre 2016

⁹ Brigand T, Juven PA, Vincent F. Prescribing High-Priced Cancer Drugs: Rethinking Physicians' Choice Regarding Expensive Treatments. *Qual Health Res*. 2025 Apr 30:.

¹⁰ [Article L.162-16-4 du code de la sécurité sociale](#)

6. Pertinence (dont liste en sus et pembrolizumab)

Constats

- Au regard des comparaisons internationales, le volume de prescriptions de médicaments en France est alarmant, expliquant en partie que notre pays soit particulièrement impacté par les pénuries¹¹.
 - Les soins non pertinents, à commencer par les surprescriptions sont générateurs d'événements indésirables évitables souvent graves et leur épidémiologie reste méconnu et largement sous-estimé. Les conséquences de ce mésusage généré par les prescripteurs sont importantes pour les patients. Selon l'Assurance maladie « *ces prescriptions inadaptées dégradent par nature le rapport bénéfice-risque et entraînent par conséquent une prise de risque pour le patient*¹²».
 - Les coûts humains et médico-économiques sont importants et génèrent des dépenses inutiles par notre assurance maladie solidaire.
 - Nous considérons que les prescripteurs sont responsables de leurs prescriptions et sont à cet égard les principaux artisans des effets négatifs pour les personnes malades, des dépenses inutiles et des conséquences écologiques qui en découlent.
- **Proposition : Renforcer le respect des recommandations HAS, rendre opposables certaines recommandations.**
- **Proposition : Introduire dans certaines situations spécifiques, un encadrement des prescriptions.**

¹¹ European Centre for Disease Prevention and Control (ECDC). *Antimicrobial consumption in the EU/EEA – Annual Epidemiological Report 2020*. Stockholm: ECDC; 2022.

¹² Assurance Maladie. Propositions pour 2024 – Améliorer la qualité du système de santé et maîtriser les dépenses. Juillet 2023.

A propos de France Assos Santé

L'Union nationale des associations agréées d'usagers du système de santé (UNAASS) dite France Assos Santé a été créée en mars 2017 dans la continuité d'une mobilisation de plus de 20 ans pour construire une représentation des usagers interassociative. Organisation de référence pour défendre les intérêts des patients et des usagers du système de santé, sa mission est inscrite dans le Code de la santé publique (loi du 26 janvier 2016). Forte d'un maillage territorial de 18 délégations régionales (URAASS), elle regroupe près de 100 associations nationales et plusieurs centaines d'associations régionales qui agissent pour la défense des droits des malades, l'accès aux soins pour tous et la qualité du système de santé. Elle forme les 6 000 représentants des usagers qui siègent dans les instances hospitalières, de santé publique ou d'assurance maladie. Elle prend une part active dans le débat public et porte des propositions concrètes auprès des acteurs institutionnels et politiques pour améliorer le système de santé.



[Défendre vos droits](#)

[Vous représenter](#)

[Agir sur les lois](#)