

# NOTE D'AUDITION



**Mission relative à  
l'organisation de  
l'évaluation des  
produits et des  
technologies de santé  
entre la HAS et l'ANSM**

Mars 2026

## Mission relative à l'organisation de l'évaluation des produits et des technologies de santé entre la HAS et l'ANSM

Audition du 27 mars 2026

**L'évaluation du bénéfice-risque et l'évaluation de la valeur ajoutée doivent rester distinctes et indépendantes.**

**Le sujet n'est pas d'organiser autrement les agences, mais de préserver une évaluation indépendante, exigeante et utile aux patients.**

### **1. Un rapprochement structurel entre la HAS et l'ANSM ferait peser plusieurs risques majeurs**

- **Risque de perte d'indépendance** : La HAS constitue aujourd'hui un contre-pouvoir essentiel, fondé sur une expertise scientifique indépendante. Cette indépendance est indispensable pour garantir des décisions exigeantes, y compris lorsqu'elles sont défavorables.
  - La concentration des fonctions dans une même structure réduirait les mécanismes de contre-expertise et de régulation.
- **Risque d'affaiblissement de l'évaluation comparative** : cette évaluation est déterminante pour apprécier la réalité du progrès thérapeutique et pour encadrer les conditions de prise en charge.
  - Cette évaluation indépendante protège les patients en garantissant la pertinence des prises en charge et le système de santé en assurant une allocation des ressources raisonnée.
  - Sans cette deuxième évaluation indépendante, des médicaments à faible valeur ajoutée — voire à risque — pourraient être diffusés largement avec le financement de la solidarité nationale.

### **2. L'ANSM a peu de marge de manœuvre par rapport à l'EMA**

- Depuis la mise en place du système européen du médicament, l'autorisation de mise sur le marché (AMM) repose sur une compétence partagée mais fortement intégrée, avec une centralisation des décisions pour les médicaments innovants et une subsidiarité limitée des autorités nationales.
- L'EMA coordonne l'évaluation scientifique des médicaments dans le cadre de la procédure centralisée (obligatoire pour biotechnologies, oncologie, maladies rares, thérapies innovantes). L'ANSM : agit comme rapporteur ou co-rapporteur dans les procédures EMA et contribue directement à la production de l'expertise européenne.
- Une fois l'AMM accordée, l'ANSM ne peut pas remettre en cause durablement une AMM européenne seule.
- Lors des discussions sur le règlement HTA, les États membres ont clairement refusé que l'évaluation comparative soit intégrée à l'EMA.

**Dans un système où l'AMM européenne peut reposer sur des données encore incertaines (voir ci-dessous pour les AMM conditionnelles) la HAS constitue un filet de sécurité indispensable : elle qualifie le niveau réel de bénéfice, rend explicites les incertitudes et évite que l'autorisation ne se traduise automatiquement par un financement public.**

## L'importance d'une évaluation clinique indépendante Des médicaments nouveaux rarement innovant

Seule une faible proportion de médicaments apporte un véritable progrès thérapeutique ; l'évaluation des médicaments souffre d'une insuffisance prise en compte de la qualité de vie.

- 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 allemand<sup>1</sup>. 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.
- Selon le dernier rapport d'activité (2024) de la commission de la transparence de la Haute autorité de santé, 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).
- 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 marché<sup>2</sup>.

Le rôle de la puissance publique consiste à promouvoir le développement et l'accès à de véritables innovations répondant à de réels besoins de santé publique.

Dans un contexte d'accélération de l'autorisation des médicaments innovants, la HAS joue un rôle déterminant : elle qualifie la valeur thérapeutique réelle, régule l'incertitude et conditionne l'accès financé, assurant ainsi un équilibre entre innovation, sécurité et soutenabilité.

### Concernant l'autorisation de mise sur le marché « conditionnelle » délivrée par l'Agence Européenne du médicament (EMA)

- Cet instrument a été conçu pour accélérer l'accès à l'innovation, il permet l'autorisation d'un médicament sur la base de **données cliniques incomplètes**, sous réserve d'un **rapport bénéfique/risque jugé positif**, d'un **besoin médical non couvert** et d'un engagement du laboratoire à fournir des données complémentaires post-AMM.
- Le dispositif, essentiel principalement pour les maladies rares, est porteur de nombreuses limites notamment en raison de niveaux de preuve particulièrement faibles, des incertitudes élevées et des difficultés pour les laboratoires à produire les données post AMM demandées.
- Certaines analyses montrent qu'une proportion non négligeable d'AMM conditionnelles reste sans confirmation robuste à long terme<sup>3</sup>. Les retraits d'AMM conditionnelles sont rares.
- Ce dispositif -accentue le fait que des médicaments peuvent être autorisés avec un bénéfice marginal et une incertitude élevée.

**La HAS joue un rôle central en aval de ce dispositif : réévaluation du bénéfice clinique, protection des patients à une exposition à des risques mal caractérisés, allocation de nos ressources publiques.**

<sup>1</sup> Vivot A., Jacot J., Zeitoun J.-D., et al. *Clinical benefit, toxicity, and cost of cancer drugs approved by the FDA. JAMA Oncology, 2023.*

<sup>2</sup> Davis C, Naci H, Gurpinar E, Poplavska E, Pinto A, Aggarwal A. *Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009-13. BMJ. 2017*

<sup>3</sup> EMA – 10-year report on Conditional Marketing Authorisations (2006–2016)

## La France n'est pas à la traîne pour l'accès aux médicaments « innovants »

### Constats

- France Assos Santé et ses associations membres sont particulièrement attentives aux délais d'accès aux nouveaux médicaments. Ils peuvent potentiellement 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-informations<sup>4</sup>.
- Les classements industriels comme le WAIT indicator<sup>5</sup> mesurent la vitesse de mise sur le marché, mais non l'accès réel des patients. En France, les dispositifs d'accès précoce permet un accès anticipé aux médicaments présumés innovants destinés à traiter des maladies graves, rares ou invalidantes.
- France Assos Santé demande historiquement une information fiable et consolidée prenant en compte l'ensemble de la chaîne du médicament : autorisation de mise sur le marché (AMM), évaluation (par la HAS), négociations des prix (par le comité économique des produits de santé, dit CEPS).
- 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.

**Les critiques sur les délais d'accès aux médicaments omettent que la HAS autorise déjà des accès précoces en situation d'incertitude ; son rôle en aval est précisément de transformer cet accès anticipé en accès soutenable et justifié.**

<sup>4</sup> <https://france-assos-sante.org/opinions/transparence-delais-acces-medicaments-innovants-avancee-has/>

<sup>5</sup> [EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2024 Survey, April 2025](#)

## 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](#)