

COUNCIL OF EUROPE



CONSEIL DE L'EUROPE

Strasbourg, le 21 octobre 2024

CDBIO (2024) 18
Traduction non révisée

**COMITÉ DIRECTEUR POUR LES DROITS HUMAINS
DANS LES DOMAINES DE LA BIOMÉDECINE ET DE LA SANTÉ (CDBIO)**

**LIVRE BLANC (PROJET)
SUR L'ACCÈS ÉQUITABLE ET EN TEMPS OPPORTUN À DES TRAITEMENTS ET DES
TECHNOLOGIES INNOVANTS ET APPROPRIÉS DANS LES SOINS DE SANTÉ**

Établi par le groupe de rédaction
sur proposition du Professeur Kristof Van Assche (B), consultant

TABLE DES MATIÈRES

1. Introduction	4
1.1. Historique et contexte	4
1.2. Importance de l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés	5
1.3. Bénéfices et risques potentiels des traitements et technologies innovants dans les soins de santé	7
1.4. Champ d'application et objectifs du livre blanc	8
2. Définition et caractéristiques des traitements et technologies innovants dans les soins de santé	9
2.1. Définition	9
2.2. Caractéristiques	13
2.2.1. Caractéristiques communes	13
a. Complexité	13
b. Pluridisciplinarité	13
c. Limitations dans l'établissement de l'efficacité	13
d. Fragmentation des responsabilités	14
e. Vers des soins de santé personnalisés	14
2.2.2. Caractéristiques notables des traitements et technologies innovants sélectionnés	14
a. Irréversibilité des effets	14
b. Opacité	15
c. Implication des acteurs commerciaux	15
d. Big Data	15
e. Intégration numérique	16
f. Des modèles de prestation de soins innovants	16
g. Intégration de la technologie dans le corps humain	17
h. Accès à l'état mental	17
3. Défis liés à l'évaluation de la qualité et de la supériorité	18
3.1. Qualité et supériorité des traitements et des technologies innovants	18
3.1.1. Disponibilité limitée de preuves cliniques solides	18
3.1.2. Préoccupations quant à la possibilité de généralisation des résultats	18
3.1.3. Biais algorithmique	19
3.1.4. Impact des facteurs externes dans l'évaluation de la qualité	19
3.1.5. Difficultés dans la détermination des normes professionnelles	20
3.2. Complexité du processus décisionnel	21
3.2.1. Difficultés à concilier intérêts individuels et intérêts de santé publique	21

3.2.2.	Difficultés à définir ce qui est « raisonnable »	21
3.2.3.	Difficultés liées au maintien de la cohérence des politiques d'accès ...	22
3.2.4.	Nécessité d'impliquer davantage de parties prenantes	22
4.	Les défis à l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés.....	24
4.1.	Accessibilité financière	24
4.1.1.	Principes régissant la couverture financière	24
4.1.2.	Maîtrise des coûts	26
a.	Réciprocité attendue pour l'investissement public.....	26
b.	Transparence accrue.....	26
c.	Mécanismes de maîtrise des coûts	26
4.2.	Les notions de disponibilité et d'accès en temps opportun	29
4.3.	Accessibilité.....	30
4.3.1.	Fracture numérique.....	31
4.3.2.	Manque de connaissances en matière de santé	31
4.4.	Acceptabilité.....	32
5.	Mise en balance des droits individuels et des besoins de santé publique	34
Annexe.....	36
1.	Les déterminants sociaux de la santé et la promotion d'un accès équitable aux soins.....	36
2.	Demandes d'accès à des traitements expérimentaux avant leur approbation	44

1. Introduction

1.1. Historique et contexte

L'article 3 de la [Convention sur les Droits de l'Homme et la biomédecine](#) fait obligation aux Parties, compte tenu des besoins de santé et des ressources disponibles, de prendre les mesures appropriées en vue d'assurer, dans les limites de leur compétence, un accès équitable à des soins de santé de qualité appropriée.

L'accès équitable doit être interprété conformément au sens donné à l'article 3 et précisé au paragraphe 25 de son [rapport explicatif](#). Dans ce contexte, l'accès équitable signifie avant tout l'absence de discrimination pour quelque motif que ce soit. L'accès équitable implique également que, en fonction de leurs besoins médicaux et des ressources disponibles, les individus se voient garantir un accès leur permettant d'obtenir effectivement un niveau de soins satisfaisant. Cela implique d'éliminer les obstacles qui peuvent empêcher l'accès et de fournir un soutien approprié aux individus ou aux groupes qui peuvent être désavantagés ou exposés à un risque plus élevé d'atteinte à leur santé. Conformément au droit à la protection de la santé inscrit à l'article 11 de la [Charte sociale européenne \(révisée\)](#), l'objectif ultime est [l'équité en matière de santé](#) – c'est-à-dire l'absence de différences évitables, injustes ou réparables entre les groupes de personnes – où, idéalement, toute personne devrait avoir une chance équitable d'atteindre son plein potentiel de santé et personne ne devrait être désavantagée par rapport à la réalisation de ce potentiel.

Le principe de l'accès équitable s'applique également aux traitements et technologies innovants. À cet égard, le [Plan d'action stratégique \(2020-2025\)](#) souligne qu'il est essentiel que ceux-ci soient mis à disposition de manière équitable et en temps utile. L'intention était d'élaborer une recommandation sur l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants dans les systèmes de soins de santé. À la lumière de la pandémie de Covid-19 et des considérations éthiques concernant l'accès aux vaccins en tant que ressource rare, le Comité de Bioéthique (DH-BIO) a décidé, lors de sa 17^e réunion plénière (3-6 novembre 2020), d'élaborer des lignes directrices pour promouvoir l'accès équitable aux vaccins, aux traitements et aux équipements. Compte tenu des évolutions dans le développement des vaccins, le DH-BIO a convenu de préparer d'abord une déclaration intitulée [Covid-19 et vaccins : Assurer l'équité d'accès à la vaccination pendant la pandémie actuelle et les pandémies futures](#), qui a été publiée le 21 janvier 2021. Lors de sa 18^e réunion plénière (1-4 juin 2021), le DH-BIO a ensuite convenu d'élaborer des lignes directrices sur l'équité d'accès aux traitements et aux équipements dans un contexte de pénurie, en se concentrant sur les produits critiques dont la pénurie pourrait causer de graves préjudices aux patientes et aux patients. Ces lignes directrices ont été incluses dans la [Recommandation CM/Rec\(2023\)1 sur l'accès équitable aux médicaments et aux équipements médicaux en situation de pénurie](#), adoptée le 1^{er} février 2023.

Lors de sa 2^e réunion plénière (2-4 novembre 2022), le Comité directeur pour les droits de l'homme dans les domaines de la biomédecine et de la santé (CDBIO), qui a repris les responsabilités du DH-BIO, a entamé des travaux sur l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants dans le système des soins de santé. Lors de sa 3^e réunion plénière (6-9 juin 2023), le CDBIO a examiné la note conceptuelle sur l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants dans les soins de santé (CDBIO/BU(2023)8), en notant les éléments factuels qui remettent en question le processus décisionnel au niveau national. Ces éléments comprennent le fait que les preuves cliniques étayant l'innocuité et l'efficacité sont souvent limitées, ce qui rend incertain le processus de prise de décision fondé sur des données probantes. D'autres facteurs sont liés au problème de l'accessibilité financière en raison des prix élevés pratiqués par les fabricants et, plus généralement, à la nécessité d'une évaluation globale de la valeur clinique et de l'adéquation pour les patient-es dans le contexte du système de soins de santé. Le CDBIO a noté que le champ d'application du travail comprend potentiellement une grande variété de

produits de santé, de processus et de procédures médicales, et a soutenu le maintien d'une vision stratégique de haut niveau sur la question, en ne limitant pas le champ d'application du travail au cas des médicaments coûteux. Il a également été noté que le terme innovant n'est pas nécessairement synonyme de bénéfiques pour les patient-es et peut susciter des attentes irréalistes. Le CDBIO a convenu que la Recommandation CM/Rec(2023)1 couvre déjà la plupart des questions liées à l'accès équitable aux traitements et technologies innovants. Le Comité a donc décidé de ne pas préparer un nouveau projet de recommandation mais de travailler sur un document de discussion afin d'évaluer toutes les questions éthiques en suspens relatives aux traitements et technologies innovants à prendre en compte lors de la conception du processus. Le document de discussion devrait examiner comment les principes généraux et procéduraux de la Recommandation CM/Rec(2023)1 s'appliquent aux processus décisionnels garantissant un accès équitable aux traitements et technologies innovants. Il devrait également recenser et analyser brièvement les travaux réalisés par d'autres organisations internationales telles que l'OMS, l'OCDE et la CE afin d'éviter les doubles emplois, en tenant compte du fait que le document devrait adopter une approche axée sur les droits humains et la patiente ou le patient.

Lors de sa 4^e réunion plénière (14-17 novembre 2023), le CDBIO a examiné le projet de document de discussion sur l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés dans les soins de santé. Le projet de document indique que les principes généraux et procéduraux inclus dans les articles de la Recommandation CM/Rec(2023)1 s'appliquent également à l'accès à des traitements et technologies innovants. Il souligne également que, compte tenu des caractéristiques spécifiques des traitements et technologies innovants, certains principes peuvent être particulièrement pertinents ou soulever des difficultés quant à leur application. Les délégations ont accueilli avec satisfaction le projet de document de discussion, l'analyse réalisée ainsi que le résumé des travaux effectués par d'autres organisations internationales. Elles sont convenues de confier au groupe de rédaction la poursuite des travaux en élaborant un livre blanc incluant des informations complémentaires, des analyses et des exemples. Il conviendrait d'étendre la portée des travaux au-delà des traitements et technologies innovants destinés à des pathologies graves ou potentiellement mortelles afin de prendre en compte un éventail plus large de pathologies, pour autant que l'innocuité et l'efficacité des traitements et technologies innovants concernés soient étayées par des preuves scientifiques. Il conviendrait en outre de prendre en considération la jurisprudence de la Cour européenne des droits de l'homme, en particulier en ce qui concerne les affaires relatives aux traitements expérimentaux. Le livre blanc pourrait également aborder les tensions susceptibles d'apparaître, du fait des traitements et technologies innovants, entre les droits individuels et les besoins de santé publique et présenter les choix qui s'offrent aux décideurs dans le cadre d'une perspective à long terme. Lors de sa 5^e réunion plénière (11-13 juin 2024), le CDBIO a examiné les grandes lignes du projet de livre blanc sur l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés dans les soins de santé.

1.2. Importance de l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés

Assurer un accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants est essentiel pour remédier aux inégalités en matière de santé et faire en sorte que toutes les personnes, indépendamment de leur statut socio-économique ou d'autres déterminants sociaux de la santé, puissent bénéficier des progrès réalisés dans le domaine des soins de santé. **Trois considérations essentielles** soulignent l'importance d'un accès équitable aux traitements et technologies innovants.

Tout d'abord, le fait de veiller à ce que les avancées en matière de soins de santé profitent réellement à toutes les personnes constitue **un impératif moral et une préoccupation relevant des droits humains**, qui peut être fondée alternativement sur le droit au meilleur état de santé que les personnes soient capables d'atteindre (Pacte international relatif aux

droits économiques, sociaux et culturels), sur le droit à la protection de la santé (Charte sociale européenne) et sur le droit à un accès équitable aux soins de santé (Convention sur les Droits de l'Homme et la biomédecine). Cela signifie que toute personne devrait avoir la possibilité de bénéficier d'un niveau de soins satisfaisant, en tenant compte des besoins en matière de santé et des ressources disponibles. Dans le contexte de la réalisation de la couverture sanitaire universelle (objectif de développement durable des Nations Unies, cible 3.8), l'accès à la gamme complète des services de santé essentiels, des médicaments et des technologies de santé devrait être garanti, sans entraîner de difficultés financières. Étant donné que les traitements et les technologies innovants ont le potentiel de transformer, voire de révolutionner, les soins de santé et d'améliorer considérablement les résultats dans ce domaine, il devient crucial de veiller à ce que les bénéfices ainsi offerts soient à la portée de tout un chacun. Pour traiter des maladies complexes, chroniques et potentiellement mortelles, les traitements et technologies innovants peuvent être particulièrement importants dès lors qu'ils permettent des diagnostics plus précoces et plus précis ainsi que de nouvelles interventions capables d'arrêter la progression de la maladie, d'améliorer la survie à long terme et, dans certains cas, de traiter des maladies jusqu'alors incurables. Toutefois, si on ne leur permet pas d'accéder à ces innovations dans le domaine de la santé, des personnes peuvent continuer à souffrir de maladies évitables, de diagnostics tardifs et d'une dégradation de leur état de santé qui auraient pu être gérés ou traités plus efficacement.

Ensuite, comparativement aux méthodes plus traditionnelles, les traitements et les technologies innovants **peuvent avoir un potentiel important de réduction des inégalités en matière de santé** en permettant des approches plus proactives, préventives et adaptées en matière de soins. Étant donné que les populations défavorisées sont souvent confrontées à des taux plus élevés de maladies évitables, de diagnostics tardifs, de problèmes médicaux non traités et d'interruptions des traitements en cours, ces nouvelles voies de prévention, de diagnostic et de gestion intégrée des soins pourraient s'avérer particulièrement avantageuses pour elles. De plus, lorsqu'elles sont correctement mises en œuvre et soutenues par des efforts visant à combler la fracture numérique, les technologies innovantes peuvent créer de nouveaux modèles de prestation de soins susceptibles de réduire plus avant les disparités en matière de santé. La télémédecine permet par exemple aux personnes vivant dans des zones rurales, difficiles d'accès ou mal desservies, où les services de santé sont souvent rares, de bénéficier de consultations, de diagnostics et de traitements à distance. Elle contribue ainsi à éliminer les obstacles géographiques qui, autrement, auraient empêché l'accès aux soins médicaux. En outre, des dispositifs portables et implantables et des systèmes de suivi de la santé peuvent permettre une surveillance continue et des interventions personnalisées en cas d'affections chroniques telles que le diabète et les maladies cardiaques. Grâce à ces technologies, les patient-es dont l'accès aux services de santé est limité peuvent bénéficier de soins plus opportuns, contribuant ainsi à atténuer certaines des inégalités les plus prioritaires en matière de soins.

Enfin, plusieurs déterminants sociaux influant directement sur la capacité des individus à obtenir des soins de santé opportuns et appropriés, tels que les revenus, l'éducation, la situation géographique et les réseaux de soutien social, jouent un rôle encore plus décisif dans la détermination de l'accès aux traitements et technologies innovants. Souvent coûteux, les traitements et technologies innovants dépendent d'infrastructures avancées et de professionnel·les de la santé hautement spécialisé·es et nécessitent un niveau élevé de connaissances dans le domaine de la santé. Par conséquent, les personnes déjà exposées à des difficultés financières, celles qui vivent dans des zones rurales ou mal desservies avec un accès limité aux services de santé spécialisés, et celles qui sont moins instruites et dont les réseaux de soutien social, essentiels pour comprendre la valeur des nouveaux traitements et technologies et pour s'orienter à travers des systèmes de santé complexes, sont limités, risquent d'être exclues des avantages des innovations médicales. L'absence de politiques globales destinées à améliorer la disponibilité et l'accessibilité, y compris financière, des innovations dans les soins de santé induit **un risque réel d'exacerbation des inégalités en matière de santé**. Cette préoccupation est particulièrement pertinente à la lumière des

principes énoncés dans la **Recommandation CM/Rec(2023)1**, qui met l'accent sur l'accès équitable aux médicaments et aux équipements médicaux dans une situation de pénurie. Ne pas s'attaquer à ces obstacles peut conduire à une discrimination fondée sur des facteurs tels que le statut socio-économique, la situation géographique et les niveaux d'instruction et d'alphabétisation. Les populations défavorisées, qui se heurtent souvent déjà à des obstacles dans le domaine des soins de santé, pourraient voir leur exclusion s'aggraver, creusant encore davantage les inégalités existantes. Fait important, la recommandation souligne également la nécessité d'établir des priorités fondées sur des critères médicaux et de supprimer les obstacles pour les personnes systématiquement désavantagées dans les situations où les traitements et technologies innovants sont rares. En l'absence d'interventions ciblées, seules les personnes les plus privilégiées, disposant des ressources financières, des connaissances et du soutien social nécessaires, bénéficieront de ces innovations médicales. En conséquence, plutôt que de réduire les disparités en matière de santé, les traitements et les technologies innovants risquent de les perpétuer et de les exacerber.

1.3. Bénéfices et risques potentiels des traitements et technologies innovants dans les soins de santé

Les traitements et technologies innovants dans le domaine des soins de santé présentent un large éventail de bénéfices en raison de leur potentiel d'amélioration des capacités de diagnostic et de traitement, des soins et des résultats pour les patient-es, et du fait de l'efficacité et de la productivité des processus de soins.

Grâce aux technologies innovantes, les soins peuvent devenir plus précis, individualisés et opportuns, à travers des outils tels que la médecine de précision, le profilage génomique, la pharmacogénomique et les plateformes de diagnostic basées sur l'IA. Ces technologies permettent de mieux adapter les traitements au profil de santé unique d'un patient ou d'une patiente et donc de proposer des interventions plus ciblées et efficaces. En outre, les progrès réalisés dans les domaines de l'analyse prédictive, du dépistage génétique et du suivi médical en temps réel permettent de détecter plus tôt les risques et les maladies et d'adopter une approche plus préventive et proactive en matière de soins. Les outils de diagnostic reposant sur l'IA peuvent améliorer à la fois la vitesse et la précision de la détection des maladies et permettre aux professionnel·les de la santé de prendre des décisions éclairées plus rapidement. De plus, les avancées réalisées en matière de techniques mini-invasives, y compris la chirurgie robot-assistée et la neurotechnologie, pourraient offrir de nouvelles modalités de traitement des pathologies complexes avec une précision accrue, réduisant ainsi le temps de convalescence et les complications. Les systèmes assistés par l'IA peuvent en outre aider à réduire les erreurs médicales dans le diagnostic, le pronostic et la planification du traitement, améliorant ainsi la sécurité globale et les résultats pour les patient-es.

Les traitements et les technologies innovants peuvent également améliorer de différentes manières les soins et les résultats pour les patient-es. Les plateformes de télémédecine ainsi que les dispositifs portables et les systèmes de surveillance à distance peuvent par exemple faciliter la continuité de la prise en charge et des réactions rapides en cas d'évolution de l'état de santé, même en dehors des milieux cliniques traditionnels. Les plateformes de télémédecine peuvent permettre aux patient-es des zones rurales ou mal desservies d'accéder à des consultations spécialisées, à des diagnostics et à des soins de suivi sans que cela nécessite une consultation en personne. De leur côté, les systèmes de santé mobile (m-Santé) et les dispositifs implantables bioélectroniques peuvent donner aux patient-es les moyens de mieux contrôler leur santé en leur donnant accès à des informations en temps réel et en améliorant la gestion des maladies chroniques et le respect des plans de traitement. Les avancées réalisées dans certains domaines, comme la modification du génome, l'immunothérapie, la thérapie antivirale et la médecine régénérative, repoussent les limites du possible dans le domaine des soins de santé et permettent désormais de soigner des affections jusqu'alors incurables et de proposer des traitements révolutionnaires, capables d'arrêter la progression de la maladie ou d'améliorer la survie à long terme.

Les traitements et technologies innovants peuvent également améliorer de manière significative l'efficacité et la productivité en matière de soins en rationalisant les processus de diagnostic et de traitement. Des outils tels que l'analyse d'images médicales par l'IA, l'analyse prédictive à des fins d'appréciation des risques de maladie et les systèmes de surveillance à distance des patient-es peuvent conduire à des diagnostics et des interventions plus rapides et plus précis, et donc favoriser un précieux gain de temps et de ressources dans la prise en charge des patient-es. En outre, les traitements et les technologies innovants peuvent conduire à des interventions plus ciblées et plus opportunes, réduisant le besoin de consultations fréquentes et de séjours prolongés à l'hôpital, tout en minimisant les complications et les temps de convalescence. À leur tour, ces différents gains peuvent contribuer à une réduction de la charge pesant sur les établissements de santé ainsi qu'à une diminution du coût des soins pour les patient-es et pour les prestataires et permettre aux professionnel·les de la santé de traiter un plus grand nombre de patient-es dans des conditions d'efficacité et de précision accrue, ce qui peut favoriser une amélioration de la capacité globale des systèmes de santé à répondre à une demande croissante. De plus, le Big Data et l'IA peuvent favoriser une accélération de la recherche et de l'innovation médicales à travers l'analyse d'ensembles de données vastes et complexes et donc permettre l'identification de nouvelles cibles thérapeutiques, une meilleure compréhension des mécanismes pathologiques et la mise au point de traitements et de technologies plus avancés, ce qui pourrait aboutir à des solutions thérapeutiques plus efficaces et opportunes pour les patient-es ainsi qu'à des prestations de soins plus efficaces et adaptées.

Bien que les traitements et les technologies innovants dans le domaine des soins de santé offrent des bénéfices significatifs en améliorant les capacités diagnostiques et thérapeutiques ainsi que les soins et les résultats pour les patient-es et en augmentant l'efficacité, il est essentiel de rester conscient·e des limites et des risques qu'ils présentent. À mesure que ces innovations passent du stade expérimental à celui de l'application clinique, des défis tels que les preuves cliniques limitées, le manque d'essais à grande échelle et les préoccupations quant à la possibilité de généralisation auprès de populations diverses compliquent l'évaluation de leur innocuité à long terme, de leur efficacité et de leur supériorité potentielle par rapport aux traitements conventionnels, ce qui exige une évaluation et un suivi continus. Il convient en outre de répondre à des questions telles que les disparités en matière d'accès, la confidentialité des données et les préoccupations en matière de sécurité, l'évolutivité des solutions, la dépendance excessive potentielle à l'égard de la technologie au détriment du jugement humain, la tendance à privilégier les solutions innovantes par rapport aux traitements et technologies traditionnels qui peuvent être tout aussi efficaces, voire plus efficaces, ainsi que les coûts associés à la mise en œuvre de ces avancées, afin de réaliser pleinement le potentiel de ces innovations. Le présent livre blanc se propose d'étudier ces limites et ces risques plus en profondeur, en mettant l'accent sur la garantie d'un accès équitable.

1.4. Champ d'application et objectifs du livre blanc

Le présent livre blanc se concentre principalement sur les défis liés à l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés dans les soins de santé.

Il porte à la fois sur les traitements et sur les technologies innovants qui peuvent ou non être destinés à des pathologies graves ou qui engagent le pronostic vital des patient-es. Le livre blanc se limite aux traitements et technologies innovants dont l'innocuité, l'efficacité et la qualité sont étayées par des preuves scientifiques et qui ont été approuvés ou certifiés à l'issue d'un processus réglementaire adéquat, prévu par la loi. Il ne prend pas en compte les traitements et technologies à caractère expérimental.

L'objectif premier du livre blanc est d'explorer les principaux obstacles à un accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés dans les soins de santé et d'identifier des solutions potentielles fondées sur les orientations du Conseil

de l'Europe et d'autres organisations internationales. Fait important, le livre blanc examine également les tensions susceptibles de voir le jour entre les droits individuels et les besoins de santé publique dans le sillage de l'adoption de traitements et de technologies innovants, y compris en s'appuyant sur la jurisprudence pertinente de la Cour européenne des droits de l'homme, et propose une perspective à long terme des décisions qui pourraient être envisagées dans le secteur de la santé, conformément au droit à un accès équitable aux soins de santé.

2. Définition et caractéristiques des traitements et technologies innovants dans les soins de santé

2.1. Définition

Les traitements et technologies innovants font référence aux **traitements et technologies qui adoptent des approches qui s'écartent de manière significative des pratiques médicales conventionnelles**. Ils intègrent des découvertes scientifiques de pointe et des avancées en matière d'ingénierie, dans le but d'offrir de nouvelles possibilités thérapeutiques et une meilleure qualité de soins de santé. Les traitements et technologies innovants ont franchi les différentes étapes de la recherche et du développement et ont obtenu l'approbation réglementaire pour au moins certaines indications ou applications spécifiques. Dans certains cas, ces traitements et technologies peuvent déjà être disponibles en tant qu'options thérapeutiques standard.

Les traitements et technologies expérimentaux utilisent également des approches innovantes, mais ils sont **encore en phase de recherche, de développement ou d'évaluation clinique**. Ces traitements et technologies peuvent comporter des risques inconnus et leur efficacité est souvent incertaine. Les patient-es reçoivent généralement des traitements et technologies expérimentaux en tant que participant-es à des essais cliniques, lorsque les traitements et technologies existants ne sont pas disponibles ou sont inefficaces. L'accès peut être déterminé par d'autres acteurs et soumis à d'autres critères que ceux qui s'appliquent aux traitements et technologies innovants.

La **distinction** entre les traitements et technologies expérimentaux et innovants **peut s'avérer complexe**. Par exemple, en ce qui concerne certains traitements et technologies (par exemple, l'immunothérapie, la médecine régénérative et la neurotechnologie), les limites entre expérimental et innovant peuvent être dynamiques, car ces traitements et technologies peuvent avoir été approuvés pour certaines utilisations tout en étant évalués pour des indications et des applications élargies ou pour d'autres populations de patient-es à l'avenir. Il convient également de noter que si certains traitements et technologies innovants sont disponibles dans certains pays, ils peuvent encore être considérés comme expérimentaux ou ne pas être disponibles dans d'autres pays. Cela peut être lié à des différences dans les processus d'approbation réglementaire, l'infrastructure et les ressources des soins de santé, les priorités nationales en matière de santé et les facteurs socioculturels.

Encadré 1 : Aperçu illustratif des traitements et technologies innovants

Cet aperçu met en lumière le large éventail de traitements et de technologies innovants qui sont actuellement appliqués dans les soins de santé. Ces technologies peuvent être intégrées directement dans des applications thérapeutiques ou fonctionner en tant qu'interventions autonomes.

La **médecine de précision**, ou médecine personnalisée, adapte les soins de santé à chaque patient·e en fonction de son profil génétique et moléculaire, de son mode de vie et de son environnement, afin de maximiser les bénéfices thérapeutiques et de minimiser les effets indésirables. La médecine de précision comprend les thérapies ciblées contre le cancer (par exemple, Herceptin pour le cancer du sein), le dépistage des gènes BRCA1 et BRCA2, le profilage génomique des tumeurs et la **pharmacogénomique (PGx)**, qui explore la manière dont le profil génétique du patient influence sa réponse aux médicaments, et aide à sélectionner les médicaments, à déterminer le dosage optimal ou à envisager un traitement alternatif.

La **médecine régénérative** fait référence à des approches innovantes visant à régénérer, réparer ou remplacer des organes, des tissus et des cellules endommagés ou malades en vue d'une récupération fonctionnelle et d'une guérison. La majeure partie de la médecine régénérative actuellement disponible n'est pas innovante, mais fait partie du domaine établi de la transplantation. Dans certains domaines établis et dans d'autres innovants, on trouve les bioscaffolds (une structure artificielle implantée dans le corps pour favoriser la croissance des tissus), utilisés en orthopédie, dentisterie, cardiologie, cicatrisation des plaies et chirurgie plastique et reconstructive.

L'**édition de gènes** est une approche médicale du traitement des troubles monogéniques ou polygéniques qui consiste à remplacer un gène défectueux par une copie saine de ce gène, à manipuler ou à inactiver un gène défectueux ou à introduire un gène manquant. CRISPR-Cas9 est une technique moderne qui n'introduit pas de nouveau matériel génétique dans une cellule mais utilise des outils moléculaires pour apporter des modifications ou des corrections précises au matériel génétique existant dans la cellule. L'édition de gènes a des applications cliniques, par exemple, dans la dystrophie rétinienne héréditaire, l'atrophie musculaire spinale chez les nourrissons et certains types de cancers du sang tels que la leucémie lymphoblastique aiguë et le lymphome non hodgkinien.

L'**immunothérapie** est un traitement utilisé pour stimuler le système immunitaire afin de cibler et de détruire les cellules cancéreuses, ou pour supprimer la réponse immunitaire afin de gérer les maladies auto-immunes. Les inhibiteurs de points de contrôle immunitaires sont utilisés dans le traitement du mélanome, du cancer du poumon et du cancer de la vessie. En outre, les anticorps monoclonaux sont utilisés pour traiter des maladies auto-immunes telles que la maladie de Crohn et la polyarthrite rhumatoïde, et la thérapie CAR T est utilisée pour traiter la leucémie lymphoblastique aiguë et le lymphome non hodgkinien.

La **nanomédecine** se concentre sur l'utilisation de la nanotechnologie (c'est-à-dire l'ingénierie de particules ultrafines d'un diamètre compris entre 1 et 100 nanomètres) pour diagnostiquer et traiter les maladies au niveau moléculaire et cellulaire. Les nanoparticules peuvent être fonctionnalisées avec des médicaments pour permettre la délivrance de médicaments à des cellules ou tissus spécifiques, le franchissement de barrières biologiques et la libération de médicaments de manière contrôlée. Les nanomédicaments ont été approuvés pour le traitement du cancer de l'ovaire avancé et du cancer du pancréas métastatique. Les nanoparticules sont également utilisées comme agents de contraste dans les techniques d'imagerie médicale pour améliorer la visualisation des tissus, et utilisées dans les biocapteurs pour identifier des biomarqueurs pour la détection du cancer.

L'**intelligence artificielle** désigne les systèmes qui affichent un comportement « intelligent » en analysant leur environnement et en prenant des mesures pour

atteindre des objectifs spécifiques. L'IA est souvent basée sur l'apprentissage automatique, qui permet aux algorithmes prédictifs d'apprendre par l'expérience et d'améliorer automatiquement leurs performances et qui prend de plus en plus la forme de modèles d'« apprentissage profond », composés de plusieurs couches de traitement qui permettent au système d'IA d'apprendre des représentations de données à plusieurs niveaux d'abstraction afin d'affiner progressivement les prédictions pour plus de précision. L'IA est utilisée dans les soins de santé pour l'automatisation des processus hospitaliers afin d'améliorer le flux de travail des médecins, pour la surveillance à distance des patient-es, pour la vision artificielle intégrée à la chirurgie assistée par robot, pour l'accélération de la découverte de médicaments, pour les interactions avec les patient-es basées sur les chatbots, pour la personnalisation des plans de traitement et pour les algorithmes prédictifs basés sur l'auto-apprentissage afin d'aider au diagnostic et au pronostic.

La **neurotechnologie** dans les soins de santé fait référence à l'application des neurosciences et de la technologie pour surveiller, comprendre, diagnostiquer ou moduler l'activité neuronale dans le but d'améliorer les conditions de santé neurologique et mentale. Les technologies de neuro-imagerie sont utilisées pour visualiser l'activité cérébrale afin de diagnostiquer les troubles neurologiques. Les technologies de neuromodulation peuvent être non invasives ou invasives. Elles impliquent la stimulation électrique ou magnétique ciblée de régions cérébrales spécifiques afin de moduler l'activité neuronale et sont utilisées pour traiter la maladie de Parkinson, la dystonie, le tremblement essentiel, la dépression, la migraine et la douleur chronique. De plus, des interfaces cerveau-machine (c'est-à-dire des systèmes informatiques traduisant les signaux des ondes cérébrales en commandes communiquées à un appareil externe) sont en cours de développement pour permettre aux personnes souffrant de troubles neurologiques et neuromusculaires de contrôler des prothèses, des ordinateurs ou des technologies d'assistance.

Les **thérapies numériques (DTx)** font référence aux interventions qui utilisent la technologie numérique pour prévenir, traiter ou gérer les conditions de santé, en conjonction avec des traitements plus conventionnels. Elles sont basées sur des logiciels, sont délivrées par le biais de wearables (m-Santé), d'applications pour smartphone ou d'outils basés sur le web, collectent généralement des données en temps réel, personnalisent les interventions sur la base des données et des préférences de l'utilisateur, peuvent être interactives et peuvent être intégrées à des systèmes de soins de santé et à des modèles de surveillance à distance qui permettent une gestion continue de l'état du patient.

Les **diagnostics au point d'intervention (POC)** font référence aux tests de diagnostic effectués sur le lieu où les soins médicaux sont prodigués plutôt que dans un laboratoire. Ces diagnostics sont conçus pour fournir des résultats rapides afin d'aider à la prise de décision clinique immédiate. Ils comprennent des **biocapteurs** (c'est-à-dire des dispositifs qui intègrent un composant biologique à un détecteur physico-chimique pour détecter et mesurer des marqueurs biologiques spécifiques, tels que les biocapteurs de glucose pour gérer les doses d'insuline dans le diabète) et des tests de biomarqueurs, tels que les tests de biomarqueurs cardiaques pour diagnostiquer les crises cardiaques et les tests rapides de maladies infectieuses.

La **télésanté** fait référence à l'utilisation des télécommunications et des plateformes numériques pour fournir des services de santé à distance. La télémédecine est un sous-ensemble de la télésanté, qui implique des consultations cliniques, des diagnostics, des conseils et des soins de suivi à distance par le biais de vidéoconférences en temps réel. En outre, la télésanté englobe également des services tels que la téléchirurgie, la télésurveillance des patient-es, le « stockage et transmission » (qui permet aux prestataires de soins de santé de transmettre des données ou des images médicales pour qu'elles soient examinées par des spécialistes et fassent l'objet d'un diagnostic rapide) et l'utilisation de dossiers médicaux électroniques et de plateformes numériques

de santé pour stocker, consulter et échanger des informations sur les patient-es en toute sécurité.

La **robotique** est utilisée dans les soins de santé dans une variété d'applications. La chirurgie assistée par robot permet aux chirurgiens de réaliser des opérations complexes avec une invasivité minimale et une précision et un contrôle accrus, ce qui permet de réduire les complications et d'accélérer le rétablissement. Les exosquelettes et les dispositifs robotiques peuvent contribuer à la rééducation en améliorant les mouvements des patient-es souffrant de troubles neurologiques ou d'une mobilité réduite, et aider le personnel soignant à déplacer les patient-es et à minimiser les contraintes physiques. En outre, les robots peuvent être utilisés dans le cadre de la télésanté pour permettre des consultations médicales à distance, ils peuvent permettre aux patient-es de conserver plus longtemps leur indépendance à domicile, et ils peuvent être utilisés pour fournir une compagnie et un soutien émotionnel aux patient-es.

La **technologie de l'impression 3D** est utilisée dans le contexte des soins de santé, principalement pour créer des implants médicaux personnalisés, des prothèses, des orthèses et des appareils orthopédiques adaptés à l'anatomie et aux besoins médicaux du patient. L'impression 3D peut également être utilisée pour produire des modèles de l'anatomie du patient afin d'organiser la planification préopératoire et la simulation de la chirurgie, et pour imprimer des instruments chirurgicaux spécialisés pour les chirurgies complexes.

2.2. Caractéristiques

2.2.1. Caractéristiques communes

Par rapport aux traitements et technologies conventionnels, les traitements et technologies innovants (voir l'Encadré I pour un aperçu illustratif) présentent certaines **caractéristiques différentes ou plus prononcées**.

a. Complexité

Les traitements et technologies innovants dans le domaine de la santé présentent une complexité inhérente dès lors qu'ils impliquent généralement de nouveaux mécanismes d'action et des systèmes avancés. Nombre de traitements innovants, à l'instar de la modification du génome, des immunothérapies et de la médecine régénérative, fonctionnent grâce à de nouveaux mécanismes biologiques. Par exemple, les techniques d'édition de gènes telles que le système CRISPR-Cas9 permettent une modification précise du génome en ciblant des défauts génétiques spécifiques, ce qui diffère radicalement des traitements classiques qui visent à atténuer les symptômes plutôt qu'à modifier le matériel génétique. Les immunothérapies exploitent le système immunitaire du corps pour reconnaître, cibler et détruire les cellules cancéreuses, ce qui diffère fondamentalement des thérapies conventionnelles telles que la chimiothérapie et la radiothérapie, qui attaquent indistinctement les cellules saines et les cellules cancéreuses. La médecine régénérative consiste à réparer ou à remplacer des tissus endommagés en s'appuyant sur la capacité de guérison naturelle du corps ou en recourant à des matériaux biologiques avancés, au lieu de traiter les symptômes ou de ralentir la progression de la maladie. En outre, les technologies telles que les chirurgies robot-assistées, les outils de diagnostic basés sur l'IA et la nanomédecine impliquent l'intégration de systèmes logiciels et matériels complexes qui nécessitent des connaissances techniques et cliniques hautement spécialisées.

b. Pluridisciplinarité

Les traitements et technologies innovants reposent sur la convergence des savoirs et des expertises de divers domaines tels que la médecine, la biologie, la (bio)ingénierie et les technologies de l'information. Cette collaboration pluridisciplinaire est essentielle à la mise au point et à l'application fructueuses des traitements et technologies innovants car elle permet l'intégration de perspectives distinctes qui favorisent les percées en matière de soins aux patient·es et de nouvelles méthodes de traitement, d'outils diagnostiques avancés et de techniques d'analyse de données sophistiquées. L'approche pluridisciplinaire offre la possibilité d'accélérer le rythme de l'innovation ainsi qu'un potentiel d'efficacité accru face aux défis complexes en matière de soins de santé.

c. Limitations dans l'établissement de l'efficacité

À mesure que les traitements et technologies innovants passent du stade expérimental à celui de l'application clinique, plusieurs défis se posent en vue d'établir leur efficacité. Une limitation importante réside dans le manque de preuves cliniques solides, dès lors que nombre de traitements et technologies innovants en sont encore aux premiers stades de leur application, si bien que les données d'innocuité et d'efficacité à long terme sont limitées. En l'absence d'études exhaustives et d'essais cliniques à grande échelle, il est difficile de déterminer la durabilité des bénéfices thérapeutiques, d'identifier les effets secondaires potentiels et d'évaluer si ces innovations surpassent les approches conventionnelles. Cette limitation complique le processus de validation pour les autorités réglementaires et les professionnel·les de la santé, ce qui empêche la pleine approbation des traitements et technologies innovants en tant qu'alternatives viables. En outre, les premiers essais ciblent souvent des groupes de patient·es restreints, ce qui soulève des préoccupations quant à la possibilité de généralisation des résultats auprès de populations diverses. Étant donné que la complexité et la nouveauté des traitements et technologies innovants ajoutent à la difficulté d'évaluer leur impact à long terme, il est essentiel d'opérer un suivi continu des données probantes aux fins d'assurer une intégration sûre et efficace dans les soins de santé.

d. Fragmentation des responsabilités

Le développement, la mise en œuvre et la gestion des traitements et des technologies de soins de santé innovants impliquent généralement une multitude de parties prenantes, et donc une fragmentation des responsabilités. Ces parties prenantes peuvent inclure des chercheuses ou des chercheurs à l'origine de découvertes scientifiques, des entreprises de biotechnologie qui traduisent ces découvertes en solutions prêtes à être commercialisées, des fabricants de matériel informatique et des personnes chargées du développement de logiciels qui créent l'infrastructure technologique nécessaire, des spécialistes des données qui traitent et interprètent de grandes quantités de données et des professionnel·les de la santé qui appliquent ces innovations en milieu clinique. De plus, les instances réglementaires sont chargées de superviser ces innovations et de s'assurer qu'elles répondent à des normes rigoureuses en matière d'innocuité, de qualité et d'efficacité. Cette division des rôles, bien que nécessaire pour faire progresser des innovations complexes, fait qu'il est difficile d'imputer une responsabilité claire lorsque des problèmes surviennent, comme des événements ou des réactions indésirables graves.

e. Vers des soins de santé personnalisés

Les traitements et les technologies innovants sont les moteurs d'une transition vers des soins de santé personnalisés, qui proposent des thérapies adaptées au capital génétique, au profil moléculaire, au mode de vie et aux facteurs environnementaux uniques de chaque patient·e. Portée par les progrès de la génomique, de l'intelligence artificielle et des nouvelles techniques thérapeutiques, cette approche vise à améliorer la précision du traitement et à réduire les effets indésirables. Dans certains domaines, comme l'oncologie, des approches personnalisées sont déjà mises en œuvre avec succès, notamment à travers les thérapies ciblant les récepteurs, tandis que dans d'autres domaines, ces approches demeurent une aspiration. Par conséquent, le temps nécessaire en vue de l'adoption de soins de santé personnalisés varie considérablement en fonction des traitements : certains en sont encore à un stade clinique précoce tandis que d'autres progressent rapidement. La médecine de précision utilise par exemple le séquençage du génome entier et la pharmacogénomique pour identifier les prédispositions génétiques aux maladies et optimiser les choix et les doses de médicaments pour chaque patient·e. L'IA joue également un rôle essentiel dans la personnalisation des traitements en analysant de vastes ensembles de données pour fournir des diagnostics plus précis et des plans de traitement personnalisés. Bien que la personnalisation des soins de santé promette des résultats significatifs, elle apporte néanmoins son lot de défis comme les coûts élevés et la nécessité d'infrastructures de soins sophistiquées.

2.2.2. Caractéristiques notables des traitements et technologies innovants sélectionnés

Outre les caractéristiques générales qui distinguent les traitements et technologies innovants des traitements et technologies conventionnels, certains traitements et technologies innovants possèdent également des caractéristiques notables susceptibles de poser des difficultés en vue de l'évaluation de leur qualité, de leur innocuité et de leur efficacité, ou de soulever des préoccupations éthiques nouvelles ou plus prononcées.

a. Irréversibilité des effets

Certains traitements et technologies innovants entraînent des effets irréversibles plus larges et plus profonds que ceux des traitements conventionnels, dont l'effet est souvent réversible ou plus localisé. Une fois administrés ou appliqués, ces traitements et technologies innovants entraînent des changements systémiques permanents à un niveau biologique fondamental et ne laissent que peu voire aucune possibilité de rétablir l'état du patient tel qu'il était avant l'intervention. Par exemple, les techniques d'édition de gènes telles que le système CRISPR-Cas9 et les immunothérapies telles que les thérapies CAR T fonctionnent aux niveaux génétique et moléculaire dans le but de modifier fondamentalement les processus biologiques. Ces interventions peuvent entraîner des changements permanents au niveau du

système d'expression des gènes ou du fonctionnement du système immunitaire. De même, les neurotechnologies telles que la stimulation cérébrale profonde, qui consiste à implanter des électrodes dans le cerveau pour moduler l'activité neuronale, peuvent induire des altérations à long terme, voire permanentes, de la fonction cérébrale.

b. Opacité

En raison de leur nouveauté, de leur complexité ou de leur manque de transparence, certains traitements et technologies innovants induisent un niveau d'opacité important. Il est donc difficile pour les professionnel·les de la santé et les instances réglementaires de bien comprendre leurs mécanismes et leurs implications potentielles, ce qui peut laisser les patient·es dans l'incertitude quant à leurs traitements. Par exemple, les systèmes de diagnostic reposant sur l'IA fonctionnent souvent tels des « boîtes noires » car leurs processus décisionnels, basés sur des algorithmes complexes d'auto-apprentissage, sont difficiles à interpréter ou à valider pour les clinicien·nes, ce qui explique que certain·es peuvent hésiter à faire pleinement confiance aux résultats générés par l'IA. De même, les traitements tels que l'édition de gènes et l'immunothérapie introduisent de nouveaux mécanismes d'action qui ne sont pas nécessairement compris dans leur entièreté, en particulier en ce qui concerne les effets non intentionnels et les résultats à long terme. Il est fréquent que les professionnel·les de la santé doivent se tourner vers des expert·es externes ou des travaux de recherche de pointe pour interpréter des données complexes ou qu'il leur soit difficile de se tenir au fait des progrès rapides accomplis dans le domaine, ce qui peut engendrer des lacunes dans les connaissances et éroder la confiance dans l'innocuité, l'efficacité et la qualité de ces innovations.

c. Implication des acteurs commerciaux

L'introduction de certains traitements et technologies innovants a entraîné une expansion significative de la participation des acteurs commerciaux dans le domaine des soins de santé, y compris les entreprises technologiques, les sociétés qui fournissent des données et les plateformes de réseaux sociaux. Cette implication accrue soulève des préoccupations quant aux conflits d'intérêts potentiels, à la commercialisation des données de santé et à l'influence externe sur les choix thérapeutiques. Les sociétés qui fournissent des données peuvent ainsi avoir un intérêt commercial vis-à-vis des données de santé qu'elles stockent et analysent. Sous l'effet de l'entrée des grandes entreprises technologiques et des plateformes de réseaux sociaux dans le domaine de la santé, les professionnel·les du secteur et les patient·es peuvent se voir incité·es à adopter des solutions à forte intensité technologique, avec un risque de mise à l'écart des traitements et technologies plus traditionnels mais dont l'efficacité peut être équivalente, voire supérieure. Une telle réorientation est susceptible de créer un biais technologique dans la prestation des soins de santé. En outre, ces acteurs peuvent contribuer à la surmédiation et à la commercialisation de thérapies et de technologies non éprouvées et ainsi alimenter les attentes irréalistes des patient·es et amener la société à faire pression sur les organismes de réglementation afin d'accélérer les procédures d'approbation.

d. Big Data

L'essor des traitements et technologies innovants a fait du Big Data une composante centrale des soins de santé modernes. L'intégration du Big Data implique la collecte, le stockage et la mise en relation de divers types d'ensembles de données, tels que les dossiers médicaux électroniques, les données génétiques, les données sur le mode de vie et le suivi en temps réel des patient·es, sur des plateformes et appareils divers. Les applications du Big Data se développent rapidement, dans le but de permettre des approches plus efficaces, proactives et personnalisées des soins aux patient·es. Le Big Data permet une transition vers la médecine de précision, qui assure des traitements adaptés à chaque individu en fonction de son profil génétique et de son mode de vie uniques, favorisant ainsi une détection plus précoce des maladies, des plans de traitement plus précis et une meilleure prévision des résultats en matière de santé. Le Big Data présente l'avantage majeur de permettre un suivi en temps réel via des dispositifs portables et des capteurs, et donc une surveillance continue de la santé des patient·es en dehors du cadre clinique qui favorise des interventions plus

rapides et une meilleure prise en charge des maladies chroniques. Le Big Data facilite également l'analyse prédictive, qui permet d'identifier les individus à haut risque avant que de graves problèmes de santé ne surviennent, ce qui appuie encore davantage la transition d'un système de santé réactif vers un système de santé proactif. Cependant, l'utilisation intensive du Big Data apporte également son lot de préoccupations éthiques concernant la vie privée, la transparence et le potentiel de discrimination. Étant donné que l'implication de tiers, tels que des sociétés pharmaceutiques, des entreprises technologiques et des compagnies d'assurance, augmente le risque d'utilisation abusive d'informations sensibles sur la santé, des mesures robustes sont à mettre en place afin de protéger les données.

e. Intégration numérique

Nombre de traitements et technologies innovants reposent dans une large mesure sur l'intégration numérique et la connectivité des systèmes de santé, ce qui représente un changement de paradigme dans la prestation et la gestion des soins de santé. On parle ici de la santé 4.0. L'intégration numérique dans le domaine des soins de santé fait référence à l'utilisation croissante d'outils, de plateformes et de technologies numériques interconnectés, tels que les dossiers médicaux électroniques, la télémédecine, les appareils portables, le suivi des patient-es à distance, les plateformes basées sur le cloud et les outils de diagnostic basés sur l'IA. Ces outils permettent un traitement plus rapide des données, une meilleure communication et une collaboration plus efficace entre les professionnel·les de la santé, et contribuent par conséquent à une gestion des soins de santé plus efficace et coordonnée. Cette transformation numérique favorise également une approche en temps réel plus intégrée et personnalisée des soins aux patient-es, qui permet d'identifier de nouvelles voies de traitement ainsi que des interventions plus proactives, préventives et personnalisées. S'éloignant des modèles de soins traditionnels et réactifs qui reposent généralement sur des processus diagnostiques plus lents et des traitements généralisés, cette approche se fonde sur un modèle de soins axé sur les données qui permet aux professionnel·les de la santé et aux patient-es de prendre des décisions thérapeutiques plus éclairées et en temps opportun, sur la base d'un ensemble complet de données concernant les patient-es.

f. Des modèles de prestation de soins innovants

Outre la tendance générale en faveur de soins plus proactifs, préventifs et personnalisés, les traitements et technologies innovants liés au Big Data et à l'intégration numérique favorisent l'émergence de nouveaux modèles de prestation de soins. La télémédecine illustre parfaitement ce point, puisqu'elle permet aux professionnel·les de santé d'assurer des consultations, des diagnostics et des recommandations thérapeutiques à distance via des plateformes numériques. Les consultations en personne deviennent moins nécessaires, ce qui améliore l'accès aux soins de santé, en particulier dans les zones rurales ou mal desservies. La pandémie de COVID-19 a encore accéléré cette transition car la télémédecine était devenue essentielle lorsque les consultations en face à face étaient limitées. Le suivi continu de la santé par le biais de dispositifs portables et de systèmes de surveillance à distance des patient-es constitue un autre élément de ces modèles de soins innovants. Des dispositifs tels que les trackers de forme physique, les moniteurs de rythme cardiaque et les capteurs de glycémie peuvent être intégrés dans les systèmes de soins et ainsi permettre un suivi en temps réel des signes vitaux et des indicateurs de santé. Ces données peuvent être partagées avec les professionnel·les de la santé, ce qui permet des interventions plus personnalisées et opportunes, deux aspects particulièrement bénéfiques dans la prise en charge des maladies chroniques comme le diabète et les maladies cardiaques.

L'on peut ainsi proposer à des patient-es cardiaques d'utiliser des dispositifs de suivi du rythme cardiaque à distance, qui sont équipés de capteurs reliés à la peau pour détecter le rythme cardiaque et l'activité électrique. Les visites à l'hôpital deviennent alors moins fréquentes dès lors que toute anomalie significative est immédiatement signalée au personnel hospitalier, ce qui permet une intervention rapide, comme l'adaptation des médicaments ou, dans les cas plus graves, l'implantation d'un stimulateur cardiaque ou d'un défibrillateur cardiaque.

g. Intégration de la technologie dans le corps humain

Certains traitements et technologies innovants redéfinissent la relation entre la technologie et le corps humain, car les dispositifs et les thérapies non seulement interagissent avec les systèmes biologiques, mais s'y intègrent de plus en plus. Les neurotechnologies, par exemple, sont conçues pour interagir avec le cerveau en modulant l'activité neuronale de manière à améliorer les fonctions cognitives et motrices, avec des applications encore essentiellement expérimentales telles que l'interface cerveau-machine (ICM), qui permet par exemple aux individus de contrôler des dispositifs externes tels que des prothèses ou des ordinateurs à l'aide de leurs ondes cérébrales. De plus, la médecine bioélectronique fusionne biologie et électronique en développant des dispositifs implantables qui utilisent des impulsions électriques pour moduler les signaux nerveux dans le but de rétablir ou d'ajuster les fonctions physiologiques normales dans le cas de maladies chroniques telles que le diabète et l'arthrite. Dans le domaine de la médecine régénérative, des innovations telles que les biomatériaux en échafaudage, qui sont des structures artificielles servant de support pour la croissance tissulaire et progressivement absorbées par le corps, sont utilisées dans la cicatrisation des plaies, les chirurgies et l'orthopédie.

h. Accès à l'état mental

Certaines technologies innovantes commencent à offrir des possibilités d'accès sans précédent aux fonctions cognitives et aux états émotionnels qui étaient jusqu'alors inaccessibles ou difficiles à mesurer ou à traiter. Les technologies de neuro-imagerie, par exemple, permettent aux professionnel·les de la santé de visualiser l'activité cérébrale et de mieux comprendre comment certaines zones du cerveau ou des changements dans la connectivité neuronale influent sur les émotions et les processus cognitifs, comme la prise de décision ou la mémoire. D'autres neurotechnologies, telles que la stimulation cérébrale profonde, sont utilisées pour modifier la fonction cérébrale et pourraient aboutir à un traitement face à des maladies comme la maladie de Parkinson, la dépression sévère et les troubles obsessionnels compulsifs. Également, on utilise la réalité virtuelle pour accéder à et traiter des conditions psychologiques telles que les phobies, l'anxiété et le trouble de stress post-traumatique en immergeant les patient·es dans des environnements contrôlés où les thérapeutes peuvent adapter le traitement en temps réel en fonction de leur rétroaction émotionnelle et cognitive.

3. Défis liés à l'évaluation de la qualité et de la supériorité

Les traitements et les technologies innovants rendent la prise de décision en matière de soins de santé particulièrement complexe, en particulier en raison de leur nature évolutive et des incertitudes entourant leur innocuité et leur efficacité à long terme. Ces défis revêtent une importance déterminante dès lors que l'article 3 de la Convention sur les Droits de l'Homme et la biomédecine souligne la nécessité d'un accès équitable à des soins de santé de qualité « appropriée », c'est-à-dire à des soins répondant à « une qualité appropriée, eu égard à l'état de la science ». Les difficultés rencontrées pour évaluer l'innocuité et l'efficacité de ces innovations et déterminer si elles apportent des améliorations par rapport à la norme de soins existante rendent le processus de validation plus complexe pour les autorités réglementaires et les professionnel·les de la santé. Cette section se propose d'examiner les défis en question en mettant l'accent sur les obstacles susceptibles d'en résulter et de contrarier l'accès aux traitements et technologies innovants.

3.1. Qualité et supériorité des traitements et des technologies innovants

Plusieurs facteurs rendent difficile l'évaluation de l'innocuité, de l'efficacité et des bénéfices potentiels des technologies et traitements innovants.

3.1.1. Disponibilité limitée de preuves cliniques solides

La disponibilité limitée de preuves cliniques solides constitue une difficulté majeure. Nombre de traitements innovants reposent sur des technologies de pointe qui en sont encore aux premiers stades de leur application clinique, si bien que les données d'innocuité et d'efficacité à long terme sont souvent limitées. Il conviendra d'entreprendre des études approfondies afin d'évaluer leur efficacité, de surveiller leurs effets à long terme et d'évaluer leur performance dans le cadre d'applications cliniques à plus large échelle. On déplore en outre pour un grand nombre de ces traitements un manque d'essais cliniques à grande échelle et de données longitudinales fiables, pourtant essentiels aux fins de déterminer la durabilité des bénéfices thérapeutiques, d'identifier les effets secondaires potentiels et de comparer ces nouvelles thérapies aux normes établies en matière de diagnostic ou de traitement. En raison de ce manque de données solides, il peut être difficile de déterminer si ces nouveaux traitements sont supérieurs ou même équivalents aux options thérapeutiques plus conventionnelles, ce qui peut compliquer les efforts des organismes réglementaires, des autorités de remboursement et des professionnel·les de la santé afin de valider ces traitements et les approuver pleinement en tant qu'alternatives viables aux traitements conventionnels.

3.1.2. Préoccupations quant à la possibilité de généralisation des résultats

Il est souvent difficile de généraliser auprès de diverses populations de patient·es les résultats obtenus dans le cadre de traitements innovants dès lors que les premiers essais cliniques sont généralement menés dans des environnements contrôlés et se concentrent sur des groupes de patient·es très spécifiques. Ces essais n'assurent que rarement une représentation suffisante des catégories démographiques clés, telles que les femmes, les personnes âgées, les minorités ethniques ou les patient·es souffrant de maladies rares ou de problèmes de santé préexistants, si bien que leur application dans des contextes cliniques réels produit des résultats thérapeutiques inégaux. Cela est particulièrement vrai pour les thérapies innovantes, dont la réponse peut être influencée par des facteurs intrinsèques (polymorphisme génétique, âge, sexe, taille, poids, masse maigre, composition corporelle et dysfonctionnement des organes, par exemple) et extrinsèques (facteurs associés à l'environnement et au contexte culturel de la personne, par exemple). Si l'on prend l'exemple du métabolisme des médicaments, dont les différences en fonction de l'origine ethnique, du genre, de l'âge et des variations génétiques sont bien documentées, les traitements introduits en l'absence d'essais inclusifs à grande échelle peuvent être moins efficaces, voire nocifs, pour les populations sous-représentées. Pour promouvoir l'équité dans les soins de santé, il

est essentiel d'accroître la diversité des participants aux essais cliniques de sorte qu'ils reflètent plus fidèlement la diversité des populations dans le monde réel. Cette approche inclusive garantit l'innocuité et l'efficacité des traitements innovants pour tous les groupes de patient-es et évite ainsi le risque que certains groupes bénéficient de façon disproportionnée de ces avancées, et donc perpétuent, voire exacerbent, les inégalités dans le domaine de la santé.

3.1.3. Biais algorithmique

Bien que les systèmes d'IA utilisés dans les soins de santé aient le potentiel d'améliorer de manière significative la prise de décision clinique, ils s'accompagnent néanmoins d'un risque de biais algorithmique, en particulier lorsqu'ils reposent sur des ensembles de données déséquilibrés ou incomplets. Certaines populations comme les femmes, les personnes âgées, les minorités ethniques et les personnes atteintes de maladies rares n'ont jamais bénéficié d'une représentation adéquate dans le cadre des essais cliniques et des ensembles de données médicales. Lorsque les systèmes d'IA sont entraînés, testés ou validés sur la base de données ainsi biaisées, les algorithmes qui en résultent peuvent produire des résultats biaisés à l'encontre des groupes sous-représentés, en ce sens qu'ils risquent d'être mal diagnostiqués ou de se voir proposer des traitements moins efficaces, voire nocifs, renforçant ainsi les inégalités en matière de santé. L'atténuation des biais algorithmiques exige des efforts continus afin de garantir que les ensembles de données utilisés pour l'entraînement des systèmes d'IA sont inclusifs et représentatifs de populations diverses et que les systèmes d'IA sont évalués et surveillés pour détecter les biais dans leurs résultats en appliquant des cadres d'analyse comparative des biais, avec le concours d'équipes diversifiées chargées d'évaluer la qualité des données.¹ De plus, pour permettre aux professionnel·les de la santé de comprendre comment les recommandations dérivées de l'IA sont générées, d'évaluer la pertinence des traitements suggérés et de détecter les risques potentiels de biais et de discrimination, il est essentiel d'améliorer la transparence et l'explicabilité des modèles d'IA. Ces mesures sont déterminantes en vue de permettre à toutes les populations de patient-es de bénéficier des avantages offerts par les technologies médicales reposant sur l'IA tout en garantissant que ces bénéfices ne renforcent ni n'exacerbent de manière involontaire les inégalités existantes en matière de santé.

3.1.4. Impact des facteurs externes dans l'évaluation de la qualité

Au cours des premières phases de l'introduction d'un nouveau traitement ou d'une nouvelle technologie, il peut être difficile d'en évaluer l'efficacité et de les comparer aux alternatives existantes du fait de facteurs externes tels que le battage publicitaire, l'intérêt des médias et la défense des intérêts des patient-es, qui sont tous susceptibles de créer des attentes irréalistes ou trompeuses. Les entreprises qui développent ces innovations emploient souvent des stratégies de marketing agressives, présentant leurs produits comme des découvertes révolutionnaires, même lorsque les données cliniques disponibles pour étayer ces allégations ne sont que limitées. Pour les patient-es et les professionnel·les de la santé, ces stratégies peuvent créer le sentiment que les nouvelles technologies sont, par principe, supérieures aux traitements traditionnels, malgré un manque de données solides. Les médias jouent un rôle décisif dans l'amplification de ce battage publicitaire lorsqu'ils choisissent de couvrir des essais cliniques de phase initiale ou des thérapies expérimentales dont les résultats s'annoncent prometteurs, sous des titres qui ne rendent pas compte de la réalité nuancée des preuves médicales. Il peut en résulter des attentes irréalistes dès lors que ces innovations sont présentées comme des solutions définitives à des problèmes médicaux complexes, même lorsqu'il subsiste des lacunes substantielles dans les données. En outre, bien qu'essentiels pour promouvoir les droits des patient-es et appuyer l'accès à des traitements prometteurs en temps opportun, les groupes de défense des patient-es peuvent faire pression pour un accès accéléré aux traitements en se basant sur des exemples de réussite anecdotiques ou des résultats d'essais préliminaires. Leurs efforts, même s'ils relèvent de bonnes intentions, peuvent faire peser une pression accrue sur les instances réglementaires en vue de l'approbation ou du remboursement des traitements avant que l'on dispose de

preuves suffisantes concernant leur innocuité et les bénéfices procurés sur le long terme. L'influence combinée de ces pressions externes peut entraîner des approbations prématurées ou l'adoption précipitée de traitements n'ayant pas encore fait l'objet d'une évaluation approfondie, ce qui pourrait entraîner des résultats négatifs pour les patient-es ou une allocation inefficace des ressources en matière de soins de santé.

3.1.5. Difficultés dans la détermination des normes professionnelles

Comme énoncé à l'article 4 de la Convention sur les Droits de l'Homme et la biomédecine, toute intervention dans le domaine de la santé doit être effectuée dans le respect des normes et obligations professionnelles en vigueur. À cet égard, le rapport explicatif précise que le niveau professionnel attendu est déterminé par l'état actuel de la science et en « suivant les progrès de la médecine, il évolue au gré des nouveaux développements et élimine les méthodes qui ne reflètent pas l'état actuel de la science ».ⁱⁱ En raison de la rapidité des progrès et de la nature évolutive de la pratique médicale, les professionnel·les de la santé rencontrent de plus en plus de difficultés pour déterminer si un traitement innovant supplante un traitement ou une technologie établi-e, auquel cas la norme de soins doit évoluer. La disponibilité limitée de preuves cliniques solides ainsi que les préoccupations quant à la possibilité de généralisation des résultats cliniques parmi diverses populations de patient-es peuvent accentuer ces difficultés, ce qui fait que les professionnel·les de la santé ont du mal à évaluer leurs bénéfices concrets pour chaque patient-e. Du fait des implications potentielles en matière de responsabilité professionnelle et de conformité réglementaire, la question de savoir quand intégrer de nouveaux traitements et technologies dans la pratique des soins de santé devient encore plus complexe et oblige les professionnel·les de la santé à suivre avec attention l'évolution des normes de soins tout en mettant en balance les risques et les bénéfices pour leurs différent-es patient-es.

Lorsqu'il s'agit d'assurer la conformité avec les normes professionnelles fondées sur l'intérêt supérieur des patient-es, la mise en œuvre de l'IA dans le domaine des soins de santé pose des défis uniques, principalement en raison du manque de transparence, d'explicabilité et de reproductibilité. Dans le cas des modèles d'IA opérant comme des « boîtes noires », et qui peuvent produire des résultats très précis, il est quasiment impossible pour les prestataires de soins de santé de comprendre les raisons sur lesquelles leurs décisions se basent, ce qui nuit à la capacité d'évaluer la pertinence des recommandations thérapeutiques générées par l'IA et de détecter les erreurs et les biais potentiels. En conséquence, les professionnel·les de la santé pourraient soit s'appuyer sur l'IA de manière excessive, soit la rejeter complètement, avec, dans les deux cas, des conséquences négatives sur les soins dispensés aux patient-es. Alors que l'adoption d'une nouvelle technologie entraîne une perte de compétences (déqualification) et requiert simultanément l'acquisition de nouvelles compétences (mise à niveau), l'adoption rapide de l'IA dans les soins de santé pose un risque particulièrement important. Les professionnel·les de la santé pourraient devenir excessivement dépendant·es des recommandations de l'IA sans comprendre pleinement le raisonnement médical sous-jacent, ce qui pourrait conduire à un déclin de la réflexion critique et de l'aptitude à diagnostiquer au fil du temps. Pour atténuer ces risques, il est crucial de gérer avec précaution la transition vers des soins de santé fondés sur l'IA. Il convient de développer des lignes directrices et des règlements clairs concernant le développement et l'utilisation des systèmes d'IA, en veillant à ce que ces systèmes soient rigoureusement validés par des essais cliniques et soumis à des normes réglementaires afin de garantir leur innocuité et leur fiabilité. Il est également essentiel de soutenir et d'autonomiser les professionnel·les de la santé pendant cette transition, de promouvoir des normes minimales régissant l'information et l'explicabilité dans les systèmes d'IA, et de veiller à ce que l'IA dans les soins de santé soit soumise à un contrôle humain significatif. En outre, les professionnel·les de la santé devraient conserver la liberté de prendre de la distance à l'égard des résultats des systèmes d'IA ou de s'y opposer en cas d'incertitudes et ainsi préserver leurs compétences cliniques fondamentales tout en acquérant l'expertise technologique nécessaire.ⁱⁱⁱ

3.2. Complexité du processus décisionnel

Les difficultés liées à l'évaluation de l'innocuité, de l'efficacité et de la supériorité potentielle des traitements et technologies innovants sont telles que les décisions relatives à leur disponibilité ou à leur hiérarchisation sont particulièrement complexes. Ce processus est d'autant plus complexe que d'autres facteurs liés à la nature distinctive et à l'impact plus large de ces innovations sont également à considérer avec attention.

3.2.1. Difficultés à concilier intérêts individuels et intérêts de santé publique

La disponibilité et la hiérarchisation des traitements et des technologies innovants peuvent se répercuter de manière significative à la fois sur les résultats de chaque patient·e et sur la santé publique au sens large. Les thérapies avancées, telles que la thérapie CAR T, l'édition de gènes ou les immunothérapies, offrent la possibilité d'améliorer considérablement l'existence des patient·es atteint·es de maladies graves, voire de leur sauver la vie, en particulier lorsque les traitements conventionnels ont échoué. Pour ces patient·es, pour qui l'accès à des thérapies révolutionnaires peut être une question de vie ou de mort, les décisions concernant leur disponibilité et leur hiérarchisation sont particulièrement lourdes de conséquences. Cependant, ces décisions amènent leur lot de défis. Certains traitements, comme les thérapies géniques ou la nanomédecine, peuvent entraîner des répercussions non anticipées de grande portée sur la santé publique, même lorsqu'ils présentent des bénéfices évidents pour les patient·es. De plus, le coût élevé de nombreux traitements et technologies innovants ajoute encore à la difficulté du processus décisionnel. Les systèmes de soins de santé doivent mettre en balance les besoins immédiats des patient·es qui souffrent de pathologies graves ou potentiellement mortelles et la viabilité financière à long terme. Il en résulte un dilemme éthique : comment assurer l'accès des personnes qui en ont besoin sans surcharger le système ou limiter l'accès aux innovations à l'avenir. En outre, compte tenu de la complexité et de la technicité de ces traitements, la prise de décision doit impliquer un groupe diversifié d'experts de diverses disciplines. Bien que la collaboration interdisciplinaire soit essentielle, elle implique des niveaux de complexité supplémentaires. Les acteurs tels que les professionnel·les de la santé, les groupes de défense des patient·es, les organes réglementaires et les sociétés pharmaceutiques affichent souvent des priorités contradictoires, ce qui peut compliquer le processus décisionnel. Les professionnel·les de la santé mettent par exemple l'accent sur les résultats cliniques et sur la sécurité des patient·es, tandis que les groupes de défense des patient·es peuvent donner la priorité à la rapidité d'accès à des traitements potentiellement vitaux. Les organes réglementaires, quant à eux, doivent s'assurer que ces thérapies répondent aux normes d'innocuité et d'efficacité avant qu'elles ne deviennent accessibles à un large public.

3.2.2. Difficultés à définir ce qui est « raisonnable »

Dans le contexte des traitements et technologies innovants, il est particulièrement difficile de définir ce qui est « raisonnable » en termes d'autorisation d'accès en raison de l'évolution des données probantes, de l'incertitude scientifique, des perspectives des différentes parties prenantes et des possibilités d'améliorations futures. Conformément à l'article 10 de la Recommandation CM/Rec(2023)1 sur l'accès équitable aux médicaments et aux équipements médicaux en situation de pénurie, l'accès aux médicaments et aux équipements médicaux et la fixation des priorités en la matière devraient s'appuyer sur les meilleurs éléments de preuve disponibles. Ces preuves doivent reposer sur des paramètres pertinents, mesurables, clairs, objectifs et cohérents. Cependant, par rapport aux thérapies plus établies, des problèmes distincts se posent concernant les traitements et les technologies innovants car ils manquent souvent d'un corpus de preuves solides sur l'innocuité et l'efficacité. Ce manque de données, aggravé par la nature continue des essais cliniques et l'incertitude entourant les résultats à long terme, crée des difficultés pour élaborer des arguments solides en faveur de leur intégration dans les systèmes de soins de santé et pour déterminer la priorité à accorder aux patient·es. Qui plus est, les traitements et les technologies innovants peuvent être très complexes et leurs mécanismes d'action sont nouveaux, de sorte qu'il est difficile pour les

décideurs d'en comprendre pleinement les bénéfices, les risques ainsi que les implications à long terme. En outre, face au rythme rapide de l'innovation, les décideurs doivent fréquemment revoir leurs arguments quant à ce qui est raisonnable afin d'intégrer de nouvelles preuves et de nouveaux traitements, technologies et applications.

Ce qui est « raisonnable » peut également varier en fonction des perspectives des différentes parties prenantes. Influencés par l'écho médiatique ainsi qu'un niveau d'attente supérieur, les groupes de défense des patient-es et le public peuvent avoir des opinions différentes à propos de ce qui est pertinent et équitable en termes d'accès, en particulier lorsque le traitement peut sauver ou changer une vie en l'absence de toute alternative. Cette divergence de vues peut compliquer le processus décisionnel et donc rendre difficile le maintien d'une approche équilibrée et fondée sur des données probantes. Par ailleurs, lors de l'évaluation du caractère raisonnable d'un traitement innovant, en particulier d'un traitement qui apporte initialement des bénéfices limités, il peut être essentiel de tenir compte de son potentiel futur. Certaines thérapies qui ne procurent initialement que des bénéfices modestes, tels qu'une prolongation de la vie de quelques semaines en oncologie, peuvent ensuite évoluer et produire des résultats nettement supérieurs au fur et à mesure que se développe l'expérience clinique. Compte tenu de cette nature dynamique de l'innovation, l'élaboration des politiques doit s'inscrire dans le cadre d'une démarche flexible et tournée vers l'avenir, afin de pouvoir s'adapter à la valeur que pourraient présenter les traitements à l'avenir.

3.2.3. Difficultés liées au maintien de la cohérence des politiques d'accès

Le principe énoncé à l'article 12 de la Recommandation CM/Rec(2023)¹ selon lequel les politiques qui définissent et mettent en œuvre les normes d'établissement des priorités doivent être appliquées de manière cohérente est également essentiel dans le contexte des traitements et des technologies innovants. L'application cohérente de politiques fondées sur des critères prédéterminés contribue à prévenir la discrimination, à promouvoir la transparence dans la prise de décision et, ainsi, à renforcer la confiance dans le système de santé et les décideurs, à permettre l'allocation efficace de ressources limitées en matière de soins de santé et à offrir une certaine prévisibilité aux patient-es et aux prestataires de soins de santé. Cependant, le principe de cohérence peut être plus difficile à appliquer dans le contexte des traitements et technologies innovants que dans celui des traitements et technologies plus conventionnels, étant donné que les politiques peuvent nécessiter une adaptation fréquente et permanente à la lumière des progrès technologiques rapides et de l'évolution de la base factuelle. Les politiques qui définissent et mettent en œuvre les normes d'établissement des priorités doivent être conçues pour empêcher la corruption, les exceptions arbitraires, l'accès sur la base des moyens financiers, les activités telles que le lobbying et l'ingérence politique. Cela est particulièrement important dans le contexte des traitements et des technologies innovants, où l'accès rapide peut être une question de vie ou de mort. Les patient-es, leurs familles et les groupes de défense des patient-es peuvent intensifier leurs efforts de lobbying pour obtenir des approbations, des remboursements ou un accès exceptionnel aux nouveaux traitements.

3.2.4. Nécessité d'impliquer davantage de parties prenantes

Conformément à l'article 11 de la Recommandation CM/Rec(2023)¹, le processus de détermination de l'accès aux médicaments et aux équipements médicaux et de fixation des priorités connexes se doit d'être inclusif afin de garantir que les points de vue de toutes les parties susceptibles d'être affectées par les décisions qui en résultent soient représentés. Si le critère d'une participation significative est important dans le contexte des médicaments et des équipements médicaux, il est encore plus crucial dans le contexte des traitements et des technologies innovants car leur déploiement peut avoir un impact sur un éventail plus large et plus diversifié de parties prenantes. Contrairement aux traitements conventionnels, ces innovations impliquent souvent des avancées scientifiques complexes, qui intègrent des découvertes scientifiques de pointe, des percées en ingénierie et des outils numériques qui nécessitent une collaboration entre plusieurs disciplines, telles que la médecine, l'ingénierie

et la science des données. La contribution d'un large éventail d'expert·es, de clinicien·nes, de patient·es et d'éthicien·nes est nécessaire pour évaluer les bénéfices, les risques et les implications de ces traitements, en particulier à la lumière des incertitudes, de l'évolution des données probantes et des progrès rapides dans ce domaine.

En outre, les traitements et technologies innovants peuvent avoir des lourdes conséquences sur le plan sociétal, qui ne se limitent donc pas à leurs applications cliniques. Ces thérapies soulèvent souvent des questions éthiques, juridiques et sociétales plus complexes que les traitements conventionnels. Par exemple, les discussions qui entourent la hiérarchisation de l'accès à des innovations permettant de sauver des vies, telles que les thérapies géniques ou la nanomédecine, peuvent être plus controversées, en particulier lorsqu'elles impliquent des retombées potentielles sur les générations futures. Également, les traitements avancés peuvent soulever des préoccupations budgétaires qui sont soit inexistantes, soit moins importantes dans le cadre des traitements conventionnels. La participation du public revêt elle aussi une importance cruciale, non seulement pour répondre à ces préoccupations mais aussi parce que les progrès biomédicaux pourraient avoir un impact plus déterminant sur la confiance du public dans la biomédecine que les traitements et les technologies conventionnels. Cela exigera peut-être de recueillir des données sur la façon dont les différents groupes sont affectés par les décisions de fixation des priorités et d'identifier les disparités qui nécessitent un ajustement des politiques.

Toutefois, les efforts visant à favoriser le principe d'inclusion dans le cadre de la prise de décision impliquent également certains défis. La diversité des parties prenantes rend plus difficile la représentation adéquate de tous les points de vue pertinents. En outre, veiller à ce que les non-expert·es, y compris les groupes de patient·es, aient leur mot à dire dans le processus de prise de décision nécessitera bien plus de ressources et sera beaucoup plus exigeant. Il conviendra de déployer d'importants efforts pour éduquer ces groupes, compte tenu de la complexité, de l'évolution rapide et du caractère potentiellement contentieux des traitements et des technologies innovants. Des efforts considérables seront également nécessaires pour informer ces parties prenantes des preuves disponibles et gérer les attentes de la population, tout en les éduquant aux nuances du processus de prise de décision. Le principe d'inclusion exige une coordination minutieuse et une communication transparente entre les différents groupes. En dépit de ces divers défis, il est essentiel de faire en sorte que toutes les parties prenantes, y compris les patient·es, jouent un véritable rôle dans la prise de décision, de façon à permettre l'élaboration de politiques équilibrées et équitables. Ce caractère inclusif contribue également à garantir que les décisions s'inscrivent dans un processus démocratique délibératif plus large impliquant tous les groupes susceptibles de subir les conséquences. Le dialogue avec les citoyens, tel que recommandé dans le [Guide pour le débat public relatif aux droits de l'homme et la biomédecine](#), offre un modèle utile pour encourager cette participation et veiller à ce que les dimensions scientifique, sociétale et éthique des traitements et technologies innovants soient dûment prises en compte, de manière à rendre la prise de décision plus transparente et équitable

4. Les défis à l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés

4.1. Accessibilité financière

Le coût élevé des traitements et technologies innovants constitue généralement l'obstacle le plus important dans l'accès à ces innovations. Bien que certaines innovations, telles que les applications de santé mobile (m-santé) et la télémédecine, soient relativement abordables et puissent même contribuer à réduire les dépenses de santé globales, le coût de nombre de traitements avancés reste prohibitif pour la majorité des patient-es. Une fois que ces innovations ont reçu une autorisation de mise sur le marché, l'accès dépend largement des politiques de remboursement en vigueur au niveau du système de santé. Pour la plupart des patient-es, les décisions concernant l'accès à ces innovations sont donc prises à un stade plus précoce, lorsqu'il est décidé des traitements ou technologies qui seront remboursés, tandis que dans le cas des traitements conventionnels, ces décisions sont généralement fonction des priorités établies. Ainsi, s'il est décidé qu'une technologie ou un traitement innovant ne sera pas pris en charge par l'assurance maladie publique, il devient pratiquement inaccessible pour la plupart des patient-es. Il en résulte d'importantes disparités d'accès entre les patient-es aisé-es et celles ou ceux dont les moyens financiers sont limités, ce qui renforce et exacerbe les inégalités existantes en matière de santé.

Parmi les exemples de traitements innovants et de technologies de la santé extrêmement coûteux figurent les thérapies géniques (par ex. le Zolgensma, thérapie génique de l'amyotrophie spinale chez les nourrissons, peut coûter plus de 2 millions d'euros par traitement ; le Luxturna, thérapie génique de la dystrophie rétinienne héréditaire, coûte 850 000 euros par œil), les thérapies CAR T (le Kymriah et le Yescarta, thérapies de la leucémie lymphoblastique aiguë et du lymphome non hodgkinien, coûtent plusieurs centaines de milliers d'euros par traitement), Kymriah et Yescarta pour le traitement de la leucémie lymphoblastique aiguë et du lymphome non hodgkinien coûtent plusieurs centaines de milliers d'euros par traitement), les immunothérapies (Keytruda et Opdivo pour le traitement du mélanome et du cancer du poumon peuvent coûter plus de 100 000 euros pour un an de traitement), la médecine de précision (Lynparza, traitement de précision pour les cancers avancés de l'ovaire et du sein présentant des mutations génétiques spécifiques, coûte plus de 100 000 euros par an), et de nombreux traitements pour les maladies rares.

Plusieurs facteurs contribuent à ces prix élevés, y compris des coûts de développement et de production élevés, des essais cliniques coûteux et des procédures d'approbation réglementaire, des considérations de propriété intellectuelle, le niveau de concurrence, la demande du marché et les marges bénéficiaires qui sont informées par les économies de coûts à long terme attendues de ces traitements et la « volonté de payer » des individus et de la société dans son ensemble. Le principal facteur contribuant à un prix élevé est l'analyse du marché, qui n'est souvent pas liée de manière transparente au prix proposé. Étant donné que, pour la plupart des patient-es, la disponibilité dépendra des politiques de remboursement en place dans le système de soins de santé, l'élimination des obstacles financiers peut, dans le contexte des traitements innovants et des technologies de la santé, nécessiter l'optimisation des politiques de remboursement et la maîtrise des coûts.

4.1.1. Principes régissant la couverture financière

Les traitements et technologies innovants peuvent améliorer de manière significative les résultats en matière de santé et même permettre de sauver des vies, c'est pourquoi il est vivement recommandé que les autorités nationales compétentes évaluent minutieusement l'impact de ces innovations sur les systèmes de soins de santé. Sur la base des preuves cliniques disponibles concernant l'innocuité, l'efficacité, les améliorations par rapport aux traitements existants et le rapport coût-efficacité, les traitements et technologies innovants qui

ont reçu une autorisation de mise sur le marché devraient, en principe, être admissibles au remboursement, en veillant à mettre soigneusement en balance les ressources disponibles et les autres priorités en matière de soins de santé. Une prise en charge financière favoriserait un accès équitable aux thérapies avancées, tout en assurant des normes élevées de soins et la viabilité du système de santé.

Plusieurs considérations importantes sont à prendre en compte dans le cadre du processus décisionnel relatif au remboursement, conformément aux principes énoncés dans la Recommandation CM/Rec(2023)1. Tout d'abord, le temps écoulé entre l'approbation réglementaire d'un traitement innovant et la couverture de santé publique peut avoir une incidence significative sur les résultats pour les patient-es. Il n'est pas rare qu'un à deux ans s'écoulent car la mise en œuvre des politiques de remboursement, une fois l'autorisation réglementaire obtenue, prend souvent du temps. Cependant, de tels délais peuvent empêcher les patient-es d'accéder à ces traitements, même si leur efficacité a été démontrée et leur utilisation approuvée. Lorsque l'autorisation de mise sur le marché a été délivrée, il est donc essentiel de rationaliser le processus de remboursement de façon à éviter les goulots d'étranglement en matière d'accès et permettre aux patient-es de bénéficier de nouvelles thérapies en temps opportun.

Ensuite, les décisions concernant le remboursement des traitements et technologies innovants autorisés devraient être transparentes. Conformément à l'article 13 de la Recommandation CM/Rec(2023)1, toutes les parties prenantes, y compris les patient-es, les professionnel·les de la santé et les décideurs politiques, devraient comprendre les critères et les raisons qui motivent les décisions de remboursement. Pour maintenir la confiance du public et la responsabilité, en particulier dans le contexte de thérapies particulièrement coûteuses, il est essentiel d'assurer une communication claire sur les modalités d'évaluation des données probantes. L'article 9 de la recommandation souligne également l'importance de définir clairement les responsabilités dans le cadre du processus décisionnel, en veillant à ce que les professionnel·les de la santé et le public soient informés des entités chargées de prendre les décisions en matière de remboursement et de celles qui peuvent être consultées pour répondre aux préoccupations. Ce niveau de transparence est particulièrement important dans le cas des traitements innovants, pour lesquels une décision de couverture tardive peut être à l'origine d'une nouvelle dégradation de l'état de santé du patient alors qu'elle aurait pu lui permettre d'accéder en temps utile à des thérapies susceptibles de lui sauver la vie.

Il conviendrait également de faire en sorte que les professionnel·les de la santé puissent accéder aisément à des lignes directrices régulièrement mises à jour au sujet du statut de remboursement des traitements innovants, pour leur permettre d'offrir à leurs patient-es les traitements les plus efficaces sans délai ni incertitude. En outre, ils devraient être informés de toutes les conditions régissant le remboursement, telles que les critères d'admissibilité des patient-es ou des résultats de santé spécifiques à respecter.

Quatrièmement, les décisions de remboursement devraient être fondées sur les meilleurs éléments de preuve disponibles, s'appuyant sur des paramètres pertinents, mesurables, clairs et objectifs, comme indiqué à l'article 10 de la Recommandation CM/Rec(2023)1. Les instances réglementaires nationales devraient établir des seuils clairs en termes de bénéfice clinique, tels que l'ampleur de l'effet requis pour la couverture, afin de garantir que les thérapies dont la valeur a été démontrée soient les seules remboursées. En présence de bénéfices cliniques marginaux, comme une prolongation mineure de l'espérance de vie, les coûts devraient être soigneusement mis en balance avec les résultats afin de déterminer si le remboursement est justifié. Cette approche fondée sur des données probantes contribue au maintien de la viabilité des systèmes de santé tout en garantissant aux patient-es l'accès à des traitements dont les bénéfices sont réels et démontrables.

Enfin, le statut de remboursement des traitements et technologies innovants devrait faire l'objet d'un réexamen régulier, dans le droit fil de l'article 14 de la recommandation CM/Rec(2023)1. Dès lors que les données accumulées grâce aux essais cliniques en cours

ou aux applications en situation réelle se multiplient, les systèmes de soins de santé devraient adapter leurs politiques en fonction des nouvelles preuves cliniques disponibles, des variations de prix ou de la disponibilité de thérapies alternatives. Des réexamens réguliers permettent de garantir que les patient-es reçoivent les soins les plus actuels et les plus efficaces sans délais inutiles ou lacunes en matière d'accès.

4.1.2. Maîtrise des coûts

a. Réciprocité attendue pour l'investissement public

Face aux coûts élevés de nombreux traitements et technologies innovants, les entreprises pharmaceutiques et les fabricants sont de plus en plus appelés à fixer leurs prix en tenant compte des investissements publics substantiels dont bénéficie une part importante de leur travail de développement. L'expertise et les connaissances qui sous-tendent ces innovations sont souvent ancrées dans les travaux de recherche menés au sein d'universités financées par des fonds publics et par des professionnel·les hautement qualifié·es dont l'éducation et la formation ont été en grande partie financées par des ressources publiques. En outre, le développement de ces traitements et technologies repose souvent sur des données et des informations fournies par le secteur public, que ce soit dans le cadre de la participation à des essais cliniques ou du recours aux services de santé. Compte tenu de cette importante contribution du secteur public, une certaine réciprocité est attendue de la part des entreprises pharmaceutiques et des fabricants qui devraient reconnaître son rôle essentiel en adoptant des stratégies de prix qui reflètent ces investissements, notamment au travers de remises ou d'autres mécanismes destinés à assurer un accès élargi et plus équitable.

b. Transparence accrue

On demande en outre de plus en plus de transparence dans la tarification des traitements et technologies innovants, en particulier à la lumière de leurs coûts croissants. Les parties prenantes, y compris les groupes de défense des patient-es, les décideurs politiques et les professionnel·les de la santé, soutiennent qu'il est difficile d'évaluer si ces innovations présentent réellement un bon rapport qualité-prix en raison du manque de transparence dans la fixation des prix. Une préoccupation majeure réside dans la confidentialité des négociations et des accords de prix entre les entreprises pharmaceutiques et les compagnies publiques ou privées d'assurance maladie, qui laisse souvent le public, voire certains décideurs, dans l'ignorance quant aux coûts réels et aux remises concédées. Si la confidentialité se justifie parfois afin de protéger des informations commerciales sensibles ou de permettre des accords de prix flexibles, les critiques soutiennent qu'elle peut donner lieu à une inégalité d'accès et créer des disparités entre les différentes régions ou pays. Pour répondre à ces préoccupations, beaucoup préconisent une approche plus transparente en matière de fixation des prix, qui énonce clairement les méthodes employées et justifie les prix établis. Cette transparence accrue contribuerait à faire en sorte que les prix reflètent la valeur réelle du traitement, améliorerait la responsabilité et renforcerait la confiance du public, tout en préservant la confidentialité nécessaire dans certains aspects du processus de négociation.

c. Mécanismes de maîtrise des coûts

En dehors de ces considérations générales, plusieurs mécanismes ont été proposés afin d'amener les gouvernements à maîtriser les coûts des traitements et technologies innovants particulièrement dispendieux, permettant ainsi d'améliorer l'accès à ces innovations. Ces mécanismes comprennent la mise en place d'une tarification de référence, la négociation de modèles de paiement novateurs tels que les accords d'entrée gérés, la promotion de la coopération internationale en matière d'évaluation des technologies de la santé afin de rationaliser les processus d'évaluation, et la promotion de partenariats public-privé afin de répartir les coûts de développement élevés entre les institutions publiques et les entreprises privées.

(1) Tarification de référence

La tarification de référence est un outil proposé pour améliorer l'accessibilité des traitements innovants : les organismes payeurs de soins de santé (tels que les organismes gouvernementaux, les organismes de santé publique ou les compagnies d'assurance) basent le prix d'un nouveau traitement sur le coût des traitements comparables déjà disponibles. Cette approche vise à contrôler le prix des traitements innovants dont le coût est élevé, en particulier dans les cas où leur efficacité à long terme ou leur rapport qualité-prix ne sont pas établis avec certitude. Un modèle de tarification au prix de référence consiste à comparer le prix d'un traitement innovant à un prix de référence fixé par des traitements existants qui offrent des bénéfices thérapeutiques similaires. Les gouvernements qui utilisent ce cadre peuvent ainsi garantir que le prix des nouveaux traitements reste en phase avec la valeur qu'ils apportent, empêchant les entreprises de facturer des prix excessivement élevés au motif de la seule nouveauté de leurs traitements. La tarification de référence contribue également à promouvoir la transparence et la responsabilité en matière de prix car elle oblige les sociétés pharmaceutiques à justifier pourquoi leur traitement innovant devrait faire l'objet d'une tarification nettement plus élevée que les alternatives existantes. Le système de tarification de référence encourage également les fabricants à améliorer le rapport coût-efficacité de leurs traitements dès lors que ces derniers seront comparés à des produits similaires. Étant donné que la tarification de référence peut permettre de limiter l'impact financier du lancement de traitements dispendieux, les systèmes de soins de santé seront davantage en mesure de donner accès à des traitements de pointe sans trop grever leurs budgets. Ce mécanisme est particulièrement utile pour les systèmes de soins de santé soumis à des contraintes budgétaires strictes car il leur évite des dépenses excessives en faveur de nouveaux traitements qui ne montreront pas nécessairement des résultats nettement supérieurs aux alternatives. Le modèle de tarification au prix de référence peut être particulièrement efficace lorsqu'il est combiné à d'autres mesures de maîtrise des coûts, comme les accords d'entrée gérés.

(2) Des modèles de paiement innovants : les accords d'entrée gérés

Les accords d'entrée gérés entre les payeurs de soins de santé et les sociétés pharmaceutiques fournissent un cadre flexible dans lequel le paiement d'un nouveau traitement est subordonné à des critères spécifiques, aidant par là à la gestion des coûts initiaux élevés qui sont souvent associés à ces traitements. Les accords d'entrée gérés fondés sur la gestion financière se concentrent uniquement sur la gestion du risque financier sans tenir compte des résultats cliniques. Ces accords aident les payeurs de soins de santé à gérer l'incidence budgétaire au travers de mécanismes tels que l'escompte, la remise, la ristourne ou un plafonnement des dépenses. Les fabricants peuvent par exemple proposer un escompte préalablement déterminé sur le prix courant d'un traitement, ou une remise peut être accordée à partir d'un certain seuil d'utilisation. Dans certains cas, le prix peut diminuer à mesure que le volume du médicament administré augmente, ou un plafond de dépenses peut être établi, de sorte que le fabricant fournisse gratuitement les doses restantes ou rembourse la différence si les dépenses dépassent ce plafond. Grâce à ces garanties financières, les systèmes de soins de santé évitent de supporter des charges financières insoutenables lorsqu'ils adoptent de nouveaux médicaments coûteux. Les accords d'entrée gérés fondés sur les résultats sont quant à eux liés à la performance clinique du traitement, si bien que le remboursement est directement lié aux résultats sur la santé des patient-es. Dans ce modèle, les paiements dépendent de l'efficacité réelle du traitement, et si les résultats attendus ne sont pas atteints, le fabricant peut proposer des remboursements ou ajuster le prix en conséquence. Cette approche réduit la charge financière qui pèse sur les systèmes de santé puisque seules les thérapies efficaces sont intégralement remboursées. Les accords fondés sur les résultats sont particulièrement utiles en cas d'incertitude quant à la performance d'un médicament dans des contextes réels. Les

éléments fondés sur la gestion financière et les éléments fondés sur les résultats peuvent également être combinés au sein d'un accord d'entrée unique et ainsi offrir la souplesse nécessaire pour faire face à la fois aux risques financiers et aux incertitudes cliniques et permettre une affectation plus efficace des ressources.

En dépit des avantages induits, les accords d'entrée gérés se heurtent à d'importants défis qui limitent leur plus large adoption. La négociation d'accords d'entrée gérés peut être complexe et demander du temps, et souvent impliquer des charges administratives élevées, des prévisions financières détaillées ainsi qu'une coordination minutieuse entre les payeurs et les fabricants. L'absence de consensus sur la façon dont les paiements devraient être structurés peut rendre ces accords encore plus complexes. Les accords d'entrée gérés fondés sur les résultats exigent également la collecte de données probantes réelles pour évaluer l'efficacité du traitement, ce qui ajoute de la complexité dès lors que la définition et le suivi des résultats cliniques mobilisent d'importantes ressources. En outre, la nature confidentielle de ces accords, en particulier en ce qui concerne les conditions tarifaires, peut réduire la transparence et entraver les comparaisons entre les différents marchés. Face à ces défis, il convient d'adopter une approche plus normalisée et transparente en matière d'accords d'entrée gérés afin d'en améliorer l'efficacité et d'encourager leur adoption plus largement.

(3) Coopération internationale en matière d'évaluation des technologies de la santé

La promotion de la coopération internationale en matière d'évaluation des technologies de la santé (ETS) permet aux instances réglementaires de rationaliser les processus, de réduire les doublons et d'abaisser les coûts associés à des examens redondants. La mise en commun des ressources, le partage de l'expertise et la normalisation des exigences réglementaires et de remboursement permettent aux pays de partager les coûts des ETS et ainsi d'alléger la pression financière sur les différents systèmes de santé et de faciliter l'adoption de traitements innovants sans compromettre la viabilité financière. Cette collaboration s'illustre par exemple au travers de l'initiative de l'Union européenne en faveur des évaluations cliniques communes des technologies de la santé, qui harmonise l'évaluation des thérapies récemment mises au point.^{iv} Ce processus réduit les délais de mise sur le marché et évite les doublons entre États membres. Les pays plus petits dotés de capacités limitées en matière d'évaluation des technologies de la santé peuvent s'appuyer sur des évaluations menées par des systèmes de santé plus importants, ce qui leur permet d'accéder à des traitements innovants plus rapidement et à moindre coût. L'harmonisation évite également les délais liés à des examens nationaux distincts, ce qui garantit aux patient-es l'accès à des thérapies susceptibles de leur sauver la vie en temps opportun. En opérant un partage du fardeau financier des ETS, la coopération internationale rend les traitements plus abordables et réduit les disparités en matière d'accessibilité financière des soins de santé entre les différentes régions.

La communication des résultats de l'ETS améliore également l'efficacité de la prise de décision car elle réduit le temps et les ressources financières nécessaires pour commercialiser des traitements efficaces. En outre, la coopération renforce la base de données probantes utilisées pour évaluer les nouvelles technologies de la santé, en particulier celles dont les résultats cliniques à long terme ou les implications financières sont incertains. En coordonnant la collecte de données et les évaluations, les pays peuvent établir des normes solides et reconnues internationalement aux fins d'évaluer l'efficacité et l'innocuité des traitements. Les systèmes de santé sont alors en mesure d'allouer des ressources à des technologies éprouvées tout en évitant d'investir dans celles qui présentent une valeur insuffisante. Également, la combinaison de données réelles provenant de divers systèmes de soins de santé peut renforcer les données

probantes utilisées pour évaluer les traitements innovants car elle permet une évaluation plus large des performances, garantissant que seuls les traitements innovants présentant des bénéfices cliniques significatifs sont adoptés. On diminue ainsi le risque de dépenses excessives pour des traitements inefficaces, ce qui est particulièrement important dans le cas des thérapies pour lesquelles les essais cliniques sont limités ou incomplets. En outre, les pays peuvent partager les bonnes pratiques en ce qui concerne la conception et la mise en œuvre d'accords d'entrée gérés, l'adéquation des paiements vis-à-vis des résultats obtenus en situation réelle et la garantie que les décisions de remboursement sont fondées sur des preuves solides.

(4) Partenariats public-privé

Les partenariats public-privé peuvent contribuer à atténuer les risques et les défis financiers en combinant les ressources des institutions publiques, telles que les universités et les systèmes de santé publics, avec l'expertise et le capital d'investissement des sociétés pharmaceutiques privées. Ces partenariats peuvent jouer un rôle important dans l'accélération de la mise au point de traitements affichant un bon rapport coût-efficacité, en particulier dans le cas des maladies rares, pour lesquelles la dynamique traditionnelle de marché ne donne pas nécessairement lieu à des investissements suffisants. Grâce à ces collaborations, les coûts élevés associés à la recherche, au développement et aux essais cliniques sont partagés, ce qui réduit le fardeau financier des entreprises privées et garantit une utilisation efficace des fonds publics. Les institutions publiques peuvent par exemple donner accès à une expertise scientifique, à des données agrégées sur les patient-es et à une infrastructure de recherche, tandis que les entreprises privées peuvent apporter des capitaux d'investissement, des progrès technologiques et des stratégies de commercialisation. Cet effort collectif réduit les inefficacités et permet en définitive aux traitements d'arriver sur le marché à un prix inférieur.

Idéalement, les partenariats public-privé incluent la conclusion, à un stade précoce, d'accords en matière de tarification, de droits de propriété intellectuelle et d'accès, de manière à mettre en adéquation les objectifs de santé publique et les incitations à l'innovation à l'endroit des entreprises privées. Ainsi, l'accessibilité financière est d'emblée considérée comme prioritaire, sans compromettre la viabilité commerciale des thérapies. Les organismes de santé publique peuvent négocier des structures de prix qui reflètent à la fois la valeur du traitement pour la santé publique et les intérêts commerciaux des entreprises privées, par exemple en incorporant des accords d'entrée gérés fondés sur les résultats. En mutualisant à la fois les risques et les bénéfices de l'innovation, les partenariats public-privé contribuent à garantir l'accessibilité des traitements susceptibles de sauver des vies à une plus large population de patient-es.

4.2. Les notions de disponibilité et d'accès en temps opportun

Les traitements et les technologies innovants présentent également des défis uniques en termes de disponibilité et d'accès en temps opportun. Les politiques d'approbation et de remboursement doivent parvenir à un subtil équilibre entre la mise à disposition des traitements innovants à grande échelle, le maintien de normes de soins élevées et la viabilité financière du système de santé. Les délais impliqués dans le processus d'approbation réglementaire peuvent avoir des retombées importantes sur la disponibilité en temps opportun des thérapies innovantes. Nombre de patient-es se retrouvent ainsi à devoir patienter pour des soins qui pourraient sinon sauver, à tout le moins considérablement améliorer leur vie. Même après l'approbation et l'introduction sur le marché de thérapies innovantes, telles que la thérapie CAR T et les immunothérapies, les coûts de ces innovations peuvent rester prohibitifs pour de larges segments de la population si les politiques de remboursement ne sont pas mises en œuvre rapidement et de manière globale. Dans les régions où les systèmes publics de santé manquent de financement ou privilégient d'autres domaines de soins, ou dans lesquelles les polices d'assurance ne couvrent pas ces traitements coûteux, les

obstacles financiers peuvent retarder considérablement ou bloquer totalement l'accès. Il en résulte d'importantes disparités d'accès, affectant de manière disproportionnée les populations à faible revenu et non assurées ou sous-assurées. Comme précédemment indiqué, ces défis peuvent être atténués en adoptant des stratégies de tarification plus transparentes, en encourageant les partenariats public-privé et en mettant en œuvre des approches novatrices telles que la tarification fondée sur la valeur, qui lie le paiement aux résultats des patient-es, et des systèmes de tarification à plusieurs niveaux fondés sur le revenu ou des facteurs géographiques. Si on les conjugue avec des politiques qui favorisent l'approbation en temps opportun et le remboursement, ces efforts peuvent contribuer à rendre plus largement accessibles des thérapies de pointe dont l'efficacité est démontrée, sans compromettre la viabilité du système de soins de santé.

Les traitements et technologies innovants posent également des défis spécifiques en raison du besoin d'infrastructures spécialisées ou de professionnel·les de santé hautement qualifié·es. De nombreuses thérapies avancées nécessitent un équipement dernier cri et des connaissances spécialisées, qui sont généralement concentrées dans les centres urbains ou les hôpitaux bien dotés en ressources, ce qui rend leur accès difficile pour les personnes vivant dans les régions rurales, éloignées et mal desservies. Pour les patient-es qui vivent dans ces régions, il peut être nécessaire de parcourir de longues distances pour atteindre ces établissements de santé, ce qui retarde leur accès aux soins et entraîne une dégradation de leur état de santé. Cette division géographique exacerbe les inégalités existantes en matière de soins de santé, car les personnes qui vivent dans des régions mal desservies peuvent être privées de nouveaux traitements susceptibles d'améliorer considérablement leur état de santé.

Lorsqu'une infrastructure physique est disponible, il se peut néanmoins que l'accès aux traitements innovants reste limité en raison du manque de professionnel·les de la santé possédant les compétences spécialisées nécessaires pour administrer ces thérapies. Il en résulte un goulot d'étranglement dans le système de santé, tel que des traitements et technologies innovants sont techniquement disponibles mais ne peuvent être fournis en temps opportun en raison d'un manque de personnel qualifié. Pour surmonter ces obstacles, des investissements importants s'imposent tant dans les infrastructures que dans les ressources humaines. L'expansion et l'équipement des établissements de santé dans les régions mal desservies contribueraient à réduire le besoin de se déplacer sur de longues distances et à améliorer l'accès équitable et en temps opportun. Dans les cas où le système de soins de santé ne peut se permettre d'étendre l'infrastructure spécialisée au-delà des hôpitaux urbains bien dotés en ressources, les patient-es devraient être pleinement informé·es de ces limites et recevoir des conseils sur la manière d'accéder aux soins en temps utile dans ces centres.

De plus, l'expansion des programmes de formation et l'offre de formation professionnelle continue sont essentielles pour permettre aux professionnel·les de la santé de se perfectionner et d'apprendre à administrer efficacement les nouvelles thérapies de pointe. La fourniture d'incitations telles que des salaires compétitifs et de meilleures conditions de travail pourrait attirer des spécialistes dans les zones rurales, éloignées ou mal desservies et ainsi contribuer à réduire les disparités en matière d'accès en temps opportun à des soins de santé innovants. Dans certains cas, des traitements innovants tels que l'immunothérapie pourraient être mis à disposition dans des hôpitaux situés dans des régions éloignées, sous la supervision et la direction de spécialistes travaillant dans des centres de plus grande envergure. Il convient toutefois de prendre note de la nécessité de mettre soigneusement en balance les investissements en faveur des infrastructures et des ressources humaines dans le contexte des traitements et technologies innovants et les autres priorités urgentes du domaine des soins de santé, en veillant à une allocation efficace et équitable des ressources.

4.3. Accessibilité

Du fait de la complexité des traitements et technologies innovants et des ressources nécessaires à leur mise en œuvre, la question de leur accessibilité est particulièrement

pertinente. Nombre de traitements innovants supposent que le patient ou la patiente dispose d'un accès fiable à Internet, à des appareils numériques et à des professionnel·les de santé spécialisé·es – autant d'obstacles pour les personnes vivant dans des zones rurales, éloignées ou à faibles ressources. En outre, un niveau limité de connaissances en matière de santé et de culture numérique peut empêcher certaines populations de comprendre et d'utiliser ces technologies, ce qui creuse encore les disparités dans l'accès aux soins de santé.

4.3.1. Fracture numérique

Avec l'avènement des technologies de santé numériques et axées sur les données, une « fracture numérique » peut apparaître entre les personnes qui ont accès à des appareils numériques abordables et à des services Internet fiables à haut débit et celles qui n'y ont pas accès. Cette fracture numérique peut limiter la capacité des personnes vivant au sein de communautés à faibles ressources et des personnes vivant dans des zones rurales ou éloignées d'accéder à des technologies telles que les thérapies numériques (y compris les applications de santé mobile), les consultations de télésanté, les diagnostics sur le lieu de soins et les neurotechnologies. Ce déficit d'accès peut retarder les diagnostics, réduire les options de traitement et exacerber les inégalités préexistantes en matière de soins de santé. Si l'on prend l'exemple de la pandémie de COVID-19, la télémédecine s'est avérée précieuse pour assurer des soins à distance mais les patient·es qui ne bénéficiaient pas d'un accès fiable à Internet ou d'appareils numériques n'ont pas pu utiliser ces services, ce qui a encore creusé les disparités dans l'accès aux soins de santé. De plus, les thérapies numériques, telles que les applications conçues pour gérer des maladies chroniques comme le diabète, nécessitent des connexions Internet stables et des appareils intelligents pour suivre les indicateurs de santé, surveiller les symptômes et ajuster les traitements en temps réel. Pour les personnes concernées, le fait de ne pas disposer d'un accès fiable à Internet ou de la technologie nécessaire donne lieu à des occasions manquées de diagnostic précoce, de soins préventifs et de meilleure prise en charge de la maladie. Dès lors, les résultats en matière de santé peuvent largement différer entre les personnes vivant au sein de communautés à faibles ressources, dans des zones rurales ou éloignées, et les personnes qui bénéficient d'un accès numérique permanent.

Pour remédier à cette fracture numérique, des efforts ciblés s'imposent aux fins de promouvoir un accès équitable aux innovations en matière de soins de santé numériques. Les investissements dans l'infrastructure à large bande, en particulier dans les régions rurales, éloignées et mal desservies, sont essentiels pour permettre les consultations de télésanté et d'autres services de santé numériques. En outre, les gouvernements, les secteurs privés et les organismes de santé peuvent collaborer pour fournir des appareils numériques à faible coût ou subventionnés aux personnes qui ne disposent pas de ressources suffisantes, tandis que des partenariats public-privé ou des subventions gouvernementales devraient être mis en place pour permettre à tout un chacun de bénéficier d'un forfait Internet abordable et fiable. La mise en œuvre de ces stratégies peut permettre de combler la fracture numérique, de rendre les technologies de santé innovantes accessibles à davantage de personnes et, en définitive, d'améliorer l'équité en matière de santé.

4.3.2. Manque de connaissances en matière de santé

L'accès à des traitements et des technologies innovants peut être considérablement entravé dans le contexte d'un faible niveau de littératie en santé, qui s'entend de la capacité de chacune et chacun à « accéder aux informations sur la santé, les comprendre, les évaluer et les appliquer, en vue de se forger une opinion et de prendre au quotidien des décisions sur les soins, la prévention des maladies et la promotion de la santé ».^v Comme le souligne le Guide sur la littératie en santé, la méconnaissance des services de santé disponibles et des moyens de les trouver et de les utiliser est un problème majeur qui affecte la capacité des personnes à trouver les soins de santé dont elles ont besoin. Ce problème s'accroît encore dans le cas des traitements et des technologies innovants, qui nécessitent souvent d'accéder

à des informations à jour sur les derniers développements médicaux et d'être en mesure de comprendre des protocoles de traitement complexes, les effets secondaires potentiels et les instructions pour les soins de suivi. Les patient-es qui ne disposent pas de ces capacités pourraient passer à côté d'approches plus proactives, préventives et personnalisées des soins, susceptibles d'améliorer considérablement leurs résultats de santé. De cette manière, le manque de connaissances en matière de santé devient un déterminant social de la santé de plus en plus important.

L'essor des traitements et des technologies innovants oblige de plus en plus à structurer les services de santé de sorte que les individus puissent accéder à l'information essentielle et la comprendre, quel que soit leur niveau de littératie en santé. Les initiatives de santé publique peuvent jouer un rôle crucial en matière de sensibilisation aux nouvelles thérapies et technologies, en veillant à ce que l'information soit communiquée de manière claire et précise. Les systèmes et les professionnel·les de la santé devraient fournir des renseignements compréhensibles, dénués de tout jargon médical et de terminologie complexe, de façon à rendre accessible l'information en matière de santé. Pour y parvenir, ils devraient impliquer activement les personnes ayant un faible niveau de littératie en santé à la conception de systèmes accessibles. De plus, la collaboration avec les personnes qui défendent les patient-es et les médiatrices et médiateurs communautaires peut faciliter la traduction de concepts médicaux complexes dans un langage aisément compréhensible pour les populations dont les connaissances en santé sont limitées.^{vi} L'aptitude à accéder à et comprendre les informations en matière de santé peut se développer dès le plus jeune âge, à travers les programmes scolaires. En outre, la littératie en santé devrait être développée en tant que compétence professionnelle chez les professionnel·les de la santé. À cette fin, il est envisageable d'intégrer la littératie en santé aux programmes de l'enseignement supérieur et aux formations post-universitaires et de s'employer à doter les professionnel·les de la santé des connaissances, des compétences et des attitudes nécessaires pour communiquer efficacement avec les personnes dont les connaissances en matière de santé sont limitées.^{vii}

Dans le contexte de la transformation numérique des soins de santé, la littératie en santé numérique (ou littératie en santé électronique) est devenue une composante essentielle de la littératie en santé et englobe les compétences nécessaires pour accéder à l'information et aux outils de santé numérique, les interpréter et les utiliser. Toutefois, des disparités persistent dans les compétences et les ressources nécessaires pour interagir efficacement avec ces plateformes numériques. Surmonter ces obstacles implique non seulement de faire en sorte que les individus accèdent à l'équipement nécessaire, tel qu'un accès fiable à Internet et des appareils intelligents, mais aussi de s'assurer qu'ils possèdent les compétences numériques nécessaires pour les utiliser, ce qui peut s'avérer particulièrement difficile dès lors que les technologies numériques de soins de santé, telles que la télémédecine et les thérapies numériques, impliquent souvent des interfaces nouvelles et inconnues. Il se peut par exemple que les patient-es rencontrent des difficultés dans l'utilisation d'applications conçues pour surveiller les maladies chroniques ou qu'elles ou ils manquent de confiance pour participer à des consultations à distance via des plateformes de télémédecine. Des services de santé numériques véritablement inclusifs doivent être faciles à utiliser et adaptés aux besoins de chaque individu, sans quoi les écarts en matière d'accès aux soins de santé ne cesseront de se creuser. Les personnes qui ne possèdent pas les connaissances numériques nécessaires seront exclues des bénéfices offerts par les technologies de santé modernes, et les inégalités existantes se creuseront davantage.

4.4. Acceptabilité

Les services de santé dispensés, y compris les traitements et technologies innovants, doivent être acceptables pour les patient-es, culturellement appropriés et adaptés aux différents niveaux d'instruction. Les croyances culturelles et les barrières linguistiques peuvent profondément influencer la perception et l'acceptation des traitements et technologies innovants par les individus. Dans certaines communautés, les croyances traditionnelles ou la

méfiance profondément ancrée à l'égard du système de santé, liée à des injustices historiques ou à des expériences négatives antérieures, peuvent conduire à l'hésitation, voire au refus de nouveaux traitements tels que les vaccins, les thérapies géniques ou les interventions chirurgicales avancées. Cette résistance limite non seulement l'accès à des innovations prometteuses en matière de soins de santé, mais creuse également les disparités existantes dans ce domaine, ce qui entraîne une dégradation des résultats en matière de santé au sein de ces populations.

Les barrières linguistiques ajoutent encore à ces difficultés, car elles peuvent entraver une communication efficace entre les professionnel·les de la santé et les patient·es. Pour les patient·es dont la maîtrise de la langue dominante est limitée, il peut être difficile de comprendre les diagnostics médicaux, les options thérapeutiques ou les risques et bénéfices potentiels des thérapies innovantes. Par conséquent, ils ou elles peuvent avoir du mal à suivre les instructions médicales, à comprendre pleinement la valeur des traitements ou à adhérer aux thérapies prescrites. Pour surmonter ces barrières culturelles et linguistiques, une approche multidimensionnelle est essentielle. Les professionnel·les de la santé doivent être formé·es aux compétences culturelles, ce qui implique de comprendre et de respecter les diverses croyances culturelles dans le cadre de la prestation des soins. Le fait de proposer aux patient·es des services de traduction, des ressources multilingues et l'accès à des interprètes médicaux leur permet de bien comprendre les options thérapeutiques proposées et de prendre des décisions éclairées. De plus, la conduite de campagnes de soins de santé adaptées à la culture, qui s'appuient sur l'influence des dirigeant·es communautaires ou de personnalités culturelles inspirant la confiance qui partagent l'information en accord avec les valeurs culturelles des patient·es, s'est avérée efficace pour accroître l'acceptation des nouveaux traitements.^{viii} Les initiatives de santé publique qui adoptent des stratégies de communication pertinentes sur le plan culturel peuvent jouer un rôle crucial pour remédier aux disparités d'accès, réduire les inégalités en matière de santé et assurer que les différences linguistiques et culturelles n'empêchent pas les individus de bénéficier des innovations médicales.

5. Mise en balance des droits individuels et des besoins de santé publique

Les systèmes de soins de santé qui envisagent de recourir à des technologies et traitements innovants doivent s'appuyer sur trois principes afin de garantir des résultats en matière de santé optimisés, tout en maintenant des coûts maîtrisables. Le « critère du bénéfice » donne la priorité aux traitements en fonction du bénéfice attendu en termes de prolongation de la vie de la patiente ou du patient et/ou d'amélioration de sa qualité de vie. Le « critère des ressources » donne quant à lui la priorité aux traitements qui nécessitent moins de ressources pour produire un bénéfice. Le « critère de la gravité » privilégie enfin les traitements destinés aux pathologies plus graves, en termes de risques de mortalité et de morbidité. Ces critères doivent être scrupuleusement mis en balance. Plus la maladie est grave ou plus le bénéfice du traitement est important, plus il est acceptable d'allouer davantage de moyens. Inversement, il ne peut être justifié d'accorder la priorité à des problèmes de santé de faible gravité et à des traitements dont les bénéfices sont limités que si les actions en question exigent peu de ressources.

La prise de décision relative à l'introduction d'un nouveau traitement se fonde sur le coût d'opportunité estimé. Celui-ci reflète les bénéfices potentiels pour la santé d'autres patient·es auxquel·les les mêmes ressources auraient pu permettre de parvenir. Le coût d'opportunité est généralement mesuré en années de vie pondérées par la qualité (QALY). De nombreux systèmes de santé utilisent une estimation du coût d'opportunité pour orienter les décisions visant à déterminer les traitements qui devraient être financés. Ce seuil représente le montant maximal qu'un système est prêt à dépenser pour gagner une année de vie supplémentaire pondérée par la qualité. Tout nouveau traitement doit être évalué par rapport à ce seuil afin de déterminer s'il apporte une valeur suffisante. À cette fin, on détermine le rapport coût-efficacité du traitement, qui calcule les coûts induits pour une année de vie supplémentaire pondérée par la qualité. Ce chiffre est ensuite comparé au seuil de coût d'opportunité pour déterminer si le traitement présente un bon rapport coût-efficacité. Si le rapport coût-efficacité d'un nouveau traitement est inférieur à ce seuil, il est considéré comme rentable car les bénéfices pour la santé justifient la dépense. Toutefois, en cas de dépassement du seuil, le traitement est considéré comme moins rentable car des ressources comparables pourraient permettre de générer des bénéfices supérieurs en matière de santé si elles étaient consacrées à d'autres traitements. Cette approche garantit que l'introduction de traitements innovants n'entraîne pas le déplacement de thérapies plus rentables et contribue ainsi à maximiser les bénéfices généraux en matière de santé obtenus avec les ressources disponibles.

Il convient de noter que le rapport coût-efficacité est ajusté en fonction de la gravité de la maladie traitée, ce qui reflète la volonté de la société de donner la priorité aux patient·es ayant des besoins de santé plus urgents et d'accepter un coût plus élevé par année de vie supplémentaire gagnée en bonne santé. Lorsqu'un traitement cible une affection potentiellement mortelle ou très invalidante, comme un cancer avancé ou des troubles génétiques graves, les systèmes de santé sont généralement plus disposés à accepter un rapport coût-efficacité plus élevé, compte tenu de l'urgence et de l'impact potentiel de ces traitements. En revanche, les traitements ciblant des pathologies de gravité modérée se voient attribuer une importance moyenne et ceux qui traitent des pathologies de faible gravité ne sont acceptés que s'ils présentent un rapport coût-efficacité inférieur. Cette flexibilité garantit que les patient·es atteint·es des pathologies les plus graves reçoivent les soins nécessaires, même si le traitement présente un rapport coût-efficacité plus élevé et pourrait autrement être refusé.

Cela devient particulièrement important lors de l'évaluation de nouveaux traitements coûteux. En règle générale, la priorité est accordée aux traitements qui nécessitent moins de ressources mais ce principe doit être mis en balance avec des considérations de bénéfice et de gravité. Ainsi, un nouveau traitement très efficace mais dispendieux peut être justifié à travers une évaluation des technologies de la santé s'il cible une affection grave qui engage

le pronostic vital. Inversement, pour garantir que des traitements ciblant des pathologies moins graves sont quand même mis en place sans grever le budget des soins de santé, les traitements innovants ciblant ces affections devraient généralement être moins chers.

Plusieurs préoccupations peuvent être soulevées dans le contexte de l'introduction de nouveaux traitements onéreux. Tout d'abord, un traitement coûteux qui grève une partie importante du budget de la santé peut limiter la capacité du système de santé à traiter d'autres patient-es. Dans un système fonctionnant avec un budget fixe, le déploiement de ce nouveau traitement se substituera inévitablement à d'autres services et pourra entraîner la perte d'un certain nombre de QALY dans d'autres domaines. Si l'incidence budgétaire est suffisamment importante, il pourrait alors se substituer non seulement aux traitements moins efficaces mais aussi aux traitements plus bénéfiques affichant un meilleur rapport coût-efficacité. Si ces traitements sont déployés sans tenir compte de leur effet total sur le budget de la santé et des défis qui les accompagnent sur le plan pratique, tels que le recyclage du personnel de santé ou la réaffectation du matériel, le bénéfice induit peut être inférieur à celui des services de santé déplacés. Dès lors, le nombre total d'années de vie en bonne santé que le système de santé peut offrir sur la base de ses ressources disponibles est susceptible de diminuer et le principe d'un accès équitable aux soins pour l'ensemble des patient-es pourrait être remis en cause. Aussi l'incidence budgétaire globale d'une intervention doit-elle être prise en compte dans le cadre d'une évaluation discrétionnaire plus large.

Ensuite, un traitement qui grève une part importante du budget des soins de santé sera difficilement applicable à l'ensemble du groupe de patient-es concerné. Toutefois, il peut également être déraisonnable de limiter de façon permanente un tel traitement à un sous-ensemble de patient-es, en particulier s'il est susceptible d'être plus bénéfique que d'autres traitements disponibles en termes de ressources utilisées et de gravité. Dans pareils cas, un déploiement progressif du traitement peut être nécessaire. Cette approche pourrait consister à proposer initialement le traitement à un sous-ensemble spécifique du groupe de patient-es, comme les personnes les plus gravement malades ou celles pour qui il pourrait être le plus bénéfique. Au fur et à mesure que la capacité augmente, le traitement pourrait alors être étendu à des segments plus importants du groupe de patient-es. Cette progressivité devrait s'opérer dans des conditions conformes aux principes de fixation des priorités, en veillant à ce que les traitements soient d'abord proposés aux patient-es dont les besoins médicaux sont les plus urgents et/ou à celles ou ceux qui sont susceptibles d'en tirer le plus grand bénéfice.

Enfin, les préoccupations relatives à l'efficacité sont particulièrement pertinentes en présence d'une base de données probantes limitée et devraient être soigneusement prises en compte dans les décisions de hiérarchisation. Lorsque tous les autres facteurs sont égaux, un traitement dont l'efficacité ou la qualité sont plus incertaines ne devrait pas bénéficier du même niveau de priorité. Cependant, l'évaluation des traitements destinés à de petits groupes de patient-es atteint-es de pathologies extrêmement graves soulève une exception importante. Ces groupes sont souvent trop petits pour mener des essais cliniques à grande échelle, et il est donc difficile de réaliser des évaluations des technologies de la santé comparables à celles qui sont menées pour des populations de patient-es plus importantes. En reconnaissance de cet enjeu, une exigence moins stricte en matière de preuves documentées peut paraître appropriée. La légitimité et la pérennité de cette approche sont tributaires d'un suivi continu afin de documenter à la fois l'efficacité du traitement et les risques associés. Cette documentation pourrait ensuite servir de base en vue de réévaluer après un certain temps le maintien du financement de ces traitements dans le cadre du régime. Un tel cadre garantit que l'efficacité et l'innocuité à long terme des traitements demeurent une priorité – tout en tolérant une certaine souplesse dans les cas où les preuves sont limitées.

Annexe

1. Les déterminants sociaux de la santé et la promotion d'un accès équitable aux soins

1.1. « L'accès aux soins de santé » comme déterminant social de la santé

1.1.1. Les déterminants sociaux de la santé

a. Définition

L'état de santé d'une personne est déterminé par un large éventail de facteurs personnels, socio-économiques et médicaux. **Les facteurs personnels** comprennent les éléments biologiques (par ex. la génétique, l'âge, le sexe), les aspects comportementaux (par ex. les habitudes alimentaires, l'activité physique, le tabagisme, la consommation d'alcool) et les influences environnementales (par ex. la pollution, l'exposition à des produits chimiques nocifs ou à des rayonnements). **Les facteurs socio-économiques**, également appelés **déterminants sociaux de la santé**, sont définis par l'OMS comme « les circonstances dans lesquelles les individus grandissent, vivent, travaillent et vieillissent [ainsi que les] systèmes de soins qui leur sont offerts ».^{ix} Il s'agit notamment du revenu, des conditions d'emploi et de travail, de l'éducation, du statut social, du logement et des conditions de vie, des réseaux de soutien social, de l'inclusion sociale, de la discrimination (par ex. sur la base du genre, de la religion, des opinions politiques ou autres, de l'orientation sexuelle, de l'origine ethnique, du statut juridique), de l'accès à la protection sociale et de l'accès aux soins de santé. **Les facteurs médicaux** comprennent la qualité, le caractère opportun et l'efficacité des interventions médicales employées pour améliorer la santé d'une personne.

b. Caractéristiques

Les déterminants sociaux qui engendrent, perpétuent et exacerbent les inégalités en santé sont **complexes** et **interconnectés** de plusieurs façons. Tout d'abord, les circonstances matérielles dans lesquelles les gens vivent ont un effet direct sur leur santé.^x Par exemple, la pauvreté peut obliger les individus à privilégier des considérations financières immédiates par rapport à leurs besoins de santé, ce qui donne lieu à des mesures préventives inadaptées et les pousse à attendre avant d'avoir recours à des soins. De plus, vivre dans des logements surpeuplés ou insalubres, habiter dans des quartiers violents et travailler dans des environnements dangereux peut augmenter considérablement l'exposition à divers risques pour la santé, comme les maladies infectieuses, la pollution, les blessures et le stress chronique, et ainsi entraîner des problèmes de santé aigus ou chroniques.

On constate également que **le statut socio-économique d'une personne influence** souvent **un mode de vie** malsain qui nuit à sa santé.^{xi} Ainsi, les personnes ayant un statut socio-économique faible peuvent être davantage confrontées au risque de mauvaise nutrition s'il est plus coûteux ou impossible de s'alimenter sainement dans leur région. Le temps ou l'énergie nécessaires pour s'adonner à une activité physique régulière peut également leur faire défaut, tout comme l'accès à des espaces sûrs ou à des installations récréatives abordables à proximité. De plus, des comportements comme le tabagisme et la consommation excessive d'alcool peuvent être adoptés pour faire face au stress lié à l'insécurité financière ou à des conditions de vie difficiles. On constate également qu'une personne moins instruite ne mesure pas nécessairement toute l'importance d'un mode de vie sain et peut ne pas disposer des ressources nécessaires pour favoriser un tel mode de vie. Ce faisant, l'hypothèse selon laquelle certains groupes socio-économiques choisissent délibérément de mener un style de vie malsain est fondamentalement erronée.

Au-delà des défis matériels auxquels une personne peut être confrontée, la **stigmatisation sociale** associée à la pauvreté, au chômage ou à l'exclusion sociale peut renforcer les sentiments de désespoir, de stress chronique et d'anxiété. Cette tension émotionnelle rend plus vulnérable à la dépression et à la toxicomanie et se répercute sur certaines fonctions

physiologiques (par exemple, une augmentation de la tension artérielle, un affaiblissement du système immunitaire), augmentant ainsi le risque de développer diverses maladies.^{xii}

Les déterminants sociaux produisent des **effets cumulés** qui influencent le cours de la vie d'une personne.^{xiii} Les situations de désavantage précoces tels que le fait de grandir dans la pauvreté et de recevoir une éducation médiocre se traduisent souvent par des difficultés socio-économiques persistantes, telles que l'instabilité de l'emploi, la mauvaise nutrition et des conditions de logement inadéquates. Les effets aggravants des déterminants sociaux perpétuent ainsi un cycle de désavantages qui contribue à faire perdurer les disparités en matière de santé plus tard dans la vie.

Enfin, les déterminants sociaux donnent accès à des ressources clés telles que l'argent, le savoir et les liens sociaux qui influent à bien des égards sur les résultats en matière de santé.^{xiv}

Les personnes dont le statut socio-économique est plus élevé sont mieux à même de mobiliser ces ressources pour protéger et améliorer leur santé, en dépit de l'existence de risques sanitaires. Elles conserveront par conséquent un avantage constant, même si les risques pour la santé et les traitements évoluent, ce qui perpétue les inégalités en matière de santé au fil du temps.

c. Le gradient social de santé

Les déterminants sociaux de la santé expliquent pourquoi l'état de santé tend à suivre un gradient social. La notion de **gradient social de santé** s'entend de la relation systématique et graduée entre le statut socio-économique et les résultats en matière de santé.^{xv} Plus la condition socio-économique est bonne, meilleurs sont les résultats en matière de santé : les individus appartenant au groupe socio-économique le plus élevé jouissent généralement du meilleur état de santé, tandis que ceux qui appartiennent aux groupes les plus défavorisés sont souvent les plus en mauvaise santé. Ce gradient s'étend à tous les niveaux de la société et est influencé par divers facteurs interdépendants : les groupes socio-économiques les plus défavorisés sont souvent confrontés à l'emploi précaire, à des conditions de vie médiocres et à une plus grande exposition à la pollution et au stress. Ils ont généralement moins accès aux soins de santé et disposent de moins de ressources permettant d'atténuer les risques pour la santé, comme l'éducation et le soutien social. De plus, ils ne disposent pas nécessairement des connaissances ou des réseaux qui leur permettraient de répondre efficacement aux défis en matière de santé ou de tirer parti de nouvelles options thérapeutiques. Les groupes défavorisés se retrouvent par conséquent confrontés aux maladies chroniques et à l'incapacité à un âge plus précoce et leur espérance de vie est nettement inférieure à celle des groupes plus favorisés.^{xvi}

Les individus et les groupes les plus défavorisés le long du gradient social de la santé sont également les **plus vulnérables** à la dégradation de la santé **lors d'une crise de santé publique**, comme l'a clairement mis en évidence la pandémie de COVID-19. Les personnes en situation socio-économique vulnérable ont alors dû faire face à des difficultés, par exemple (1) leurs conditions de vie et de travail, telles que les logements surpeuplés ou les emplois en première ligne, qui augmentaient leur risque d'exposition ; (2) la probabilité accrue de développer des problèmes de santé graves en raison d'une prévalence plus élevée de maladies sous-jacentes comme le diabète, l'obésité, l'hypertension et les problèmes respiratoires ; et (3) les difficultés à accéder à des soins de santé en temps opportun et le risque de ne pas être considérées comme prioritaires pour bénéficier de traitements vitaux en raison de leurs chances de survie moins élevées.^{xvii} En raison de ces défis, les taux de mortalité liés à la COVID-19 dans les communautés les plus défavorisées étaient près de deux fois plus élevés que dans les communautés les plus aisées.^{xviii} En outre, la pandémie de COVID-19 a exacerbé les inégalités préexistantes au sein de la société et créé de nouvelles vulnérabilités.^{xix}

1.1.2. Le déterminant social de l'« accès aux soins »

L'accès aux soins de santé est considéré comme un **déterminant social de la santé** car il influence directement la capacité des individus à accéder à des soins de santé opportuns, efficaces et appropriés, ce qui est essentiel pour maintenir et améliorer la santé. Les personnes dépourvues d'un accès adéquat aux soins de santé sont plus susceptibles de souffrir de maladies évitables, de souffrir de complications dues à des problèmes médicaux non traités et de subir des interruptions des traitements en cours, ce qui peut considérablement aggraver leur état de santé au fil du temps.

L'accès aux soins de santé est **étroitement lié à d'autres déterminants sociaux de la santé** dès lors que les obstacles dans un domaine accentuent souvent les difficultés rencontrées dans d'autres et creusent ainsi les inégalités en matière de santé, à la fois au sein des populations et entre elles. Par exemple, les personnes appartenant à des groupes à faible revenu sont confrontées à des obstacles financiers qui peuvent les empêcher de solliciter des soins médicaux en temps opportun. Lorsque la couverture sanitaire est associée à l'emploi, les personnes qui occupent des emplois précaires ou sans emploi stable peuvent avoir plus de difficultés à accéder aux services de santé. De même, pour les personnes qui vivent dans des régions rurales, difficiles d'accès ou mal desservies, l'accès aux soins de santé peut être plus difficile en raison d'obstacles géographiques, du manque de moyens de transport ou de la présence limitée d'établissements de santé à proximité. Pour les personnes qui ne disposent pas d'un solide réseau de soutien social, il peut être difficile de se retrouver dans les dédales du système de santé ou de trouver le soutien émotionnel et matériel nécessaire pour suivre des traitements difficiles ou complexes. En outre, les personnes peu instruites sont susceptibles d'avoir des connaissances limitées en matière de santé et peuvent donc être moins à même de comprendre les conseils médicaux, d'interagir efficacement avec les prestataires de soins de santé ou de reconnaître la valeur des soins préventifs et d'un suivi strict des maladies chroniques. L'inégalité d'accès aux soins de santé exerce quant à elle de profondes retombées sur d'autres déterminants sociaux de la santé. Un accès retardé ou limité peut entraîner une escalade des problèmes de santé, menant à l'instabilité économique du fait d'une baisse de productivité des individus ou du risque de perdre leur emploi. En outre, l'absence de prise en charge en temps opportun peut être à l'origine de mauvais résultats scolaires car elle augmente l'absentéisme à l'école et peut entraîner des difficultés d'apprentissage causées par des problèmes de santé non traités. Une mauvaise santé résultant d'un accès insuffisant aux soins peut aussi empêcher les individus de participer pleinement à la vie de leur communauté, et mener à l'isolement social.

En raison des effets cumulés des déterminants sociaux de la santé, ce sont souvent les personnes qui ont le plus besoin de soins qui se heurtent aux obstacles les plus importants pour y accéder, tandis que celles qui en ont le moins besoin tendent à avoir le plus de facilités à cet égard. Ce phénomène est connu sous le nom de « **loi inverse des soins** », qui décrit comment « la disponibilité des soins médicaux de qualité tend à varier de façon inversement proportionnelle aux besoins de la population desservie ».^{xx} La loi inverse des soins souligne que, pour réduire les inégalités en matière de santé, les politiques de santé devraient garantir un accès aux services de santé fondé sur les besoins individuels plutôt que sur le statut socio-économique ou sur d'autres déterminants sociaux de la santé. Elle **insiste sur l'importance de l'accès équitable aux soins de santé** en tant que principe fondamental des droits humains, et son caractère essentiel en vue de contrer la logique de la loi inverse des soins et atténuer les disparités auxquelles elle donne lieu.

1.2. Stratégies visant à remédier aux « inégalités d'accès aux soins de santé » en tant que déterminant social de la santé

1.2.1. Agir sur les déterminants sociaux de la santé : les principes

Étant donné que l'accès aux soins de santé et les autres déterminants sociaux de la santé sont interconnectés de manière à se renforcer mutuellement, le fait de n'aborder qu'un seul déterminant, sans tenir compte des autres, peut ne pas entraîner d'améliorations significatives des résultats en matière de santé car ces déterminants agissent collectivement sur l'état de

santé général d'une personne. Dans le sillage de la Déclaration politique de Rio sur les déterminants sociaux de la santé, la Commission des Déterminants sociaux de la Santé de l'OMS et le Bureau régional de l'OMS pour l'Europe ont élaboré une approche visant à améliorer l'équité en matière de santé en agissant sur les déterminants sociaux de la santé.^{xxi}

Tout d'abord, il s'agit non seulement de garantir et de préserver l'accès à des services de santé de qualité, mais aussi de **remédier simultanément à quatre autres conditions socio-économiques** qui influent le plus directement sur la santé et les inégalités en matière de santé : (1) sécurité élémentaire de revenu et protection sociale (par ex., renforcement des politiques de protection sociale existantes et extension de la couverture aux populations généralement exclues) ; (2) conditions de vie quotidiennes (par ex., assurer un logement sûr et sain, créer des quartiers sûrs et accessibles et améliorer les systèmes de transport public) ; (3) emploi et conditions de travail (par ex., promouvoir le plein emploi, des conditions de travail décentes et un travail sûr, sans danger et rémunéré équitablement) ; (4) capital social et humain (par ex., renforcer les réseaux sociaux au sein des communautés et garantir un enseignement de qualité accessible à toutes et à tous).

Ensuite, il conviendrait de mettre en œuvre ces politiques en y associant **d'emblée un objectif d'amélioration de l'équité**, en intervenant dès la première enfance et dans la perspective de remédier aux inégalités en matière de santé **tout au long de la vie**, à mesure que les déterminants sociaux de la santé et leur impact sur les résultats de santé s'additionnent avec le temps.

Les déterminants sociaux de la santé devraient être abordés selon une démarche intégrée, dans le droit fil du principe de « **Santé dans toutes les politiques** ». Il s'agit ici de faire en sorte que l'équité en santé soit prise en compte de manière cohérente dans toutes les politiques susceptibles de jouer un rôle important dans le façonnement de la santé, le cas échéant, en recourant à des outils d'évaluation de l'impact sur la santé et sur l'équité en matière de santé. La démarche implique de reconsidérer la position de la politique de santé par rapport à d'autres priorités et politiques et d'adopter de nouveaux systèmes de gouvernance fondés sur une action coordonnée, y compris la responsabilité (obligation de rendre des comptes), au plus haut niveau des gouvernements nationaux, régionaux et locaux (« **à l'échelle de tous les pouvoirs publics** »), ainsi que dans tous les secteurs et avec toutes les parties prenantes (« **à l'échelle de l'ensemble de la société** »), en mettant l'accent sur tous les groupes sociaux (« **ne laisser personne de côté** »). En outre, dans le sillage de la pandémie de COVID-19, et compte tenu des défis sanitaires croissants posés par le changement climatique, la dégradation de l'environnement et la perte de biodiversité, les appels en faveur de l'adoption d'une **approche « Une seule santé »** se multiplient. Cette approche met l'accent sur la relation d'interdépendance entre la santé humaine, la santé animale et la santé de l'environnement, et répond à un objectif de développement durable en vue d'atténuer les menaces sanitaires qui affectent de manière disproportionnée les populations défavorisées sur le plan socio-économique.^{xxii}

Dans le souci de mesurer et de traiter efficacement les inégalités en matière de santé et les déterminants sociaux de la santé et pour évaluer l'impact des actions menées, il est essentiel de mettre en place des **systèmes de suivi systématique** solides. En complément de ces systèmes, une formation complète devrait être assurée à l'endroit des acteurs politiques, des parties prenantes et des prestataires de soins de santé, et des investissements réalisés en faveur de campagnes de sensibilisation du public. Pour assurer le suivi des actions politiques, le Bureau régional de l'OMS pour l'Europe a mis au point la **Boîte à outils d'évaluation de l'équité en santé**, qui met l'accent sur le suivi des tendances et des inégalités au sein des pays. La Boîte à outils définit des indicateurs politiques dans cinq domaines d'action politique clés qui correspondent aux cinq principaux déterminants sociaux de la santé, à savoir les services de santé, la sécurité élémentaire de revenu et la protection sociale, les conditions de vie, le capital social et humain, ainsi que l'emploi et les conditions de travail. Ces indicateurs s'appuient sur des données ventilées en fonction de facteurs tels que le revenu, le niveau

d'éducation et le sexe, ce qui permet un suivi de l'équité en matière de santé entre les individus de tous les segments de la population.^{xxiii}

Pour agir efficacement sur les déterminants sociaux de la santé, les ressources devraient être allouées sur la base d'évaluations objectives des besoins, conformément au principe d'« **universalisme proportionné** » qui affirme que pour aplanir la pente du gradient social, « les actions doivent être universelles, mais avec une ampleur et une intensité proportionnelles au niveau de défaveur sociale ». ^{xxiv} Cela signifie que, si les politiques doivent être accessibles à tout individu, elles doivent être adaptées pour refléter les différents degrés de désavantage le long du gradient social, en apportant un soutien plus intensif et plus adapté à celles et ceux qui en ont le plus besoin. ^{xxv} Cette approche reconnaît qu'il ne suffit pas de proposer les mêmes interventions à tout le monde pour « niveler par le haut » le gradient social de santé. Elle souligne en outre que le fait de se concentrer uniquement sur les personnes les plus défavorisées ne permettra pas de réduire suffisamment le gradient de santé de manière générale dès lors que la santé des personnes modérément défavorisées ne s'en trouvera pas améliorée. ^{xxvi}

Également dans le souci d'agir efficacement sur les déterminants sociaux de la santé, il est essentiel de garantir la responsabilité à tous les niveaux, par le biais d'un processus décisionnel inclusif et transparent. Le concept de « **Responsabilité pour la Raisonabilité** » offre un cadre essentiel pour orienter une prise de décision juste et responsable, en particulier dans des contextes de ressources limitées et de choix difficiles. ^{xxvii} En cas de désaccord sur la question de l'allocation des ressources, les décisions doivent être prises dans le cadre d'une procédure équitable de sorte qu'elles puissent être considérées comme légitimes. Une telle procédure doit répondre à quatre conditions : (1) condition d'information publique : les raisons et les valeurs qui sous-tendent les décisions doivent être accessibles au public et transparentes ; (2) condition de pertinence : les décisions doivent reposer sur des données probantes et des raisons jugées pertinentes et justifiables, dans toute la mesure du possible, par toutes les parties prenantes ; (3) possibilité de révision : un mécanisme doit permettre aux parties prenantes de contester et de réviser les décisions à la lumière de nouvelles données probantes ou de nouveaux arguments ; et (4) condition de réglementation : un mécanisme de réglementation doit être mis en place pour garantir que les décideurs puissent être tenus responsables en cas de non-respect des conditions de transparence, de pertinence et de possibilité de révision. ^{xxviii}

Enfin, les politiques qui ont une incidence sur les déterminants de la santé ne seront efficaces que si elles sont conçues pour accroître **la participation et l'engagement**, en particulier au sein des groupes vulnérables, dans le cadre de leur élaboration, dans le but d'identifier les besoins, les obstacles et les valeurs en jeu. ^{xxix} Des politiques élaborées et mises en œuvre sans tenir compte des enjeux sociaux, culturels et économiques auxquels se heurtent les populations défavorisées peuvent conduire à des interventions mal adaptées, qui n'apportent pas les bénéfices escomptés, voire qui creusent encore les disparités en matière de santé.

1.2.2. Promouvoir un accès équitable et en temps opportun aux soins de santé

a. Les défis liés à l'accès équitable et en temps opportun aux soins de santé

En matière d'accès aux soins de santé, d'autres déterminants sociaux de la santé peuvent donner lieu à des défis divers, ou les exacerber. Dans son Observation générale n° 14 sur le droit au meilleur état de santé susceptible d'être atteint, le Comité des droits économiques, sociaux et culturels des Nations Unies identifie comme suit ces différents défis.^{xxx}

La **disponibilité** des services de santé pourrait être insuffisante pour répondre aux besoins de la population, notamment en raison d'obstacles géographiques ; les zones rurales et défavorisées sont en effet souvent confrontées à un déficit d'infrastructures et de professionnel·les de santé. Les personnes qui vivent dans ces régions peuvent avoir à parcourir de longues distances pour recevoir des soins, être confrontées à des temps d'attente plus longs et n'avoir qu'un accès limité aux traitements spécialisés. En outre, les pays peuvent être confrontés à de graves pénuries de professionnel·les de la santé du fait de possibilités de formation inadéquates et de difficultés à attirer et à retenir le personnel en raison de salaires non compétitifs ou d'un phénomène de fuite des cerveaux. Ces facteurs peuvent conduire à l'indisponibilité de certains traitements spécialisés, au manque de personnel dans des services critiques et à l'allongement des délais d'attente. À cela s'ajoute le risque de problèmes de livraison, de ruptures de stock et de perturbations de la chaîne d'approvisionnement, qui peut entraîner l'indisponibilité de certains médicaments essentiels et de certaines technologies médicales.

Également, les services de santé disponibles peuvent ne pas être accessibles à toutes les personnes qui en ont besoin. L'**accessibilité** comporte quatre dimensions qui se recoupent. Premièrement, les patient·es peuvent être victimes de **discrimination** ou de stigmatisation au sein du système de santé, par exemple lorsque les professionnel·les de santé leur accordent moins de temps, d'attention ou d'expertise qu'aux autres patient·es ou lorsqu'ils ou elles formulent des suppositions biaisées sur la base de facteurs tels que l'appartenance ethnique, le genre, le statut socio-économique ou l'état de santé. Également, la stigmatisation peut dissuader les individus de chercher à se faire soigner, de peur d'être traités injustement ou jugés. Deuxièmement, les établissements et services de santé peuvent ne pas être **physiquement accessibles**, par exemple lorsqu'ils ne se trouvent pas à une distance raisonnable des lieux de résidence et de travail, ou lorsqu'ils ne sont pas conçus ou équipés pour répondre aux besoins des personnes âgées ou des personnes à mobilité réduite ou porteuses d'un handicap. Troisièmement, les services de santé ne sont pas toujours abordables pour l'ensemble de la population (**accessibilité économique**). Pour les personnes disposant de ressources financières limitées, il peut être difficile de financer des soins médicaux et des médicaments essentiels, ce qui les contraint à renoncer à des soins pourtant nécessaires ou à fragiliser encore davantage leur situation financière. Quatrièmement, l'**accessibilité de l'information** garantit aux patient·es le droit de rechercher et de recevoir librement des informations au sujet de leur santé, des traitements médicaux et des services de santé, et de répandre librement des informations et des idées concernant les questions de santé. Ces démarches peuvent toutefois s'avérer difficiles pour les personnes qui disposent de peu de connaissances en matière de santé, les personnes atteintes d'un handicap ou celles qui sont confrontées à la discrimination, aux barrières linguistiques et à la stigmatisation.

L'**accessibilité** représente un autre enjeu. La fourniture de services de santé doit être acceptable pour les patient·es, c'est-à-dire qu'elle doit respecter l'éthique médicale, être appropriée sur le plan culturel et tenir compte des exigences liées au genre et au stade de la vie. Cependant, les services de santé peuvent présenter des lacunes dans plusieurs domaines : ils peuvent ne pas tenir compte des pratiques culturelles ou des croyances des groupes minoritaires, les professionnel·les de santé peuvent avoir des préjugés inconscients ou des attitudes discriminatoires à l'égard de certaines personnes ou communautés, les services de santé peuvent manquer de ressources pour fournir des informations ou des soins

dans une langue que le patient ou la patiente comprend, ils peuvent ne pas répondre aux besoins ou aux préoccupations spécifiques au genre et ne pas être conçus pour pouvoir s'adapter aux différents stades de la vie d'une personne, comme les enfants ou les personnes âgées, dont les besoins en matière de santé sont généralement différents.

Enfin, les services de santé disponibles devraient également être d'une **qualité** appropriée, ce qui implique de disposer de professionnel·les de santé compétent·es, ayant bénéficié d'une formation adéquate, et de veiller à ce que les soins de santé soient dispensés conformément aux obligations et normes professionnelles pertinentes, comme le souligne l'article 4 de la Convention d'Oviedo. Les soins de santé doivent être « d'une qualité appropriée, eu égard à l'état de la science, et leur qualité doit faire l'objet d'une évaluation permanente »,^{xxxix} ce qui implique que les médicaments doivent être approuvés dans le cadre d'un processus réglementaire approprié et que les équipements médicaux doivent faire l'objet d'une évaluation de conformité afin de garantir le respect des normes juridiques, de sécurité et de performance. Les efforts visant à garantir des soins de qualité peuvent néanmoins se heurter à diverses difficultés, en particulier dans les zones défavorisées, et notamment la présence d'infrastructures inadaptées, un accès limité à des équipements médicaux modernes, un manque de financement, une pénurie de spécialistes de la santé, un personnel débordé qui s'efforce de maintenir les normes de soins en dépit d'une lourde charge de travail, un manque de formation continue qui permettrait de rester au fait des dernières avancées médicales et des ruptures de stock de médicaments essentiels.

b. Répondre à ces défis

Pour répondre à ces défis et promouvoir un accès équitable aux soins de santé, plusieurs approches cumulatives ont été présentées dans le cadre de la **couverture sanitaire universelle**, définie *lato sensu* par l'OIT comme signifiant que « chaque personne peut avoir recours aux services de santé dont elle a besoin, où et quand elle en a besoin, sans être exposée à des difficultés financières ». ^{xxxix} Consécutivement aux appels lancés dans le cadre du Rapport sur la santé dans le monde des Nations Unies paru en 2010 et de la Résolution Santé mondiale et politique étrangère des Nations Unies adoptée en 2012, la réalisation de la couverture sanitaire universelle à l'horizon 2030 a été définie en 2015 en tant que cible de l'objectif de développement durable 3 des Nations Unies (Permettre à tous de vivre en bonne santé et promouvoir le bien-être de tous à tout âge)^{xxxix} et l'Assemblée générale des Nations Unies a renforcé cet objectif en adoptant de nouvelles résolutions en 2019 et en 2023.^{xxxix} Ces résolutions se proposent d'agir sur les déterminants sociaux de la santé en adoptant une approche Santé dans toutes les politiques et en collaborant avec l'ensemble des parties prenantes selon une approche appropriée, à l'échelle de tous les pouvoirs publics et de l'ensemble de la société, afin de promouvoir la participation sociale.^{xxxix} Si la couverture sanitaire universelle vise à améliorer la disponibilité, l'acceptabilité et la qualité des services de santé, elle aspire avant tout à garantir l'accessibilité, en particulier l'accessibilité financière (accessibilité économique).

Pour parvenir à une couverture sanitaire universelle, les politiques nationales de santé doivent garantir **l'accès universel et en temps voulu à un ensemble de services de santé défini au niveau national, à tous les niveaux de soins** – promotion, prévention, traitement, réadaptation et soins palliatifs – **assorti d'une protection financière pour toutes et tous**. En ayant les soins de santé primaires pour pierre angulaire, la couverture vise à « permettre l'accès à la gamme complète de services de santé, de médicaments, de vaccins, d'outils de diagnostic et de technologies sanitaires essentiels intégrés, de qualité, sûrs, efficaces et abordables ». ^{xxxix} Atteindre la couverture sanitaire universelle requiert des systèmes de santé solides et résilients soutenus par un financement durable, apte à répondre aux besoins non satisfaits en matière de soins de santé et à éliminer les obstacles financiers, « en accordant une attention particulière aux pauvres ainsi qu'aux personnes vulnérables ou en situation de vulnérabilité ». ^{xxxix} Le Groupe Consultatif de l'OMS sur la Couverture Sanitaire Universelle et Équitable a établi un cadre stratégique pour la réalisation progressive de la couverture sanitaire universelle **en trois volets** : (1) étendre la couverture des services de santé, en

mettant l'accent sur les services de haute priorité ; (2) inclure un plus grand nombre de personnes, en mettant l'accent sur les groupes à revenus faibles, les populations rurales et autres groupes défavorisés ; et (3) réduire le paiement direct en faveur du prépaiement obligatoire avec mise en commun des fonds, en particulier pour les services de haute priorité et les groupes défavorisés. Étant donné les contraintes liées à la limitation des ressources, il conviendra de prendre des décisions stratégiques quant aux services à prioriser dans le cadre de l'extension, aux personnes à couvrir en priorité, aux modalités de transition du paiement direct vers des modèles de prépaiement ainsi qu'aux compromis acceptables face à ces différentes considérations. Le principe fondamental consiste à aborder en priorité la question de l'accès équitable aux services de santé de haute priorité, prépayés pour tous, en particulier les groupes les plus défavorisés, tout en évitant les politiques priorisant les services à faible priorité ou les populations les mieux nanties. La mise en œuvre des soins de santé universels exige d'établir les priorités avec précaution en s'appuyant sur des mécanismes de responsabilité et de participation publiques solides sur la base des principes de « Responsabilité pour la Raisonabilité ». ^{xxxviii} Pour promouvoir la responsabilité et la participation, il est aussi essentiel de mettre en place un système de suivi et d'évaluation fort qui inclue un ensemble complet d'indicateurs mesurant le degré d'accès à des services de santé essentiels et de qualité, le degré de protection financière relatif à ces services, le processus d'établissement des priorités en place et le niveau de distribution des résultats en termes d'état de santé. ^{xxxix}

Dans le cadre de la couverture sanitaire universelle, des stratégies sont également promues pour garantir un accès équitable et abordable aux traitements et technologies innovants. Il s'agit notamment de promouvoir des mesures incitatives et des mécanismes de financement novateurs des activités de recherche-développement dans le domaine de la santé, qui permettent de dissocier le coût des investissements du prix et du volume des ventes, tout en augmentant la transparence des prix tout au long de la chaîne de valeur, en renforçant la réglementation et en assurant un partenariat plus solide entre les secteurs public et privé, les milieux universitaires et la société civile. ^{xl} En outre, il est recommandé de promouvoir la santé numérique et les technologies de l'information et de la communication, conformément à la Stratégie mondiale de l'Organisation mondiale de la Santé pour la santé numérique 2020-2025, afin d'améliorer et de soutenir les fonctions du système de santé et d'accélérer les progrès vers la couverture sanitaire universelle. ^{xli}

En complément du cadre de la couverture sanitaire universelle, des stratégies adaptées sont nécessaires afin de surmonter les obstacles qui subsistent. Il est possible d'améliorer la **disponibilité** des services de santé en augmentant les investissements et en optimisant l'allocation des ressources dans le but de développer l'infrastructure des soins de santé, en particulier dans les zones mal desservies, rurales et difficiles d'accès. Dans cette perspective, il convient notamment de veiller à une distribution plus adéquate des établissements de soins, des professionnel·les de la santé, des médicaments et des équipements médicaux. Pour remédier à la pénurie de personnel de santé, il faut investir dans des stratégies de formation, d'emploi et de rétention du personnel, tout en agissant sur les causes profondes qui poussent les professionnel·les à migrer et à quitter le secteur de la santé. La promotion d'une répartition équitable des professionnel·les de la santé qualifié·es passe par des mesures d'incitation et par la création d'un environnement de travail sûr et favorable, assorti d'une rémunération compétitive. ^{xlii} Face aux difficultés qui se posent dans la chaîne d'approvisionnement, telles que les problèmes de livraison, les ruptures de stock et les perturbations, les stratégies devraient inclure l'amélioration des systèmes de gestion de la chaîne d'approvisionnement de manière à anticiper la demande et contrôler les niveaux d'approvisionnement, la diversification des sources d'approvisionnement au travers de partenariats avec des fabricants divers, la promotion de la production locale, l'encouragement de la collaboration régionale, la constitution de stocks régionaux de médicaments essentiels et d'équipements médicaux, et l'investissement dans la logistique pour assurer la livraison des fournitures dans les délais établis. ^{xliii}

Les stratégies visant à améliorer l'**accessibilité** (autre qu'économique) et l'**acceptabilité** des services de santé nécessitent également des mesures ciblées. Ces mesures incluent la formation aux compétences culturelles et l'éducation à la diversité pour les professionnel·les de la santé afin de les sensibiliser aux différentes pratiques culturelles, aux croyances et aux besoins des groupes minoritaires en matière de soins de santé, tout en mettant l'accent sur l'élimination des préjugés inconscients. Pour mieux adapter les services de santé au contexte culturel des communautés locales, des initiatives de sensibilisation de la population locale et des programmes d'éducation à la santé peuvent être mis en œuvre avec le soutien des agents de santé communautaire, tandis que des médiateurs culturels peuvent aider les professionnel·les de la santé à améliorer la communication avec les patient·es issu·es de minorités. Les barrières linguistiques peuvent être levées en établissant un réseau d'interprètes formés, disponibles à la fois en personne et dans le cadre de la télésanté, et en mettant à disposition des documents écrits, des formulaires de consentement et des outils numériques dans différentes langues. La littératie en santé devrait être au cœur de ces stratégies, afin que les patient·es disposent des connaissances et de la compréhension nécessaires pour prendre des décisions éclairées concernant leur santé. En outre, les services de santé doivent être adaptés aux besoins spécifiquement liés au genre et à l'âge, ce qui implique de former les professionnel·les de la santé aux soins et à la communication adaptés au genre et à l'âge. Plus généralement, il conviendrait d'adopter des modèles de soins centrés sur le patient, ou la patiente, fondés sur des plans de traitement personnels qui intègrent les besoins, les valeurs et les préférences de chaque patient·e.^{xliv} L'accessibilité physique peut être améliorée, non seulement en développant les infrastructures de soins de santé mais aussi en déployant des cliniques mobiles ou en utilisant des unités de télémédecine pour atteindre les zones mal desservies, en coopérant avec les urbanistes et les réseaux de transport public aux fins d'améliorer les possibilités de transport vers les établissements de soins de santé, en concevant des établissements de santé capables d'accueillir les enfants, les personnes handicapées et les personnes âgées, et en améliorant les services d'assistance.^{xlv}

Pour garantir la **qualité** appropriée des services de santé, plusieurs stratégies ciblées peuvent être mises en œuvre, en complément des stratégies précédemment mentionnées. Pour rester informé·es des derniers développements en matière de science médicale, de soins aux patient·es et de technologie, les professionnel·les de la santé devraient bénéficier de programmes de formation réguliers et être encouragés à poursuivre leur apprentissage tout au long de la vie.^{xlvi} En outre, les systèmes réglementaires des autorités sanitaires nationales devraient être renforcés afin de pouvoir superviser de manière efficace l'approbation des médicaments et la certification des équipements médicaux, notamment en mettant en œuvre des processus solides pour appuyer de bonnes pratiques de fabrication et en supervisant les essais cliniques, l'approbation préalable à la mise sur le marché, l'autorisation de mise sur le marché et la surveillance consécutive à la mise sur le marché, dans le souci de maintenir des normes élevées de qualité, d'innocuité et d'efficacité. Il s'agirait également d'assurer l'accréditation des professionnel·les de santé ainsi que l'accréditation, l'audit et l'inspection des établissements de santé afin de garantir le respect des normes de qualité et d'innocuité.^{xlvii}

La mise en œuvre de ces stratégies peut permettre aux systèmes de santé de progresser de manière significative dans la lutte contre les disparités en matière de santé en supprimant les obstacles et en apportant un soutien adapté, dans le but d'assurer un accès plus équitable aux soins de santé fondé sur les besoins spécifiques de chaque patient·e.

2. Demandes d'accès à des traitements expérimentaux avant leur approbation

Avant d'être commercialisé, un médicament doit faire l'objet d'une procédure rigoureuse d'autorisation de mise sur le marché par les autorités compétentes. Ce processus garantit que l'innocuité, l'efficacité et la qualité pharmacologique du produit ont été établies, principalement au travers d'essais cliniques.^{xlviii} Ces garanties sont essentielles pour protéger les patient·es

des effets nocifs potentiels causés par des médicaments qui pourraient avoir des effets secondaires importants, être inefficaces ou de mauvaise qualité. Dans certaines circonstances toutefois, les patient-es peuvent avoir accès à des médicaments qui ne sont pas autorisés ou qui ne sont pas spécifiquement autorisés pour traiter leur pathologie. Par exemple, les utilisations hors indication correspondent à une situation dans laquelle un médicament qui a été autorisé pour une indication donnée ou un groupe de patient-es spécifique est prescrit pour une utilisation distincte, qui n'a pas été approuvée. Dans pareils cas, bien que le médicament soit autorisé, son application n'est pas conforme aux paramètres approuvés à l'origine.

En outre, dans certaines situations, les patient-es peuvent avoir accès à des médicaments qui ne sont pas du tout autorisés, comme dans certains essais cliniques de phase initiale ou dans le cadre de programmes d'usage compassionnel. Les essais cliniques de phase I se concentrent principalement sur l'évaluation de l'innocuité du médicament, en examinant le métabolisme, la toxicité et les effets de différents dosages. Bien que ces essais n'aient pas vocation à évaluer l'efficacité du produit, pour les patient-es atteint-es d'une maladie grave ou en phase terminale, comme le cancer, et qui n'ont plus d'autre option thérapeutique, la participation à ces essais peut encore produire des bénéfices potentiels si le produit expérimental montre rapidement des résultats. Malgré le peu d'informations concernant l'efficacité des produits testés, les participants aux essais de phase I bénéficient de certaines protections, notamment d'un examen éthique, d'un processus de consentement éclairé et d'une couverture d'assurance pour les essais cliniques. Les essais de phase II, qui portent sur des cohortes de patient-es plus importantes, visent à fournir des preuves d'efficacité préliminaires tout en continuant d'évaluer l'innocuité, les effets secondaires et les risques. Ces essais impliquent généralement plusieurs centaines de participant-es et génèrent des données plus concrètes au sujet de l'efficacité du traitement pour traiter la pathologie ciblée. Dans les essais de phase III, qui impliquent généralement plusieurs milliers de participant-es, l'objectif est de confirmer l'efficacité d'un traitement et de poursuivre l'évaluation de son innocuité sur une population de patient-es plus importante. Les données issues de ces essais sont utilisées par les instances réglementaires afin de déterminer si le médicament doit bénéficier d'une autorisation complète pour l'usage auquel il est destiné. Dans certains cas, les médicaments destinés à traiter des maladies graves ou potentiellement mortelles peuvent bénéficier d'une approbation accélérée après des essais de phase II concluants. Cette approbation est accordée sur la base d'un effet positif sur un critère d'évaluation de substitution (marqueur) spécifique, tel que le rétrécissement de la tumeur, dont il est raisonnable de penser qu'il produira des bénéfices cliniques. Une fois cette approbation accordée, le fabricant doit encore mener des études cliniques post-approbation pour démontrer l'effet du produit sur des critères d'évaluation cliniques plus définitifs, tels que l'allongement de la durée de vie, et ainsi garantir l'innocuité et l'efficacité du traitement pour les patient-es.

Dans certains cas, les patient-es atteint-es d'une pathologie potentiellement mortelle ou très invalidante qui n'ont plus d'autre option thérapeutique et qui ne peuvent participer à des essais cliniques peuvent avoir accès à des médicaments expérimentaux dans le cadre d'un usage compassionnel, également connu sous le nom d'accès élargi. Elles ou ils peuvent ainsi accéder à des médicaments expérimentaux, généralement en essai de phase III, par le biais d'un programme d'usage compassionnel, si leur médecin est disposé-e à en faire la demande et si le fabricant accepte de fournir les médicaments en question. Au niveau européen, le cadre réglementaire permet aux États membres d'autoriser l'accès compassionnel à un médicament non autorisé pour les patient-es souffrant d'une maladie chronique ou très invalidante, voire potentiellement mortelle, lorsqu'aucun traitement autorisé n'apporte de résultat satisfaisant. Le produit concerné doit être en cours d'essais cliniques ou avoir fait l'objet d'une demande d'autorisation de mise sur le marché, et des données préliminaires doivent montrer une efficacité potentielle ainsi que l'absence de risques déraisonnables.^{xlix} Pour autant, la mise en œuvre des programmes d'usage compassionnel reste de la compétence des États membres et les procédures et exigences connexes peuvent donc varier

de manière considérable. Certains pays imposent par exemple des conditions supplémentaires, comme le fait que le produit soit autorisé dans un autre pays ou que son efficacité thérapeutique soit vérifiée par un organisme scientifique reconnu.ⁱ

La question de savoir à quel moment les patient-es gravement malades ou en phase terminale doivent pouvoir accéder à des médicaments non éprouvés dans le cadre de programmes d'usage compassionnel est un sujet de débat et de controverse permanents. En témoignent les affaires *Hristozov et autres c. Bulgarie* et *Durisotto c. Italie*, dans lesquelles la Cour européenne des droits de l'homme a statué que les refus des gouvernements bulgare et italien d'autoriser l'accès à des traitements expérimentaux n'étaient pas contraires à la Convention européenne des droits de l'homme.ⁱⁱ Dans l'affaire *Hristozov*, un groupe de patient-es bulgares souffrant de différents types de cancer souhaitait avoir accès à un médicament anticancéreux non approuvé qui avait été autorisé pour un « usage compassionnel » dans d'autres pays. Cependant, les autorités nationales ont refusé l'accès car la loi bulgare stipule que l'usage compassionnel ne peut être approuvé que si le médicament a déjà été autorisé dans un autre pays. Dans l'affaire *Durisotto*, un père italien a demandé l'accès à une thérapie expérimentale à base de cellules souches (méthode « Stamina ») en faveur de sa fille, qui souffrait d'une pathologie cérébrale dégénérative. Une décision de justice qui faisait provisoirement droit à la demande du requérant avait été annulée en vertu d'une nouvelle législation nationale, laquelle stipulait que l'accès aux traitements expérimentaux serait autorisé uniquement pour les médicaments soumis à des essais cliniques et dont l'efficacité thérapeutique avait été vérifiée par un organisme scientifique reconnu. Dans ce cas, un comité scientifique mis en place par le ministère de la Santé avait rendu un avis négatif sur la méthode « Stamina », concluant que le traitement ne reposait pas sur une base scientifique.

Dans les affaires *Hristozov* et *Durisotto*, les requérants ont affirmé que le refus de leur accorder l'accès à ces produits était contraire à l'article 2 de la Convention (droit à la vie), soutenant qu'en refusant cet accès, l'État n'avait pas pris les mesures appropriées pour protéger la vie des personnes relevant de sa juridiction. Plus précisément, dans l'affaire *Hristozov*, la Cour a souligné que des réglementations nationales relatives à l'usage compassionnel étaient déjà en place et a estimé que l'article 2 ne pouvait être interprété comme exigeant des États qu'ils autorisent l'accès selon les modalités précisément demandées par les patient-es.ⁱⁱⁱ Les requérant-es ont également invoqué l'article 8 (droit au respect de la vie privée et familiale), faisant valoir que les refus portaient atteinte à leur autonomie de choisir, en consultation avec leurs médecins, le traitement médical qu'elles ou ils devaient suivre, même si ce choix risquait d'entraîner des conséquences néfastes. La Cour a rejeté cette demande, déclarant que les États disposent d'une large marge d'appréciation pour réglementer l'accès à des traitements non éprouvés, et ce pour deux raisons essentielles.

Tout d'abord, la Cour a noté que la question exigeait des États qu'ils mettent en balance des intérêts privés et publics concurrents. La Cour a observé que les requérant-es avaient un intérêt évident à accéder à des traitements expérimentaux en dernier recours, même si ces traitements présentaient des risques importants. Toutefois, il existe également un intérêt public divergent résidant dans l'encadrement de l'accès à des produits expérimentaux de patient-es souffrant d'une maladie en phase terminale, afin de les protéger contre toute conséquence néfaste. Compte tenu du manque de données claires sur les risques et les bénéfices potentiels de traitements expérimentaux et de l'état de vulnérabilité de ces patient-es, il est essentiel de veiller à ce qu'ils ou elles ne soient pas exposé-es à des risques susceptibles de nuire à leur propre santé et à leur vie, et ce bien que ces personnes soient en fin de vie. La Cour a également souligné que la mise en balance de ces intérêts contradictoires faisait intervenir de complexes questions d'éthique et d'appréciation des risques, dans un contexte d'évolution rapide de la médecine et de la science.

Deuxièmement, la Cour a noté qu'en dépit d'une tendance croissante des États européens à permettre, dans certaines circonstances exceptionnelles, l'utilisation de médicaments non autorisés, ce consensus émergent n'a pas été mis en œuvre de manière uniforme dans les

juridictions compte tenu des niveaux d'exigences distincts entre les cadres juridiques régissant un tel accès.^{liii} Les autorités bulgares ont choisi de mettre en balance les intérêts concurrents en permettant aux patient-es d'obtenir des médicaments qui n'ont pas été autorisés en Bulgarie, mais seulement s'ils l'ont été dans un autre pays. Dans la recherche d'un équilibre entre le bénéfice thérapeutique potentiel et la prémunition contre les risques médicaux, cette solution fait pencher la balance de manière déterminante en faveur de la seconde et favorise ainsi le recours à des produits qui ont déjà fait l'objet de tests rigoureux d'innocuité et d'efficacité dans d'autres pays. En rendant entièrement inaccessibles les produits qui sont encore en cours d'élaboration, la Bulgarie n'a pas outrepassé l'ample marge d'appréciation qui lui était accordée.^{liv} En outre, la Cour a souligné qu'il n'appartient pas au juge international de se substituer aux autorités nationales compétentes pour déterminer le niveau de risque acceptable en pareilles circonstances. Ce raisonnement a été repris ultérieurement dans l'affaire *Durisotto*, où la Cour a déclaré la requête irrecevable.^{lv}

L'essor des traitements innovants a entraîné une augmentation sensible du nombre de patient-es sollicitant l'accès à des médicaments expérimentaux en dehors du contexte des essais cliniques, en particulier lorsque leur pronostic vital est engagé.^{lvi} Les programmes d'usage compassionnel peuvent offrir à ces patient-es une option thérapeutique de dernier recours et un plus grand sentiment de contrôle et de participation à leur traitement. D'un point de vue éthique, on pourrait affirmer que l'usage compassionnel respecte l'autonomie des patient-es en leur permettant de prendre des décisions éclairées concernant leur santé, même si ce choix implique d'assumer les risques associés à des traitements non éprouvés. Dans le contexte de la Stratégie de lutte contre la tuberculose déployée par l'Organisation mondiale de la Santé, par exemple, les orientations suggèrent que l'épuisement de toutes les pistes thérapeutiques possibles, y compris l'usage compassionnel, honore la dignité des patient-es en reconnaissant que leur vie est précieuse et mérite d'être protégée. Cette approche soutient l'idée que les patient-es ont le droit de prendre des risques calculés en l'absence d'autres traitements viables. Toutefois, si les programmes d'usage compassionnel visent à respecter l'autonomie, la sécurité des patient-es demeure une préoccupation de premier ordre. Les orientations de l'OMS soulignent la nécessité de minimiser les risques à travers une pharmacovigilance stricte et un suivi rigoureux, en veillant à ce que, conformément au principe de non-malfaisance, les patient-es ne subissent pas de conséquences néfastes excessives sans garanties adéquates.^{lvii} La nécessité de trouver un équilibre entre l'autonomie et la sécurité des patient-es donne lieu à des tensions.^{lviii} D'un côté, certains plaident pour élargir l'accès aux traitements expérimentaux, qu'ils considèrent comme un droit fondé sur la dignité et l'autonomie. De l'autre, la primauté de la sécurité et du bien-être des patient-es est invoquée, en soulignant l'importance de contrôles stricts aux fins de prévenir les conséquences néfastes et préserver la dignité de ces patient-es vulnérables, même dans les cas où ces personnes sont disposées à accepter ces risques.

Dans ce contexte, il est important de reconnaître la nécessité d'établir des restrictions claires lorsqu'il s'agit de consentir à des demandes d'accès à des traitements expérimentaux. Dans son Observation générale sur le droit au meilleur état de santé susceptible d'être atteint, le Comité des droits économiques, sociaux et culturels de l'ONU souligne que les biens et services en matière de santé doivent être scientifiquement et médicalement appropriés et de bonne qualité, ce qui suppose des médicaments « approuvés par les instances scientifiques et non périmés ».^{lix} De la même manière, le Rapport explicatif de la Convention sur les Droits de l'Homme et la biomédecine, à propos de son article 3, souligne que les « soins doivent être d'une qualité appropriée, eu égard à l'état de la science, et leur qualité doit faire l'objet d'une évaluation permanente ».^{lx} Ces dispositions soulignent la nécessité, pour les traitements, de répondre à des critères d'innocuité et d'efficacité confirmés par des normes scientifiques, comme le préconise le cadre réglementaire de l'UE. Quant à définir ce qui s'entend par « approuvés par les instances scientifiques » et « qualité appropriée », la question demeure complexe. Le fait que seul un très faible pourcentage des médicaments soumis à des essais cliniques finissent par être approuvés constitue une préoccupation majeure. Des études montrent ainsi qu'à peine 13,8 % de tous les médicaments et 3,4 % des médicaments contre

le cancer qui entrent en phase d'essais cliniques finissent par être approuvés, la plupart échouant en raison de leur toxicité ou de leur manque d'efficacité.^{lxi} Citons notamment, à cet égard, l'essai de phase III mené en 2007 sur la minocycline dans le traitement de la SLA : les patient-es prenant le médicament avaient vu leur maladie progresser 25 % plus rapidement que les patient-es sous placebo.^{lxii} Ces résultats soulignent les dangers potentiels associés aux médicaments expérimentaux et mettent en garde contre une nouvelle extension des lois sur le « droit d'essayer » pour inclure des traitements fondés uniquement sur des essais de phase I et des preuves précliniques.^{lxiii}

La notion de consentement libre et éclairé est une autre question cruciale.^{lxiv} Alors que l'autonomie du patient est souvent citée comme la principale justification de l'accès aux traitements expérimentaux, les patient-es gravement malades ou en phase terminale ne sont pas toujours les mieux placé-es pour évaluer les risques et les bénéfices de traitements non éprouvés, en particulier lorsque leurs attentes sont irréalistes ou quand ces personnes estiment qu'elles n'ont plus rien à perdre. Cette vulnérabilité émotionnelle peut compromettre leur capacité à prendre des décisions raisonnées.^{lxv} En outre, le rôle des médecins dans la fourniture d'informations claires et impartiales au sujet des risques et des bénéfices de ces traitements est absolument décisif, mais souvent compliqué. Les incertitudes qui entourent les médicaments expérimentaux sont parfois profondes et les médecins peuvent se heurter à des difficultés pour comprendre ou communiquer pleinement ces risques. En outre, lorsque les médecins entretiennent des liens avec le promoteur ou sont activement impliqué-es dans la recherche clinique, elles ou ils risquent de ne pas donner une présentation tout à fait objective des bénéfices et des risques potentiels. Également, les implications financières des programmes d'usage compassionnel peuvent être importantes. Si les produits ne sont pas fournis par les entreprises pharmaceutiques ou en l'absence de subventions de la part des payeurs publics ou privés, les dépenses à la charge de la patiente ou du patient peuvent être considérables. En outre, si ces programmes étaient amenés à se développer sensiblement, les retombées accrues sur les systèmes de soins de santé pourraient faire peser une pression financière considérable sur des ressources déjà limitées, ce qui soulève des inquiétudes quant à la viabilité à long terme de ces initiatives.^{lxvi} Compte tenu de ces considérations éthiques, médicales et financières, il est essentiel d'aborder la question de l'usage compassionnel dans le cadre d'une démarche prudente et équilibrée. Il s'agira ici d'assurer une surveillance rigoureuse ainsi qu'une communication transparente et de mettre scrupuleusement en balance l'autonomie des patient-es et les principes de bienfaisance et de non-malfaisance afin de garantir que ces programmes servent au mieux les intérêts des patient-es concerné-es.^{lxvii}

ⁱ Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé (CDBIO), [Rapport sur l'application de l'intelligence artificielle dans les soins de santé et son impact sur la relation patient-e-médecin](#), 2024.

ⁱⁱ [Rapport explicatif de la Convention sur les Droits de l'Homme et la biomédecine](#), paragraphe 32.

ⁱⁱⁱ Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé (CDBIO), [Rapport sur l'application de l'intelligence artificielle dans les soins de santé et son impact sur la relation patient-e-médecin](#), 2024.

^{iv} [Règlement \(UE\) 2021/2282 du Parlement européen et du Conseil du 15 décembre 2021 concernant l'évaluation des technologies de la santé et modifiant la directive 2011/24/UE](#), JO L 458 du 22 décembre 2021, p. 1-32.

^v Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé, [Guide sur la littératie en santé – Favoriser la confiance et l'accès équitable aux soins de santé](#), 2023.

^{vi} Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé, [Guide sur la littératie en santé – Favoriser la confiance et l'accès équitable aux soins de santé](#), 2023.

^{vii} Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé, [Guide sur la littératie en santé – Favoriser la confiance et l'accès équitable aux soins de santé](#), 2023.

^{viii} Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé, [Guide sur la littératie en santé – Favoriser la confiance et l'accès équitable aux soins de santé](#), 2023.

- ^{ix} Commission des Déterminants sociaux de la Santé, [Comblant le fossé en une génération : Instauration l'équité en santé en agissant sur les déterminants sociaux de la santé](#), Rapport final de la Commission des Déterminants sociaux de la Santé, Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2008.
- ^x Wilkinson R. & Marmot M., [Les déterminants sociaux de la santé : Les faits](#), Deuxième édition. Organisation mondiale de la Santé, Bureau régional pour l'Europe, Copenhague, 2003 ; Marmot M., *The Health Gap : The Challenge of an Unequal World*, Londres : Bloomsbury, 2016.
- ^{xi} Glanz K., Rimer B.K. & Viswanath K. (dir.), *Health Behavior : Theory, Research, and Practice*, Cinquième édition, San Francisco : Jossey-Bass, 2015.
- ^{xii} Marmot M., *The Status Syndrome : How Social Standing Affects Our Health and Longevity*, New York : Henry Holt, 2005.
- ^{xiii} Ben-Shlomo Y. & Kuh D. (dir.), *A Life-course Approach to Chronic Disease Epidemiology*, Deuxième édition, Oxford : Oxford University Press, 2004 ; Organisation mondiale de la Santé, [A Life Course Approach to Health](#), WHO/NMH/HPS/00.2, 2000.
- ^{xiv} Link B.G., Phelan J., Social conditions as fundamental causes of disease, *J Health Soc Behav.*, 1995, Spec n° 80-94 ; Clouston S.A.P. & Link B.G., A retrospective on fundamental cause theory : State of the literature, and goals for the future, *Annu Rev Sociol.*, juillet 2021 ; 47(1):131-156.
- ^{xv} Marmot M. & Wilkinson R.G. (dir.), *Les déterminants sociaux de la santé*, Deuxième édition, Oxford University Press, 2006.
- ^{xvi} Commission des Déterminants sociaux de la Santé, [Comblant le fossé en une génération : Instauration l'équité en santé en agissant sur les déterminants sociaux de la santé](#), Rapport final de la Commission des Déterminants sociaux de la Santé, Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2008 ; Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, rapport [Les inégalités socio-économiques en Europe : rétablir la confiance sociale en renforçant les droits sociaux](#), 2021.
- ^{xvii} Serkez Y., Who Is Most Likely to Die From the Coronavirus ?, *The New York Times*, 4 juin 2020 ; Whitehead M., Barr B. & Taylor-Robinson D., COVID-19 : We are not "all in it together" – Less privileged in society are suffering the brunt of the damage, *BMJ Opinion*, 22 mai 2020.
- ^{xviii} Nuffield trust, [Covid-19 kills people in the most deprived areas at double the rate of those in the most affluent](#), 6 mai 2020.
- ^{xix} Organisation mondiale de la Santé, [COVID-19 and the social determinants of health and health equity : Evidence brief](#), 7 décembre 2021 ; [Repenser les priorités politiques à la lumière des pandémies : un appel à l'action](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 28 février 2021 ; [Health inequity and the effects of COVID-19 : Assessing, responding to and mitigating the socioeconomic impact on health to build a better future](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2020 ; [The European Health Report 2021. Taking stock of the health-related Sustainable Development Goals in the COVID-19 era with a focus on leaving no one behind](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2022 ; Berchet C., Bijlholt J. & Ando M., [Socio-economic and ethnic health inequalities in COVID-19 outcomes across OECD countries](#), document de travail de l'OCDE sur la santé, n° 153, Éditions de l'OCDE, 2023.
- ^{xx} Hart J.T., The inverse care law, *Lancet*. 1971 ; 27;1(7696):405-12.
- ^{xxi} OMS, [Déclaration politique de Rio sur les déterminants sociaux de la santé](#), Conférence mondiale sur les déterminants sociaux de la santé, 21 octobre 2011 ; Assemblée mondiale de la santé, [Résolution WHA62.14 « Réduire les inégalités en matière de santé par une action sur les déterminants sociaux de la santé »](#), 22 mai 2009 ; Commission des Déterminants sociaux de la Santé, [Comblant le fossé en une génération : Instauration l'équité en santé en agissant sur les déterminants sociaux de la santé](#), Rapport final de la Commission des Déterminants sociaux de la Santé, Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2008 ; [Santé 2020 : Un cadre politique européen à l'appui des actions pangouvernementales et pansociétales en faveur de la santé et du bien-être](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2012 ; [Healthy, prosperous lives for all : The European Health Equity Status Report](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2019 ; Saunders M., Barr B., McHale P. & Hamelmann C., [Key policies for addressing the social determinants of health and health inequities](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2017 ; OMS, [Health equity and its determinants](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2021 ; [Transformer le paysage de la santé et de l'équité sociale : promouvoir une croissance socialement juste et inclusive pour améliorer la résilience, la solidarité et la paix](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2023 ; Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 78^e session, 5 octobre 2023, A/RES/78/4. Voir aussi, Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, projet de recommandation [Les inégalités socio-économiques en Europe : rétablir la confiance sociale en renforçant les droits sociaux](#), 2021 ; Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, projet de résolution [Les inégalités socio-économiques en Europe : rétablir la confiance sociale en renforçant les droits sociaux](#), 2021 ;

Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, rapport [Les inégalités socio-économiques en Europe : rétablir la confiance sociale en renforçant les droits sociaux](#), 2021.

xxii Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, [Résolution 2500 \(2023\), Urgence de santé publique : la nécessité d'une approche holistique du multilatéralisme et des soins de santé](#) ; Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, Résolution 2400 (2021) [Lutte contre les inégalités en matière de droit à un environnement sûr, sain et propre](#) ; Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, rapport [Lutte contre les inégalités en matière de droit à un environnement sûr, sain et propre](#), 2021 ; Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, rapport [Ancrer le droit à un environnement sain : la nécessité d'une action renforcée du Conseil de l'Europe](#), 2021 ; Commission paneuropéenne de la santé et du développement durable, [À la lumière de la pandémie : Une nouvelle stratégie en faveur de la santé et du développement durable](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2021 ; Commission paneuropéenne de la santé et du développement durable, [Drawing light from the pandemic : A new strategy for health and sustainable development – A review of the evidence](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2021 ; [Transformer le paysage de la santé et de l'équité sociale : promouvoir une croissance socialement juste et inclusive pour améliorer la résilience, la solidarité et la paix](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2023 ; Commission européenne : Direction générale de la santé et de la sécurité alimentaire, [La stratégie de l'UE en matière de santé mondiale : Une meilleure santé pour tous dans un monde en mutation](#), Office des publications de l'Union européenne, 2022 ; Communication de la Commission au Parlement européen, au Conseil, au Comité économique et social européen et au Comité des régions, [Stratégie de l'UE en matière de santé mondiale - Une meilleure santé pour tous dans un monde en mutation](#) (COM(2022) 675 final).

xxiii [Health Equity Policy Tool. A framework to track policies for increasing health equity in the WHO European Region](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2019.

xxiv Marmot M., [Fair Society, Healthy Lives : The Marmot Review](#), Londres : Strategic Review of Health Inequalities in England post-2010, 2010 ; Commission européenne : Agence exécutive pour la santé et les consommateurs, [Health inequalities in the EU – Final report of a consortium – Consortium lead : Sir Michael Marmot](#), Commission européenne, 2013 ; Service de recherche du Parlement européen, [Lutter contre les inégalités en matière de santé dans l'Union européenne : Concepts, action, état des lieux](#), Bruxelles : Union européenne, 2020.

xxv Carey G., Crammond B. & De Leeuw E., Towards health equity : A framework for the application of proportionate universalism, *Int J Equity Health* 2015 ; 14:81.

xxvi [Healthy, prosperous lives for all : The European Health Equity Status Report](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2019.

xxvii [Faire des choix justes pour une couverture sanitaire universelle](#), rapport final du Groupe Consultatif de l'OMS sur la Couverture Sanitaire Universelle et Équitable, OMS, 2014.

xxviii Daniels N., *Just health : Meeting health needs fairly*, Cambridge : Cambridge University Press, 2008 ; Daniels N. & Sabin J.E., *Setting limits fairly : Learning to share resources for health*, 2^e édition, Oxford : Oxford University Press, 2008 ; Daniels, N., *Accountability for Reasonableness and Priority Setting in Health*, in Nagel E. and Lauerer M. (dir.), *Prioritization in Medicine : An International Dialogue*, Springer, 2016, 47-56.

xxix [Engagement and participation for health equity](#), Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2017.

xxx Comité des droits économiques, sociaux et culturels de l'ONU, [Observation générale n° 14 \(2000\) : Le droit au meilleur état de santé susceptible d'être atteint \(art. 12\)](#), E/C.12/2000/4 ; voir aussi : Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé (CDBIO), [Approches des soins de santé fondées sur les droits de l'homme : Rapport de base](#), Conseil de l'Europe, 2023.

xxxi [Rapport explicatif de la Convention sur les Droits de l'Homme et la biomédecine](#), paragraphe 24.

xxxii OMS, [Couverture sanitaire universelle](#), 5 octobre 2023.

xxxiii Nations Unies, [Objectifs de développement durable : Objectif 3 : Permettre à tous de vivre en bonne santé et promouvoir le bien-être de tous à tout âge](#), cible 3.8, 2015.

xxxiv Organisation mondiale de la Santé, [Rapport sur la santé dans le monde : le financement des systèmes de santé : le chemin vers une couverture universelle](#), Organisation mondiale de la Santé, 2010 ; Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution Santé mondiale et politique étrangère](#), adoptée à la 53^e session, 12 décembre 2012, A/RES/67/81 ; Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 74^e session, 10 octobre 2019, A/RES/74/2 ; Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 78^e session, 5 octobre 2023, A/RES/78/4. Voir aussi Assemblée parlementaire du Conseil de l'Europe, [Résolution 2500 \(2023\), Urgence de santé publique : la nécessité d'une approche holistique du multilatéralisme et des soins de santé](#) ; Commission

paneuropéenne de la santé et du développement durable, [À la lumière de la pandémie : Une nouvelle stratégie en faveur de la santé et du développement durable](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2021 ; Commission paneuropéenne de la santé et du développement durable, [Drawing light from the pandemic : A new strategy for health and sustainable development – A review of the evidence](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2021 ; Comité régional de l'OMS pour l'Europe, [Feuille de route pour la mise en œuvre du Programme de développement durable à l'horizon 2030, en se basant sur Santé 2020, la politique européenne de la santé et du bien-être](#), adoptée à sa 67^e session, 11-14 septembre 2017, EUR/RC67/R3 ; [Programme de travail européen, 2020-2025 : une unité d'action pour une meilleure santé](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2021 ; [Transformer le paysage de la santé et de l'équité sociale : promouvoir une croissance socialement juste et inclusive pour améliorer la résilience, la solidarité et la paix](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2023 ; Commission européenne : Agence exécutive pour la santé et les consommateurs, [Health inequalities in the EU – Final report of a consortium – Consortium lead : Sir Michael Marmot](#), Commission européenne, 2013 ; Commission européenne : Direction générale de la santé et de la sécurité alimentaire, [La stratégie de l'UE en matière de santé mondiale : Une meilleure santé pour tous dans un monde en mutation](#), Office des publications de l'Union européenne, 2022 ; Service de recherche du Parlement européen, [Lutter contre les inégalités en matière de santé dans l'Union européenne : Concepts, action, état des lieux](#), Bruxelles : Union européenne, 2020.

^{xxxv} Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 78^e session, 5 octobre 2023, A/RES/78/4, paragraphe 47.

^{xxxvi} Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 78^e session, 5 octobre 2023, A/RES/78/4, paragraphe 49.

^{xxxvii} Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 78^e session, 5 octobre 2023, A/RES/78/4, paragraphe 46.

^{xxxviii} [Faire des choix justes pour une couverture sanitaire universelle](#), rapport final du Groupe Consultatif de l'OMS sur la Couverture Sanitaire Universelle et Équitable, OMS, 2014.

^{xxxix} [Faire des choix justes pour une couverture sanitaire universelle](#), rapport final du Groupe Consultatif de l'OMS sur la Couverture Sanitaire Universelle et Équitable, OMS, 2014 ; Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 78^e session, 5 octobre 2023, A/RES/78/4, paragraphe 101.

^{xi} Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 78^e session, 5 octobre 2023, A/RES/78/4, paragraphes 73 et 75-76 ; [Accès aux médicaments et aux vaccins](#), Rapport du Directeur général, Organisation mondiale de la Santé, A72/17, 2019 ; Assemblée mondiale de la Santé, [Améliorer la transparence des marchés de médicaments, de vaccins et d'autres produits sanitaires](#), Organisation mondiale de la Santé, A72/8, 2019 ; [WHO Fair Pricing Forum 2024](#).

^{xii} Assemblée générale des Nations Unies, [Résolution adoptant la Déclaration politique issue de la réunion de haut niveau sur la couverture sanitaire universelle](#), adoptée à la 78^e session, 5 octobre 2023, A/RES/78/4, paragraphes 78-80 ; [Stratégie mondiale pour la santé numérique 2020-2025](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2021.

^{xiii} [Global Strategy on Human Resources for Health : Workforce 2030](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2016 ; Commission de haut niveau sur l'emploi dans le secteur de la santé et la croissance économique, [S'engager pour la santé et la croissance : Investir dans le personnel de santé](#), Rapport de la Commission de haut niveau sur l'emploi dans le secteur de la santé et la croissance économique, Organisation mondiale de la Santé, 2016.

^{xliii} [WHO Good Manufacturing Practices ; WHO Model List of Essential Medicines ; Bonnes pratiques de stockage et de distribution des produits médicaux](#), Série de Rapports techniques de l'OMS, n° 1025, 2020 ; Communication de la Commission au Parlement européen, au Conseil, au Comité économique et social européen et au Comité des régions, [Remédier aux pénuries de médicaments dans l'UE](#), 24 octobre 2023, COM(2023) 672 final ; Autorité européenne de préparation et de réaction en cas d'urgence sanitaire, [Assessment of the supply chain vulnerabilities for the first tranche of the Union list of critical medicines](#), Commission européenne, 10 juillet 2024.

^{xliiv} Assemblée mondiale de la Santé, [Cadre pour des services de santé intégrés centrés sur la personne : Rapport du Secrétariat](#), Organisation mondiale de la Santé, A69/39, 2016 ; OMS & Alliance mondiale pour les personnels de santé, [Global experience of community health workers for delivery of health related Millennium Development Goals : A Systematic Review, Country Case Studies, and](#)

[Recommendations for Integration into National Health Systems](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2010 ; OMS, [What do we know about community health workers ? A systematic review of existing reviews](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2020 ; [Health Literacy : The Solid Facts](#), Organisation mondiale de la Santé, Bureau régional pour l'Europe, Copenhague, 2013 ; Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé, [Guide de la littératie en santé contribuant à l'établissement de la confiance et à l'accès équitable aux soins de santé](#), Conseil de l'Europe, janvier 2023 ; [Global strategy and action plan on ageing and health](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2017.

^{xlv} [Cadre d'action européen de l'OMS visant à permettre aux personnes handicapées d'atteindre le meilleur état de santé possible 2022-2030](#), Copenhague : Bureau régional de l'OMS pour l'Europe, 2022 ; OMS, [Health equity and its determinants](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2021 ; [Stratégie mondiale pour la santé numérique 2020-2025](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2021 ; Communication de la Commission au Parlement européen, au Conseil, au Comité économique et social européen et au Comité des régions, [Plan d'action pour la santé en ligne 2012-2020 – des soins de santé innovants pour le XXI^e siècle](#), 2012, COM(2012) 736 final.

^{xlvi} [Global Strategy on Human Resources for Health : Workforce 2030](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2016 ; Commission de haut niveau sur l'emploi dans le secteur de la santé et la croissance économique, [S'engager pour la santé et la croissance : Investir dans le personnel de santé](#), Rapport de la Commission de haut niveau sur l'emploi dans le secteur de la santé et la croissance économique, Organisation mondiale de la Santé, 2016.

^{xlvii} [Global patient safety action plan 2021-2030 : Towards eliminating avoidable harm in health care](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2021 ; [Outil mondial d'analyse comparative de l'OMS ; WHO Good Manufacturing Practices ; WHO Expert Committee on Specifications for Pharmaceutical Preparations](#), cinquante-cinquième rapport, Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2021 ; [European Medicines Agency Evaluation Guidelines ; International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use Guidelines ; lignes directrices de l'International Medical Device Regulators Forum ; Directive 2001/83/CE du Parlement européen et du Conseil du 6 novembre 2001 instituant un code communautaire relatif aux médicaments à usage humain, JO L 311, 67-128 ; Règlement \(UE\) 2017/745 du Parlement européen et du Conseil du 5 avril 2017 relatif aux dispositifs médicaux, JO L 117, 1-175 ; Conseil de l'Europe, \[Recommandation Rec\\(2006\\)7 du Comité des Ministres aux États membres sur la gestion de la sécurité des patients et de la prévention des événements indésirables dans les soins de santé\]\(#\).](#)

^{xlviii} Parlement européen. Directive 2001/83/CE du Parlement européen et du Conseil du 6 novembre 2001 instituant un code communautaire relatif aux médicaments à usage humain, 2001, JO (L 311) 67, article 6(1).

^{xlix} Parlement européen. Règlement (CE) n° 726/2004 du Parlement européen et du Conseil du 31 mars 2004 établissant des procédures communautaires pour l'autorisation et la surveillance en ce qui concerne les médicaments à usage humain et à usage vétérinaire, et instituant une Agence européenne des médicaments, 2004, JO (L 136) 1, article 83(2) ; Agence européenne des médicaments. Lignes directrices sur l'usage compassionnel des médicaments prévu par l'article 83 du règlement (CE) n° 726/2004 ; Commission européenne, [Volume 9A : Guidelines on Pharmacovigilance for Medicinal Products for Human Use](#), 2008, 66.

ⁱ Balasubramanian G., Morampudi S., Chhabra P. *et al*, An overview of compassionate use programs in the European Union Member States, *Intractable Rare Dis Res*, 2016 ; 5:244-54 ; Whitfield K., Huemer K.H., Winter D., *et al*, Compassionate use of interventions : Results of a European Clinical Research Infrastructures Network (ECRIN) survey of ten European countries. Arrêts, 12 nov. 2010 ; 11:104 ; *Hristozov et autres c. Bulgarie* (requêtes n^{os} 47039/11 et 358/12, 13 novembre 2012), paragraphes 54-55.

ⁱⁱ *Hristozov et autres c. Bulgarie* (requêtes n^{os} 47039/11 et 358/12, 13 novembre 2012) ; *Durissimo c. Italie* (requête n° 62804/13, 28 mai 2014 ; irrecevable).

ⁱⁱⁱ *Hristozov et autres c. Bulgarie* (requêtes n^{os} 47039/11 et 358/12, 13 novembre 2012), paragraphe 108.

ⁱⁱⁱⁱ *Hristozov et autres c. Bulgarie* (requêtes n^{os} 47039/11 et 358/12, 13 novembre 2012), paragraphes 54-55 et 123.

^{lv} *Hristozov et autres c. Bulgarie* (requêtes n^{os} 47039/11 et 358/12, 13 novembre 2012), paragraphes 120-122 et 125.

^{lv} *Hristozov et autres c. Bulgarie* (requêtes n^{os} 47039/11 et 358/12, 13 novembre 2012), paragraphe 125 ; *Durissimo c. Italie* (requête n° 62804/13, 28 mai 2014 ; irrecevable), paragraphe 40

^{lvi} Ross E., Unapproved drug use : Compassionate or cause for concern ?, *The Lancet Neurol*, 2009 ; 8:136-137.

^{lvi} [Ethics guidance for the implementation of the End TB Strategy](#), Genève : Organisation mondiale de la Santé, 2017, 42.

^{lviii} Darrow J.J., Sarpatwari A., Avorn J., Kesselheim A.S., Practical, legal, and ethical issues in expanded access to investigational drugs, *N Engl J Med.*, 15 janvier 2015 ; 372(3):279-86 ; Riva L., Campanozzi L., Vitali M., Ricci G., Tambone V., Unproven stem cell therapies : Is it my right to try ? *Ann Ist Super Sanita*, avril-juin 2019 ; 55(2):179-185 ; Simmons Z., Right-to-Try Investigational Therapies for Incurable Disorders, *Continuum (Minneapolis Minn)*, octobre 2017 ; 23(5, Peripheral Nerve and Motor Neuron Disorders) : 1451-1457 ; Zettler P.J., Compassionate use of experimental therapies : Who should decide ? *EMBO Mol Med.*, octobre 2015 ; 7(10) : 1248-50.

^{lix} Comité des droits économiques, sociaux et culturels de l'ONU, [Observation générale n° 14 \(2000\) : Le droit au meilleur état de santé susceptible d'être atteint \(art. 12\)](#), E/C.12/2000/4, 5.

^{lx} [Rapport explicatif de la Convention sur les Droits de l'Homme et la biomédecine](#), paragraphe 24.

^{lxi} Wong C.H., Siah K.W., Lo A.W., Estimation of clinical trial success rates and related parameters, *Biostatistics*, 1^{er} avril 2019 ; 20(2):273-286.

^{lxii} Gordon P.H., Moore D.H., Miller R.G. *et al*, Efficacy of minocycline in patients with amyotrophic lateral sclerosis : a phase III randomised trial, *Lancet Neurol*, décembre 2007 ; 6(12):1045-53.

^{lxiii} Okie S., Access before approval : A right to take experimental drugs ?, *New Engl J Med.*, 2006 ; 355:437-440.

^{lxiv} Pace J., Ghinea N., Kerridge I., Lipworth W., An ethical framework for the creation, governance and evaluation of accelerated access programs, *Health Policy*, septembre 2018 ; 122(9):984-990.

^{lxv} Samanta J., Samanta A., Quackery or quality : The ethico-legal basis for a legislative framework for medical innovation, *J Med Ethics*, 2015 ; 41(6):474-7.

^{lxvi} Pace J., Ghinea N., Kerridge I., Lipworth W., An ethical framework for the creation, governance and evaluation of accelerated access programs, *Health Policy*, septembre 2018 ; 122(9):984-990.

^{lxvii} Samanta J., Samanta A., Quackery or quality : The ethico-legal basis for a legislative framework for medical innovation, *J Med Ethics*, 2015 ; 41(6):474-7.