COUNCIL OF EUROPE

CONSEIL DE L'EUROPE

Strasbourg, 17 juillet 2025 CDBIO(2024)18FINAL

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

ACCÈS ÉQUITABLE ET EN TEMPS OPPORTUN À DES TRAITEMENTS ET DES TECHNOLOGIES INNOVANTS ET APPROPRIÉS DANS LES SOINS DE SANTÉ

LIVRE BLANC

TABLE DES MATIÈRES

Résumé **4**

1. Introduction **6**

1.1. Importance de l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés 6

1.2. Bénéfices et risques potentiels des traitements et technologies innovants dans les soins de santé 8

1.3. Champ d'application et objectifs du Livre blanc 10

2. Définition et caractéristiques des traitements et technologies innovants dans les soins de santé **11**

2.1. Définition 11

2.2. Caractéristiques 15

2.2.1. Caractéristiques communes 15

a. Complexité 15

b. Pluridisciplinarité 15

c. Limitations dans l'établissement de l'efficacité 16

d. Responsabilités fragmentées 16

e. Vers des soins de santé personnalisés 17

2.2.2. Caractéristiques notables des traitements et technologies innovants sélectionnés 17

a. Irréversibilité des effets 17

b. Opacité 18

c. Implication des acteurs commerciaux 18

d. Big Data 19

e. Intégration numérique 19

f. Des modèles de prestation de soins innovants 20

g. Intégration de la technologie dans le corps humain 20

h. Accès à l'état mental 20

3. Défis liés à l'évaluation de la qualité **21**

3.1. Défis liés à l'évaluation de l'innocuité, de l'efficacité et de la supériorité des traitements et technologies innovants 21

3.1.1. Disponibilité limitée de preuves cliniques solides 21

3.1.2. Préoccupations quant à la possibilité de généralisation des résultats 22

3.1.3. Biais algorithmique 22

3.1.4. Le rôle des parties prenantes externes dans l'évaluation de la qualité 23

3.1.5. Difficultés dans la détermination des normes professionnelles 24

3.2. Complexité du processus décisionnel 25
3.2.1. Des implications importantes pour les résultats des patient·es, la durabilité du système de santé et les intérêts des parties prenantes 25
3.2.2. Difficultés à définir ce qui est « raisonnable » 26
3.2.3. Difficultés à assurer la cohérence des politiques d'accès 27
3.2.4. Nécessité d'impliquer davantage de parties prenantes 28
4. Les défis à l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés 29
4.1. Impact des déterminants sociaux de la santé 29
4.2. Accessibilité financière 31
4.2.1. Principes régissant la couverture financière 32
4.2.2. Maîtrise des coûts 34
a. Réciprocité attendue pour l'investissement public 34
b. Transparence accrue 35
c. Mécanismes de maîtrise des coûts 35
4.3. Disponibilité et accès en temps opportun 40
4.3.1. Retards dans l'approbation réglementaire et politiques de remboursement inégales 40
4.3.2. Disparités géographiques dans les infrastructures spécialisées 41
4.3.3. Manque de professionnel·les de santé ayant les compétences requises 42
4.3.4. Lacunes dans la formation professionnelle et la collaboration 42
4.4. Accessibilité 43
4.4.1. Fracture numérique 43
4.4.2. Manque de connaissances en matière de santé 44
4.5. Acceptabilité 45
5. Mise en balance des droits individuels et des besoins de santé publique 46
5.1. Principes pour l'allocation des ressources au niveau du système de santé 47
5.2. Principes pour la priorisation entre les patient·es 49
6. Considérations clés 51

Résumé

Les technologies et traitements innovants transforment les soins de santé en offrant de nouvelles possibilités de diagnostic, de gestion et de traitement des maladies complexes. Ces approches s'écartent considérablement des pratiques médicales conventionnelles en termes d'objectif, de méthode, de conception ou de prestation. La médecine de précision, l'édition du génome, l'immunothérapie, la neurotechnologie, l'IA, la télésanté, les thérapies numériques et la robotique en sont des exemples. Si ces avancées peuvent améliorer considérablement les soins aux patient·es et les résultats en matière de santé, leur introduction soulève en parallèle d'importants défis éthiques et politiques, en particulier la nécessité de veiller à ce que ces avancées soient accessibles à tous les individus, en fonction des besoins de chacun. Le présent Livre blanc, élaboré par le Comité directeur pour les droits humains dans les domaines de la biomédecine et de la santé (CDBIO), explore les défis éthiques et politiques liés à l'accès équitable et en temps opportun à des traitements et des technologies innovants et appropriés dans les soins de santé, et propose des orientations.

Afin que les technologies et traitements innovants contribuent à l'équité en matière de santé plutôt qu'à l'aggravation des disparités existantes, le Livre blanc définit cinq domaines d'action prioritaires.

Premièrement, l'accès doit être fondé sur les droits humains et guidé par le principe d'équité, tel qu'établi à l'article 3 de la Convention sur les droits de l'homme et la biomédecine. Cela nécessite des efforts proactifs pour interdire la discrimination, supprimer les obstacles structurels et apporter le soutien nécessaire aux personnes et aux groupes défavorisés tout au long du processus d'innovation, depuis la recherche et le développement jusqu'à la mise en application et le remboursement.

Deuxièmement, la sécurité, l'efficacité des interventions innovantes et leur supériorité par rapport aux traitements conventionnels devraient faire l'objet d'une évaluation rigoureuse, dans des cadres souples susceptibles de s'adapter à l'évolution des éléments de preuve et propres à maintenir la confiance du public dans l'innovation médicale. Les processus d'évaluation devraient intégrer des données représentatives, contrôler l'efficacité réelle des traitements, être responsables, résister aux influences indues telles que le lobbying ou l'hypermédiatisation et permettre la validation indépendante par des organismes experts.

Troisièmement, concernant l'accès, les processus de prise de décision devraient être inclusifs et transparents et les décideurs devraient pouvoir être tenus responsables devant les citoyen·nes. Les politiques d'accès doivent être clairement définies, fondées sur les meilleurs éléments de preuve disponibles et justifiées par des raisons compréhensibles et acceptables par un large public. Elles devraient permettre une participation significative des parties prenantes, rester ouvertes à la révision au fur et à mesure de l'émergence de nouveaux éléments de preuve ou de nouvelles perspectives et être soumises en continu à l'examen et à la surveillance d'autorités indépendantes et responsables.

Quatrièmement, la question de l'accessibilité financière devrait être traitée au moyen de stratégies de tarification et de remboursement durables, guidées par le bénéfice clinique, les besoins médicaux, la justice sociale et le principe de réciprocité. Des mécanismes tels que la tarification de référence, des accords d'entrée gérés (*managed entry agreements*), les exigences de données post-commercialisation et le suivi du remboursement peuvent contribuer au contrôle des coûts et favoriser la viabilité financière à long terme, tandis que la collaboration internationale en matière d'évaluation des technologies de la santé peut réduire les doublons et que les partenariats public-privé peuvent permettre une répartition plus équitable des risques inhérents au développement.

Cinquièmement, les systèmes de santé devraient renforcer leur capacité à fournir des traitements et des technologies innovants en investissant dans des infrastructures et du personnel spécialisés, en développant les capacités au niveau régional et en élaborant de nouveaux modèles de prestation de soins de santé. Les outils numériques et les connaissances spécialisées étant de plus en plus au cœur des soins, il est essentiel de combler la fracture numérique et de promouvoir la littératie numérique et en santé - grâce à l'inclusion numérique et à une communication claire et accessible sur les questions de santé - afin que chacun puisse en bénéficier.

En intégrant ces principes dans les politiques et les pratiques, les décideurs politiques peuvent garantir un accès équitable et rapide aux technologies et traitements innovants et appropriés, renforcer la confiance du public et veiller à ce que les avantages des progrès médicaux soient accessibles à chaque citoyen·ne en fonction de ses besoins.

1. Introduction

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

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 leur sphère de juridiction, 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 désavantagé par rapport à la réalisation de ce potentiel.

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 personne ne soit exclus de l'accès à ces bénéfices. 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 des soins de santé, des personnes sont susceptibles de continuer à souffrir de maladies qui pourraient être évitées, de diagnostics tardifs et d'une détérioration de conditions de santé qui auraient pu être gérées ou traitées plus efficacement.

Ensuite, comparativement aux méthodes plus traditionnelles, les traitements et les technologies innovants peuvent permettre de façon significative de réduire 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 dans un délai plus approprié, ce qui contribue à atténuer certaines des iniquités les plus prioritaires en matière de soins.

Enfin, plusieurs déterminants sociaux tels que les revenus, l'éducation, la situation géographique et les réseaux de soutien social, influant directement sur la capacité des individus à obtenir, dans un délai opportun, des soins de santé appropriés, 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 santé hautement spécialisé·es et exigent un niveau élevé de littératie en santé. Par conséquent, les personnes déjà confrontées 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 iniquités 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 de littératie. Les populations défavorisées, qui se heurtent souvent déjà à des obstacles dans le domaine des soins de santé, pourraient voir leur exclusion s'aggraver, ce qui accentuerait les iniquités existantes. Il est important de noter que 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, il est très probable que 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.

1.2. 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, délivrés au bon moment et individualisés, 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 peu invasives, y compris la chirurgie assistée par la robotique et la neurotechnologie, peuvent 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 en temps plus opportun, 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 la délivrance de soins plus efficace et adaptée.

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 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 protection 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.

1.3. 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.

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, visant à 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

Cette vue d'ensemble 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 génotype, des caractéristiques moléculaires de sa maladie, 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, 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 ces derniers, 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 domaines innovants, on trouve les *bio-scaffolds* (structures artificielles implantées dans le corps pour favoriser la croissance des tissus), utilisés en orthopédie, dentisterie, cardiologie, cicatrisation des plaies et chirurgie plastique et reconstructive.

L'**édition du génome** 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 modifier ou à inactiver un gène défectueux ou à introduire un gène manquant. CRISPR-Cas9 est une technique moderne qui utilise des outils moléculaires pour apporter des modifications moléculaires précises (« editions ») au matériel génétique existant dans la cellule. L'édition du génome 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 utilisant les cellules

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 ces derniers dans 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, ainsi que 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, pour la surveillance à distance des patient·es, pour la vision artificielle intégrée à la chirurgie assistée par robot, pour l'accélération de la conception 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 neurale 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 états de santé, en conjonction avec des traitements plus conventionnels. Elles sont basées sur des logiciels, sont délivrées par le biais de dispositifs portables (*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 soins 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 des soins de santé présentent une complexité inhérente dès lors qu'ils impliquent généralement de nouveaux mécanismes d'action et des systèmes avancés. Nombre de traitements innovants, comme la modification de gènes, les immunothérapies et la médecine régénérative, fonctionnent grâce à de nouveaux mécanismes biologiques. Par exemple, les techniques d'édition du génome 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 assistées par des robots, 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, ainsi que de méthodes de traitement innovantes, d'outils diagnostiques avancés et de techniques d'analyse de données sophistiquées. Cette approche pluridisciplinaire offre la possibilité d'accélérer le rythme de l'innovation et d'accroitre les possibilités de répondre 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 sont supérieures aux 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. Responsabilités fragmentées

Le développement, la mise en œuvre et la gestion des traitements et des technologies de soins de santé innovants impliquent typiquement 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 génotype, 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 un objectif. 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 les distinguent 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 modifiant intentionnellement l'état du patient de manière irréversible - et dont les conséquences pourraient ne pas être encore pleinement comprises au début de la procédure. Par exemple, les techniques d'édition du génome telles que le système CRISPR-Cas9 et les immunothérapies telles que les thérapies avec les cellules 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 introduisent 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 du génome 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 composante 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 surmédiatisation et à la commercialisation de thérapies et de technologies non prouvées 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 dispositifs 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 pousse 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. L'implication de tiers, tels que des sociétés pharmaceutiques, des entreprises technologiques et des compagnies d'assurance, peut augmenter le risque d'utilisation abusive d'informations sensibles sur la santé, soulignant la nécessité de mesures robustes 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 les 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 dispositifs 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, contribuant 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 en temps utiles, deux aspects particulièrement bénéfiques dans la prise en charge des maladies chroniques comme le diabète et les maladies cardiaques.

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 neurale de manière à améliorer les fonctions cognitives et motrices, avec des applications encore essentiellement expérimentales telles que l'interface cerveau-machine, 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 *bioscaffolds*, qui sont des structures artificielles servant de support pour la croissance tissulaire, qui sont progressivement absorbées par le corps, sont utilisées dans la cicatrisation des plaies, différentes chirurgies et en 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. La réalité virtuelle est également utilisée pour accéder à des conditions psychologiques telles que les phobies, l'anxiété et le trouble de stress post-traumatique et les traiter en immergeant les patient·es dans des environnements contrôlés où les thérapeutes peuvent adapter le traitement en temps réel en fonction de leur réponse émotionnelle et cognitive.

3. Défis liés à l'évaluation de la qualité

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 l'article 3 de la Convention sur les droits de l'homme et la biomédecine soulignant 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, les organismes de remboursement (dans les pays où ils sont distincts des 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 potentiels à l'accès aux traitements et technologies innovants.

3.1. Défis liés à l'évaluation de l'innocuité, de l'efficacité et de la supériorité des traitements et 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 thérapies innovantes 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 traitements innovants 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 pour la validation de ces traitements et leur pleine approbation 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 iniquités 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. Historiquement, 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, validés ou testés 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 iniquités 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 iniquités existantes en matière de santé.

3.1.4. Le rôle des parties prenantes externes dans l'évaluation de la qualité

Au cours des premières phases de l'introduction d'une technologie ou d'un traitement innovants, il peut être difficile d'en évaluer l'efficacité et de les comparer aux alternatives existantes du fait de facteurs externes tels que les campagnes de marketing, l'intérêt des médias et la défense des intérêts des patient·es. Les entreprises qui développent ces innovations présentant souvent 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 peuvent encore amplifier ces attentes en mettant l'accent sur des essais cliniques prometteurs à un stade précoce ou sur des thérapies expérimentales, sans toujours faire état de la complexité ou des limites 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. Les groupes de défense des patient·es jouent un rôle essentiel dans la représentation des intérêts des patient·es et dans la promotion d'un accès à des traitements prometteurs en temps opportun. Toutefois, lorsqu'ils s'appuient sur des succès anecdotiques ou des résultats d'essais préliminaires, leurs efforts peuvent involontairement contribuer à faire pression sur les organismes de réglementation pour qu'ils accélèrent les approbations ou les décisions de remboursement. Les

[1] 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.

organismes de réglementation devraient donc élaborer des modèles de participation des parties prenantes qui favorisent un engagement transparent avec les acteurs commerciaux et les représentants des patient·es, en tenant compte des perspectives essentielles qu'ils apportent au processus d'évaluation, sans compromettre la rigueur scientifique ou la confiance du public.

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 ». [2] 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 établie, appelant une évolution de la norme de soins. 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.

Comme le souligne le Rapport sur l'application de l'intelligence artificielle dans les soins de santé et son impact sur la relation « patient·e-médecin », 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

[2] Rapport explicatif de la Convention sur les Droits de l'Homme et la Biomédecine, paragraphe 32.

(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.

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. Des implications importantes pour les résultats des patient·es, la durabilité du système de santé et les intérêts des parties prenantes

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 par cellules CAR T, l'édition du génome ou les immunothérapies, offrent la possibilité d'améliorer considérablement le quotidien 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 conséquences considérables sur la santé publique qui n'avaient pas été anticipées, alors même qu'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 à la prise de décision. Un point d'équilibre est à rechercher entre

d’une part les besoins immédiats des patient·es qui souffrent de pathologies graves ou potentiellement mortelles, et d’autre part la viabilité financière à long terme. Il en résulte un dilemme éthique : comment assurer l’accès aux personnes qui en ont besoin sans surcharger le système ou limiter l’accès aux innovations à l’avenir.

Dans les situations où l'offre de traitements innovants est limitée, l'article 6 de la Recommandation CM/Rec (2023)1 souligne que l'établissement des priorités devrait être guidé par le besoin médical individuel, sur la base d'une évaluation approfondie de la gravité de l'affection, du bénéfice escompté du traitement, de la disponibilité d'autres options et des conséquences potentielles si le traitement n'est pas fourni. En outre, les décisions relatives à l'introduction de traitements innovants reposent souvent sur une évaluation du coût d'opportunité, estimant les bénéfices potentiels pour la santé que d'autres patient·es pourraient perdre si les ressources étaient allouées à une intervention particulière, avec des seuils de coût-efficacité appliqués pour aider à garantir que les ressources limitées en matière de soins de santé permettent d'obtenir le plus grand bénéfice possible pour la santé de la population.

En outre, compte tenu de la complexité et de la technicité de ces traitements, la prise de décision devrait impliquer un groupe diversifié et multidisciplinaire d’experts. Bien que la collaboration entre disciplines soit essentielle, elle implique davantage de complexité encore. Les acteurs tels que les professionnel·les de la santé, les associations de défense des intérêts des patient·es, les instances de régulation et les sociétés pharmaceutiques affichent souvent des priorités différentes voire contradictoires, ce qui peut compliquer le processus décisionnel. Les professionnel·les de la santé par exemple mettent en avant les résultats cliniques et la sécurité des patient·es, tandis que les groupes de patient·es vont plutôt privilégier un accès rapide à des traitements potentiellement vitaux. Les entités de régulation, quant à elles, devraient 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. Aux termes de l’article 10 de la Recommandation CM/Rec (2023)1, la priorisation dans l’accès aux médicaments et aux équipements médicaux devrait s’appuyer sur les meilleurs éléments de preuve disponibles. Ces preuves devraient reposer sur des paramètres pertinents, mesurables, clairs, objectifs et cohérents. Cependant, par rapport aux thérapies plus établies, des problèmes spécifiques se posent concernant les traitements et les technologies innovants car ceux-ci manquent souvent d’un corpus de preuves solides sur l’innocuité et l’efficacité. Etant donné ce manque de données, aggravé par la nature continue des essais cliniques et l’incertitude entourant les résultats à long terme, il est difficile de formuler des arguments solides en faveur de leur intégration dans les systèmes de soins de santé et de déterminer la priorité à

accorder aux patient·es**.** Les régulateurs répondent de plus en plus à cette difficulté en combinant les résultats des essais cliniques avec des preuves fondées sur des données dites « en vie réelle » pour soutenir la prise de décision.

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. Cela est particulièrement vrai pour les technologies numériques et fondées sur l'IA, pour lesquelles les méthodes d'évaluation traditionnelles, comme les essais cliniques, peuvent être insuffisantes, du fait que ces technologies évoluent rapidement et que l'interaction des utilisateurs les modifient. De nouvelles manières d'évaluer sont nécessaires et sont recherchées, eu égard par exemple, à la transparence des algorithmes, aux potentiels biais de groupes, ou aux résultats en vie réelle. En outre, face au rythme rapide des innovations, les décideurs sont amenés à revoir fréquemment 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 patient·es et le grand 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 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 à assurer 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 de priorisation 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 de priorisation 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 un accès rapide peut être une question de vie ou de mort. Les patient·es, leurs familles et les groupes de patient·es peuvent intensifier leurs efforts de lobbying pour obtenir des approbations, des remboursements ou un accès à caractère exceptionnel aux traitements innovants.

3.2.4. Nécessité d'impliquer davantage de parties prenantes

Aux termes de 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 données probantes en évolution 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 priorisation 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. De même, les traitements avancés peuvent soulever des préoccupations budgétaires qui n'existent pas, ou dans une moindre mesure, dans le cadre des traitements conventionnels. Le rôle et la participation du grand 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 priorisation et d'identifier les disparités qui nécessitent un ajustement des politiques.

Toutefois, favoriser les prises de décision inclusives ne se fait pas sans difficultés. Compte tenu de la diversité des parties prenantes, il est plus difficile d'assurer la juste représentation de tous les points de vue. En outre, une participation significative de non-expert·es, notamment des groupes de patient·es, aux processus de prise de décision exige des ressources et des efforts supplémentaires. Il conviendra de déployer d'importants efforts pour éduquer ces groupes, compte tenu de la complexité, de l'évolution rapide et du caractère potentiellement controversé 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. Impact des déterminants sociaux de la santé

Les déterminants sociaux de la santé ont une incidence sur la capacité des individus à accéder aux traitements et technologies innovants. Ces déterminants couvrent un large éventail de facteurs socio-économiques - telles que le revenu, l'éducation, l'emploi, le logement et les réseaux de soutien social - qui influencent de manière significative les résultats en matière de santé et l'accès aux soins. Ils interagissent de manière complexe et se renforcent souvent entre eux, contribuant à la persistance des inégalités de santé entre les populations, comme cela est détaillé dans l'annexe du présent Livre blanc. Dans le contexte de l'innovation médicale, l'impact des déterminants sociaux de la santé est encore plus prononcé : les personnes socialement ou économiquement défavorisées sont plus susceptibles de rencontrer de multiples obstacles qui se recoupent et qui limitent leur capacité à bénéficier des progrès de la médecine.

Les facteurs socio-économiques jouent un rôle particulièrement important dans la détermination de l'accès aux traitements innovants, entrainant des inégalités entre les

différents niveaux de revenus. Si les personnes à faible revenu ont souvent du mal à s'offrir des traitements avancés ou à saisir la complexité des systèmes de santé modernes, les barrières financières peuvent également affecter les personnes à revenu moyen ou élevé, en fonction de l'étendue de la couverture d'assurance maladie. Ces difficultés varient d'un système de santé national à l'autre, en fonction du niveau de couverture de l'assurance maladie publique pour les traitements innovants. En outre, l'implication croissante des prestataires de soins de santé privés et de l'assurance maladie privée peut susciter des préoccupations supplémentaires, car les services de santé publique sont soumis à une pression accrue et l'accès aux traitements innovants peut devenir de plus en plus dépendant des moyens financiers individuels.

Outre les facteurs financiers, l'éducation et la littératie en santé ont également un effet majeur. Les traitements innovants apportent souvent de la complexité aux procédures, aux processus de consentement et aux responsabilités des patient·es dans leur propre prise en charge. Les patient·es ayant un faible niveau d'éducation peuvent avoir plus de difficultés à comprendre les informations médicales ou à participer de manière effective aux processus de prise de décision. Cela peut entraver leur capacité à accéder à l'innovation ou à en bénéficier pleinement, ce qui pérennise l'exclusion.

La situation géographique reste un autre obstacle important. Les communautés rurales et éloignées manquent souvent d'infrastructures spécialisées, de professionnel·les de la santé qualifié·es et de la connectivité numérique nécessaires pour fournir des traitements complexes ou pour permettre l'accès à des technologies de pointe et à des outils numériques. Étant donné que de nombreuses technologies innovantes sont concentrées dans de grands hôpitaux urbains ou des centres universitaires, les personnes vivant loin de ces centres peuvent subir des retards importants ou être totalement exclues de l'accès.

L’existence de réseaux de soutien social peut également être un facteur essentiel à la réussite du traitement. Les personnes qui suivent des thérapies complexes ou de longue durée dépendent souvent de leur famille, de leurs amis ou des services communautaires pour les encourager sur le plan émotionnel, les transporter ou leur apporter une aide pratique. Celles qui ne bénéficient pas d'un tel soutien - en particulier celles qui sont socialement isolées ou marginalisées - risquent davantage d'interrompre leur traitement ou de ne pas bénéficier d’une prise en charge du tout.

L'emploi et les conditions de travail influencent également l'accès. Lorsque les traitements exigent des rendez-vous médicaux fréquents, des arrêts de travail prolongés ou un déménagement temporaire, les personnes occupant des emplois précaires ou ne bénéficiant pas de congés payés peuvent être dans l'incapacité de les suivre. L'instabilité financière ou la crainte de perdre son emploi peuvent rendre pratiquement impossible la recherche de soins avancés. Les facteurs culturels et linguistiques affectent également l'accès aux traitements et technologies innovants. Une mauvaise communication, les préjugés implicites et l'absence de soins appropriés sur le plan culturel peuvent décourager les personnes de se faire soigner

ou de suivre leur traitement jusqu'au bout. Cela est particulièrement valable pour les populations migrantes et les minorités ethniques, qui peuvent déjà connaître des désavantages structurels en matière de soins de santé.

Les déterminants sociaux produisent des effets cumulés tout au long de la vie d'une personne. Les désavantages subis au début de la vie - comme le fait de grandir dans la pauvreté ou avec une éducation limitée ou une mauvaise alimentation - sont susceptibles de persister à l'âge adulte et plus tard, et cela influence les possibilités d'emploi, le revenu, le logement et les résultats à long terme en matière de santé. Ces désavantages cumulés peuvent non seulement augmenter la probabilité que les individus développent des problèmes de santé nécessitant de nouveaux traitements, mais également limiter significativement leur capacité à accéder à ces innovations et à en bénéficier.

Selon le concept «des soins inversés», les personnes qui ont le plus besoin de soins de santé y ont le moins souvent accès. Dans le contexte des traitements innovants, cela signifie que les personnes les plus touchées par la maladie peuvent être les moins susceptibles de bénéficier de tels traitements en raison d'obstacles systémiques. Pour remédier à cette situation, il faut garantir l'accès aux soins pour tous, tout en allouant un soutien et des ressources supplémentaires aux personnes qui en ont le plus besoin. Sans stratégies ciblées pour tenir compte des déterminants sociaux de la santé, les traitements et technologies innovants risquent de renforcer, plutôt que de réduire, les inégalités existantes en matière de santé.

Pour garantir un accès équitable aux traitements et technologies innovants, il faut remédier au large éventail d'obstacles que les individus peuvent rencontrer, qui pour bon nombre d'entre eux ont leur origine dans les déterminants sociaux de la santé. Ces déterminants influencent non seulement la capacité des individus à se payer des thérapies innovantes, mais également la disponibilité de ces traitements dans leur région, leur accessibilité dans la pratique, ainsi que leur mise en œuvre de manière culturellement appropriée et compréhensible. La suite du document détaille la façon dont ces différentes dimensions jouent un rôle essentiel dans la détermination des personnes qui au final bénéficient de l'innovation médicale et de celles qui continuent d'être laissées pour compte : accessibilité financière, disponibilité et accès en temps opportun, accessibilité (autre que financière) et acceptabilité.

4.2. Accessibilité financière

Le coût élevé des traitements et technologies innovants peut être l'un des obstacles les plus importants dans l'accès à ces innovations. Bien que certaines innovations, telles que les applications de santé mobile (*mHealth*) 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 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. Il est important de noter que même lorsqu'un traitement est remboursé, les patient·es peuvent encore être confrontés à des obstacles importants, tels que le reste à charge, le manque d'information ou des connaissances limitées en matière de santé. Cela met en évidence la nécessité de soutenir les politiques de santé par des actions pratiques qui aident les patient·es à recevoir les traitements nécessaires.

Parmi les exemples de traitements innovants et de technologies de la santé très coûteux figurent les thérapies géniques, les thérapies par cellules CAR-T, les immunothérapies, la médecine de précision et les traitements pour les maladies rares. Le coût de ces thérapies, utilisées pour des affections telles que l'amyotrophie spinale, la dystrophie rétinienne héréditaire, certains types de cancer et des maladies génétiques rares, peut aller de plusieurs centaines de milliers à plus d'un million d'euros par traitement. Plusieurs facteurs contribuent à ces prix élevés, y compris des coûts de développement et de production élevés, des essais cliniques et des procédures d'approbation réglementaire coûteux, 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.

4.2.1. Principes régissant la couverture financière

Étant donné que les traitements et technologies innovants peuvent améliorer considérablement les résultats en matière de santé tout en ayant un impact significatif sur les budgets de santé, il est fortement recommandé aux autorités nationales compétentes de procéder à des évaluations approfondies de leur innocuité, de leur efficacité, de leur valeur ajoutée par rapport aux traitements existants et de leur rapport coût-efficacité avant de les intégrer dans les systèmes de soins de santé. Sur la base des preuves cliniques disponibles concernant ces paramètres, les traitements et technologies innovants qui ont reçu une autorisation réglementaire devraient, par 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.

Cette approche 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. Cette durée peut résulter d'un manque de preuves comparatives, de l'absence d'une demande de remboursement ou de l'introduction de pauses procédurales par le fabricant, mais elle est souvent due au temps nécessaire pour mettre en œuvre les politiques de remboursement après l'autorisation réglementaire. 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 réglementaire 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. Aux termes de 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. Afin de ne pas compromettre la confiance du public et dans le souci de rendre des comptes, il est essentiel d'assurer une communication claire sur les modalités d'évaluation des données probantes, tout particulièrement dans le contexte de thérapies particulièrement coûteuses. 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.

Troisièmement, il conviendrait 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 entités nationales chargées de statuer sur le remboursement, qui dans certains pays peuvent être les mêmes que celles responsables de l'approbation, 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 seules les thérapies dont la valeur a été démontrée soient remboursées. Dans les cas où les bénéfices cliniques sont 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.

4.2.2. Maîtrise des coûts

a. Réciprocité attendue pour l'investissement public

Le développement de traitements et de technologies innovants se caractérise par une grande incertitude, car de nombreux candidats échouent en raison de problèmes de sécurité ou d'efficacité, tandis que le processus implique des coûts substantiels pour les essais cliniques, la conformité réglementaire, l'octroi de licences et la fabrication. Pour inciter le secteur privé à investir dans cet environnement à haut risque, les droits de propriété intellectuelle (DPI) jouent un rôle central en accordant des exclusivités commerciales qui permettent aux entreprises et aux fabricants de récupérer leurs investissements. Cependant, les DPI peuvent également créer des obstacles à l'accès, en particulier lorsque la tarification monopolistique entraîne des coûts élevés qui limitent l'accessibilité et la disponibilité. Cette tension entre l'innovation et l'accès devient particulièrement prononcée lorsque les entreprises et les fabricants détiennent des droits d'exclusivité étendus, ce qui leur permet de fixer des prix qui génèrent des profits bien au-delà de ce qui pourrait raisonnablement être considéré comme un juste retour sur investissement.

Tout en reconnaissant les contributions et les risques importants pris par ces entreprises et fabricants, 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 également 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 deniers publics. En outre, le développement de ces traitements et technologies repose souvent sur des données et des informations fournies par le 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 croissante est attendue de la part des entreprises pharmaceutiques et des fabricants, qui devraient tenir compte de ce soutien en adoptant des stratégies de tarification juste et adaptée à la société, par exemple en offrant des remises appropriées, en participant à des accords public-privé comportant des clauses relatives à une tarification raisonnable ou en mettant en œuvre d'autres mécanismes qui facilitent un accès plus large 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 qui augmentent. Les parties prenantes, y compris les groupes de défense des intérêts 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 d'assurance maladie, qu'elles soient publiques ou privées, 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, certains 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. Une plus grande transparence contribuerait à garantir que les prix reflètent la valeur réelle du traitement, à améliorer la responsabilisation (*accountability*) et à renforcer la confiance du public.

c. Mécanismes de maîtrise des coûts

En dehors de ces considérations générales, plusieurs mécanismes ont été proposés par l'Organisation de coopération et de développement économiques (OCDE) 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. [3] Ces mécanismes comprennent la mise en place d'une tarification de

[3] Barrenho E. et Lopert R., « Exploring the consequences of greater price transparency on the dynamics of pharmaceutical markets", *OECD Health Working Papers*, n° 146, Éditions OCDE, Paris, 2022 ;

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, ainsi que la mise en commun des achats et les négociations conjointes.

(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) déterminent le prix d'un nouveau traitement à partir du 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 modèle 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 seul motif du caractère innovant 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

Lindner L. et Hayen A., « Value-based payment models in primary care: An assessment of the Menzis Shared Savings programme in the Netherlands", *OECD Health Working Papers*, n° 158, Éditions OCDE, Paris, 2023 ; Lindner L. et Lorenzoni L., « Innovative providers' payment models for promoting value-based health systems: Start small, prove value, and scale up", *OECD Health Working Papers*, n° 154, Éditions OCDE, Paris, 2023 ; OCDE, « New Health Technologies: Managing Access, Value and Sustainability", *OECD Publishing*, Paris, 2017; OECD, « Pharmaceutical Innovation and Access to Medicines", *OECD Health Policy Studies*, Éditions OCDE, Paris, 2018 ; Wenzl M. et Chapman S., « Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward", *OECD Health Working Papers*, n° 115, Éditions OCDE, Paris, 2019.

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.

(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 et des dépenses effectives 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 produits médicaux coûteux. Les accords d'entrée gérés fondés sur les résultats sont quant à eux liés à la performance clinique du traitement, de sorte 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 ceux qui sont 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 des difficultés qui limitent leur plus large adoption. La négociation d'accords d'entrée gérés peut être complexe et demander du temps, et implique souvent des charges administratives élevées, requiert 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 conviendrait d'adopter une approche plus normalisée et plus transparente en matière d'accords d'entrée gérés afin d'en améliorer l'efficacité.

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

Favoriser 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 administratifs pour les agences et les coûts de conformité pour les fabricants. 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 clinique des thérapies récemment mises au point.[4] Ce processus réduit les délais de mise sur le marché et évite les doublons entre États membres. Les petits pays 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. L'harmonisation évite également les délais liés à des examens nationaux distincts, ce qui améliore l'accès des patient·es, en temps voulu, à des thérapies susceptibles de leur sauver la vie. En outre, la coopération internationale en matière d'ETS peut jouer un rôle important dans la réduction des obstacles à l'entrée sur le marché, ce qui accroît la concurrence et la disponibilité. Dans certains cas, en particulier pour les produits de santé numériques, elle peut influer non seulement sur la vitesse d'entrée sur le marché, mais aussi sur la volonté d'un fabricant d'entrer sur un marché.

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

[4] 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,* 22 décembre 2021, 1-32.

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 en vie réelle 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 vie 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 inefficiences 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.

(5) Achats groupés et négociations conjointes

La coopération internationale par le biais d'achats groupés et de négociations conjointes peut également contribuer à faciliter l'accès aux traitements et technologies innovants. Ces approches peuvent renforcer le pouvoir de négociation des autorités publiques, en leur permettant de négocier de meilleurs prix et conditions, en particulier dans le contexte de traitements très coûteux. En outre, la coordination des achats peut favoriser l'efficacité en réduisant la duplication des évaluations réglementaires et des processus administratifs, favorisant ainsi une prise de décision rapide. Ces formes de coopération peuvent être particulièrement bénéfiques pour les systèmes de santé plus petits ou plus limités en ressources, qui peuvent avoir des difficultés à négocier de manière indépendante, et pour promouvoir un accès équitable aux traitements innovants coûteux dans les différents pays.

4.3. Disponibilité et 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. Cet accès est souvent entravé par des retards dans l'approbation réglementaire et par des politiques de remboursement inégales, qui peuvent rendre ces traitements inabordables ou inaccessibles pour un grand nombre de patient·es. Même lorsque les thérapies sont techniquement disponibles, leur accès peut encore être limité par des disparités géographiques en termes d'infrastructures spécialisées, par un manque de professionnel·les de santé qualifié·es, par une formation professionnelle insuffisante et une collaboration interdisciplinaire limitée. En outre, pour remédier pleinement à ces obstacles, la disponibilité doit être comprise non seulement au niveau du système de santé, y compris l'approbation réglementaire, le remboursement et les investissements dans l'infrastructure, mais aussi à celui des patient·es, en veillant à ce que chacun puisse effectivement recevoir les traitements auxquels il a droit.

4.3.1. Retards dans l'approbation réglementaire et politiques de remboursement inégales

Les politiques d'approbation et de remboursement devraient 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 induits par 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 par cellules 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, touchant de manière disproportionnée les populations à faible revenu et non assurées ou sous-assurées. Comme indiqué précédemment, 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 différenciée, selon le revenu ou des facteurs géographiques. Si on les conjugue avec des politiques qui favorisent l'approbation et le remboursement en temps opportun, 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. À cet égard, il est important de faire la distinction entre la disponibilité au sein du système de santé (c'est-à-dire le fait qu'un traitement est approuvé et remboursé) et l'accès individuel effectif, c'est-à-dire la possibilité pour les patient·es de recevoir le traitement lorsqu'ils en ont besoin. En tenant compte des besoins en matière de santé et des ressources disponibles, les politiques devraient non seulement viser à inclure les traitements innovants dans le système, mais aussi veiller à ce que les patient·es reçoivent l'aide nécessaire pour y accéder dans la pratique.

4.3.2. Disparités géographiques dans les infrastructures spécialisées

Lorsque des traitements et des technologies innovants sont disponibles d'un point de vue technique, ils peuvent poser des défis spécifiques en raison du besoin d'infrastructures spécialisées. 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 territoires sous-dotés peuvent être privées de traitements innovants susceptibles d'améliorer considérablement leur état de santé. Pour surmonter ces obstacles, des investissements importants s'imposent dans les infrastructures. L'expansion et l'équipement des établissements de santé dans les territoires sous-dotés 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, par le biais de protocoles établis, sur où et comment accéder aux soins en temps utile dans ces centres.

4.3.3. Manque de professionnel·les de santé ayant les compétences requises

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 ayant 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, manque de personnel qualifié. Pour surmonter ces obstacles, il est nécessaire d'investir de manière durable et ciblée dans le personnel de santé. Les mesures d'incitation telles que des salaires compétitifs et de meilleures conditions de travail peuvent contribuer à attirer des professionnel·les spécialisé·es dans les zones rurales, éloignées ou mal desservies et ainsi réduire les disparités en matière de délai d'accès à des soins de santé innovants. Dans certains cas, des traitements innovants tels que l'immunothérapie pourraient être proposés dans des hôpitaux situés dans des régions isolées, sous la supervision de spécialistes rattachés à 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, afin de garantir une allocation des ressources qui soit efficace et équitable.

4.3.4. Lacunes dans la formation professionnelle et la collaboration

L'un des principaux défis pour garantir la disponibilité de traitements innovants et leur accès en temps opportun réside dans le manque éventuel de formation des professionnel·les de la santé nécessaire pour administrer ces traitements de manière sûre et efficace. À l'heure où les traitements et les technologies innovants occupent une place de plus en plus centrale dans la pratique médicale, il est également essentiel que l'enseignement médical évolue en conséquence. Cela nécessite non seulement d'inclure des modules spécialisés sur les nouvelles approches thérapeutiques et les technologies émergentes, mais aussi de promouvoir la collaboration interdisciplinaire avec des expert·es dans des domaines tels que l'informatique, la science des données et les neurosciences. En outre, les professionnels de la santé devraient avoir accès à des informations fiables et régulièrement mises à jour sur les développements médicaux récents, par le biais de la formation professionnelle continue, des lignes directrices cliniques et des plateformes de partage des connaissances, afin de s'assurer que les décisions sont fondées sur les preuves et les normes de soins les plus récentes.

4.4. 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 en zones rurales, isolées ou à faibles ressources. En outre, un niveau limité de connaissances en matière de santé (littératie) et de culture numérique peut freiner la compréhension et l'utilisation de ces technologies au sein de certaines populations, ce qui creuse encore les disparités dans l'accès aux soins de santé.

4.4.1. 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 - dites aussi thérapies digitales ou DTx (*digital therapeutics*), y compris les applications de santé mobile – mHealth -, les consultations de télésanté, les tests et diagnostics hors laboratoire, également dits « sur le lieu de soins » (*point-of-care diagnostics*) 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, peuvent nécessiter 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 numériques en matière de soins de santé. Les investissements dans les infrastructures à large bande, en particulier dans les régions rurales, éloignées et mal desservies, sont essentiels pour permettre les téléconsultations et d'autres services de santé numériques. En outre, les gouvernements, le secteur privé 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.

4.4.2. 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 ». [5] 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 recevoir les soins de santé dont elles ont besoin. Ce problème s'accentue encore dans le cas des traitements et des technologies innovants, qui nécessitent de se tenir informé·e des 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 suite. Il est possible que les patient·es qui ne disposent pas de ces capacités passent 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, sans jargon médical et 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 des personnes qui défendent les intérêts des patient·es ou encore des 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. L'aptitude à accéder à et comprendre les informations en matière de santé peut se

[5] Comité directeur pour les droits de l'homme 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.

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.

Dans le contexte de la transformation numérique des soins de santé, la littératie en santé numérique (ou littératie en e-santé) 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.

4.5. Acceptabilité

Les services de santé dispensés, y compris les traitements et technologies innovants, devraient être acceptables pour les patient·es, être culturellement appropriés et être 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 une 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 traitements innovants 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, ces patient·es 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 de représentant ·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.[6] 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

L'introduction de traitements innovants offre un potentiel significatif d'amélioration des résultats pour les patient·es, mais présente également des défis complexes pour les systèmes de santé qui doivent trouver un équilibre entre les droits individuels et les besoins plus larges en matière de santé publique. D'une part, les patient·es attendent un accès rapide aux thérapies les plus efficaces ; d'autre part, les ressources en matière de soins de santé sont limitées et les décideurs doivent veiller à ce que les budgets restreints soient alloués de manière à maximiser la santé globale de la population. Cet exercice d'équilibriste nécessite une attention particulière à l'allocation des ressources au niveau du système et à l'établissement des priorités au niveau du patient. Les décisions doivent tenir compte non seulement des avantages cliniques attendus et de la gravité des problèmes de santé, mais aussi des coûts, des coûts d'opportunité et des implications éthiques de l'introduction de nouveaux traitements coûteux. Les sections suivantes décrivent les principes clés qui guident l'allocation des ressources au niveau du système de santé et l'établissement des priorités entre les patient·es, dans le but de garantir que les traitements innovants soient introduits de manière équitable, opportune et durable.

[6] 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

5.1. Principes pour l'allocation des ressources au niveau du système de santé

Lorsqu'ils envisagent d'introduire des traitements et des technologies innovants, les systèmes de santé devraient s'appuyer sur trois principes pour garantir l'optimisation des résultats sanitaires tout en maintenant les coûts à un niveau raisonnable. Le "critère de bénéfice" donne la priorité aux traitements en fonction du bénéfice escompté en termes de prolongation de la vie du patient et/ou d'amélioration de sa qualité de vie. Le "critère de ressources" donne la priorité aux traitements qui nécessitent moins de ressources pour obtenir un bénéfice. Le "critère de gravité" donne la priorité aux traitements des affections les plus graves en termes de risques de mortalité et de morbidité. Ces critères doivent être soigneusement mesurés les uns par rapport aux autres. Plus l'affection est grave ou plus le bénéfice du traitement est important, plus il est acceptable d'allouer davantage de ressources. À l'inverse, donner la priorité à des pathologies peu graves et à des traitements dont les bénéfices sont limités ne peut se justifier que si l'utilisation des ressources est faible.

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. En tant qu'indicateur pour la prise de décision dans ce domaine, le coût d'opportunité est généralement mesuré en années de vie pondérées par la qualité (QALY pour «*quality-adjusted life years*»), bien que cette approche ait des limites reconnues, car elle peut favoriser les jeunes par rapport aux personnes plus âgées et ne tient pas toujours compte de considérations éthiques plus larges. Dans certains cas, la méthode d'analyse décisionnelle multicritère (*MCDA pour multi-criteria decision analysis*) est préférée, car elle permet d'inclure des facteurs supplémentaires tels que la gravité de la maladie, les besoins médicaux non satisfaits et des considérations d'équité qui ont un impact sur la dignité humaine. De nombreux systèmes de santé utilisent une estimation du coût d'opportunité pour éclairer 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 devrait 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 différentiel 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 supplémentaire. 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 seuil du rapport coût-efficacité différentiel, s'il est appliqué, est souvent 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 différentiel 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 différentiel 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 différentiel 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 devrait être mis en balance avec des considérations de bénéfice et de gravité. Ainsi, un nouveau traitement très efficace mais coûteux peut être justifié par une évaluation des technologies de la santé (ETS – ou HTA en anglais pour *Health Technology Assessment*) 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 d'années de vie pondérées par la qualité ou 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 devrait-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 (ETS) comparables à celles qui sont menées pour des populations de patient·es plus importantes. Compte tenu de cet enjeu, une exigence moins stricte en matière de preuves documentées peut paraître appropriée. La légitimité et la pérennité d'une telle 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 d'un régime donné. 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.

5.2. Principes pour la priorisation entre les patient·es

Étant donné que de nombreux traitements et technologies innovants ne sont souvent disponibles qu'en quantité limitée, il sera souvent nécessaire d'établir des priorités entre les patient·es. Aux termes de la Recommandation CM/Rec (2023)1, cette priorisation devrait être fondée sur les besoins médicaux. Lorsque des traitements et des technologies innovants sont nécessaires pour soigner des patient·es souffrant de maladies graves ou potentiellement mortelles dans un contexte de pénurie - défini comme la disponibilité insuffisante de traitements ou de technologies innovants par

rapport aux besoins en matière de soins de santé - la Recommandation définit plusieurs principes clés.

Le premier principe est que, conformément au principe de non-discrimination défini à l'article 4 de la Recommandation, aucune personne ne devrait être exclue a priori de l'accès à des médicaments ou à des équipements médicaux lorsqu'elle en a besoin. Les normes de fixation des priorités pour l'allocation de ces ressources devraient être fondées sur le principe selon lequel chaque individu a le droit de voir sa santé protégée.

Selon le deuxième principe, visé à l'article 6, la priorisation doit être fondée sur des critères médicaux. Avant de décider si une personne doit avoir accès à un traitement ou à une technologie innovante dans une situation de pénurie, il convient de procéder à une évaluation médicale individuelle approfondie. Cette évaluation vise à déterminer si l'utilisation du traitement ou de la technologie est essentielle pour répondre aux besoins de santé de la personne. Ce processus devrait prendre en compte quatre éléments cumulatifs. Le premier élément est la gravité de l'état de santé de la personne, compte tenu de l'urgence médicale et des soins spécifiques requis pour y remédier. Le deuxième est l'effectivité attendue du traitement ou de la technologie innovants pour la santé de la personne concernée. Il conviendrait d'évaluer soigneusement l'adéquation clinique et la proportionnalité de l'utilisation de ces ressources par rapport aux besoins de santé de l'individu. Comme le souligne le présent Livre blanc, une difficulté particulière dans le cadre de cette évaluation est de savoir avec certitude si les traitements et les technologies innovants apporteront réellement les avantages attendus en termes de résultats pour les patient·es, d'innocuité et d'amélioration par rapport à la norme de soins existante. Dans de nombreux cas, les données cliniques disponibles sont limitées, par exemple parce que les essais cliniques menés pour démontrer l'innocuité et l'efficacité étaient de petite taille, parce que les données de suivi sur l'efficacité à long terme et les effets secondaires potentiels font défaut, ou parce que l'on ne dispose pas de données comparatives suffisantes par rapport aux traitements ou technologies standards. En outre, des doutes peuvent surgir quant à la possibilité d'appliquer les résultats à des populations de patient·es plus larges, en particulier lorsque certains groupes sont sous-représentés dans les essais cliniques. Ces incertitudes devraient être soigneusement prises en compte lors de l'évaluation des avantages attendus d'un traitement ou d'une technologie innovante dans le cadre de l'évaluation médicale. Le troisième élément concerne la disponibilité d'alternatives thérapeutiques éventuelles. Dans une situation de pénurie, le traitement ou la technologie en question ne doit être utilisé que s'il n'existe pas d'alternative thérapeutique appropriée. Le quatrième et dernier élément concerne les conséquences probables pour la santé de la personne si elle se voit refuser l'accès au traitement ou à la technologie innovants.

Lorsqu'un·e patient·e est considéré·e comme éligible à un traitement ou à une technologie innovante sur la base de cette évaluation médicale individuelle, mais que le système de santé est confronté à une pénurie et que plusieurs patient·es en ont un

besoin urgent, il devient encore plus essentiel de fixer des priorités claires. Conformément à la Recommandation, l'établissement des priorités devrait, dans de telles situations, être guidé par le principe de minimisation du risque de mortalité et, ensuite, du risque de morbidité. Cela signifie que l'accès devrait d'abord être accordé aux patient·es pour lesquel·les le traitement est censé être le plus efficace pour prévenir la mort ou une détérioration grave de la santé. Il convient toutefois de noter que la possibilité de procéder à une évaluation individuelle complète dépend du temps disponible pour évaluer l'état du patient ou de la patiente. Ainsi, les décisions doivent parfois être prises dans des conditions d'incertitude, en particulier lorsque des soins immédiats sont nécessaires.

Le troisième principe, tel qu'énoncé à l'article 5, prévoit qu'une attention particulière devrait être portée aux personnes et aux groupes qui sont systématiquement désavantagés s'agissant de leur santé, y compris en raison de conditions économiques et sociales, d'un statut juridique, d'un handicap, de maladies chroniques ou de l'âge.

Le quatrième et dernier principe, tel qu'énoncé à l'article 8, souligne que même lorsqu'un·e patient·e ne peut pas avoir accès à un traitement ou à une technologie innovants vitaux, par exemple en raison de décisions de priorisation fondées sur des besoins médicaux, des ressources limitées ou l'incertitude, cette personne ne devrait pas être laissée sans soins, mais devrait se voir proposer un type de soutien alternatif, si de telles options sont disponibles et adaptées à son état. Il peut s'agir de traitements conventionnels, d'un soulagement des symptômes, d'un soutien psychologique ou d'autres formes de soins qui ne sont pas curatifs mais qui sont néanmoins bénéfiques. Si aucune autre option médicale n'est possible, le patient ou la patiente doit bénéficier de soins palliatifs. Comme le décrit le Guide sur le processus décisionnel relatif aux traitements médicaux dans les situations de fin de vie, le but est de respecter la dignité du patient et de lui assurer le confort et la meilleure qualité de vie possible pendant la dernière phase de sa vie. Ce principe garantit que chaque patient·e - quel que soit le résultat du processus de priorisation - est traité·e avec respect et compassion et reçoit un soutien médical et émotionnel approprié.

6. Considérations clés

Les technologies et traitements innovants, en transformant les soins de santé, sont porteurs d'un nouvel espoir pour les patient·es. Des thérapies géniques aux diagnostics basés sur l'IA, ces avancées peuvent sauver des vies, allonger l'espérance de vie et améliorer la qualité de vie. Mais leur introduction soulève également d'importantes questions éthiques et politiques, en particulier comment veiller à ce que les avantages qu'ils apportent soient accessibles à tous. Comme l'a montré le présent Livre blanc, des inégalités significatives persistent, créées par des facteurs tels que le statut socio-économique, la situation géographique et les limites systémiques des systèmes de santé. Garantir un accès équitable et en temps opportun aux technologies et traitements innovants dans le domaine des soins de santé constitue à la fois un impératif moral et une exigence pour l'efficacité et la

durabilité des systèmes de santé. Ce chapitre de conclusion rassemble les idées les plus importantes du Livre blanc et met en exergue certaines considérations essentielles pour promouvoir un accès équitable et en temps opportun à des technologies et traitements innovants et appropriés.

1. L'accès aux technologies et traitements innovants devrait avoir pour socle les droits humains et pour principe directeur l'équité

Garantir un accès équitable et rapide aux technologies et traitements innovants est avant tout une question de droits humains fondamentaux. L'article 3 de la Convention sur les droits de l'homme et la biomédecine et l'article 11 de la Charte sociale européenne affirment que l'accès en temps opportun à des soins de santé appropriés - et, par extension, l'accès aux technologies et traitements innovants – ne doit pas être un privilège, mais une préoccupation relevant des droits humains. Dans ce contexte, l'accès équitable n'est pas synonyme d'égalité de traitement au sens strict, mais fait référence à un traitement qui réponde aux besoins médicaux de chaque individu et s'attaque aux désavantages existants, dans le but de garantir que chacun puisse effectivement bénéficier d'un niveau de soins adéquat. Cela implique d'éliminer la discrimination fondée sur des facteurs tels que le statut économique, l'appartenance ethnique, le genre, l'âge, le handicap ou d'autres déterminants sociaux, de supprimer les obstacles structurels - qu'ils soient financiers, géographiques, numériques ou informationnels - et d'apporter un soutien ciblé aux personnes ou aux groupes présentant des vulnérabilités spécifiques. Compte tenu des ressources disponibles, l'accès aux technologies et traitements innovants, en particulier ceux qui permettent de sauver des vies ou d'améliorer sensiblement la qualité de vie, devrait donc être garanti pour tous, et pas seulement pour les individus qui ont une capacité financière suffisante ou qui sont capables de s'orienter dans des systèmes de soins de santé complexes.

L'engagement en faveur de l'accès équitable suppose de soutenir le principe selon lequel les services de santé devraient être accessibles à tous, mais une attention et des ressources supplémentaires devraient être accordées aux personnes qui en ont le plus besoin. Les groupes défavorisés, dont font partie notamment les personnes à faible revenu, celles qui vivent dans des zones rurales ou mal desservies, celles qui ont un accès limité au numérique ou celles qui ont peu de connaissances dans le domaine de la santé, sont plus exposés au risque d'être exclus de l'innovation médicale. Ces disparités aggravent les inégalités de santé et il devrait y être remédié au moyen de stratégies globales, notamment des investissements dans les infrastructures, des initiatives adaptées en matière d'éducation et de sensibilisation, et par le déploiement de services de soins de santé dans les communautés mal desservies. Conformément à la Recommandation CM/Rec (2023)1, l'établissement des priorités devrait être fondé sur des critères médicaux et d'équité, en particulier en cas de pénurie. Les politiques d'accès devraient être conçues pour identifier les inégalités structurelles et les corriger et empêcher les technologies et traitements innovants de renforcer les avantages existants. Ces politiques devraient accorder une

attention particulière aux personnes et groupes vulnérables et veiller à ce que les innovations ne bénéficient pas de manière disproportionnée à ceux qui sont déjà privilégiés.

Cet engagement en faveur d'un accès équitable devrait être présent tout au long du processus d'innovation, depuis les phases de recherche et de développement jusqu'à la mise en œuvre et au remboursement. Par exemple, les activités de recherche et de développement consacrées aux maladies qui affectent de manière disproportionnée des groupes de population spécifiques sont encore largement insuffisantes. Pour remédier à ce déséquilibre, il est essentiel que la recherche et l'innovation soient encadrées de façon à intégrer des garanties qui empêchent de continuer à négliger les maladies qui touchent principalement les communautés défavorisées. En outre, de nombreux essais cliniques précoces excluent des segments importants de la population, tels que les personnes âgées, les minorités ethniques ou les personnes souffrant de comorbidités, ce qui limite la possibilité de généralisation des résultats et perpétue les inégalités en matière de santé. La conception des essais cliniques devrait être plus inclusive, grâce à des objectifs explicites en matière de diversité, afin de garantir que les nouveaux traitements sont à la fois sûrs et efficaces dans des populations diverses. De même, les évaluations des technologies de la santé (ETS) devraient peut-être aller au-delà des analyses coût-efficacité pour mesurer les implications sociales et éthiques plus larges des innovations, notamment afin de déterminer si une innovation est susceptible d'accroître ou de réduire les disparités. Les cadres nationaux devraient soutenir la recherche inclusive, exiger des évaluations qui tiennent compte de l'impact sur l'équité et veiller à ce que les patient·es et les autres parties prenantes soient impliqués de manière significative dans la prise de décision. Ce n'est qu'en intégrant l'équité à chaque étape de l'innovation que les systèmes de santé peuvent garantir que le progrès scientifique bénéficie effectivement à l'ensemble de la population et respecte le droit fondamental à la protection de la santé.

Pour garantir un accès équitable aux technologies et traitements innovants dans le domaine des soins de santé, les cadres réglementaires devraient définir clairement les critères d'accès à ces traitements et technologies, y compris la manière dont les priorités sont établies en situation de pénurie. Ces cadres devraient également prévoir des mécanismes qui garantissent les exigences de contrôle et de transparence, ainsi que la participation du public. Les institutions responsables de la politique des soins de santé - telles que les ministères de la Santé, les agences de régulation et les conseils d'administration des hôpitaux - devraient recevoir des mandats clairs pour promouvoir l'équité et disposer de ressources financières et humaines suffisantes pour mener à bien cette tâche. Ainsi, le droit à un accès équitable ne serait pas qu'un principe mais une réalité concrète.

Pour assurer la mise en œuvre effective de cet engagement, il est essentiel de produire et d'analyser des données de haute qualité qui révèlent les lacunes en matière d'accès. Sans données fiables, il est difficile d'évaluer l'impact des politiques

ou d'identifier les populations laissées pour compte. Il conviendrait donc de mettre en place des systèmes de suivi capables d'évaluer l'accès des différents groupes de population. Les données devraient être ventilées en fonction du revenu, du genre, de l'origine ethnique, du handicap et d'autres caractéristiques pertinentes. Les principaux indicateurs d'équité – que sont la prise des traitements, le temps d'attente et la charge financière - devraient être inclus dans les évaluations standard des performances des systèmes de santé. Les résultats du suivi devraient être rendus publics et utilisés pour revoir et ajuster les politiques de façon régulière, et garantir que les stratégies d'accès continuent de répondre aux besoins des diverses populations.

2. Les technologies et traitements innovants devraient faire l'objet d'une évaluation approfondie dans l'objectif de garantir leur innocuité, leur efficacité et leur supériorité par rapport aux normes de soins en vigueur

L'un des défis politiques majeurs s'agissant de faciliter un accès équitable et en temps opportun aux technologies et traitements innovants est de garantir que ces interventions répondent à des normes appropriées de qualité, d'innocuité et de bénéfices thérapeutiques. Comme le prévoit l'article 3 de la Convention sur les droits de l'homme et la biomédecine, les individus ont droit à des soins de santé de « qualité appropriée », c'est-à-dire un traitement approprié eu égard aux avancées scientifiques. Cependant, le rythme rapide de l'innovation conduit souvent à l'introduction de nouveaux traitements sur la base d'éléments de preuves qui sont précoces ou limités, et avec des données sur l'innocuité et l'efficacité à long terme qui sont insuffisantes. De nombreux traitements sont autorisés au moyen de procédures accélérées ou obtiennent une autorisation conditionnelle sur la base de marqueurs de substitution ou d'essais à petite échelle. Pour les autorités réglementaires, les organismes de remboursement et les professionnels de la santé qui tentent de valider les revendications de bénéfice clinique et de supériorité par rapport aux normes de soins en vigueur, cette situation génère de l'incertitude.

Étant donné que, pour les premiers essais cliniques, ce sont souvent des groupes de patient·es étroitement définis qui sont recrutés et que les outils pilotés par l'IA peuvent s'appuyer sur des ensembles de données non représentatifs, le manque de généralisabilité et les biais algorithmiques risquent non seulement de priver certains groupes des bénéfices de l'innovation, mais aussi de leur en faire subir les effets préjudiciables. Pour éviter de renforcer les inégalités en matière de santé, il est donc essentiel de promouvoir l'inclusion dans la conception des essais cliniques, de surveiller l'efficacité des traitements en vie réelle au sein de diverses populations et de garantir un déploiement responsable de l'IA grâce à des audits de biais, des normes d'explicabilité et une validation clinique indépendante. Les processus d'évaluation doivent privilégier la transparence et la responsabilité et résister aux pressions extérieures telles que le lobbying commercial, l'emballement médiatique ou encore les campagnes de sensibilisation qui peuvent fausser la perception publique de la valeur d'un traitement et conduire à son adoption prématurée ou injustifiée. Enfin, la nature évolutive des preuves cliniques nécessite une approche flexible et adaptative

de la définition des normes professionnelles, garantissant que les prestataires de soins de santé sont guidés par des connaissances scientifiques actualisées tout en étant aptes à exercer leur jugement professionnel dans des situations incertaines ou complexes.

3. Plusieurs critères sont nécessaires à l'accès équitable aux technologies et traitements innovants : l'inclusion, la transparence et la responsabilité dans la prise de décision

Garantir un accès équitable et en temps opportun aux technologies et traitements innovants serait impossible sans légitimité démocratique. Les décisions relatives à l'approbation, à la priorisation, au remboursement et à la mise en œuvre des technologies et traitements innovants ont des conséquences considérables pour les patient·es et la société dans son ensemble. Compte tenu de la complexité, du coût et de la sensibilité éthique de nombre de ces innovations, ces décisions devraient être guidées par des procédures transparentes, fondées sur un raisonnement éthique et ouvertes à la participation significative d'un large éventail de parties prenantes. Comme le souligne l'article 11 de la Recommandation CM/Rec (2023)1, le processus de détermination de l'accès aux médicaments et de priorisation en matière d'accès, en particulier dans les situations de pénurie, devrait être inclusif et garantir que les opinions et les intérêts de toutes les parties concernées - y compris les patient·es, les professionnel·les de la santé, les organisations de la société civile et les représentant·es des groupes vulnérables - sont pris en compte. Une participation inclusive permet aux décideurs de comprendre les obstacles à l'accès et garantit qu'aucun groupe n'est systématiquement exclu des bénéfices de l'innovation.

La confiance dans les soins de santé et leur légitimité sont encore renforcées lorsque les individus constatent que les décisions relatives à l'accès sont guidées par des procédures transparentes et un raisonnement solide, et qu'il existe des mécanismes réexamen et de responsabilité. À cet égard, les politiques d'accès aux technologies et traitements innovants devraient être transparentes, fondées sur des raisons jugées acceptables par un large public, susceptibles d'être révisées à la lumière de nouvelles données probantes ou de nouveaux arguments, et supervisées par des autorités responsables. La transparence doit être renforcée par des informations claires et accessibles sur les critères de remboursement, les justifications de la prise de décision et, le cas échéant, les négociations sur les prix et les accords de remboursement. Conformément au Guide du débat public sur les droits de l'homme et la biomédecine, le dialogue public doit être encouragé afin de garantir que les décisions politiques reflètent les normes en matière de droits humains et les valeurs sociétales. Il peut s'agir de mettre en place des conseils consultatifs multipartites, des comités d'éthique indépendants chargés d'évaluer les implications des nouvelles technologies en termes d'équité et de distribution, et des panels de citoyen·nes chargés de délibérer sur les priorités en matière d'accès. En outre, des audits d'équité et des évaluations des résultats en vie réelle devraient être menés régulièrement afin de déterminer si les politiques d'accès profitent réellement à une population diversifiée. Dans la mesure

où les outils algorithmiques et numériques influencent de plus en plus les décisions en matière d'accès, il est également essentiel d'appliquer des normes d'explicabilité et de transparence à ces technologies afin de permettre aux clinicien·nes et aux patient·es de comprendre et, le cas échéant, de remettre en question les recommandations.

Ensemble, ces mécanismes renforcent la légitimité et l'équité des stratégies qui déterminent l'accès aux technologies et traitements innovants, en particulier à la lumière des préoccupations croissantes concernant l'opacité des prix, l'inégalité du pouvoir de négociation entre les acteurs publics et privés et l'influence des intérêts commerciaux sur la définition des priorités en matière de santé publique. En intégrant la transparence, l'inclusion et la responsabilité, les systèmes de santé peuvent rester à la fois réactifs aux besoins de tous les membres de la société et responsables devant le public diversifié qu'ils sont censés servir.

4. Veiller à ce que les technologies et les traitements innovants soient abordables et financés de manière durable

Le coût reste l'un des obstacles les plus complexes et les plus préoccupants à l'accès équitable et en temps opportun aux technologies et traitements innovants. Si certaines innovations numériques ou préventives peuvent permettre de réaliser des économies ou de réduire le fardeau des soins de santé à long terme, de nombreuses thérapies avancées - telles que les thérapies géniques, les traitements par cellules CAR-T, la médecine de précision et les médicaments orphelins - sont d'un coût prohibitif. Une fois que ces traitements reçoivent une autorisation de mise sur le marché, leur accès dépend largement des décisions de remboursement. Sans couverture publique, ces traitements sont souvent hors de portée financière pour la plupart des patient·es, ce qui renforce les inégalités entre les personnes qui disposent de moyens financiers suffisants et celles qui en sont privées. L'accès équitable dépendra donc également de l'élimination des obstacles financiers et de la garantie que les décisions de financement public sont fondées sur des considérations de besoin médical et de justice sociale.

Pour relever ces défis, les autorités nationales devraient adopter des approches solides, fondées sur des données probantes en matière de tarification et de remboursement. Aux termes de l'article 13 de la Recommandation CM/Rec (2023)1, les décisions en matière de remboursement devraient être expliquées et justifiées de manière publique et faire l'objet d'une communication transparente, en particulier dans le cas de thérapies coûteuses. Il s'agit notamment de fixer des seuils clairs en termes de bénéfice clinique et de veiller à ce que les dispositifs de remboursement soient opportuns et fondés sur des critères transparents. Il est également nécessaire de réexaminer régulièrement le statut de remboursement des traitements pour tenir compte des nouvelles preuves cliniques disponibles, des variations de prix et des alternatives disponibles. Il est important que les décisions de tarification tiennent compte de l'investissement public souvent substantiel dans le développement de ces thérapies - y compris le financement de la recherche, l'accès aux données et

l'infrastructure - reflétant le principe de réciprocité. La valeur d'un traitement ou d'une technologie innovante doit également être évaluée à la lumière de sa contribution plus large à la santé publique et à des résultats équitables en matière de santé. Les gouvernements devraient donc élaborer des stratégies nationales de tarification qui mettent en cohérence le bénéfice clinique avec le retour sur investissement public, tout en maintenant un environnement réglementaire prévisible et équitable pour l'industrie.

Pour gérer des coûts élevés sans freiner l'innovation, il convient de mettre en œuvre une série de mécanismes de maîtrise des coûts. Il peut s'agir d'une tarification de référence qui permette de comparer le coût d'un traitement innovant à celui de traitements comparables, et d'accords d'entrée gérés entre les payeurs de soins de santé et les sociétés pharmaceutiques – basés sur des données financières et sur des résultats en matière de santé-, qui lient le remboursement à l'efficacité en vie réelle du traitement et à des garanties financières. De plus, la coopération internationale en matière d'évaluation des technologies de la santé peut réduire la duplication des initiatives entre États, aider à harmoniser les normes et réduire les coûts, notamment au profit des pays dotés d'une capacité plus limitée en matière réglementaire ou économique. Les partenariats public-privé peuvent également jouer un rôle essentiel dans la répartition des risques et des coûts de développement, à condition qu'ils comportent des engagements clairs en matière d'accessibilité financière, de partage de la propriété intellectuelle et de transparence des données. Ces collaborations devraient toujours être guidées par des objectifs explicites de santé publique et non par le seul intérêt commercial. En outre, les approbations conditionnelles et les modèles de partage des risques devraient être liés à des exigences strictes en matière de preuves post-commercialisation, garantissant que les décisions d'accès seront ajustées en fonction des nouvelles données.

Il est essentiel que l'objectif de viabilité financière ne soit pas poursuivi isolément. Les politiques doivent être complétées par des audits réguliers de l'équité et des évaluations de la manière dont l'accès est favorisé dans les différents groupes de population, afin de garantir que les décisions de remboursement n'excluent pas par inadvertance les personnes qui en ont le plus besoin. Les stratégies d'accessibilité financière devraient être alignées sur les efforts plus larges en faveur de la transparence, la participation des parties prenantes et la responsabilité dans les décisions d'achat et de couverture. Les systèmes de remboursement devraient également tenir compte des disparités de revenus entre les pays et les régions, en prévoyant une flexibilité suffisante pour les contextes à faibles et moyens revenus. Ce n'est que par une gouvernance financière coordonnée, fondée sur les valeurs et socialement proactive que les systèmes de santé peuvent garantir une répartition équitable et durable des bénéfices de l'innovation. En conciliant l'innovation avec l'accessibilité financière et la justice distributive, la confiance du public sera maintenue tout en préservant la viabilité à long terme de la couverture sanitaire universelle.

5. Renforcer la disponibilité de technologies et de traitements innovants

La possibilité d'un accès équitable et en temps opportun aux technologies et traitements innovants ne dépend pas seulement de l'accessibilité financière ou de l'approbation réglementaire, mais aussi de la capacité du système de soins de santé à fournir ces technologies et traitements dans la pratique. De nombreuses thérapies avancées - telles que les thérapies géniques ou cellulaires - nécessitent des installations, des équipements et des compétences spécialisés qui sont souvent concentrés dans les grands hôpitaux urbains ou les centres universitaires. Cette concentration géographique peut créer des obstacles de taille pour les personnes vivant dans des zones rurales, éloignées ou mal desservies, et qui peuvent être obligées de parcourir de longues distances pour bénéficier de certains traitements, voire se trouver complètement privées de traitement. Lorsque les infrastructures et le personnel de santé sont inégalement répartis, les disparités en matière d'accès et de résultats en matière de santé risquent de s'accentuer, alors même que les traitements sont techniquement disponibles au sein du système de santé.

Face à ces défis, les politiques nationales devraient prévoir des investissements dans des infrastructures de soins de santé réparties plus équitablement entre les régions. Cela pourrait consister à étendre et moderniser les installations régionales, équiper les hôpitaux au niveau local pour qu'ils puissent dispenser certains types de soins innovants à distance, sous surveillance, et intégrer les traitements innovants dans les structures de soins primaires et secondaires lorsque cela est possible. Les programmes de formation devraient également être renforcés afin de garantir que les professionnels de santé disposent des compétences nécessaires pour administrer des traitements nouveaux et complexes de manière sûre et efficace. Étant donné qu'une pénurie de personnel qualifié peut ralentir la mise en œuvre de nouvelles thérapies, il est essentiel d'investir de manière ciblée dans la formation professionnelle et la formation continue, ainsi que dans des conditions de travail favorables afin d'attirer et de retenir le personnel requis dans les zones mal desservies. Lorsque des soins spécialisés ne peuvent pas encore être dispensés localement, les patient·es devraient recevoir des informations claires sur les lieux et modalités d'accès au traitement concerné et bénéficier d'un soutien logistique et financier leur permettant une prise en charge équitable et en temps opportun.

En outre, le rôle croissant des soins de santé numériques et fondés sur les données (*data*) souligne la nécessité de promouvoir l'accessibilité et la culture (littératie) numériques. L'utilisation de diagnostics s'appuyant sur l'IA, de thérapies numériques et de la télémédecine peut améliorer la prestation des soins de santé, mais à la condition d'une mise en œuvre qui ne renforce pas la fracture numérique. De nombreuses personnes vivant dans des régions à faibles ressources, des populations plus âgées ou des communautés peu instruites peuvent ne pas disposer d'un accès fiable à l'internet, d'appareils numériques appropriés ou des compétences nécessaires pour utiliser ces technologies. Ce cas de figure peut avoir pour conséquence de limiter l'accès aux soins, de retarder les diagnostics et d'aggraver les

inégalités en matière de santé. Pour que la transformation numérique réduise les disparités au lieu de les exacerber, les gouvernements devraient investir dans l'infrastructure à large bande, dans la mise en œuvre d'un accès abordable à l'internet et aux appareils numériques, ainsi que dans l'élaboration de programmes de littératie numérique et en santé. Ces programmes devraient être adaptés aux besoins des diverses communautés et privilégier une communication simple et compréhensible. En s'attaquant aux obstacles infrastructurels, professionnels et numériques, les systèmes de santé peuvent garantir que l'innovation médicale n'est pas seulement disponible en théorie, mais qu'elle est effectivement accessible à tous et bénéfique pour tous.