



Haut Conseil pour l'avenir  
de l'assurance maladie

# INNOVATION ET SYSTÈME DE SANTÉ

## RAPPORT 2016

TOME 2



# Sommaire

---

## LA PRISE EN CHARGE DES PATIENTS ATTEINTS D'INSUFFISANCE RENALE CHRONIQUE TERMINALE

<b>1. ETAT DES LIEUX</b>	<b>7</b>
A. EPIDEMIOLOGIE, MODES DE TRAITEMENT	7
B. DISPARITES REGIONALES D'ACCES A LA GREFFE	13
C. L'ACTIVITE DE TRANSPLANTATION RENALE	15
D. PLANIFICATION DE L'OFFRE DE DIALYSE	16
E. LA DEMOGRAPHIE DES NEPHROLOGUES	17
F. IMPACT SUR LES DEPENSES D'ASSURANCE-MALADIE	18
<b>2. LES PROBLEMATIQUES D'ORGANISATION DES SOINS ET D'EFFICIENCE</b>	<b>20</b>
A. L'ACCENT N'EST PAS ASSEZ MIS SUR LA PREVENTION DE L'IRC TERMINALE ET LE DEPISTAGE PRECOCE	20
B. LA PRISE EN CHARGE LA PLUS EFFICIENTE EST LA GREFFE, MAIS LE NOMBRE DE PATIENTS EN ATTENTE DE GREFFE EST EN CROISSANCE CONTINUE	21
C. LES PRISES EN CHARGE AUTONOMES NON SEULEMENT NE SE DEVELOPPENT PAS MAIS SONT MEME ORIENTEES A LA BAISSSE DANS CERTAINES REGIONS	22
<b>3. QUELLES SONT LES INNOVATIONS SUSCEPTIBLES DE FAIRE EVOLUER LA SITUATION ?</b>	<b>24</b>
A. INNOVATIONS TECHNOLOGIQUES	24
B. INNOVATIONS ORGANISATIONNELLES	28
C. INNOVATIONS TARIFAIRES	31
<b>4. PERSPECTIVES ET RECOMMANDATIONS</b>	<b>35</b>
A. DEVELOPPER LA TRANSPLANTATION RENALE	35
B. RENFORCER LA PLACE DES PATIENTS	36
C. METTRE EN ŒUVRE UN VERITABLE PROGRAMME DE PREVENTION ET DE DEPISTAGE PRECOCE	37
D. AUGMENTER LES PRISES EN CHARGE A DOMICILE	37
BIBLIOGRAPHIE	37

## LA PRISE EN CHARGE EN CANCEROLOGIE

<b>SYNTHESE</b>	<b>39</b>
QUELLES SONT CES INNOVATIONS ?	39
QUELLES SONT LES PERSPECTIVES POUR LE SYSTEME DE SOINS A MOYEN TERME ?	40
INNOVATIONS MEDICALES : QUELLES EVOLUTIONS ORGANISATIONNELLES APPELLENT-ELLES ?	41
<b>INTRODUCTION</b>	<b>43</b>
<b>1. ETAT DES LIEUX ET PERSPECTIVES</b>	<b>43</b>
A. LES CHIFFRES DU CANCER	43
B. LA LUTTE CONTRE LE CANCER : UNE VOLONTE POLITIQUE AFFIRMEE	47
C. LE CANCER EN FRANCE : PERSPECTIVES	48

<b>2.</b>	<b>CONTINUUM SOINS-RECHERCHE : UNE NOUVELLE PROBLEMATIQUE .....</b>	<b>50</b>
A.	LES MEDICAMENTS INNOVANTS, SOURCES D'INCERTITUDE, FAVORISENT L'EMERGENCE D'UN MODELE D'EXPERIMENTATION PERMANENT .....	50
B.	DES PRATIQUES PROFESSIONNELLES INSUFFISAMMENT DOCUMENTEES : FAIRE EVOLUER LES DISPOSITIFS DE VEILLE ET D'ACCES PRECOCE AUX INNOVATIONS TECHNIQUES .....	55
<b>3.</b>	<b>ACCES AUX SOINS INNOVANTS.....</b>	<b>57</b>
A.	LES ENJEUX D'INFORMATION ET DE COMMUNICATION .....	58
B.	ACCES AUX ESSAIS CLINIQUES.....	60
C.	ENJEUX AUTOUR DES LABORATOIRES D'ANATOMOCYTOPATHOLOGIE .....	61
<b>4.</b>	<b>LES DEFIS ORGANISATIONNELS .....</b>	<b>62</b>
A.	GRADUER LES NIVEAUX DE PRISE EN CHARGE.....	63
B.	ARTICULER LES DIFFERENTS NIVEAUX, LES ENJEUX DE LA COORDINATION ET DU PARCOURS .....	66
<b>5.</b>	<b>LA CHIMIOTHERAPIE DES CANCERS.....</b>	<b>69</b>
A.	ANTINEOPLASIQUES : UNE OFFRE IMPORTANTE ET INNOVANTE ET DES DEPENSES CROISSANTES .....	71
B.	QUELLES EVOLUTIONS POSSIBLES ? .....	72
	<b>PRESENTATION DES RAPPORTS DE PROSPECTIVE SUR L'INNOVATION EN SANTE .....</b>	<b>77</b>
	<b>NOTE DE SYNTHESE SUR LES RAPPORTS DE PROSPECTIVE PUBLIES EN FRANCE CES 20 DERNIERES ANNEES .....</b>	<b>77</b>
A.	SELECTION DES RAPPORTS ANALYSES .....	77
B.	DESCRIPTION DES RAPPORTS .....	77
C.	LES THEMATIQUES EVOQUEES COUVRENT UN CHAMP TRES VASTE .....	80
D.	CES RAPPORTS DE PROSPECTIVE IDENTIFIENT UN IMPACT FORT DU PROGRES TECHNIQUE SUR L'ORGANISATION DES SOINS ..	81
E.	DANS CES DIFFERENTS RAPPORTS, DES DIFFICULTES LIEES A L'EMERGENCE DE CES INNOVATIONS SONT AUSSI SOULIGNEES ..	82
F.	LA QUESTION DE L'INTERVENTION PUBLIQUE ET DE LA REGULATION DE LA DIFFUSION DES INNOVATIONS EST AUSSI POSEE ..	83
G.	REFLEXIONS CONCLUSIVES.....	83
	<b>ANNEXES .....</b>	<b>85</b>
	ANNEXE 1 : RAPPORT SANTE 2010, VOLET « INNOVATIONS TECHNOLOGIQUES ET DEMANDES DE SANTE » .....	85
	ANNEXE 2 : RAPPORT PREPARATOIRE AU SCHEMA DE SERVICES COLLECTIFS SANITAIRES « QUEL SYSTEME DE SANTE A L'HORIZON 2020 ? » .....	88
	ANNEXE 3 : RAPPORT 2008 DE L'OFFICE DE PROSPECTIVE EN SANTE DE SCIENCES PO .....	91
	ANNEXE 4 : RAPPORT « ÉTUDE PROSPECTIVE SUR LES TECHNOLOGIES POUR LA SANTE ET L'AUTONOMIE », ALCIMED, EFFECTUE POUR L'ANR ET LA CNSA .....	95
	ANNEXE 5 : RAPPORT DU LEEM « SANTE 2025 : UN MONDE D'INNOVATIONS » .....	98
	ANNEXE 6 : RAPPORT « IMAGERIE MEDICALE DU FUTUR », PIPAME .....	101
	ANNEXE 7 : RAPPORT « DISPOSITIFS MEDICAUX : DIAGNOSTIC ET POTENTIALITES DE DEVELOPPEMENT DE LA FILIERE FRANÇAISE DANS LA CONCURRENCE INTERNATIONALE », PIPAME .....	104
	ANNEXE 8 : RAPPORT « PROSPECTIVE ORGANISATIONNELLE POUR UN USAGE PERFORMANT DES TECHNOLOGIES NOUVELLES EN SANTE » .....	107
	ANNEXE 9 : RAPPORT PROSPECTIF SUR LE DEVENIR DE L'ECOSYSTEME DE SANTE ET LES TIC .....	110
	ANNEXE 10 : LIVRE BLANC « TELEMEDECINE 2020 » .....	113

ANNEXE 11 : RAPPORT UNICANCER : « QUELLE PRISE EN CHARGE DES CANCERS EN 2020 ? » .....	118
ANNEXE 12 : TECHNOLOGIES CLES 2015, DIRECTION GENERALE DES ENTREPRISES .....	120
ANNEXE 13 : AVIESAN, INSTITUT THEMATIQUE MULTI-ORGANISMES : TECHNOLOGIES POUR LA SANTE, ORIENTATIONS STRATEGIQUES .....	123
ANNEXE 14 : ARTICLES DE SYNTHESE PARUS DANS « SCIENCE ET SANTE », INSERM, ENTRE 2011 ET 2014 .....	126
ANNEXE 15: THE CREATIVE DESTRUCTION OF MEDICINE, DR. ERIC TOPOL, 2012 .....	129



# La prise en charge des patients atteints d'insuffisance rénale chronique terminale

---

Touchant près de 80 000 personnes, l'insuffisance rénale chronique terminale traitée constitue l'une des affections chroniques présentant les problématiques organisationnelles les plus complexes, sachant que du fait des données épidémiologiques d'une part (notamment la forte augmentation du nombre de patients diabétiques), des succès des traitements sur l'espérance de vie des patients d'autre part, la prévalence est en hausse constante. En corollaire, le poids de ces prises en charge dans les dépenses de santé croît rapidement.

Cependant, la situation est susceptible d'évoluer dans les prochaines années du fait d'innovations technologiques et organisationnelles. C'est ce que nous allons présenter dans ce document, afin d'identifier les axes pertinents à privilégier pour l'action publique, en s'appuyant sur les travaux récents menés par la HAS, l'Agence de biomédecine, la CNAMTS, la Cour des comptes et lors des Etats Généraux du Rein qui se sont tenus courant 2012-2013<sup>1</sup>.

Après un état des lieux, nous verrons quelles sont les principales problématiques posées en termes d'organisation des soins et d'efficacité, avant d'étudier comment certaines innovations technologiques ou organisationnelles seraient de nature à résoudre les problèmes identifiés.

## 1. Etat des lieux

### A. Epidémiologie, modes de traitement

L'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT) affecte une part croissante de la population française : en 2014, la prévalence était de 1 194 par million d'habitants, soit 79 355 patients avec un traitement de suppléance (+5% par rapport à 2013 après une augmentation de 4% entre 2013 et 2012).

Elle est l'aboutissement d'une maladie rénale évolutive<sup>2</sup> affectant les capacités de filtration des reins, l'insuffisance rénale chronique concernant au total une population de l'ordre de 3 millions de personnes, dont heureusement toutes n'évoluent pas vers le stade terminal (stade 5)<sup>3</sup>.

L'IRCT nécessite la mise en œuvre de techniques de suppléance de la fonction rénale par transplantation ou dialyse. Hormis quelques greffes préemptives (3% des patients incidents), dans la majorité des cas, le traitement de première intention est l'épuration extra-rénale par dialyse. Il existe deux méthodes d'épuration extra-rénale qui se distinguent par la technique : la dialyse péritonéale

---

<sup>1</sup> Engagés à l'initiative de l'association Renaloo : <http://www.etatsgenerauxdurein.fr/>

<sup>2</sup> Les néphropathies hypertensives et vasculaires (26%) et la néphropathie diabétique (22%) représentent 48% des cas incidents en 2013, les glomérulonéphrites primitives 11%. La cause est inconnue dans 15% des cas à l'initiation du traitement.

<sup>3</sup> La capacité d'épuration du sang par les reins est estimée par le débit de filtration glomérulaire (DFG). Elle est normale entre 90 et 150 ml/min. En dessous de ces valeurs, un suivi néphrologique est nécessaire. Une bonne hygiène de vie et un traitement conservateur permettent de ralentir son aggravation.

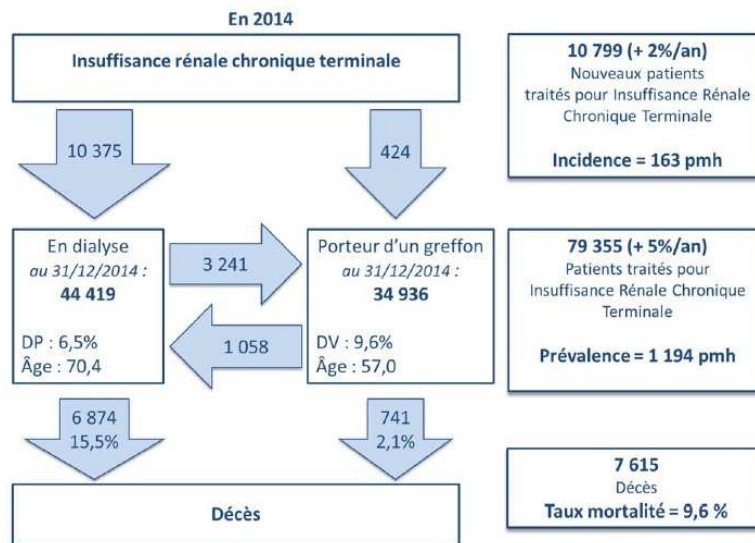
- Stade 2 : 90-60 ml/min
- Stade 3 : 60-30 ml/min
- Stade 4 : 30-15 ml/min
- Stade 5 : <15 ml/min

utilisant le péritoine comme membrane d'échange et l'hémodialyse utilisant une membrane artificielle et une circulation extracorporelle.

Les modalités de traitement se distinguent également par l'organisation de la prise en charge :

- modalités de prise en charge « autonomes » : hémodialyse à domicile, dialyse péritonéale à domicile sans l'assistance d'une infirmière et unité d'autodialyse ;
- modalités de prise en charge « assistées » : hémodialyse en centre, hémodialyse en unité de dialyse médicalisée (UDM) et dialyse péritonéale à domicile avec assistance d'une infirmière.

Le schéma suivant, issu du rapport d'activité REIN 2014 (Agence de biomédecine)<sup>4</sup>, indique quels sont les flux de patients et la répartition entre patients dialysés et patients greffés :



DP : dialyse péritonéale. DV : donneur vivant. pmh : par million d'habitants

Les taux de croissance indiqués représentent l'évolution 2014/2013

### Les techniques de dialyse

Les techniques et lieux de traitement par dialyse ont été définis par décret. La notion de "modalité de traitement" associe le lieu et le type de traitement. Les modalités de traitement suivantes sont considérées :

1. **Hémodialyse en centre** : modalité d'épuration extra rénale avec présence médicale permanente. Elle regroupe les types de traitement suivants : hémodialyse conventionnelle, hémofiltration, hémofiltration et biofiltration.
2. **Hémodialyse en unité de dialyse médicalisée (UDM)** : modalité hors centre, sans nécessité de présence médicale permanente. Elle regroupe les mêmes types de traitement.
3. **Hémodialyse autonome** : modalité hors centre regroupant des patients autonomes en autodialyse simple, autodialyse assistée ou en hémodialyse à domicile.

L'autodialyse simple concerne les patients en mesure d'assurer eux-mêmes tous les gestes nécessaires à leur traitement (la pesée, la surveillance tensionnelle, la préparation du générateur de dialyse, le branchement et le débranchement du circuit de circulation extracorporelle et la mise en route de la désinfection automatisée du générateur en fin de séance). L'autodialyse assistée est proposée à des patients formés à l'hémodialyse, mais qui requièrent l'assistance d'un infirmier ou d'une infirmière pour certains gestes. Les unités d'autodialyse mettent à disposition moins de personnel que les autres structures de prise en charge, soit un infirmier pour huit patients (contre un pour quatre patients dans les centres et les unités de dialyse médicalisées) et aucun aide-soignant (contre un pour huit patients dans les centres).

4. **Dialyse péritonéale** : modalité de traitement à domicile avec ou sans assistance par une infirmière diplômée d'Etat ou un membre de l'entourage. Elle regroupe les différents types de dialyse péritonéale : DP continue ambulatoire, DP automatisée et DP intermittente.

<sup>4</sup> Publié en mars 2016.



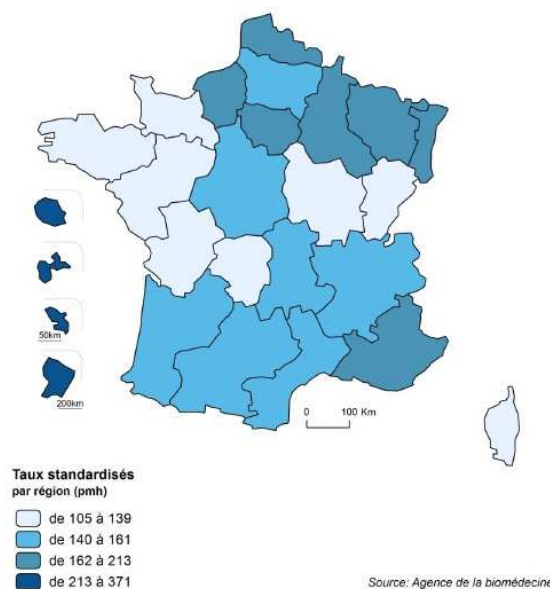
Au cours de sa vie, le patient atteint d'IRCT peut changer de technique, changer de lieu de traitement, être greffé, retourner en dialyse après un rejet de greffe, etc. si bien que, lorsqu'on observe la situation en dynamique, on s'aperçoit que l'on a souvent affaire à des parcours complexes, parfois même au cours d'une même année. Les données statiques fournies à une date donnée gommant en partie cette réalité, que les travaux menés par la HAS et l'Agence de Biomédecine ont davantage mis en évidence.

Il n'existe pas à proprement parler d'indications précises consensuelles par modalité de traitement. Les avis des professionnels sont partagés, et les pratiques varient notablement entre régions. Par exemple, certaines régions utilisent plus souvent la dialyse péritonéale pour les patients de plus de 75 ans ; à l'inverse, d'autres régions, comme la Basse-Normandie, utilisent plus souvent la dialyse péritonéale chez les patients de moins de 60 ans (source : rapport 2013 du registre Rein). Et en conséquence, globalement, les patients traités par dialyse péritonéale regroupent la même variabilité de profils de patients que pour les différentes modalités d'hémodialyse (centre, UDM, autodialyse et domicile).

## Incidence

En 2014, 10 375 personnes ont commencé une dialyse (dont 9 250 en hémodialyse et 1 125 en dialyse péritonéale), et 424 personnes ont reçu pour la première fois une greffe rénale sans avoir été dialysées auparavant (greffe préemptive).

### Taux d'incidence standardisée de l'insuffisance rénale terminale traitée par région (par million d'habitants) en 2014



La moyenne nationale (163 par million d'habitants en 2014) masque de larges variations entre régions, allant de 105 en Poitou-Charentes à 371 à la Réunion (en taux standardisés).

L'analyse des tendances a pu être effectuée sur 5 ans pour les 23 régions pour lesquelles les données sont jugées exhaustives sur cette période. L'incidence standardisée globale de l'IRCT traitée qui était stable entre 2009 et 2011, oscillant entre 154 et 161 par million d'habitants, tend à augmenter depuis 2011<sup>5</sup>, de 2,3% par an en moyenne. Cette tendance globale semble exister dans toutes les tranches d'âge à partir de 45 ans. Cette tendance à la hausse de l'incidence est plus importante chez les hommes que chez les femmes, et concerne principalement l'hémodialyse. A noter qu'elle est limitée à l'insuffisance rénale terminale (IRT) associée au diabète.

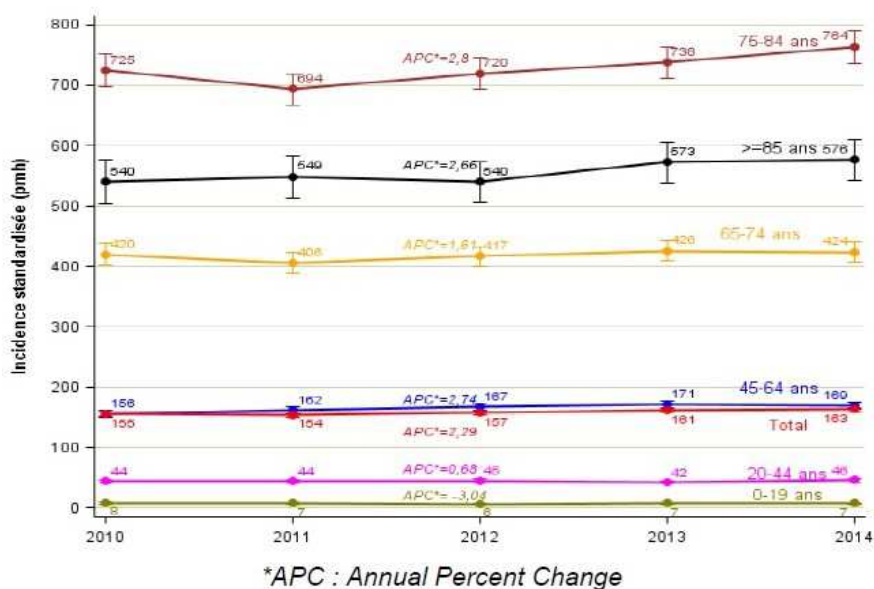
Le nombre de nouveaux patients ne cesse de croître, de plus de 12% entre 2010 et 2014. Environ la moitié de cette augmentation est directement attribuable à l'évolution de la taille et de la structure d'âge de la population ; toutefois, la part d'augmentation non expliquée par ces deux facteurs est de

<sup>5</sup> « A noter que le registre REIN n'enregistre que les patients avec une insuffisance rénale chronique terminale ayant démarré un traitement de suppléance. Les variations d'incidence secondaires à des changements d'indication de ces traitements autres que l'âge peuvent difficilement être analysées ».

17% pour l'IRT associée au diabète. « Limitée à l'IRT liée au diabète de type 2, elle [cette augmentation] reflète une insuffisance de détection et de prise en charge des complications rénales du diabète, comme cela a été souligné dans l'étude ENTRED ».

### Evolution de l'incidence standardisée de l'insuffisance rénale terminale traitée par tranche d'âge dans les 23 régions ayant contribué au registre de 2010 à 2014

(taux standardisés sur la population française au 30/06/2014, par million d'habitants)



Source : Agence de biomédecine / registre REIN

### Caractéristiques de la prise en charge des nouveaux patients dialysés

- La première modalité de traitement reste l'hémodialyse en centre (82%) et on n'observe pas de développement significatif de la dialyse hors centre (2,9% UDM, 4,3% en hémodialyse autonome, 10,8% en dialyse péritonéale).

Il existe par ailleurs de fortes variations régionales. Pour la dialyse péritonéale ainsi, on observe des taux élevés en Franche-Comté (26%), Bourgogne (20,7%), Basse-Normandie (19,3%), Alsace (18,9%). Dans 8 régions, 15% ou plus des patients débutent par la dialyse péritonéale, mais on observe moins de 5% en Guyane, Corse, Guadeloupe, Picardie, La Réunion.

- Ceci étant, la première modalité de prise en charge est souvent suivie d'une réorientation précoce vers une autre modalité, comme l'indiquent les chiffres 90 jours après le démarrage du traitement :
  - UDM : 10,1% versus 2,9% à J0
  - Hémodialyse autonome : 9,1% vs 4,3% à J0
  - dialyse péritonéale : 12,1% vs 10,8% à J0

Toutefois, à 90 jours, les patients restent majoritairement pris en charge en dialyse en centre (68,6% contre 82% à J0).

A noter là encore de fortes disparités régionales : le taux de patients pris en charge en centre à J90 est de 53% en Bourgogne (avec 23,9% en dialyse péritonéale, 18,7% en UDM, 4,3% en HD autonome) ; 55,2% en Bretagne (avec 12,8% en dialyse péritonéale, 14,8% en UDM, 17,1% en HD autonome) ; 55,8% en Franche-Comté (avec 26,8% en dialyse péritonéale, 13% en UDM, 4,3% en HD autonome) ; 57,9% en Rhône-Alpes (avec 17,6% en dialyse péritonéale, 11,5% en UDM, 13% en HD autonome)...

Il est constaté que les différences observées entre régions dans la répartition des patients entre modalités persistent après prise en compte de l'âge et du sexe.

La répartition des patients au démarrage de la dialyse montre une stagnation du pourcentage de patients en hémodialyse en centre, en UDM et en dialyse péritonéale parallèlement à une baisse des patients en hémodialyse autonome (autodialyse, domicile ou entraînement) sur les 5 dernières années.

- L'initiation du traitement en hémodialyse se fait en urgence dans 35% des cas (moins de 20% des patients de Bourgogne, Champagne-Ardenne, Corse et Lorraine contre 69% en Guyane), et 12% ont débuté leur traitement en réanimation (moins de 3% dans les régions Centre et Limousin, 17% à la Réunion), les taux nationaux étant orientés à la hausse.
- En hémodialyse, 20% des patients n'ont pas eu de consultation néphrologique préalable contre 6% des patients en dialyse péritonéale.

*« En hémodialyse, 42% des patients ayant démarré en urgence n'ont pas eu de consultation préalable, mais 36% ont eu 3 consultations ou plus. Parmi 3 475 patients ayant eu plus de 2 consultations préalables, 17% ont démarré l'hémodialyse en urgence alors que, parmi 1 959 n'ayant eu aucune ou ayant eu moins de 2 consultations préalables, 55% ont démarré l'hémodialyse en urgence. Ainsi, ce que l'on pourrait appeler un « bon suivi néphrologique » permet de limiter la prise en charge en urgence mais sans l'exclure, notamment du fait de décompensations aiguës (11% des patients sont pris en charge en urgence malgré plus de 6 consultations néphrologiques dans l'année qui précède la dialyse). »*

- L'âge à l'initiation de la suppléance est élevé, avec un âge médian égal à 71 ans. Il est nettement plus jeune dans les départements d'Outre-mer (63 à 68 ans) et en Île-de-France (67 ans).
- 43% des nouveaux malades ont un diabète à l'initiation du traitement de suppléance (tendance à la hausse), avec de fortes variations entre régions.

Il existe au moins une complication cardiovasculaire chez plus d'un malade sur deux.

22% des hommes et 29% des femmes sont obèses (IMC $\geq$ 30) avec une forte tendance haussière.

17% des patients ont une incapacité totale à la marche ou ont besoin de l'assistance d'une tierce personne pour se déplacer.

### **Prévalence**

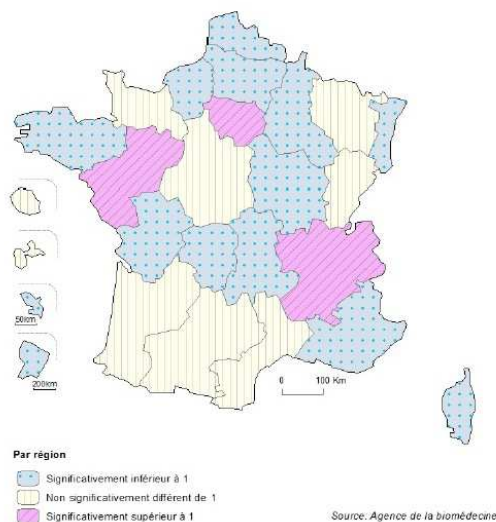
Au 31 décembre 2014, on dénombre pour l'ensemble des régions 79 355 personnes en traitement de suppléance dont 44 419 (56%) en dialyse et 34 936 (44%) porteuses d'un greffon rénal fonctionnel, soit une prévalence brute globale de l'insuffisance rénale terminale traitée (IRTT) de 1 194 patients par million d'habitants (+5% par rapport à l'année précédente).

Elle connaît des variations régionales importantes : 2 régions métropolitaines (Île-de-France, Nord Pas de Calais) et 4 régions d'outre-mer (Guadeloupe, Guyane, Martinique et la Réunion) ont une prévalence globale significativement plus élevée que le taux national, après standardisation par l'âge et le sexe.

La part des patients transplantés dans le total des patients prévalents varie de 32% dans le Nord-Pas de Calais à 53% en Pays de la Loire en métropole et de 16% à 26% dans les régions d'outre-mer. Le rapport des prévalences standardisées sur âge et sexe des patients greffés/dialysés est supérieur à 1 en Basse Normandie, Bretagne, Franche Comté, Pays de la Loire et Poitou-Charentes. En Alsace, Corse, Haute Normandie, Nord Pas de Calais, Picardie et PACA, ce rapport est inférieur à 0,7 et il est inférieur à 0,3 dans les régions d'outre-mer, reflet des grandes difficultés d'accès à la greffe dans ces territoires.

Les régions ayant la prévalence de la greffe la plus élevée sont l'Île-de-France (taux standardisé de 671 contre 525 pour la moyenne nationale), Rhône-Alpes (568), Pays de la Loire (554), reflétant l'importance des grands centres historiques de la greffe, Paris, Lyon et Nantes. La carte suivante illustre ces disparités.

Indice comparatif de prévalence de l'insuffisance rénale terminale traitée par greffe en 2014



Sur les 23 régions contribuant au registre depuis 2010, l'écart entre les taux standardisés de prévalence de l'IRTT par dialyse et par greffe diminue, la prévalence de la greffe augmentant de +4% par an entre 2010 et 2014 contre +3% pour la dialyse, du fait de l'augmentation du nombre annuel de greffes et de la meilleure survie des greffés ; par contre, le nombre de patients augmente de façon parallèle dans les deux groupes, du fait du vieillissement de la population.

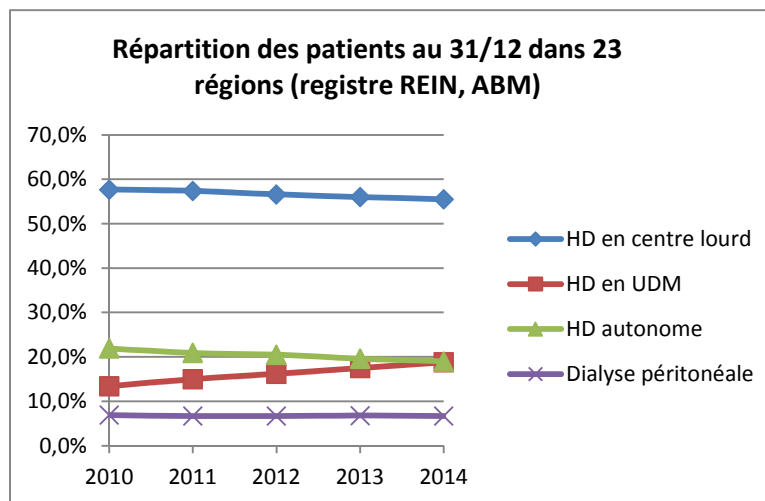
**Pour les patients dialysés**, l'âge médian est de 70,7 ans (contre 57 ans pour les patients greffés) ; 63% des patients ont plus de 65 ans et 40% ont plus de 70 ans. 39% des patients sont atteints de diabète, 59% sont porteurs d'au moins une pathologie cardiovasculaire associée.

En termes d'évolution, dans les 23 régions pour lesquelles on possède des données exhaustives depuis 5 ans, le nombre total de patients dialysés a augmenté de 15% entre 2010 et 2014, pendant que la prévalence standardisée a augmenté de 9%. On constate une forte tendance à la hausse de la prévalence chez les personnes de plus de 85 ans : +9,6%.

Globalement, la répartition au 31/12/2014 des différentes modalités de traitement est la suivante, France entière :

- Centre : 55,2%
- UDM : 18,9%
- Autodialyse : 18%
- Hémodialyse à domicile : 0,7% (avec deux cas particuliers : 3% en Basse-Normandie, 2,2% en Languedoc-Roussillon)
- Entraînement hémodialyse : 0,7%
- Dialyse péritonéale : 6,5%.

En évolution on constate que le recours à la dialyse péritonéale reste stable. Par contre, la part de l'hémodialyse autonome (autodialyse essentiellement) est en baisse au profit des prises en charge en UDM.



Source : Agence de biomédecine

La part de la dialyse péritonéale présente des variations régionales importantes : entre 2,7% en Aquitaine et 17,6% en Franche-Comté pour la France métropolitaine.

D'une manière générale, la part de la dialyse hors centre varie de 34% à 56% selon la région, et au sein de cet ensemble, la répartition diffère entre UDM, autodialyse et dialyse péritonéale. Certaines régions où se pratique peu la dialyse péritonéale, comme l'Aquitaine, Midi-Pyrénées, Centre ou les régions d'outremer, ont une proportion élevée de patients en autodialyse. Ceci suggère que ces modalités de traitements sont compétitives et s'adressent au même « pool » de patients.

En ce qui concerne la dialyse péritonéale, son utilisation selon l'âge varie d'une région à l'autre. *« Certaines régions utilisent la dialyse péritonéale à tout âge. D'autres semblent privilégier la dialyse péritonéale chez les personnes âgées (Alsace, Auvergne, Basse-Normandie, Bourgogne, Franche-Comté). Enfin, d'autres semblent également utiliser la dialyse péritonéale chez les jeunes, en pont vers la greffe (Champagne-Ardenne, Franche-Comté, Lorraine). Attention, dans ces régions, le turnover des malades traités en dialyse péritonéale peut être rapide du fait de l'accès rapide à la greffe rénale : ainsi, des chiffres bas en cas « prévalents » peuvent être liés soit à un accès rapide à la greffe, soit à une propension à peu utiliser la dialyse péritonéale ».*

Cette photographie ne doit pas masquer le fait que les prises en charge évoluent dans le temps et qu'il existe des flux de patients entre chaque modalité. Ainsi, on observe que *« un an après le démarrage en dialyse péritonéale, 67% des patients sont toujours dans cette technique, 8% sont en hémodialyse, 7% sont greffés et 16% sont décédés ».*

*« Une approche en termes de trajectoires des patients semblerait donc plus pertinente pour décrire ces traitements et pour évaluer les impacts d'éventuelles évolutions de l'offre de soins ou des pratiques médicales concernant l'orientation des patients vers telle ou telle modalité ».*

Le registre REIN permet aussi de suivre les hospitalisations pour un peu plus de 24 000 patients sur une durée médiane d'un an : 27% des malades n'ont pas été hospitalisés ; la durée médiane de l'ensemble des hospitalisations sur une année pour un patient est de 9 jours (moyenne : 19 jours).

## B. Disparités régionales d'accès à la greffe

### Accès à la liste d'attente

Le rapport REIN souligne les disparités entre régions en matière d'accès aux listes d'attente de greffe et d'accès à la greffe rénale, via une analyse de cohorte des nouveaux patients ayant démarré la dialyse dans la période 2009-2014 (57 565 patients ayant débuté un traitement de suppléance dans une des 26 régions, hors greffe préemptive).

*Pour l'ensemble de la cohorte, « la probabilité d'être inscrit pour la première fois sur la liste d'attente est de 19% à 12 mois, 27% à 36 mois et 29% à 60 mois. Chez les 15 362 nouveaux patients âgés de moins de 60 ans, ces probabilités sont de 50% à 12 mois, 68% à 36 mois et 71% à 60 mois.... La probabilité d'être inscrit était fortement liée à l'âge, mais également à la présence d'un diabète et au type de diabète. Les personnes âgées de plus de 60 ans, quel que soit leur statut diabétique ont un accès très limité à la liste d'attente. En présence d'un diabète de type 2, chez les patients âgés de 40 à 59 ans, cette probabilité d'être inscrit pour la première fois sur la liste d'attente d'une greffe rénale était de 47% même à 60 mois ».*

Le délai médian est de 5,4 mois.

Et ces différents paramètres varient fortement d'une région à l'autre. Ces disparités subsistent même en ne prenant en compte que les patients de moins de 60 ans : à 12 mois, le taux d'incidence cumulée d'accès à la liste d'attente de greffe pour ces patients varie entre 33%-35% (Nord-Pas-de-Calais, Alsace, Corse) et 61%-65% (Midi-Pyrénées, Île-de-France, Franche-Comté) en métropole, pour une moyenne nationale de 50%.

### Accès à la greffe

Au 31/12/2014, parmi les 59 645 nouveaux patients en IRCT de la cohorte, 9 170 patients (15,4%) ont reçu une première greffe de rein dans un délai médian de 13,2 mois ; hors greffes préemptives (à savoir 2 080 patients), le délai médian est de 18,2 mois depuis le démarrage de la dialyse.

La probabilité de bénéficier d'une première greffe rénale pour l'ensemble de la cohorte était de 8% à 12 mois, 18% à 36 mois et 23% à 60 mois. Chez les 16 842 nouveaux patients âgés de moins de 60 ans, ces probabilités étaient de 19% à 12 mois, 43% à 36 mois et 56% à 60 mois.

Et on observe là encore de fortes variations entre régions : hors DOM, le taux d'accès à la greffe (taux d'incidence cumulée) à 3 ans chez les moins de 60 ans est de 33% en Alsace, en Nord-Pas de Calais, ou en Centre-Nord, pour les taux les plus bas, et 61,3% en Bretagne, 58% en Pays de la Loire et en Poitou-Charentes, pour les taux les plus élevés.

Hors greffes préemptives, la probabilité d'être greffé est de 10% à 12 mois, 15% à 36 mois et 20% à 60 mois.

*« Pour les 9 170 nouveaux patients transplantés au moins une fois au cours de la période 2009-2014 (greffes préemptives inclus), le délai médian d'attente d'une greffe rénale, constitué par le délai médian avant l'inscription plus le délai d'attente sur la liste, a varié d'une région à l'autre. Ces délais médians sont de 1,4 et 10,6 mois respectivement pour l'ensemble des régions, et 17,1 mois pour le temps médian d'accès à la greffe ».*

*« La Franche-Comté, l'Île de France, les Pays de Loire et Rhône-Alpes avec une médiane à 0 pour le délai avant inscription ont respectivement des taux d'inscription préemptive de 22,5%, 23%, 38,9% et 28% ».*

*« Ces indicateurs d'accès à la liste d'attente et à la greffe rénale montrent une grande diversité des pratiques d'une région à l'autre, fruit des habitudes et de l'historique de l'offre de soins... La greffe rénale est associée à de meilleurs résultats en termes de durée de vie et de qualité de vie pour un moindre coût pour ceux qui peuvent en bénéficier. L'accès à la liste d'attente et l'accès à la greffe rénale sont deux étapes sensibles dans le parcours de soins des malades. Les disparités d'accès à la liste d'attente soulèvent des questions importantes, et en particulier celle de l'absence d'homogénéité des critères d'inscription des patients sur l'ensemble du territoire français... Le rôle important de l'âge et des co-morbidités sur l'accès à la liste d'attente laisse penser que l'on oriente vers la greffe les malades susceptibles d'avoir les plus longues durées de vie après greffe. Ceci se comprend dans un contexte de pénurie d'organe. Mais une sélection trop "utilitariste" des malades pour la greffe rénale peut laisser de côté des malades qui auraient avec la greffe un gain de survie conséquent par rapport à la dialyse. Elle soulève aussi la question de l'équité d'accès aux soins » (rapport REIN 2014).*



Et d'ailleurs, dans le cadre des Etats généraux du rein, les patients ont exprimé la volonté d'un accès plus large à la liste d'attente. C'est pourquoi la HAS a publié, sur ce thème, une recommandation de bonne pratique en octobre 2015, pour réduire les inégalités d'accès à la transplantation rénale en France, observant que : « *Certains patients ont un accès limité à la liste - qu'il s'agisse des personnes de plus de 70 ans ou celles présentant des comorbidités particulières telles que le diabète ou l'obésité – particularités qui ne peuvent à elles seules justifier un refus d'inscription sur la liste. Les femmes sont aussi sous-représentées sur la liste d'attente : une femme a en effet 30% de chance en moins d'être inscrite qu'un homme, à âge, maladies associées et statut professionnel égaux. Au moins 1 800 patients non-inscrits aujourd'hui pourraient être en perte de chance* ».

La HAS rappelle dans son document les indications de la greffe et souligne que l'âge, le diabète ou l'obésité ne sont pas des contre-indications à la greffe. Parmi les recommandations est soulignée la nécessité d'informer les patients, de façon précoce et tout au long de la procédure. Il faut « *s'assurer que le patient est un acteur dans le choix de son inscription sur la liste car près d'un sur deux exprime explicitement ne pas avoir eu le choix ou ne pas avoir eu connaissance des différentes alternatives* ».

Ces phénomènes sont, en outre, sources de disparités sociales dans l'accès à la greffe comme le présente une récente publication<sup>6</sup>. Quels que soient la tranche d'âge et le sexe, les personnes dialysées sont moins diplômées que les personnes greffées. « *À chaque étape de la maladie, une dynamique cumulative conduit les patients les moins diplômés à être en situation de désavantage pour bénéficier d'une greffe de rein* ».

### C. L'activité de transplantation rénale

3 241 transplantations rénales ont été réalisées en France en 2014, nombre en forte augmentation par rapport à l'année précédente (+5,1%) ; sur ce total, 82% (2 664) ont été effectuées à partir de donneurs en mort encéphalique, 2% (54) avec donneur décédé après arrêt cardiaque non contrôlé et 16% (514) avec un donneur vivant.

En 2015, on atteint 3 486 transplantations rénales (+7,9%), dont 547 à partir de donneurs vivants.

En 2014, les retransplantations représentent 18,5% de l'activité. Les greffes préemptives (sans passage par la dialyse) représentent 13% de l'activité. Parmi ces greffes préemptives, 39% l'ont été à partir d'un donneur vivant.

La part de greffe réalisée à partir d'un donneur vivant est en augmentation régulière, sous l'impulsion des politiques menées en ce sens, le taux ayant évolué de 7,9% en 2009 à 13% en 2013, 16% en 2014 et en 2015.

Cette activité est cependant variable d'une région à l'autre : d'après le rapport REIN 2014, deux régions n'ont fait aucune greffe de donneur vivant (Picardie, La Réunion) alors que dans deux régions, Lorraine et Midi-Pyrénées, elle représente plus de 25% du nombre total de greffes. Par rapport à l'activité constatée dans d'autres pays, même si cette activité a beaucoup progressé en France, on peut considérer qu'il existe encore une marge de progression. Par exemple, les donneurs vivants représentent 54% des greffes aux Pays-Bas ou 33% au Royaume-Uni. Des recommandations de la HAS précisent les conditions sous lesquelles le recours aux donneurs vivants peut être développé.

La part des retours de greffe augmente depuis 2010, atteignant 9% des nouveaux patients mis en dialyse en 2014. Toutefois, il faut souligner que la survie des greffons présente une amélioration avec le temps, la survie à 5 ans observée sur les cohortes de patients greffés étant passée de 68,2% pour la cohorte 1986-1990 à 80% pour la cohorte 2006-2008. A noter aussi que, pour l'ensemble de la cohorte 1993-2013, la survie des greffons est significativement meilleure pour les greffes à partir de

---

<sup>6</sup> C. Baudelot, Y. Caillé, O. Godechot, S. Mercier, Maladies rénales et inégalités sociales d'accès à la greffe en France, Population, 2016, 71(1), 23-52.

donneur vivant avec à 10 ans un taux de survie de 77,4% contre 61,6% pour les greffes avec donneur décédé.

Pour l'ensemble de la cohorte, la médiane de survie du greffon est de 14 ans.

Au total, malgré l'augmentation de l'activité de greffe, en raison des données épidémiologiques, la pénurie s'aggrave et 11 711 personnes étaient en attente d'un greffon au 1<sup>er</sup> janvier 2015 contre 9 864 au 1<sup>er</sup> janvier 2013 et 10 775 au 1<sup>er</sup> janvier 2014.

## D. Planification de l'offre de dialyse

Jusqu'en 2002, le secteur était régi par un double système d'autorisation : une autorisation de l'activité de soins et une autorisation portant sur les générateurs d'hémodialyse, au titre des équipements lourds, avec fixation d'un indice de besoin national.

En 2001, le plan « insuffisance rénale chronique » s'est accompagné de la suppression de l'indice national de besoin et la définition d'une nouvelle réglementation relative aux conditions d'implantation et aux modalités de fonctionnement des installations pour les établissements de santé qui exercent cette activité de soins.

Les deux décrets publiés le 23 septembre 2002, décret en Conseil d'État n°2002-1197 et décret n°2002-1198, définissent ce nouveau cadre réglementaire de l'activité de traitement de l'IRCT par épuration extrarénale et les conditions techniques de fonctionnement des établissements qui exercent cette activité.

Pour chacune des modalités de traitement, le dispositif réglementaire précise les conditions techniques de fonctionnement (modalités d'installation de la structure de soins, présence médicale et astreinte, nombre d'IDE par patient, fréquence des visites et consultations, organisation des replis).

L'organisation et l'implantation des activités de dialyse sont régies par les SROS, en vertu des principes suivants :

- proposer une offre de soins graduée permettant de prendre en charge globalement le patient et de répondre à toutes les étapes de sa trajectoire de soins ;
- prendre en charge des patients en dialyse médicalisée et développer les UDM ainsi que les alternatives à la dialyse en centre (dialyse à domicile en particulier, par dialyse péritonéale ou hémodialyse) ;
- implanter, *a minima*, une unité saisonnière en structure médicalisée ;
- participer à l'atteinte des objectifs fixés dans le projet médical de territoire, notamment par l'information et l'orientation du patient.

Les derniers SROS élaborés dans le cadre des PRS, ont introduit de nouveaux objectifs : recours à la télémédecine, afin de développer la dialyse hors centre, en particulier dans les UDM. Les UDM sont adaptées aux patients âgés, plus dépendants, souvent polypathologiques qui ne peuvent plus être pris en charge en autodialyse.

La Cour des comptes souligne, dans son rapport 2015, que le développement des capacités de dialyse a été porté avant tout par les structures les plus lourdes, comme l'indique le tableau suivant (source SAE / Cour des comptes), eu égard au fait que de nombreuses UDM sont adossées à des centres lourds :

	2004	2012	%
Centre	255	278	+9%
UDM	23	157	+583%
Unités d'autodialyse	115	124	+8%



Le thème de l'insuffisance rénale chronique est intégré dans le programme de gestion du risque des ARS<sup>7</sup>, avec deux objectifs principaux :

- conforter et renforcer la greffe rénale, en réduisant les inégalités d'accès observées entre régions ;
- développer les prises en charge en dialyse hors centre, de proximité, en renforçant en particulier deux modalités : la dialyse péritonéale, et l'UDM non adossée à un centre fonctionnant en particulier par télé-médecine pour renforcer son autonomie<sup>8</sup>.

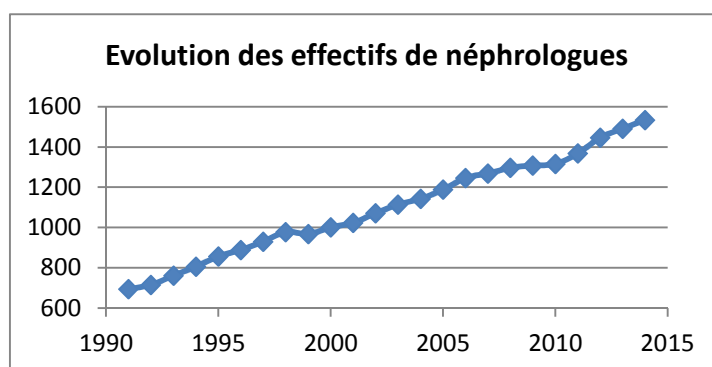
Des taux cibles sont fixés sur les différents paramètres pour chaque région, basés sur l'état des lieux.

Il est enfin souligné que c'est l'ensemble de la prise en charge de l'IRCT qui est concerné par ce programme, y compris les dimensions de prévention et de dépistage.

## E. La démographie des néphrologues

D'après les données publiées par la DREES, on comptait en 2015 1 613 néphrologues, dont 318 libéraux exclusifs, 170 en exercice mixte, 958 salariés hospitaliers et 167 salariés non hospitaliers.

La démographie des médecins néphrologues est en hausse constante :

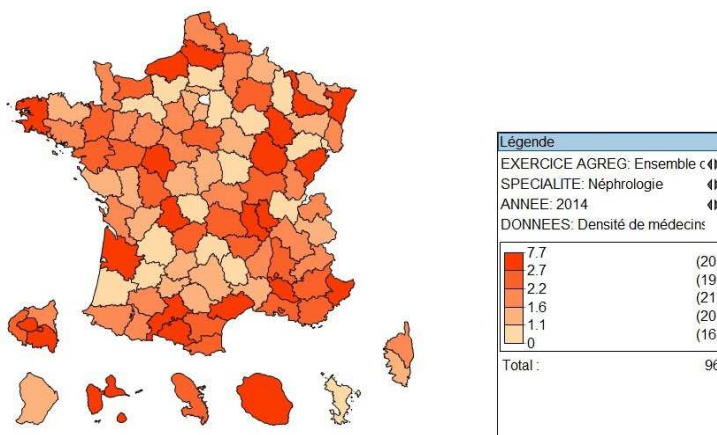


Sources : DREES/Adeli, RPPS, graphique construit à partir d'Ecosanté – France entière, salariés+libéraux

En corollaire, la densité pour 100 000 habitants a augmenté, passant de 1,19 en 1991 à 2,33 en 2014.

Des problèmes locaux d'adéquation entre offre de néphrologues et besoins des patients peuvent, toutefois, exister en raison de la disparité de la densité sur le territoire :

### Densité des néphrologues par département, au 1<sup>er</sup> janvier 2014 (DREES/RPPS)



<sup>7</sup> Instruction n° DGOS/R3/DSS/ MCGR/ 2012/52 du 27 janvier 2012 relative au Programme de gestion du risque sur l'insuffisance rénale chronique terminale.

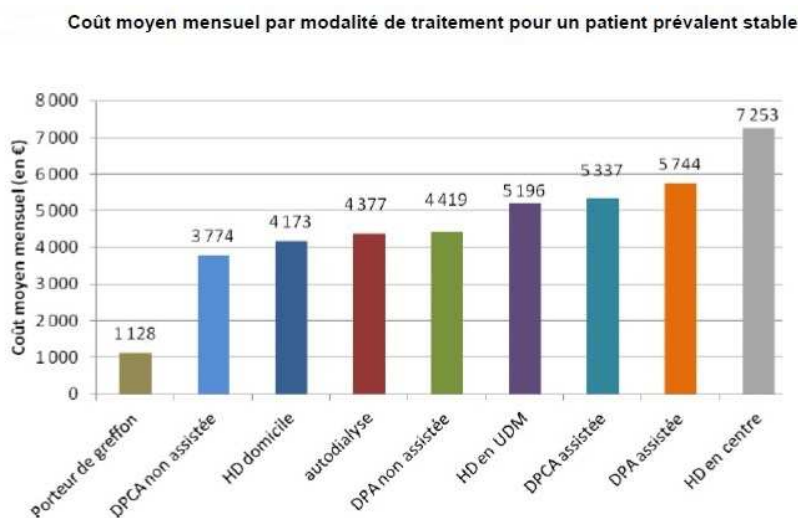
<sup>8</sup> Sur le plan réglementaire, l'UDM est traitée de la même manière qu'elle soit adossée à un centre ou non ; cela pourrait être reconsidéré, compte-tenu du partage de coûts fixes et de compétences dont bénéficie l'UDM adossée à un centre.

## F. Impact sur les dépenses d'assurance-maladie

En France, l'Assurance maladie a estimé le coût de la prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT) à plus de 4 milliards d'euros dans une étude réalisée sur l'année 2007, en projetant un coût de 5 milliards d'euros d'ici 2025, du seul fait du vieillissement de la population, sans prendre en compte l'augmentation de la prévalence standardisée<sup>9</sup>.

Une étude de coût actualisée a été réalisée par la HAS et l'Agence de biomédecine en exploitant les données du SNIIRAM chaînées au PMSI pour l'année 2009.

Le graphique suivant indique le coût mensuel par modalité de traitement pour un patient prévalent stable (démarrage du traitement avant le début de la période de l'étude et au moins 75% du temps de traitement passé dans la même modalité ; patients de plus de 18 ans) :



Note : Le coût de l'intervention pour transplantation n'est pas inclus pour les patients porteurs de greffon

Sources : CNAMTS, HAS, Agence de biomédecine

Le coût moyen mensuel correspondait pour plus de 50% au traitement de suppléance lui-même, excepté pour les modalités de DP assistée du fait de l'importance du poste « soins infirmiers » (26% pour la DPA et 37% pour la DPCA). A souligner aussi l'importance du poste « transports » pour les modalités d'hémodialyse (près de 20% du coût total mensuel, excepté pour l'HD domicile)<sup>11</sup>.

En 2013, d'après les données du régime général (source CNAMTS - rapport de la Cour des comptes 2015), le coût annuel d'un patient est en moyenne de 44 880 €, variant considérablement selon les modes de prise en charge : 14 700 € pour un porteur de greffon contre 65 091 € pour une personne dialysée, sachant que pour la première année de greffe, il faut prendre en compte le coût de la greffe elle-même (75 270 €).

Ces disparités tiennent à la fois aux caractéristiques différentes des patients, les patients en centre nécessitant en règle générale des soins plus lourds, aussi bien pour le problème rénal que pour les comorbidités, et aux choix d'orientation dans les différentes modalités, dont on a vu qu'ils présentaient de fortes disparités régionales.

<sup>9</sup> Blotière PO, Tuppin P, Weill A, Ricordeau P, Allemand H. Coût de la prise en charge de l'IRCT en France en 2007 et impact potentiel d'une augmentation du recours à la dialyse péritonéale et à la greffe. *Nephrol Ther* 2010;6(4):240-7.

<sup>10</sup> Dans le rapport sur les Charges et Produits pour l'année 2015, la CNAMTS évalue à 3,5 Mds € les dépenses de prise en charge pour l'IRCT pour le régime général en 2012. Les dépenses ont augmenté de 4,9% entre 2010 et 2012, le nombre de malades ayant progressé de 4,5%.

<sup>11</sup> A noter que la Cour des Comptes réalise en 2016 un travail sur le coût des transports médicaux qui inclut la problématique de la dialyse.

Aussi, il semble qu'on puisse envisager d'améliorer l'efficacité des prises en charge. La HAS et l'Agence de biomédecine ont réalisé dans cet esprit une analyse médico-économique des stratégies de prise en charge de l'IRCT (octobre 2014). La HAS observe que, « *en l'absence de recommandations établies d'orientation des patients entre les modalités de traitement en fonction d'un profil par âge, comorbidités et facteurs de risque, l'hétérogénéité des pratiques en France et à l'étranger tendent à démontrer l'existence de marges de manœuvre dans l'évolution de la prise en charge des patients traités pour IRCT* ».

L'étude réalisée visait à comparer les stratégies de prise en charge en tenant compte des modifications au cours du temps dans les trajectoires de soins des patients entre les différentes modalités de traitement, par modélisation, sur un horizon temporel de 15 ans.

Selon cette modélisation, le coût moyen de prise en charge d'un patient en IRCT sur les 15 premières années après le démarrage d'un traitement de suppléance variait de 2 736€ par mois pour les jeunes de 18 à 45 ans non diabétiques à 7 045€ par mois pour les personnes âgées de plus de 70 ans diabétiques (coûts actualisés).

Les principaux enseignements de ces travaux sont les suivants :

- Les axes de développement de la transplantation rénale (donneurs vivants et/ou donneurs décédés) constituent une stratégie efficace pour tous les sous-groupes de patients (quelle que soit la tranche d'âge, diabétiques ou non).
- Les alternatives à l'hémodialyse en centre peuvent faire l'objet de plusieurs stratégies, testées dans le modèle économique :
  - A domicile :
    - Patients pouvant prendre en charge leur traitement : dialyse péritonéale non assistée comme modalité de démarrage avec un transfert préparé en hémodialyse, hémodialyse à domicile,
    - Patients ne pouvant pas prendre en charge leur traitement : dialyse péritonéale assistée comme modalité de démarrage du traitement avec un transfert programmé en UDM.
  - En dehors du domicile :
    - Patients pouvant prendre en charge leur traitement : unité d'autodialyse,
    - Patients ne pouvant pas prendre en charge leur traitement : UDM ou UDM de proximité.

Tout en étant moins efficaces que la transplantation rénale, ces stratégies sont néanmoins moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques actuelles, pour une efficacité similaire (sauf dans le cas des UDM où la situation dépend des caractéristiques des sous-groupes de patients).

#### **Les conditions à remplir pour une prise en charge en dialyse à domicile**

Il est rappelé dans cette étude que certaines conditions de faisabilité doivent être remplies pour une prise en charge en dialyse à domicile :

- Information précoce des patients : l'information sur les différents traitements de suppléance permet aux patients un choix éclairé en amont du démarrage.
- Formation des patients : cela nécessite la mise en place de structures de formation dans lesquelles exercent des professionnels de santé dédiés.
- Impact sur l'entourage : le traitement à domicile doit être discuté en fonction de l'entourage des patients et de sa capacité à supporter les conséquences liées au stockage de grandes quantités de consommables et de déchets à domicile. La disponibilité d'un proche est une condition indispensable lors des séances d'hémodialyse à domicile.

- Suivi et repli : une augmentation importante de patients à domicile doit prendre en considération la capacité des équipes à suivre une importante file active à domicile. Son développement doit être accompagné par la formation de professionnels de santé dédiés à ces prises en charge, la constitution d'équipes formées aux deux techniques d'épuration afin d'assurer la bonne transition de l'une à l'autre ainsi que l'organisation des transferts préparés en hémodialyse et des replis en urgence en hospitalisation ou sur des postes de dialyse en centre.
- La disponibilité d'infirmières pouvant intervenir au domicile : le développement de la DP assistée nécessite l'accompagnement d'infirmières formées pouvant intervenir à domicile plusieurs fois par jour, 7 jours sur 7. La disponibilité d'équipes soignantes formées se déplaçant au domicile, à l'image de ce qui se pratique pour la dialyse péritonéale, pourrait, dans le cadre de l'HD à domicile, apporter au minimum une assistance à la ponction de la voie d'abord.

Cette étude rappelle enfin qu'il faut tenir compte de la réticence de certains néphrologues et des autres professionnels de santé au développement de ces stratégies : technique peu pratiquée, réticence à traiter au domicile une personne fragile, faible valorisation de cette activité chronophage.

(Source HAS)

## 2. Les problématiques d'organisation des soins et d'efficience

Ces données permettent d'identifier les trois problèmes principaux concernant la prise en charge de ces patients, problèmes connus et documentés depuis de nombreuses années.

### A. L'accent n'est pas assez mis sur la prévention de l'IRC terminale et le dépistage précoce.

Le diagnostic est encore trop souvent tardif, avec un retard du recours au néphrologue et un taux élevé d'entrée en dialyse en urgence. Les conséquences de ce retard sont une augmentation de la comorbidité et de la mortalité dans la première année de dialyse, un surcoût lié entre autres à la durée d'hospitalisation, et une moins grande fréquence d'accès aux alternatives à la dialyse en centre<sup>12</sup>.

Les patients devraient être plus largement dépistés par le médecin traitant, dès qu'ils présentent des facteurs favorisant, et plus précocement adressés au néphrologue dès la mise en évidence d'une insuffisance rénale chronique.

Une analyse de la CNAMTS<sup>13</sup> indique qu'un quart des patients entrant en dialyse n'a pas eu de contact avec un néphrologue dans les 12 mois précédant la dialyse. Et pour les patients commençant une hémodialyse comme premier mode de suppléance, 60% n'ont pas eu de fistule créée au moins un mois avant leur première dialyse comme cela est recommandé.

Outre une préparation à la suppléance dans de bonnes conditions d'information, et en préservant l'état général du patient, un recours plus précoce au spécialiste serait de nature à retarder la survenue de l'IRC terminale et augmenter la durée de vie sans dialyse. En particulier chez le patient diabétique, un suivi optimal pourrait permettre de retarder de plusieurs années le traitement de suppléance. La CNAMTS observe à cet égard que « *la détection précoce des atteintes de la fonction rénale reste en effet insuffisante chez ces patients: si 80% bénéficient d'un dosage annuel de la créatinine, seulement 30% ont un dosage de micro-albuminurie (une augmentation très faible de l'albumine dans les urines étant la première manifestation décelable de la néphropathie diabétique et donc permettant la détection la plus précoce). C'est pourquoi une campagne de sensibilisation des médecins traitants sur la prévention et le dépistage de l'IRC a été réalisée à partir de mi 2012 par les délégués de l'Assurance maladie (DAM) et les médecins conseil, sur la base d'un memo validé par la HAS (près de 22 000 visites sur le suivi du diabète ont été réalisées sur 2012 et 2013). Dans le cadre du*

<sup>12</sup> C. Maynard, D. Cordonnier, Le recours tardif des diabétiques insuffisants rénaux aux néphrologues a un coût humain et financier très élevé, *Diabetes Metab.* 2001, 27, 517-521

<sup>13</sup> Rapport 2016 sur les Charges et Produits, CNAMTS, juin 2015.

*programme d'accompagnement Sophia pour les patients diabétiques, l'importance de cet examen annuel de contrôle de la fonction rénale est aussi rappelée aux assurés »<sup>14</sup>.*

Les mesures à prendre sont multiples : information du patient et éducation thérapeutique, amélioration de l'observance, régime approprié, prise en charge des facteurs de risque cardiovasculaire, sans oublier l'accent sur ce thème dans les programmes de formation continue des médecins (et pourquoi pas inscrire un indicateur de suivi de la fonction rénale dans la grille de paiement à la performance des médecins traitants) et la mobilisation d'autres professionnels de santé : laboratoires de biologie (pouvant mettre en place un système d'alerte vers le patient et le médecin prescripteur au regard des valeurs de créatininémie), pharmaciens (pour alerter sur les risques de néphrotoxicité de médicaments acquis dans le cadre d'une automédication),...

## **B. La prise en charge la plus efficiente est la greffe, mais le nombre de patients en attente de greffe est en croissance continue.**

Par rapport à la dialyse, la transplantation rénale est associée à de meilleurs résultats en termes de durée de vie et de qualité de vie pour un moindre coût. *« L'espérance de vie des patients dépend fortement de leur traitement de suppléance. Ainsi, un patient greffé âgé de 30 ans a une espérance de vie moyenne de 31 ans, contre 17 ans pour un patient dialysé du même âge. Les patients greffés ont globalement un taux de mortalité très inférieur à ceux des patients en dialyse, cela étant lié autant à la greffe qu'à la sélection des patients (biais d'indication). Ainsi, entre 60 et 69 ans, pour 1000 patients dialysés en 2013, 134 sont décédés dans l'année, contre 29 pour 1000 patients du même âge porteurs d'un greffon rénal fonctionnel »* (rapport REIN 2013).

Mais elle plafonne faute de greffons ; pourtant, la pénurie de greffons n'est pas une fatalité ; d'autres pays greffent davantage que la France, et il suffit d'observer les différences inter-régionales pour constater que des régions ont davantage porté l'accent sur la greffe que d'autres. Le taux de greffe rénale par million d'habitants en 2010 était de 44,7 en France, et de nombreux pays ont des taux supérieurs (source : Plan Greffe 2012) : 53,7 en Norvège, 53,6 au Portugal, 53,2 aux Etats-Unis, 52,2 aux Pays-Bas, ces pays (à l'exception du Portugal) ayant un fort taux de greffes à partir de donneurs vivants. Du reste, les régions de France métropolitaine les plus performantes dépassent ces taux : 66 en Limousin, 62,4 en Île-de-France, 57,5 en Rhône-Alpes,... (source : EcoSanté/ABM).

Dans un contexte de pénurie d'organes, plusieurs types d'obstacles organisationnels sont identifiés dans l'activité des centres transplantateurs : la coordination des acteurs, les incitations à participer à l'activité de prélèvement et de greffe (pénibilité de l'activité, réglementation sur le temps de travail). Là encore, l'observation des disparités territoriales indique que des efforts plus conséquents pourraient être réalisés par les territoires ayant de faibles taux de recensement des donneurs potentiels.

A noter qu'il est observé aussi un taux élevé (et stable) de refus des familles (environ 1/3 des cas, alors même que d'après les sondages réalisés par l'Agence de biomédecine, 82% des Français sont favorables au don d'organe). Les campagnes de sensibilisation réalisées régulièrement par l'Agence de biomédecine ne font pas baisser ce taux. La Cour des comptes propose sur ce sujet de se fixer un objectif collectif de réduction de moitié du taux de refus.

La loi de modernisation de la santé votée en décembre 2015 prévoit une évolution de la procédure (article 192) en précisant que le *« prélèvement peut être pratiqué sur une personne majeure dès lors qu'elle n'a pas fait connaître, de son vivant, son refus d'un tel prélèvement, principalement par l'inscription sur un registre national automatisé prévu à cet effet. Ce refus est révocable à tout moment »*. Il est aussi précisé que le médecin informe les proches du défunt. L'avenir dira si cette nuance apportée dans la législation permettra d'accroître le taux de prélèvements. L'option, un moment envisagée, de faire de ce registre le moyen exclusif d'expression du refus, afin de se passer

---

<sup>14</sup> Rapport 2015 sur les Charges et Produits, CNAMTS, juin 2014.

de l'avis des familles, n'a finalement pas été retenue ; le registre ne sera que le moyen « principal ». Il paraissait impossible de se passer d'une consultation des proches avant l'acte de prélèvement. Un décret en Conseil d'Etat, publié au plus tard le 1<sup>er</sup> janvier 2017, devra fixer les autres moyens de faire connaître son opposition.

Ce sujet est éminemment complexe, où se mêlent, dans un contexte douloureux de deuil et de méconnaissance des volontés du défunt, des sentiments contrastés : sont mis en avant les dimensions de solidarité et de générosité du don, mais les familles se trouvent aussi en situation de défense, face à une violation de l'intimité et de la dignité du corps de leur proche. Il s'agirait d'éviter au maximum d'avoir à évoquer cette décision au moment même du décès, et de promouvoir la généralisation de consignes anticipées sur le thème du prélèvement d'organes, par des campagnes de communication appropriées, une sensibilisation à ce sujet via des témoignages, des récits de vie transformée par la greffe, le don d'organes étant même de nature à donner du sens à une mort malheureusement inéluctable.

Par ailleurs, l'augmentation de la file active de patients porteurs d'un greffon fonctionnel se heurte à des problèmes de disponibilité des équipes de néphrologues dans les centres transplantateurs ; une réorganisation du suivi de la file active des patients porteurs d'un greffon s'impose.

Le développement important de la transplantation rénale a également comme répercussion l'augmentation du nombre de transferts de patients en dialyse lorsque le greffon n'est plus fonctionnel, constituant une contrainte organisationnelle supplémentaire.

### **C. Les prises en charge autonomes non seulement ne se développent pas mais sont même orientées à la baisse dans certaines régions**

*« La France avec 7% de patients en dialyse péritonéale parmi les patients dialysés se situe devant le Japon, les USA et l'Allemagne mais derrière les autres pays européens, en particulier les pays scandinaves et la Grande-Bretagne »* (rapport REIN 2013). Le tableau suivant, établi par la CNAMTS (rapport sur les Charges et Produits 2015), illustre les disparités de développement de la dialyse à domicile dans différents pays.

*« La majorité des pays pratiquent à la fois la dialyse péritonéale et l'hémodialyse à domicile ; toutefois la part de l'hémodialyse parmi les dialyses à domicile reste très faible, sauf en Nouvelle-Zélande et en Australie, où respectivement 27% et 10% des hémodialysés sont pris en charge à domicile ». Et la CNAMTS conclut que, « dans les pays où, comme en France, la dialyse en centre est plus avantageuse sur le plan financier pour les offreurs de soins (Belgique, USA), la dialyse à domicile a du mal à se développer. »*

Aussi, depuis plusieurs années, la politique des pouvoirs publics vise-t-elle à limiter l'hémodialyse en centre au profit du développement de la transplantation rénale et d'une expansion de la prise en charge en dialyse hors centre et à domicile, en recherchant la meilleure adéquation entre la situation des malades (pathologie, gravité, âge, contexte socio-économique...) et leur orientation dans le système de prise en charge. Mais force est de constater qu'à ce jour, au regard des données quantitatives, cette politique n'a pas encore porté ses fruits.

A titre illustratif, on peut faire référence à des travaux menés dans les années 1990 par la Société de néphrologie, à travers la rédaction d'un Livre blanc. Le registre européen ERA-EDTA, bien qu'imparfait, permettait de déterminer les effectifs de patients. Au 31/12/1993, on enregistrait 30 700 patients en IRCT, soit une prévalence de 541 par million d'habitants. 49% des patients étaient traités en centre conventionnel ou en autodialyse (la modalité UDM n'existait pas encore), 4,3% en hémodialyse à domicile, 5,4% en dialyse péritonéale et 41% étaient porteurs d'un greffon fonctionnel. Les proportions équivalentes en 2013, détaillées plus haut, sont : 51,7% en centre, UDM ou autodialyse ; 0,3% en hémodialyse à domicile (modalité qui a donc quasiment disparu) ; 3,7% en dialyse péritonéale ; 44,2% avec un greffon fonctionnel. Le vieillissement de la population des



patients et l'augmentation des proportions de comorbidités, incontestables, n'expliquent pas totalement cette absence d'orientation des pratiques vers les modalités privilégiées par les pouvoirs publics, puisqu'on constate, à travers l'analyse des disparités régionales, que certaines régions (parmi celles où le vieillissement est pourtant très important comme le Limousin) arrivent à s'écarter de cette tendance nationale moyenne.

Pays	Développement de la dialyse à domicile
Nouvelle Zélande	52 % des dialysés sont pris en charge à domicile, dont 33 % en dialyse péritonéale et 19 % en hémodialyse. L'hémodialyse à domicile représente 27 % des hémodialyses totales. (2011)
Australie	29 % des patients dialysés sont pris en charge à domicile, dont 21 % en dialyse péritonéale et 8 % en hémodialyse. Les patients hémodialysés à domicile représentent 10 % de l'ensemble des hémodialysés. 70 % des hémodialysés à domicile bénéficient d'une dialyse nocturne. (2011)
Suède	25 % des patients dialysés sont pris en charge à domicile, dont 22 % en dialyse péritonéale et 3 % en hémodialyse, et 75 % sont en hémodialyse en centre. (2010)
Pays-Bas	21 % des patients dialysés sont pris en charge à domicile, dont 18 % en dialyse péritonéale et 3 % en auto hémodialyse. (2010)
Canada	En moyenne, 20 % des dialysés canadiens sont en dialyse à domicile, dont 19 % en dialyse péritonéale et 1 % en auto hémodialyse. Selon la Province, le taux de dialyse à domicile varie entre 12 et 32 %. (2010)
Angleterre	19 % des patients dialysés sont dialysés à domicile, dont 14,2 % en auto dialyse péritonéale, 1,3 % en dialyse péritonéale assistée et 3,5 % en hémodialyse. (2011)
Belgique	10 % des dialysés sont pris en charge à domicile, 66 % en hémodialyse en centre médicalisé hospitalier et 24 % en centre satellite. (2009)
Italie	10 % des dialysés sont en dialyse péritonéale, 90 % en hémodialyse en centre (2010)
Autriche	9 % des patients sont en dialyse péritonéale, 91 % en hémodialyse en centre (2010). <i>L'hémodialyse à domicile n'ayant commencé qu'en 2011, il n'y a pas encore de relevés statistiques disponibles à ce sujet.</i>
USA	10 % des dialysés sont pris en charge à domicile, dont 9 % en dialyse péritonéale et 1 % en auto hémodialyse. (2010)
Portugal	7 % des patients sont en dialyse péritonéale à domicile, 93 % en hémodialyse en centre. (2011)
Allemagne	6 % des patients sont dialysés à domicile, dont 5 % en dialyse péritonéale et 1 % en hémodialyse. (2011)

Sources du tableau : Allemagne : rapport qualité de la dialyse 2010 ; Angleterre, Italie, Portugal, Suède : ministères de la santé ; Australie et Nouvelle-Zélande : système d'information sur la dialyse « ANZDATA » ; Autriche : rapport du Fonds hospitaliers de la Styrie, données Autriche entière ; Belgique : KCE ; Canada : plan dialyse Colombie - Britannique ; USA : rapport au Congrès, mars 2011.

Il faut voir dans ce relatif échec l'absence de maîtrise des principaux facteurs de blocage. Les outils réglementaires et tarifaires mobilisés ne semblent pas suffisants pour lever ces obstacles. De fait, les incitatifs actuels, notamment tarifaires, sont plutôt en faveur de la prise en charge en centre de dialyse<sup>15</sup> et en unités de dialyse médicalisées (UDM), au détriment des autres modalités, même si les établissements sont tenus de proposer les diverses modalités possibles.

Il faudrait, dans l'esprit des décrets de 2002, lever les clivages entre les modes de prise en charge, favoriser la continuité des soins par la même équipe néphrologique, même s'il faut prendre garde à l'équilibre économique des acteurs associatifs en place.

D'autres leviers, agissant en particulier sur la formation et les représentations des professionnels (par exemple en proposant des semestres d'internat en dialyse hors centre), seraient à mobiliser.

Ces différentes observations convergent vers un constat de fortes disparités régionales et d'inégalités d'accès de la population aux différentes possibilités de prise en charge, constat

<sup>15</sup> Cf. étude DREES de 2011 : La réactivité des établissements de santé aux incitations tarifaires.

régulièrement répété depuis une vingtaine d'années, sans progrès notable (en dehors toutefois de la récente reprise de l'activité de greffe rénale, malheureusement encore insuffisante pour résorber la liste d'attente).

Certes, tous les patients ne peuvent pas être pris en charge hors centre ; les patients âgés, dépendants, polyopathologiques, dont la proportion augmente, sont avant tout pris en charge en centre ou éventuellement en UDM, mais l'observation de disparités régionales sur le taux de dialyse autonome et l'enseignement des comparaisons internationales tendent à indiquer que des marges de progression importantes sont possibles.

L'état des lieux réalisé lors des Etats Généraux du Rein en 2012-2013 était en conséquence sévère, évoquant : « *une prise en charge globalement non optimale, des parcours chaotiques, de grandes disparités géographiques et sociales dans l'accès aux traitements, la réalisation et le financement de soins inappropriés, une information imparfaite et l'absence de libre choix des patients, le tout pour des coûts très élevés* ».

### 3. Quelles sont les innovations susceptibles de faire évoluer la situation ?

#### A. Innovations technologiques

##### Technologies de dialyse

- De nouveaux équipements d'hémodialyse sont proposés par les industriels, toujours plus performants en matière de filtration, de qualité de l'eau, de sécurisation des procédures (alarmes, contrôles, maîtrise de l'ultrafiltration...), mais aussi de miniaturisation et d'automatisation, le générateur mesurant la dose de dialyse et l'adéquation de la dialyse aux paramètres biologiques du patient. Les logiciels embarqués permettent aussi, dans le cadre d'un projet de télémédecine, un suivi à distance du patient (cf. ci-après), même si un frein demeure avec l'absence de rémunération du médecin pour la télédialyse.
- Des générateurs spécifiquement destinés à l'hémodialyse à domicile ont été mis au point ; ces machines simples d'utilisation, maniables, transportables, pourraient permettre de relancer cette modalité de prise en charge, sous réserve d'évaluation de leur impact sur la qualité de la dialyse et la morbi-mortalité.

L'hémodialyse à domicile, qui s'était développée au début de la dialyse en raison d'une pénurie de postes en centre, a peu à peu été abandonnée comme modalité de prise en charge (concernant 0,6% des patients France entière), mais pourrait être à nouveau proposée aux patients (même s'il ne faut pas masquer la difficulté pour les patients d'effectuer cette opération eux-mêmes), ces nouveaux équipements ayant plusieurs avantages :

- dans certains équipements, le nouveau moniteur, fonctionnant avec une vingtaine de litres de dialysat livré dans des poches stériles prêtes à l'emploi, fait circuler ce dialysat dans une ligne stérile à usage unique, évitant la phase de désinfection. D'autres machines sont prévues pour se brancher sur l'eau courante avec un système de filtration adapté ;
- l'obstacle ancien d'encombrement et de complexité d'utilisation du matériel est ainsi en partie résolu. En outre, certains de ces nouveaux générateurs sont transportables ;
- ce mode de prise en charge permet une meilleure autonomie du patient (prise en charge de sa maladie, souplesse des horaires...), et permet de personnaliser la durée et la fréquence des séances et donc de parvenir à une meilleure qualité de traitement en les



augmentant si besoin, ce qui est très peu proposé en établissement pour des raisons d'organisation. De fait, il a été montré que la qualité et l'espérance de vie étaient supérieures dans cette modalité ;

- il est possible avec ces matériels de pratiquer l'hémodialyse quotidienne, avec des séances plus fréquentes et moins longues (environ 2 heures par séance, 6 jours par semaine, au lieu des 3 séances hebdomadaires de 4 heures), ce qui a des avantages importants en termes de qualité de vie, ou aussi l'hémodialyse longue, éventuellement nocturne, 6 à 8 heures 3 fois par semaine.

Ces évolutions techniques pourraient avoir un autre impact : une interrogation existe sur le rôle que pourraient jouer dans ce domaine les prestataires de santé à domicile (PSAD), qui pourraient intervenir pour la mise en œuvre des aspects logistiques des soins, dans le cadre d'une convention avec les associations de dialyse à domicile et les établissements, dans le respect des exigences de qualité en vigueur et des dispositions régissant l'accès aux données de santé, et en prévenant tout risque de conflit d'intérêt. Ce peut être une option à discuter.

Les associations ayant une autorisation pour l'activité de dialyse travaillent actuellement soit avec des infirmières soit salariées, soit libérales (pour les soins) et gèrent l'aspect logistique.

- Ces évolutions conduisent à l'idée de la possibilité de réalisation d'un véritable rein artificiel portable ou implantable. Les enjeux technologiques sont encore nombreux mais à l'horizon de 15 ans, au regard des progrès réalisés en matière de miniaturisation et de thérapie cellulaire ces dernières années, cette perspective pourrait devenir réelle, ce qui révolutionnerait le domaine. Plusieurs prototypes sont en cours d'essai chez l'animal. Certains projets associent plusieurs technologies, dont les cultures cellulaires, pour la mise en place d'un « rein bio-artificiel ». Les enjeux sont de reproduire autant que possible les différentes fonctions rénales, mieux que ce que fait un dialyseur actuellement, tout en miniaturisant le dispositif<sup>16</sup>. Il s'agirait d'une alternative bien plus efficace et confortable que la dialyse, sans toutefois égaler la transplantation.

Toutefois, dans le cadre de la présente réflexion à 10-15 ans, nous ne considérons pas cette technologie prometteuse comme source de modification substantielle des modes de prise en charge ; l'horizon de maturité de ces technologies est fort probablement plus tardif.

## Télémédecine

La télémédecine est susceptible de prendre une place importante dans la prise en charge et le suivi des patients dialysés hors centre. En 2014, la HAS a analysé ce sujet et réalisé un état des lieux des projets pilotes et expérimentations (un travail précédent avait été réalisé en 2009 sur les conditions de mise en œuvre de la télémédecine en UDM).

*« Pour les patients en insuffisance rénale chronique au stade terminal (ou en IRC au stade avancé), le déploiement d'organisations fonctionnant par télémédecine sont de nature à :*

- *faciliter l'accès aux soins en permettant le développement d'une offre de soins de proximité ;*
- *améliorer la qualité des soins et le suivi des patients dialysés et greffés ;*
- *satisfaire une demande en soins dans des délais raisonnables en se substituant à d'éventuels déplacements des patients et en optimisant le temps médical dans un contexte de démographie médicale en diminution ;*
- *avoir un impact sur les recours aux soins (consommations de soins, transports) ».*

---

<sup>16</sup> Voir par exemple : <http://pharm.ucsf.edu/kidney> (University of California, Sans Francisco).

En France métropolitaine, la majorité des projets identifiés concernait le développement d'UDM fonctionnant par télé-médecine : 64 projets recensés dans l'ensemble des régions de France métropolitaine dont la plupart étaient opérationnels à la date de juillet 2014. Ces projets sont fondés sur l'utilisation de la télé-médecine entre un centre de dialyse et une UDM, permettant d'assurer la télésurveillance médicale des séances réalisées sur le site de l'UDM et la réalisation de téléconsultations. Dans certains cas, le système permet également la télésurveillance médicale des séances d'hémodialyse réalisées en unités d'autodialyse ou même la transformation de certaines unités d'autodialyse en UDM.

Les autres projets identifiés en France métropolitaine étaient les suivants :

- Huit projets portant sur la télésurveillance des séances de dialyse réalisées à domicile, principalement pour la dialyse péritonéale, avec pour objectifs l'amélioration du suivi du traitement des patients et la prévention de complications.
- Quatre projets concernant les patients transplantés rénaux avec comme objectif principal l'amélioration de la qualité du suivi post-transplantation fondée sur le développement d'applications de téléconsultation et télé-expertise.
- Sept autres projets concernant la mise en place de téléconsultations de néphrologie (en routine ou à la demande) concernant des patients en traitement de suppléance et des patients en IRC à différents stades de la maladie.
- En outre, un projet multicentrique sur 3 régions (projet e-chronic/e-nephro) cherche à démontrer l'efficacité d'un système de télé-médecine pour la prise en charge de l'IRC dans différentes populations.

Dans les départements d'outre-mer, la majorité des projets avaient pour objectifs l'amélioration de l'accès aux soins et de la qualité des prises en charge pour des populations géographiquement isolées. Ils concernaient :

- le développement d'UDM fonctionnant par télé-médecine ;
- la mise en place de téléconsultations et de télé-expertises ;
- la télésurveillance médicale des séances d'hémodialyse et de dialyse péritonéale à domicile.

L'état d'avancement de ces différents projets est variable, et on ne dispose pas encore de données d'évaluation à ce jour.

## **Transplantation rénale**

En matière de transplantation, plusieurs axes innovants sont à mentionner, visant l'augmentation du nombre et l'amélioration de la qualité des greffons.

### ***Greffe à partir de patients décédés à cœur arrêté<sup>17</sup>.***

- La première greffe rénale sur ce mode a été réalisée en octobre 2006 à Lyon, suivie de 43 greffes sur 7 sites en 2007. Après 14 mois d'étude de faisabilité (de novembre 2006 à décembre 2007) et compte tenu du caractère positif de l'expérience en termes de faisabilité, de résultats des greffes, du vécu apparent des familles et des personnels impliqués, l'Agence de la biomédecine a décidé que tous les établissements qui le souhaitaient, sous réserve de remplir l'ensemble des conditions requises, pourraient prétendre à une autorisation de

---

<sup>17</sup> Agence de biomédecine, Conditions à respecter pour réaliser des prélèvements d'organes sur des donneurs décédés après arrêt circulatoire de la catégorie III de Maastricht dans un établissement de santé, octobre 2014.

prélèvement sur les donneurs décédés après arrêt circulatoire (catégories I et II de la classification de Maastricht<sup>18</sup>).

- Ce programme a désormais plus de 7 ans de fonctionnement avec un total de 785 donneurs recensés, 468 greffes rénales et 13 greffes hépatiques impliquant 16 sites de prélèvement dont un centre hospitalier non universitaire au 31/12/2013.

En 2014, toutefois, le nombre de greffes réalisées sur ce mode est en baisse marquée, avec 54 greffes contre 78 en 2013 et 81 en 2012.

*« La difficulté à développer ce type de greffe tient aux importantes contraintes du prélèvement des donneurs répondant aux critères Maastricht I et II, seuls autorisés en France jusqu'en 2014. Le prélèvement de donneurs, décédés après arrêt circulatoire contrôlé dans le cadre d'une limitation ou arrêt de thérapeutique répondant aux critères de Maastricht III, est autorisé depuis février 2014 et a conduit à l'élaboration d'un protocole national auquel participent des équipes volontaires. Le premier prélèvement de ce type a été réalisé en décembre 2014. Cette nouvelle activité devrait permettre d'élargir progressivement le nombre de donneurs après arrêt circulatoire et l'expérience accumulée dans les pays qui la pratiquent laisse espérer de bons résultats »* (source ABM).

- Enfin, un programme a été lancé par l'ABM, après une réflexion éthique approfondie, sur le prélèvement d'organes sur personnes décédées des suites d'un arrêt cardiaque après un arrêt des traitements (catégorie III de Maastricht). Le bilan de la phase pilote, réalisée dans 5 établissements, a été publié début 2016. Au total, 15 donneurs ont été prélevés d'au moins un organe en 2015 (48% des donneurs recensés) mais seuls les organes prélevés sur 14 donneurs ont été greffés car les deux reins d'un même donneur se sont avérés contre indiqués pour une greffe, ce qui représente 26 greffes rénales fonctionnelles. Ce programme a été évalué positivement, et **son extension est recommandée**.

Ce type de greffon représente un très fort potentiel de développement : 51% des greffes rénales réalisées aux Pays Bas, 38% au Royaume Uni et 19% en Belgique (source ABM).

**Utilisation de machines à perfusion** pour améliorer la qualité des reins prélevés (diminution de la vasoconstriction intra-rénale, amélioration de la perfusion du cortex rénal, diminution de l'œdème tissulaire...) sur les donneurs à critères élargis et des reins prélevés sur donneurs décédés après arrêt cardiaque. Il est établi que la préservation des reins sur ces machines améliore la survie des greffons.

Dans la situation de pénurie qui est celle du nombre de greffons, l'utilisation de ces machines permet de prélever des greffons qui seraient sans cela écartés, et ce, sans augmenter le risque d'échec primaire de la greffe.

L'amélioration de l'ergonomie, la miniaturisation des composants, l'élaboration de machines facilement transportables ont permis la diffusion de la technique et son utilisation en routine.

En 2014, 645 reins ont été mis sous machine à perfusion, dont 550 pour des donneurs décédés en mort encéphalique à critères élargis<sup>19</sup>, 54 pour des donneurs décédés après arrêt circulatoire non contrôlé, 41 pour des donneurs décédés en mort encéphalique à critères standards.

---

<sup>18</sup> Cette classification établie en 1995 comprend 4 stades :

- les personnes qui font un arrêt cardiaque en dehors de tout contexte de prise en charge médicalisée et pour lesquelles le prélèvement d'organes ne pourra être envisagé que si la mise en œuvre de gestes de réanimation de qualité a été réalisée moins de 30 minutes après l'arrêt cardiaque (stade I) ;
- les personnes qui font un arrêt cardiaque en présence de secours qualifiés, aptes à réaliser un massage cardiaque et une ventilation mécanique efficaces, mais dont la réanimation ne permettra pas une récupération hémodynamique (stade II) ;
- les personnes pour lesquelles une décision d'un arrêt de soins en réanimation est prise en raison de leur pronostic (stade III) ;
- les personnes décédées en mort encéphalique qui font un arrêt cardiaque irréversible au cours de la prise en charge en réanimation (stade IV).

L'Agence de biomédecine préconise une poursuite de la montée en charge de l'utilisation de ces machines.

Une fois le greffon en place, de *nouveaux traitements pharmaceutiques* peuvent améliorer sa survie et donc limiter ou retarder les retours en dialyse, ce qui peut avoir un impact significatif sur la liste d'attente (plus de 20% des patients en attente le sont pour une 2<sup>ème</sup> ou 3<sup>ème</sup> greffe).

## B. Innovations organisationnelles

L'un des principaux leviers pour faire évoluer le système et réduire les disparités régionales (en termes d'inscription sur la liste de greffe, de taux de greffe, de taux de patients dialysés à domicile) paraît être *une plus grande implication du patient*, à travers :

- son implication aussi précocement que possible dans l'évolution de sa maladie rénale, dans un parcours de soins incluant le recours précoce à un néphrologue, afin de retarder autant que faire se peut le stade terminal de l'IRC et de préparer le traitement de suppléance dans de bonnes conditions ;
- son information sur les différentes modalités de prise en charge, neutre et objective, ce qui peut passer par un module d'éducation thérapeutique pré-suppléance, qui devrait être organisé et financé dans toutes les régions de façon transversale aux équipes de soins ; des initiatives multiples émanant des centres de néphrologie ou des associations de patients ont montré tout l'intérêt de ce type de module ; la mobilisation des outils numériques pourrait être aussi d'une grande aide dans le même objectif ;
- sa participation éclairée au choix, avec garantie de pouvoir accéder à toutes les modalités sur l'ensemble du territoire (ce qui malgré les efforts des pouvoirs publics dans cette direction, n'est pas encore le cas).

Les Etats Généraux du Rein, organisés en juin 2013, ont souligné à cet égard « l'absence de libre choix » du patient, mal informé, dépendant du « pouvoir discrétionnaire du médecin », ainsi que les inégalités dans l'accès aux différentes techniques de suppléance. Une enquête récente menée par Renaloo.com sur son site internet auprès de 1 000 patients indique que 1 sur 3 estime avoir peu ou pas participé au choix de son traitement<sup>20</sup>.

Cette exigence d'information du patient concerne aussi sa famille et ses proches dans le cadre du don vivant : il faut mettre en place une information complète, objective, et garantir l'autonomie de décision du donneur.

Par ailleurs, la HAS recommande de promouvoir l'éducation thérapeutique des receveurs de greffon rénal afin d'améliorer l'observance du traitement et du suivi néphrologique, et ainsi augmenter la survie des patients et du greffon.

Certains *réseaux de santé* mettent en place cet ensemble de mesures.

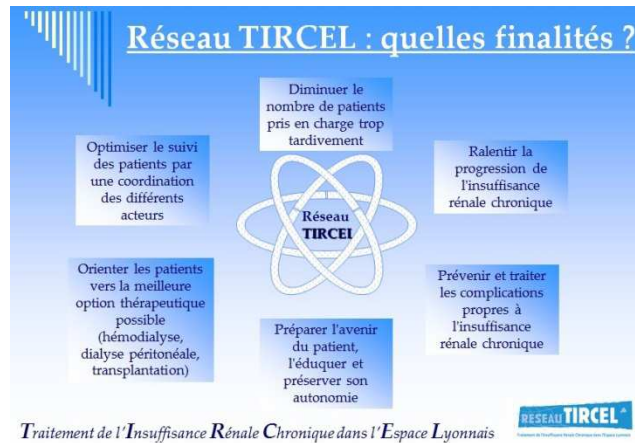
Un exemple est donné par le réseau TIRCEL à Lyon, qui vise à la fois la prise en charge précoce, la formation des professionnels, l'information des patients :

---

<sup>19</sup> Définis comme les donneurs âgés de plus de 60 ans ou de 50 à 59 ans, avec au moins deux des facteurs de risque suivants :

- cause de décès vasculaire,
- antécédent d'hypertension artérielle,
- créatininémie supérieure à 130 µmol/l.

<sup>20</sup> Etude : Information et participation à la décision médicale sur le choix des traitements (dialyse, greffe), Renaloo.com février 2016. A noter par exemple que 55% estiment avoir été mal ou pas informés sur la possibilité d'être greffé sans passer par la dialyse.



Les dispositifs mis en place sont de plusieurs natures :

- dossier médical partagé et informatisé,
- cellule de coordination,
- programme personnalisé de soins,
- séances d'information collective des patients,
- consultations de diététique, psychologue...,
- formation des médecins adhérents,
- référentiels.

Le réseau couvre un bassin de l'ordre de 2 millions d'habitants. Environ 450 professionnels de santé sont adhérents.

Une évaluation réalisée en 2010 a démontré que la prise en charge dans le réseau conduisait à une amélioration du contrôle de la pression artérielle ainsi qu'à une amélioration de la correction des désordres métaboliques secondaires à l'insuffisance rénale chronique.

La récente inscription dans la Loi d'une **expérimentation de parcours de soins du patient atteint d'IRC** (LFSS 2014) devrait de la même façon permettre de concrétiser certaines pistes d'amélioration. Les expérimentations, préparées en 2015, devraient démarrer en 2016 dans 6 régions pilotes<sup>21</sup> : Alsace-Champagne Ardenne-Lorraine, Aquitaine-Limousin-Poitou-Charentes, Languedoc-Roussillon et Midi Pyrénées, Pays-de-la-Loire, La Réunion et Auvergne-Rhône-Alpes. L'objectif est de « favoriser un meilleur accès aux soins en luttant contre les inégalités régionales d'accès à la greffe et en optimisant les prises en charge – notamment les alternatives à la dialyse en centre – par une meilleure anticipation de la phase d'aggravation ainsi qu'une orientation plus efficiente des patients via un bon accès à l'information. » Les ARS ont la responsabilité d'organiser ces actions avec deux axes principaux :

- en amont de la phase dite « sévère » d'IRC, avec pour objectif de faire baisser le nombre de patients arrivant au stade de suppléance et de diminuer de moitié les dialyses évitables réalisées en urgence : coordination de la prise en charge et du suivi ; interventions pluridisciplinaires (autour de l'éducation thérapeutique, du conseil diététique, du soutien psychologique, etc.) ;

<sup>21</sup> DGOS, communiqué de presse du 6 avril 2015.

Décret no 2015-881 du 17 juillet 2015 relatif à des expérimentations tendant à améliorer la prise en charge des personnes atteintes d'insuffisance rénale chronique.

Arrêté du 17 mai 2016 fixant la liste des régions concernées par les expérimentations tendant à améliorer le parcours de soins des personnes atteintes d'insuffisance rénale chronique, les orientations nationales pour l'élaboration des cahiers des charges régionaux et la charte des professionnels.

orientation et préparation du patient en cas de survenue d'une insuffisance rénale sévère (réunions de concertation pluridisciplinaires, information, etc.) ;

- pendant la phase d'IRC sévère : mise en œuvre des parcours favorisant la greffe, l'orientation hors centre et le développement des dialyses de proximité.

Ces actions s'appuient sur les travaux de la HAS précisant comment doivent être organisés les parcours de soins et fournissant des outils *ad hoc* : dispositif d'inclusion dans l'expérimentation, dispositif d'annonce et décision partagée, éducation thérapeutique, concertation pluri-professionnelle, *checklist* du parcours maladie rénale chronique en pré-suppléance, schéma des parcours de soins des personnes atteintes de maladie rénale chronique...

On pourra observer que l'un des principaux objectifs initiaux, qui était de tester de nouvelles modalités de tarification au parcours, a été abandonné. Sans cet objectif, il s'agit en pratique d'appliquer les recommandations de bonnes pratiques de la HAS, qui en réalité s'adressent à tous les acteurs dans toutes les régions, pour tous les patients.

Par ailleurs, une problématique organisationnelle spécifique porte sur le **suivi de la file active des patients greffés** : la file active augmente (+3% par an entre 2009 et 2013) et les équipes des centres greffeurs se trouvent de plus en plus saturées par le suivi de ces patients, suivi demandant une expertise particulière. Des organisations en réseau avec des correspondants de ville ont été mises en place dans certaines régions pour gérer cette montée en charge, et de telles initiatives gagneraient à être encouragées et généralisées.

Les outils de partage d'informations médicales informatisées et de télémédecine peuvent être mobilisés dans ce but. Ainsi, par exemple, dans la région Pays de la Loire, est développé le projet Télégraft, étude clinique conduite sur 80 patients au CHU de Nantes et proposant le recours à la téléconsultation pour le suivi post-greffe. La moitié des patients de l'étude sont dotés d'une tablette sur laquelle ils renseignent certains paramètres médicaux (tension, diurèse, etc.), transmis automatiquement au praticien avant la téléconsultation. Début 2016, 235 téléconsultations avaient déjà été réalisées depuis le lancement de l'étude en 2012.

**Dans le domaine des prélèvements d'organes**, déjà depuis de nombreuses années, existent des réseaux inter-hospitaliers, permettant d'impliquer les établissements non universitaires, de favoriser le recensement des donneurs potentiels, d'organiser les actes de prélèvement.

**D'autres évolutions** déjà engagées sont pour beaucoup dans l'augmentation de l'activité de greffe rénale ces dernières années : développement du donneur vivant, via une plus grande mobilisation des équipes ; dons croisés ; programmes de désimmunisation qui permettent de réaliser des greffes qui étaient inenvisageables jusque-là, etc.

Pour alléger le travail des néphrologues, des **protocoles de coopération entre néphrologue et infirmière clinicienne** se mettent lentement en place pour le suivi de patients en IRC<sup>22</sup>, avec plusieurs objectifs :

- Suivi des patients en liste d'attente de greffe et organisation du don vivant : exemple du protocole de « mise en place d'une consultation infirmière pour la surveillance des patients en attente de transplantation rénale et pour la prise en charge et le suivi des donneurs vivants avant et après greffe rénale, avec prescription d'examens ». Ce protocole est mis en place par l'AP-HP/Groupe hospitalier Necker-Enfants malades et la région Aquitaine.
- Prescription d'EPO chez les patients dialysés en autodialyse ou UDM, pour améliorer la prise en charge de l'anémie et diminuer les délais de réajustement des traitements après bilan : protocole proposé par l'Association des insuffisants rénaux de la région Beauce et Perche sur « l'adaptation

---

<sup>22</sup> <https://coopps.ars.sante.fr/coopps/init/index.do>.



des doses d'agent stimulant de l'érythropoïèse après interprétation du bilan biologique, par une infirmière en lieu et place d'un néphrologue ».

- Suivi des patients avant le stade terminal de l'IRC : projet développé en Alsace (CH de Colmar et Mulhouse) pour la « mise en place d'une consultation assurée par un personnel infirmier en lieu et place du néphrologue afin d'optimiser le suivi des patients insuffisants rénaux chroniques sévères ». Ce protocole est en cours de finalisation, avec quatre impacts recherchés :
  - optimiser le suivi du patient en IRC dans le respect des recommandations nationales (au moins une consultation tous les deux mois),
  - ralentir la progression de la maladie, afin de retarder l'entrée en IRC terminale,
  - préparer le patient à cette échéance, et le mettre en mesure de choisir les modalités de sa prise en charge en toute connaissance de cause,
  - limiter l'arrivée en urgence en épuration extra-rénale, responsable d'une morbi-mortalité majorée.
- Evaluation et traitement de la douleur chronique par un personnel infirmier, en lieu et place du néphrologue, chez des patients dialysés : projet promu en région Lorraine. L'amélioration vise particulièrement les patients bénéficiant d'une dialyse hors centre, c'est-à-dire sans présence médicale obligatoire à chaque séance de dialyse.

Ces différents protocoles cherchent à faire face à une pénurie relative de néphrologues pour ces consultations et à pouvoir mettre en place un suivi plus rapproché des patients.

### C. Innovations tarifaires

A plusieurs reprises dans le passé, des réflexions ont eu lieu sur la création de **forfaits par patient atteint d'IRCT**, non pas en fonction de la modalité de prise en charge mais en fonction de ses caractéristiques propres : âge, pathologie rénale, comorbidités,... à charge pour les acteurs d'orienter le patient dans la modalité la plus adaptée à son cas dans le cadre du forfait. Ces réflexions n'ont pas abouti, les professionnels craignant qu'un forfait inadapté conduise à des choix trop contraints pour le patient. La Cour des comptes, dans son rapport 2015, évoque à nouveau cette option, parlant d'un « tarif unique »<sup>23</sup> modulé selon l'âge, la présence de comorbidités, et autres facteurs discriminants, incluant les transports, les examens biologiques, les suppléments nutritionnels, l'éducation thérapeutique, etc. Dans la logique d'une telle option, un forfait serait alloué aux acteurs ou à la coopération d'acteurs prenant en charge le patient, pour tout ou partie de son parcours, calculé sur la base d'un algorithme prenant en compte l'ensemble des paramètres discriminants influant sur les coûts. Ce « paiement au parcours » pourrait être révisé à chaque changement de caractéristique. Et surtout, il ne privilégierait pas *a priori* une modalité de prise en charge. Il devrait aussi permettre de maîtriser le poste « transports ».

Une telle évolution pourrait aussi être appliquée au parcours des patients en IRC avant la phase terminale, pour intégrer et promouvoir les actions de prévention, avec l'objectif de retarder l'entrée en dialyse. Ce « parcours de prévention » pourrait concerner l'ensemble d'une clientèle (d'un médecin traitant, d'une MSP...), voire l'ensemble d'une zone géographique, en mobilisant l'ensemble des acteurs concernés.

Un tel système ne peut être mis en place qu'assorti de référentiels précis sur les parcours de soins (incluant des référentiels sur le recours aux transports, aux examens biologiques, etc.), d'une connaissance des coûts de ces parcours, et d'un contrôle de qualité des prestations, des prises en charge et des résultats (à partir d'indicateurs comme la proportion d'admission en dialyse en

---

<sup>23</sup> Le terme de « tarif unique » est de fait impropre puisqu'il y aurait dans une telle hypothèse une grille tarifaire prenant en compte les différents paramètres discriminants en termes d'impact sur les coûts.

urgence), vérifiant notamment l'absence de sélection pour des raisons tarifaires. La HAS a déjà intégré plusieurs indicateurs de qualité des soins des patients en dialyse sur SCOPE-Santé, même s'il ne s'agit à ce stade que d'indicateurs de moyens.

De tels référentiels de qualité et de soins à atteindre se substitueraient aux actuelles normes techniques de fonctionnement.

### Indicateurs de qualité HAS

Les 7 indicateurs publiés sur SCOPE-Santé, dont 6 sous la forme de deux indicateurs agrégés :

- Suivi des patients hémodialysés qui agrège : Surveillance du statut martial du patient traité par ASE ; Surveillance du bilan phosphocalcique ; Surveillance sérologique des hépatites ; Surveillance nutritionnelle : Statut nutritionnel,
- Appréciation de la qualité de la dialyse qui agrège : Prescription de 3 séances et 12 heures hebdomadaires ; Mesure de la dose de dialyse
- Évaluation de l'accès à la transplantation rénale.

Les 7 autres indicateurs étudiés :

- Maîtrise de l'anémie,
- Réalisation des dosages en milieu de semaine,
- Respect des prescriptions médicales de dialyse,
- Surveillance nutritionnelle - Consultation diététicienne,
- Évaluation de l'abord vasculaire - Fistule artério-veineuse,
- Évaluation de l'abord vasculaire - Fistule artério-veineuse native,
- Évaluation annuelle de l'accès à la transplantation.

Les avantages d'une telle option seraient les suivants :

- Le paiement « à l'épisode » ou « au parcours » (par rapport au paiement à l'acte ou au séjour) incite à la substituabilité de plusieurs options de prise en charge. Les offreurs de soins sont incités à mettre en place la combinaison de moyens la plus efficiente pour chaque épisode, c'est-à-dire les prises en charge les moins coûteuses à qualité égale.
- Il incite les acteurs à se coordonner entre eux, afin de réduire le taux de complications et de réhospitalisations, d'admission en urgence, et d'améliorer ainsi autant l'efficacité que la qualité des soins. C'est en effet un puissant facteur pour rompre avec la logique « en silos » du système de soins et pour décloisonner les différents segments du système de soins.

Il ne faut cependant pas oublier les risques et les limites que peut comporter une telle orientation :

- Eventuels problèmes de sélection des patients liés à l'hétérogénéité des coûts par patient au sein du forfait :
  - Pour éviter au maximum ce type de problème, il est nécessaire de stratifier les patients en groupes les plus homogènes possible en termes de consommations de ressources, en fonction de caractéristiques observables (âge, comorbidités, environnement social et familial le cas échéant...) ; il y aurait autant de forfaits que de groupes ainsi constitués.
  - En outre, peut être prévue une procédure exceptionnelle pour des patients « outliers », à savoir des cas catastrophes qui, après un certain seuil de dépenses, feraient l'objet d'un remboursement complémentaire.
- Baisse de la qualité des prises en charge :
  - Ce risque, inhérent à tout système de paiement forfaitaire, contrebalancé par l'éthique des professionnels de santé, demande que des indicateurs de qualité soient mis en place et suivis, dans le cadre de protocoles de prise en charge précis.



- Il peut aussi être envisagé l'intégration dans le forfait d'objectifs de qualité.
- Complexité des circuits financiers dans les systèmes non intégrés : le système d'information doit permettre de suivre les prestations des différents acteurs pour un patient donné, pour disposer des éléments de répartition du forfait. D'une manière générale, ces procédures de paiement forfaitaire au parcours demandent une étroite coordination entre les différents acteurs de la prise en charge, et dans un système éclaté comme le système français, cela suppose que soient mis en place des dispositifs de coordination *ad hoc*.
- Surcoûts induits :
  - Coûts de mise en place et de gestion du système (mise en place du système d'information, suivi des pratiques...), coûts de coordination.
  - Risque de déport d'une partie de la dépense vers des soins « hors forfait » (*i.e.* non liés à la pathologie principale). Là encore, l'existence de ce risque nécessite la mise en place d'un système de contrôle et d'évaluation.

Malgré ces difficultés, cette piste tarifaire paraît receler suffisamment d'avantages pour être explorée et faire l'objet d'une expérimentation dans quelques territoires volontaires, comme cela devait être le cas dans les expérimentations « LFSS 2014 » dont il a été question plus haut. Ces territoires pourraient être choisis parmi ceux présentant une organisation des soins néphrologiques déjà bien coordonnée, voire intégrée.

Une autre option pour démarrer un tel programme serait de s'intéresser en premier lieu au « parcours de prévention » avant la phase terminale, comme évoqué plus haut.

#### *Incitations tarifaires en faveur de la dialyse hors-centre*

Une autre réflexion ancienne a porté sur l'impact fortement désincitatif au « hors centre » de la tarification à l'acte ou à la séance : en effet, le néphrologue libéral, quelle que soit son éthique professionnelle, ne pouvait que constater que pour un patient donné, il percevait, pour une prise en charge en centre d'hémodialyse, 3 forfaits par semaine de 38,35 €, alors que, pour une prise en charge à domicile, par exemple en dialyse péritonéale, il ne percevait qu'une consultation de temps à autre. L'incitation n'allait pas dans le bon sens. Pour lever cette anomalie, un forfait spécifique de prise en charge du patient en IRCT traité par dialyse péritonéale a été créé par négociation entre les professionnels et l'assurance-maladie en 2011 ; ce forfait hebdomadaire a été fixé à 56 € pour « rémunérer les néphrologues pour l'ensemble des activités médicales pour les patients bénéficiant de cette technique de dialyse à domicile. »

Cette nouveauté dans la tarification constitue un pas important dans la résolution du problème, mais depuis la mise en place de la T2A, de façon globale, la situation désincitative au hors-centre s'est aggravée, touchant non seulement les centres privés mais aussi les établissements antérieurement sous dotation globale. Les établissements souhaitent avant tout « remplir » leur centre de dialyse avant d'envisager d'orienter les patients vers des prises en charge hors-centre, avec des stratégies de contournement de l'esprit des directives nationales, par exemple la création d'une UDM au sein de l'établissement, jouxtant le centre de dialyse<sup>24</sup>. La Cour des comptes a mis en exergue en outre la forte rentabilité des centres de dialyse, notamment privés à but lucratif, plaidant pour une baisse des tarifs en centre en faveur d'une hausse des tarifs régissant les modalités hors centre. De tels ajustements nécessiteraient de prendre en compte précisément les contraintes d'équilibre économique des différents types de structures existantes.

Mais, même si un tel mouvement paraît logique, il ne réglerait pas la difficulté à court terme puisqu'on a affaire dans la majorité des régions à des institutions différentes : en règle générale, les

---

<sup>24</sup> Ce constat peut apparaître brutal, mais les enquêtes qualitatives relèvent de nombreux témoignages de praticiens en établissements publics faisant état de « pressions » de la part de leur direction en ce sens.

centres sont gérés par les établissements de santé, publics ou privés, ou des centres autonomes de dialyse privés, et les prises en charge à domicile ou en autodialyse sont pour l'essentiel assurées par les associations de dialyse à domicile (établissements de santé à but non lucratif) passant des conventions avec les établissements de santé<sup>25</sup>. De la sorte, le centre, quels que soient les tarifs, cherchera à rentabiliser sa structure, tout déport de patients vers le hors-centre, quand il ne le gère pas, constituant une perte de son point de vue. Toutefois, si le mouvement de bascule tarifaire était suffisamment important (c'est-à-dire sans se limiter à 1 ou 2%), certains établissements pourront évoluer dans leur stratégie et s'orienter vers des prises en charge hors centre de manière plus volontariste, permettant à moyen terme de trouver un nouvel équilibre entre centre et hors centre.

En d'autres termes, la segmentation du système de prise en charge des patients joue en défaveur d'une optimisation des parcours de soins. Toute évolution devrait prévoir une meilleure intégration des différentes modalités, le minimum étant de proposer au patient une information objective et complète sur les différentes modalités et de lui garantir un accès équitable sur l'ensemble du territoire à ces modalités, ainsi que discuté plus haut. Ce point est déjà inscrit dans la réglementation (décrets de 2002), mais peine à passer dans la pratique. Dans l'enquête récente réalisée auprès de 1 000 patients dialysés, sur le site Renaloo, déjà citée, 1 sur 2 estime être mal ou pas informé sur la possibilité de faire de l'hémodialyse à domicile, et plus de 40% estiment être mal ou pas informés sur la dialyse péritonéale à domicile.

Il reste qu'au minimum, il faudrait s'assurer que les organismes gérant les modalités hors-centre bénéficient de tarifs suffisants pour couvrir leurs coûts. A cet égard, la baisse des tarifs de dialyse en centre décidée dans les années récentes ne s'est pas accompagnée d'une hausse significative des tarifs des modalités de dialyse autonome.

Il est urgent que l'enquête nationale de coûts des structures de dialyse, prévue depuis plusieurs années, puisse enfin produire des résultats pour baser ces évolutions tarifaires.

***Dans le domaine de la transplantation rénale***, l'Agence de biomédecine souligne l'importance de lever les obstacles tarifaires à la réalisation de l'activité (sans même parler d'incitation). Cela passe par plusieurs leviers, en particulier :

- Couverture suffisante des coûts engagés pour les machines à perfusion, et d'une manière générale pour les expérimentations menées en vue d'accroître les possibilités de prélèvement (notamment prélèvement sur donneur à cœur arrêté).
- Garantie de couverture totale des dépenses et pertes financières indirectes engagées par la personne faisant le don d'un rein à un proche, dans des délais rapides (l'Agence de biomédecine a rédigé récemment un guide spécifique sur cette question à destination des acteurs de santé<sup>26</sup>). Il ne peut qu'être regretté une hétérogénéité des pratiques entre établissements sur ce point.
- Financement dans chaque établissement concerné d'infirmières cliniciennes pour faciliter la mise en place des protocoles de coopération (*cf.* plus haut).
- Financement spécifique d'infirmières coordinatrices de greffe pour l'activité de don vivant, pour laquelle on ne devrait pas pouvoir observer de phénomène de file d'attente.

---

<sup>25</sup> Nous décrivons là la situation majoritaire, mais les organisations peuvent être plus intriquées : les activités hors centre des centres de dialyse se développent et il est de plus en plus fréquent que l'association ouvre un ou plusieurs centres d'hémodialyse pour compléter sa palette d'intervention et assurer une présence dans certaines zones mal desservies. Les UDM et l'autodialyse sont assurées par les deux types de structures, en fonction de la géographie de la région.

<sup>26</sup> Agence de biomédecine, Guide de prise en charge financière des donneurs vivants d'éléments du corps humain, février 2015.

## 4. Perspectives et recommandations

Nous l'avons vu au cours de ce panorama, les problèmes sont bien identifiés et de nombreuses actions sont d'ores-et-déjà engagées pour tenter d'améliorer la situation. A cet égard, il semble que la tenue des Etats Généraux du Rein (EGR) en 2012-2013, associant l'ensemble des institutions et partenaires impliqués<sup>27</sup>, ait permis, dans un réel exercice de démocratie sanitaire, d'accélérer certains dossiers, certaines recommandations des EGR ayant été suivies d'effet : expérimentation sur les parcours de soins, travaux sur les indicateurs de qualité, recommandations HAS sur la décision partagée et le dispositif d'annonce, sur l'accès à la liste d'attente de greffe,...

Pour autant, d'importants blocages subsistent. Or, il semble possible de viser des objectifs ambitieux à l'horizon de 10-15 ans, en exploitant les opportunités offertes par les innovations technologiques et organisationnelles, comme il a été détaillé plus haut.

A cet horizon de moyen terme, des objectifs volontaristes pourraient être fixés pour guider l'action des pouvoirs publics et de la communauté des néphrologues et des patients en IRCT :

- Stabilisation de l'incidence de l'IRCT par une meilleure prévention, un dépistage plus précoce de l'IRC et un parcours de soins mieux coordonné, des incitations pour les néphrologues et les établissements ;
- Augmentation de l'activité de greffe et amélioration de la survie des greffons, de manière à stabiliser, puis à diminuer le nombre des patients inscrits sur les listes d'attente de greffe ;
- Résorption des inégalités territoriales en termes d'accès à la greffe et aux modalités de dialyse autonomes ;
- Diminution du coût individuel moyen de traitement par dialyse, toutes modalités confondues.

En l'absence d'une telle politique volontariste actionnant les bons leviers, dans une vision systémique, la situation observée à l'heure actuelle risquerait à l'inverse de s'aggraver : le nombre de malades continuera à augmenter, la greffe ne répondra pas aux besoins, les centres de dialyse seront saturés, et les dépenses liées à ces prises en charge ne feront que croître.

### A. Développer la transplantation rénale

Les actions à mener les plus importantes paraissent sans conteste porter sur le **développement de la transplantation rénale**, au regard des données rassemblées par la HAS et l'Agence de biomédecine, de même que par les Etats Généraux du Rein. Ce développement, qui peut s'appuyer pour certains aspects sur des innovations technologiques, passe avant tout par des modifications organisationnelles et réglementaires, afin :

---

<sup>27</sup> • **Les associations de patients** : Renaloo, FNAIR, Association Française des diabétiques, Trans-forme, Ligue Rein et Santé, AIRG-France, PKD France.

• **Les Sociétés savantes et organisations professionnelles** : Société de néphrologie, Société de néphrologie pédiatrique, Société francophone de dialyse, Société Francophone de transplantation, Association française d'urologie, Société Française d'Anesthésie et de Réanimation, Société de réanimation de langue française, Société française de Santé Publique, Club des jeunes néphrologues, Fondation du Rein, ANTEL, AFIDTN, ANILAD, France Transplant, UTIP, Réseau National des Psychologues en Néphrologie, Association des Assistants Sociaux de Néphrologie, Association Française des Diététiciens Nutritionnistes, Néphrolor, Rénif, Tircel, Syndicat des Néphrologues Libéraux, Syndicat National des Internes de Néphrologie, Chaire santé Sciences Po, Comité d'Education Sanitaire et Sociale de la Pharmacie Française (Cespharm), Mutualité Française, MGEN.

• **Les organismes de recherche** : Aviesan.

• **Les fédérations hospitalières** : FEHAP, FHF, FHP.

• **Les institutions** : Agence de la biomédecine, Caisse Nationale d'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés, Caisse Nationale de Solidarité pour l'Autonomie, DGOS, Haut Conseil de Santé Publique, Haute Autorité de Santé.

- D'encourager le don vivant : organisation de l'information des patients et des familles, mise en place de postes d'infirmières coordinatrices de greffe à partir de donneur vivant, organisation du suivi des patients...
- De développer l'activité de prélèvement d'organes sur donneurs décédés :
  - En analysant les causes de disparités entre régions et en visant une homogénéisation des pratiques et des résultats entre régions, un alignement avec les meilleures pratiques internationales, en matière de recensement des donneurs potentiels et de prélèvements, de même que de communication auprès de la population pour expliquer les enjeux et sensibiliser au don.
  - En travaillant sur le taux de refus des familles afin d'en comprendre les déterminants et d'agir sur ces déterminants.
  - En développant les techniques de prélèvement sur donneur à cœur arrêté.
- De résorber les inégalités territoriales d'accès à la greffe et diminuer les délais d'inscription sur la liste d'attente.
- D'organiser, dans l'esprit d'un véritable parcours de soins, le suivi des patients greffés, dans un partenariat entre les centres greffeurs et les correspondants de ville, pour alléger la charge de consultation des centres greffeurs et permettre un suivi plus proche du domicile des patients.

## B. Renforcer la place des patients

Une autre action au moins aussi stratégique porte sur **la place des patients** dans le système. Il s'agit de faire en sorte :

- que le choix des patients puisse être éclairé, via des actions d'information et des programmes d'éducation thérapeutique, tout au long du parcours, programmes pour lesquels un financement pérenne devrait être trouvé,
- qu'il y ait une réelle garantie d'accès à l'ensemble des modalités de prise en charge,
- et que le patient puisse ainsi, dans le cadre du dialogue avec son médecin, opter pour la prise en charge la plus adaptée pour lui (décision partagée)

Il s'agit sans doute du principal levier pour faire évoluer la situation, caractérisée par des blocages multiples, identifiés depuis plus de vingt ans et toujours non résolus.

Les Etats Généraux du Rein proposaient sur ce point la mise en place généralisée d'un dispositif d'orientation des patients, pluridisciplinaire et pluriprofessionnel (DOPP), impliquant le médecin traitant, et d'un dispositif formalisé d'annonce et d'information. Ce sujet paraît prioritaire.

Les associations de patients ont soulevé une question complémentaire concernant le registre REIN : les conditions d'accès aux données prévoient qu'elles ne peuvent faire l'objet d'une externalisation qu'après une agrégation régionale. Toute publication des données relatives à chaque établissement est interdite par la convention, ce qui empêche de disposer d'indicateurs par centre sur les taux d'orientation par modalité, les taux d'inscription sur liste de greffe, etc., indicateurs dont on sait déjà qu'ils sont très hétérogènes d'une région à l'autre. Cette limitation de la transparence a été l'un des principes fondateurs du registre pour une adhésion de l'ensemble des acteurs qui remplissent ce registre, la montée en charge de celui-ci ayant d'ailleurs été compliquée et longue (pour un démarrage en 2002, l'ensemble des régions n'a été couvert qu'en 2013).

Ce point devrait faire l'objet d'un débat réel, dans le but de favoriser la démocratie sanitaire dans ce champ et renforcer la transparence sur les pratiques des centres, sans mettre à mal la qualité et l'exhaustivité du registre.

## C. Mettre en œuvre un véritable programme de prévention et de dépistage précoce

Il est indispensable de mettre en œuvre et financer un véritable **programme de prévention et de dépistage précoce** pour retarder l'entrée en dialyse des patients en IRC et réduire le taux de patients arrivant en dialyse dans un contexte d'urgence, via une information plus largement diffusée auprès du grand public sur les maladies rénales et leur évolution, la maîtrise des facteurs de risque, en particulier dans l'emploi des médicaments néphrotoxiques.

Actuellement, ce dépistage est assuré par le médecin traitant, sur la base des analyses biologiques décrivant la fonction rénale, mais au regard du nombre de patients découvrant leur insuffisance rénale avec retard, une plus grande sensibilisation des médecins traitants à ce problème devrait être entreprise. Des actions de formation et d'information renforcées auprès des médecins de première ligne sont ainsi à promouvoir, pour améliorer les connaissances sur l'évolution de la maladie rénale chronique et diffuser les bonnes pratiques en matière de prévention et de dépistage.

Le suivi des patients dépistés par le néphrologue pourrait par ailleurs largement bénéficier des protocoles de coopération médecin/infirmière, afin de densifier ce suivi et libérer du temps de néphrologue.

Il s'agit d'un thème retenu dans le cadre des expérimentations sur le parcours de soins des patients en insuffisance rénale chronique, mais ces actions devraient logiquement être entreprises dans l'ensemble des régions.

Ce thème pourrait faire l'objet d'expérimentations tarifaires innovantes à base territoriale, comme évoqué plus haut.

## D. Augmenter les prises en charge à domicile

Enfin, en matière de modalités de dialyse, les promesses offertes par la technologie (miniaturisation, appareils d'hémodialyse à domicile transportables, télémédecine...) devraient pouvoir se traduire au sein de l'organisation des soins par une **augmentation des prises en charge à domicile**, ce mouvement devant être facilité par l'utilisation des leviers réglementaires et tarifaires.

*A minima*, une augmentation significative des tarifs d'hémodialyse à domicile, autodialyse et dialyse péritonéale serait nécessaire, dans la limite bien sûr des coûts observés (en soulignant l'urgence de disposer des résultats de l'enquête de coûts des structures de dialyse).

En parallèle, le financement de la télémédecine en dialyse devrait entrer dans les outils de tarification des actes médicaux.

## Bibliographie

C. Baudelot, Y. Caillé, O. Godechot, S. Mercier, Maladies rénales et inégalités sociales d'accès à la greffe en France, *Population*, 2016, 71(1), 23-52

Rapport annuel 2014 du registre français des traitements de suppléance de l'insuffisance rénale chronique (REIN), Agence de biomédecine, mars 2016

HAS-Renaloo, Indicateurs Pour l'Amélioration de la Qualité et de la Sécurité des Soins - Prise en charge des patients hémodialysés chroniques - Résultats nationaux de la campagne 2015 - Données 2015, novembre 2015

HAS, Transplantation rénale – Accès à la liste d'attente nationale : Recommandations pour la pratique clinique : Argumentaire scientifique et Recommandations, octobre 2015

Cour des Comptes, rapport 2015 sur la Sécurité Sociale, chapitre X – L'insuffisance rénale chronique terminale : favoriser des prises en charge plus efficaces, septembre 2015

Les Etats Généraux du Rein : 2 ans après, Une actualité permanente, septembre 2015

CNAMTS, Rapport 2016 sur les Charges et Produits : Améliorer la qualité du système de santé et maîtriser les dépenses : propositions de l'Assurance maladie pour 2016, juillet 2015

Documents sur l'expérimentation des parcours de soins des patients atteints de maladie rénale chronique (dispositif d'annonce d'insuffisance rénale avancée et de décision partagée sur le mode de suppléance, parcours de soins), HAS, mai 2015

Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France, HAS, Agence de biomédecine, octobre 2014 : argumentaire ; synthèse et conclusions

CNAMTS, Rapport 2015 sur les Charges et Produits : Améliorer la qualité du système de santé et maîtriser les dépenses : propositions de l'Assurance maladie pour 2015, juin 2014

Rapport annuel médical et scientifique 2013 de l'Agence de biomédecine, chapitre sur la greffe rénale

Etats généraux du rein, 2012-2013 : synthèse des propositions

Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France. Volet : Analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale en France, HAS, Agence de biomédecine, juin 2012 : argumentaire ; synthèse et conclusions

Instruction N° DGOS/R3/DSS/ MCGR/ 2012/52 du 27 janvier 2012 relative au Programme de gestion du risque sur l'insuffisance rénale chronique terminale

Plan Greffe II 2012-2016, Agence de biomédecine, avril 2012

La réactivité des établissements de santé aux incitations tarifaires, volet sur la dialyse à domicile, DREES, juillet 2011

Les conditions de mise en œuvre de la télémédecine en unité de dialyse médicalisée, HAS, 2009.

Blotière PO, Tuppin P, Weill A, Ricordeau P, Allemand H. Coût de la prise en charge de l'IRCT en France en 2007 et impact potentiel d'une augmentation du recours à la dialyse péritonéale et à la greffe. *Nephrol Ther* 2010, 6(4):240-247

C. Maynard, D. Cordonnier, Le recours tardif des diabétiques insuffisants rénaux aux néphrologues a un coût humain et financier très élevé, *Diabetes Metab.* 2001, 27, 517-521

Livre blanc de la néphrologie, IRC 2000, sous la direction du Pr D. Cordonnier, *Néphrologie*, 1996

# La prise en charge en cancérologie

---

*La question de la prévention n'est pas traitée dans cette étude. Elle fait l'objet de travaux du HCAAM dans le cadre de son programme 2016-2017.*

## Synthèse

Depuis 2003, la lutte contre le cancer en France est structurée par des plans nationaux visant à mobiliser tous les acteurs autour de la prévention, du dépistage, des soins, de la recherche et de l'accompagnement du patient et de ses proches. La cancérologie est un terrain d'innovations majeures, qu'il s'agisse d'innovations scientifiques, techniques ou organisationnelles. Concentrant enjeux de santé publique et questions économiques, c'est également une discipline modélisatrice pour le système de santé justifiant une analyse spécifique dans le cadre des travaux du HCAAM sur l'innovation. Cette monographie permet d'illustrer plus concrètement les perspectives et les évolutions attendues pour assurer la soutenabilité du système de soins dans ses différentes dimensions sociales, économiques et financières.

## Quelles sont ces innovations ?

Concernant les médicaments anticancéreux, une véritable rupture dans la conception des traitements et la prise en charge des patients est en marche, favorisée par les avancées en bio-ingénierie et les capacités à fabriquer des bio-médicaments complexes. Les progrès de la recherche permettent de préciser les mécanismes biologiques qui sont à l'œuvre dans le développement et la progression des cancers. Des traitements spécifiques sont développés en conséquence. Ils visent à cibler précisément les mécanismes biologiques qui jouent un rôle dans le développement des tumeurs. Cette dimension « moléculaire », transversale vient compléter l'approche par organe basée classiquement sur les caractéristiques histologiques des tumeurs. Cette « médecine de précision » repose actuellement sur deux types de traitements : les thérapies ciblées et l'immunothérapie spécifique (qui permet de restaurer ou d'améliorer les capacités du système immunitaire à se défendre et donc à combattre le cancer). Toutefois, ces médicaments ne concernent ni tous les cancers ni tous les patients, certains traitements étant prescrits en fonction des caractéristiques de la tumeur.

Eu égard à leurs modes d'action qui reposent sur des mécanismes physiopathologiques et des justifications pharmacologiques claires, les nouveaux médicaments qui arrivent sur le marché bénéficient d'une diffusion précoce contribuant à l'effacement des frontières entre soins et recherche. Ce modèle de continuum soins-recherche qui semble se dessiner appelle à des évolutions sensibles en termes d'évaluation notamment en développant des évaluations en vie réelle et une plus forte intégration au niveau européen. Il nécessite également de s'interroger sur les modalités d'accès au marché et à la fixation des prix. Par ailleurs, le développement de formes orales ou sous-cutanées qui contribue au développement de l'ambulatoire pose la question de leur utilisation dans un environnement sécurisé pour les patients et de la mobilisation du numérique pour l'observance et le suivi des traitements à domicile.

Sur le plan des techniques, de nombreuses innovations apparaissent également, conduisant à un degré élevé de spécialisation des prises en charge. Par exemple, les techniques de radiologie interventionnelle permettent des actes plus précis et moins invasifs. Il s'agit d'accéder en profondeur à des tumeurs par les voies naturelles, par voie endovasculaire ou par voie transcutanée et de détruire localement des petites tumeurs ou des métastases. La radiothérapie peropératoire vise quant à elle la désescalade thérapeutique. Par exemple pour le cancer du sein, il s'agit de remplacer 25 séances de radiothérapie par une seule séance au moment de l'acte chirurgical. Cette technique

est en cours d'évaluation par la HAS. Enfin, avec le développement d'outils d'analyse de l'ADN de plus en plus performants, il devient possible d'obtenir, pour un grand nombre de patients, un profil de plus en plus complet de chaque tumeur (appelé « portrait moléculaire »).

Ces techniques favorisent les évolutions de pratiques permettant des prises en charge ambulatoire plus nombreuses, des prises en charge plus légères ou de mieux cibler les patients éligibles ou non à tel ou tel type de prise en charge. Toutefois, certaines évolutions sont mal identifiées. Des pratiques échappent à la veille technologique ou se diffusent plus ou moins librement. Au-delà de la question des délais d'intégration de l'innovation dans les nomenclatures, la reconnaissance du bien-fondé de ces pratiques et l'information des patients et des professionnels de santé qui les suivent sur l'existence de prises en charge innovantes, sécurisées et efficaces sont des enjeux cruciaux. Il s'agit également de donner aux usagers et aux patients les moyens d'être plus actifs et participatifs dans la prise de décision concernant leur prise en charge.

La cancérologie qui bénéficie de filières de prise en charge spécifiques et bien identifiées est également un terrain d'expérimentation fertile pour les innovations organisationnelles. Des dispositifs sont déjà déployés ou en cours de déploiement au niveau national comme la généralisation des réunions de concertation pluridisciplinaire pour tous les patients, le diagnostic d'annonce ou la mise en place d'un dossier de cancérologie communicant. La mise en place dans toutes les régions de plateformes de génétique moléculaire qui ont pour vocation de réaliser des tests moléculaires innovants a été soulignée comme un grand succès au niveau international. Sur le plan organisationnel, la coordination des soins est un enjeu majeur. Est ainsi en cours d'expérimentation au niveau national la place des infirmières pour la coordination des soins. Au niveau local, des initiatives plus ponctuelles sont menées par les acteurs afin notamment d'améliorer les échanges et la transmission d'information. Ces solutions de coordination qui reposent de plus en plus sur les nouvelles technologies de l'information se développent à ce niveau et ce bien qu'elles ne bénéficient pas toujours d'un modèle économique pérenne. Elles devraient faire l'objet d'une politique harmonisée au niveau national et plus volontariste au risque de voir se développer des projets locaux qui à terme risquent d'obérer l'implémentation de solutions nationales.

## **Quelles sont les perspectives pour le système de soins à moyen terme ?**

Le cancer est la cause d'une morbidité et d'une mortalité importante dans la population. En France, environ 3 millions de personnes de 15 ans ou plus vivent avec un cancer ou un antécédent de cancer. Grâce aux progrès médicaux, les guérisons et la survie globale augmentent et la maladie se chronicise. Aujourd'hui environ une personne sur deux guérit après un diagnostic de cancer. Toutefois, le risque de cancer augmentant avec l'âge (40% des cancers surviennent chez des personnes âgées de 75 ans ou plus), le nombre de cas de cancer va inéluctablement croître dans l'avenir avec le vieillissement de la population. D'après des travaux de l'INCa, les projections démographiques conduisent toutes choses égales par ailleurs à estimer un accroissement du nombre de cas de 20% chez les plus de 75 ans ce qui porterait le nombre de nouveaux cas diagnostiqués à 135 000 en 2025 (contre 112 000 en 2012) dans cette tranche d'âge.

Les dépenses de soins liées au cancer pèsent fortement sur les dépenses d'assurance maladie. Elles représentent environ 10% de la dépense totale dans le champ de l'ONDAM. Ces dépenses croissent plus vite que les effectifs de personnes prises en charge : 4,3% vs 0,7% sur la période 2011-2013. Le poids des dépenses de médicaments est particulièrement problématique pour l'avenir. À ce jour, 46 médicaments de précision sont disponibles dans 18 types de cancer. En 10 ans la part des thérapies ciblées dans le marché des anticancéreux est passée de 11% à 46%. Les dépenses de médicaments pourraient doubler d'ici 3 ans pour atteindre 5 milliards d'euros. Cette croissance serait portée par les thérapies ciblées et l'immunothérapie spécifique qui arrive sur le marché. Le développement de l'immunothérapie spécifique pourrait en effet être massif notamment du fait d'indications larges dans le cancer du poumon. A cela, il convient d'ajouter la multiplication des options thérapeutiques, elles-mêmes potentiellement coûteuses puisque ces nouvelles molécules



viennent enrichir les stratégies médicamenteuses existantes sans s'y substituer. L'extension des indications et les prescriptions hors AMM seront par ailleurs très probables. Le prix unitaire très élevé de ces traitements pose des questions quant à la capacité de notre système à absorber ces coûts. Compte tenu que des associations de ces molécules sont déjà envisagées, il faut penser un nouveau modèle d'accès au remboursement et de fixation des prix. Il s'agit également d'agir sur le prix des médicaments. Cela passe par une meilleure coordination entre les Etats au niveau international.

Des évolutions dans les prises en charge doivent également être anticipées. Ces évolutions ont un impact sur l'organisation des établissements et les besoins en équipements lourds (scanners, IRM, TEP,...). En se basant sur les travaux d'Unicancer qui viennent d'être réactualisés, il est à prévoir d'ici 2025, une augmentation des files actives (environ 10% pour l'ensemble des centres de lutte contre le cancer) et des besoins croissants pour l'ensemble des segments d'activité qu'il s'agisse de l'activité en hôpital de jour, en médecine ou en chirurgie, du développement de la radiothérapie stéréotaxique ou de la radiologie interventionnelle. Cette évolution se traduirait par une baisse de l'activité en hospitalisation complète pour la chirurgie au profit de la chirurgie ambulatoire. La décroissance de la durée moyenne de séjour se poursuivrait également pour les séjours en hospitalisation complète. Toutefois, d'un point de vue systémique, même si les hospitalisations conventionnelles devraient être de plus en plus courtes, il s'agira de faire face à un accroissement du nombre de recours liés aux évolutions démographiques et à la chronicisation de la maladie.

## **Innovations médicales : quelles évolutions organisationnelles appellent-elles ?**

Augmentation des files actives, brouillage des frontières entre soins et recherche, hyperspécialisation des prises en charge, développement des possibilités de prise en charge ambulatoire et à domicile, coût élevé des nouveaux traitements, les défis pour le système de soins sont nombreux et s'articulent autour de l'intégration et du décloisonnement des prises en charge et de la soutenabilité financière du système. Pour les patients, il s'agit d'assurer l'accès à des soins très techniques et de qualité répondant précisément à leurs besoins sur l'ensemble du territoire tout en préservant la continuité et la fluidité des parcours de soins qui conditionnent la qualité de vie et les résultats des traitements eux-mêmes. Avec la chronicisation de la maladie, les phases de transition ville-hôpital vont se multiplier. Mais la majeure partie du parcours des patients se réalisant en ambulatoire ou à domicile, les enjeux de la coordination entre les professionnels intervenant aux différents niveaux de prise en charge s'en trouvent renforcés. L'enjeu est donc de maîtriser à la fois l'accès à des traitements de précision hyper-spécialisés et la poursuite des soins à domicile pour des patients aux besoins très différents. Il s'agit de relever les défis de l'intégration et du décloisonnement : intégration de la recherche aux soins et parallèlement décloisonnement et intégration des prises en charge au plus près du lieu de vie des patients dans un environnement sécurisé. Il s'agit aussi de répondre à l'augmentation d'activité et de diminuer les délais de prise en charge.

Les évolutions portées par une hyperspécialisation des professionnels et le développement de plateaux techniques de haute technicité vont de pair avec une offre de plus en plus spécialisée incitant à la concentration des ressources et à la gradation des prises en charge. Le HCAAM préconise ainsi une approche graduée des prises en charge permettant une meilleure allocation des ressources en fonction des situations avec, dans ce cadre, une clarification du rôle des acteurs en particulier du rôle de chaque établissement en lien avec la ville sur un territoire donné. Il s'agit de donner un sens concret aux objectifs d'organisation qui doit être en phase avec le continuum des soins et les évolutions des prises en charge (ambulatoire, chimiothérapie à domicile, radiothérapie hypofractionnée, allongement des durées de traitement...). Une mise en œuvre concrète impose une meilleure lisibilité et une clarification des missions, des champs d'intervention clairs et des articulations formalisées entre les acteurs. En particulier les établissements qui participent aux prises en charge (structures de courts séjours, HAD, SSR, ...) doivent être clairement identifiés dans les

parcours de soins. Dans ce cadre, il faut également penser à accompagner la dynamique d'hyperspécialisation par une politique permettant d'assurer l'accès des patients à des soins spécialisés éloignés de leur lieu de résidence, en développant des hébergements temporaires non médicalisés.

La coordination des soins bénéficie d'une attention particulière mais morcelée. Des solutions visant à améliorer la coordination sont implémentées ou expérimentées que ce soit au niveau national garantissant une certaine cohérence de l'action publique ou au niveau local avec le risque de fragmentation et d'épuisement en raison de leur fragilité et du fait qu'elles reposent sur la bonne volonté et le dynamisme des acteurs locaux. Un bilan complet de ces dispositifs doit être réalisé afin d'en tirer les enseignements et de mettre œuvre une politique réaliste et partagée. Les besoins de connaissance sont importants sur l'ensemble des parcours de soins des patients dont l'analyse en particulier médicoéconomique reste fragmentée et ne permet pas d'avoir une vision stratégique de la place de nouveaux acteurs du parcours. Ces analyses doivent être promues. En particulier, la question se pose de développer des paiements incitatifs à la coordination et si oui, lesquels. Enfin, formaliser la coordination n'est pas coordonner. Il faut mobiliser davantage les patients et les acteurs intervenant dans les prises en charge des cancers et créer les conditions qui favorisent l'intérêt à agir.

## Introduction

En France, 3 millions de personnes vivent avec ou après un cancer. Grâce aux progrès médicaux, les guérisons et la survie globale augmentent : plus d'une personne sur deux guérit après un diagnostic de cancer. Toutefois le cancer reste la première cause de mortalité notamment avant 65 ans, chez les hommes comme chez les femmes.

La France bénéficie d'une politique nationale de lutte contre le cancer très volontariste et portée au plus haut niveau qui facilite la recherche et la diffusion de l'innovation. Depuis 2003, la lutte contre le cancer en France est structurée par des plans nationaux visant à mobiliser tous les acteurs autour de la prévention, du dépistage, des soins, de la recherche et de l'accompagnement du patient et de ses proches. Elle est portée et coordonnée depuis la loi d'août 2004 par l'Institut national du Cancer (INCa) qui a donné une impulsion très forte dans la lutte contre le cancer en développant notamment une vision intégrée de la pathologie. Le Plan cancer 2014-2019 a pour ambitions de mettre plus rapidement les innovations au service des malades et de donner à chacun, sur l'ensemble du territoire, les mêmes chances de guérir.

La cancérologie est un terrain d'innovations scientifiques et techniques d'excellence. Bénéficiant de filières de prise en charge spécifiques et identifiées, c'est également un champ expérimental pour les innovations organisationnelles. L'essor de nouveaux types de traitement (chimiothérapie orale, chirurgie ambulatoire, radiologie interventionnelle, radiothérapie hypofractionnée...) dans un contexte d'évolution de la population cible (plus âgée et polypathologique) nécessite une adaptation des organisations.

L'enjeu est de maîtriser à la fois les traitements de précision hyper-spécialisés et la poursuite des soins à domicile (incluant les établissements substituts du domicile) pour des patients aux besoins très différents. Il s'agit de relever les défis de l'intégration et du décloisonnement : intégration de la recherche aux soins et parallèlement décloisonnement et intégration des prises en charge au plus près du lieu de vie des patients dans un environnement sécurisé.

Il s'agit aussi de répondre à l'augmentation d'activité et de diminuer les délais de prise en charge.

D'après l'INCa, les dépenses relatives aux médicaments du cancer seront très fortement impactées dans les 3 à 5 ans notamment avec la diffusion de l'immunothérapie. Le prix unitaire très élevé des innovations médicamenteuses tiré à la hausse par un marché international (où les prix sont libres dans la plupart des cas) pose des questions quant à la capacité de notre système à absorber ces coûts. Compte tenu que des associations de ces molécules sont déjà envisagées, il faut penser un nouveau modèle d'accès au remboursement et de fixation des prix et de façon plus globale à un nouveau modèle de régulation transversale de l'oncologie médicale.

## 1. Etat des lieux et perspectives

### A. Les chiffres du cancer

#### Données épidémiologiques

En France, environ 3 millions de personnes âgées de 15 ans ou plus ont des antécédents de cancer ou vivent avec un cancer en cours de traitement. Les cancers les plus fréquents sont les cancers de la prostate chez l'homme et les cancers du sein chez la femme, suivis par les cancers du poumon et du colon-rectum. L'âge médian au diagnostic est de 67 ans chez les femmes et 68 ans chez les hommes. En termes de morbidité, les cancers sont la deuxième cause de reconnaissance d'affection de longue

durée (ALD) après les maladies cardiovasculaires. Fin 2013, près de 2 millions de personnes affiliées au régime général de l'assurance maladie bénéficiaient d'une ALD pour tumeur maligne (ALD 30)<sup>28</sup>.

En 2015, on estime à 385 000 le nombre de nouveaux cas de cancer survenus en France métropolitaine (211 000 chez les hommes et 174 000 chez les femmes)<sup>29</sup>. Ce chiffre a plus que doublé depuis 1980. Le risque de cancer augmentant avec l'âge, la hausse est en partie attribuable à l'augmentation de la population et à son vieillissement. Chez l'homme, l'augmentation du nombre de nouveaux cas de cancer entre 1980 et 2012 se décompose ainsi : 31% sont attribués à l'accroissement de la population, 34% à son vieillissement et 43% à l'augmentation du risque lui-même. Chez la femme, ces chiffres sont respectivement de 34%, 22,5% et 55%<sup>30</sup>. Si l'on rapporte le nombre de cas à l'ensemble de la population, les taux d'incidence (estimés à 362,4 pour 100 000 hommes et 272,6 pour 100 000 femmes en 2015) ont globalement cru depuis 25 ans mais une inversion de tendance semble se dessiner depuis 2005 avec une baisse de l'ordre de 1% par an chez les hommes et un ralentissement de la progression chez les femmes (+0,2% par an). Les évolutions d'incidence sont complexes à interpréter, car elles sont à la fois la traduction de l'évolution du risque d'être atteint d'un cancer (exposition aux risques liés à des facteurs individuels comme le tabagisme ou la consommation excessive d'alcool, aux pratiques individuelles de dépistage et à l'exposition à des facteurs environnementaux comme la pollution ou l'exposition aux pesticides) mais reflètent aussi l'évolution des techniques médicales conduisant à avancer le moment du diagnostic ou à diagnostiquer des tumeurs qui seraient autrement passées inaperçues.

Aujourd'hui, on estime que plus d'une personne sur deux guérit après un diagnostic de cancer. Toutefois les tumeurs sont depuis 2004 la principale cause de décès devant les maladies de l'appareil circulatoire. On observe une différence chez les hommes et les femmes pour lesquelles les maladies cardio-neurovasculaires restent encore la première cause de décès. En 2015, le nombre de décès par cancer est estimé à 84 000 chez les hommes et 65 500 chez les femmes<sup>2</sup>. Les tumeurs représentent plus de 40% des décès avant 65 ans<sup>31</sup>. A tous les âges, la mortalité chez les hommes est plus élevée que celle des femmes. Pour la mortalité par tumeurs, la surmortalité est encore plus marquée : le taux standardisé de mortalité par tumeurs malignes est 2 fois plus élevé chez les hommes et la surmortalité masculine concerne toutes les localisations cancéreuses, à l'exception de celles spécifiquement féminines (sein, ovaire, utérus). On retrouve ici le poids de la mortalité prématurée attribuable à l'alcool et au tabac, mais également celui des expositions professionnelles et des comportements nutritionnels plus favorables aux femmes. Toutefois, l'évolution des comportements des femmes vis-à-vis du tabac et de l'alcool est dès à présent lisible dans l'évolution des taux standardisés de mortalité pour les tumeurs des voies aériennes supérieures, du poumon et du foie<sup>32</sup>.

#### Personnes âgées et cancers

L'INCA estime en 2008, que sur les 3 millions de personnes âgées de 15 ans et plus vivant en France métropolitaine et ayant eu un diagnostic de cancer au cours de leur vie près de 40% d'entre elles sont âgées de 75 ans et plus. L'incidence du cancer augmente régulièrement au cours de la vie. En 2012, 115 000 nouveaux cas de cancer (53,7% chez l'homme) sont estimés chez les personnes âgées de 75 ans ou plus en France métropolitaine, soit près d'un tiers des cancers diagnostiqués tous âges confondus. Pour les personnes plus âgées (85 ans ou plus), environ 36 000 nouveaux cas sont estimés, soit près de 10% de l'ensemble des cas des cancers diagnostiqués. D'après les projections réalisées (figure) en 2025, le nombre de cas de cancers diagnostiqués pourrait augmenter de près de 20% dans cette tranche d'âge.

On retrouve, en matière d'incidence, la même répartition des types de cancers que dans la population tous âges. Les cancers les plus fréquents sont, chez les hommes de 75 ans et plus, le cancer de la prostate, le cancer colorectal et le cancer du poumon et, chez les femmes, le cancer du sein, le cancer colorectal et le cancer du poumon. La survie varie considérablement selon la localisation du cancer et diminue avec l'âge. Le pronostic moins bon chez les sujets âgés s'explique par un diagnostic plus tardif, à un stade plus avancé et des comorbidités limitant le traitement curatif. La décision

<sup>28</sup> Données de l'assurance maladie – site améli.

<sup>29</sup> Leone N, Voirin N, Roche L et al. Projection de l'incidence et de la mortalité par cancer en France métropolitaine en 2015. Rapport technique – InVS – novembre 2015.

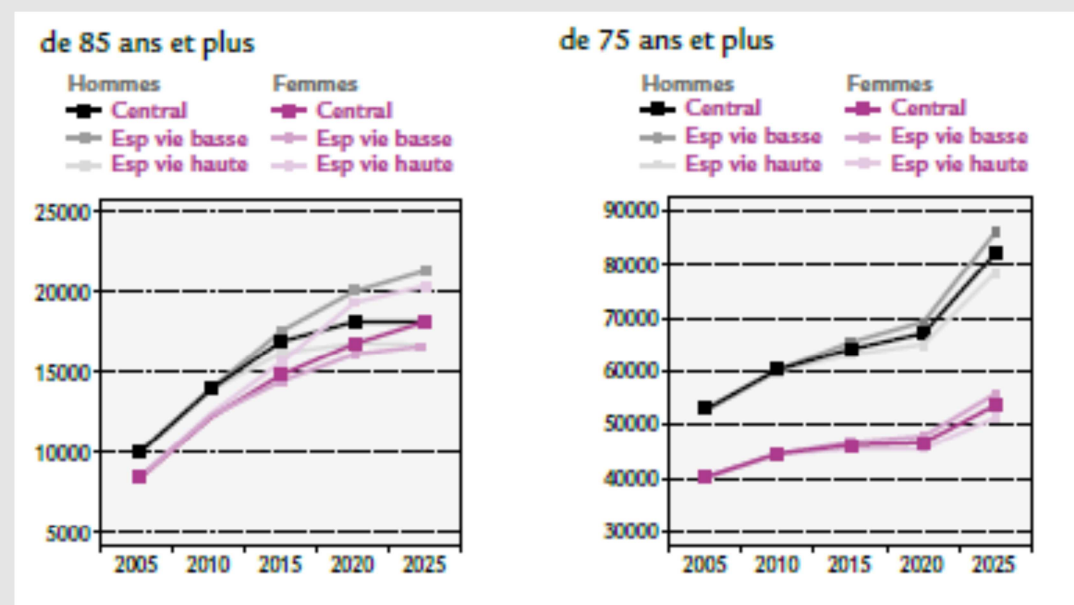
<sup>30</sup> Les cancers en France, édition 2014. INCa. 245p.

<sup>31</sup> La part des décès survenant avant 65 ans (mortalité prématurée) est globalement de l'ordre de 20%.

<sup>32</sup> L'état de santé de la population en France. DREES - édition 2015, 326p.

de traiter dépend de la balance bénéfico-risque liée à l'efficacité des traitements d'une part et à leur toxicité d'autre part. Cette balance est plus défavorable chez les patients âgés. Toutefois on estime globalement que les personnes âgées sont à risque de sous-traitement. Les cancers des personnes âgées peuvent être traités avec autant de succès que chez l'adulte plus jeune mais nécessitent des prises en charge adaptées à la polypathologie et aux comorbidités souvent associées.

Figure – Évolution du nombre de cas de cancers dans la population jusqu'en 2025\*



\* en fonction des scénarios d'évolution de la population + hypothèse de maintien des taux par âges estimés pour 2005

Sources : INCA

Depuis 2003, la lutte contre le cancer en France est structurée par des plans nationaux. L'oncogériatrie s'est imposée à la faveur du plan cancer 2003-2007. Le plan 2009-2013 a introduit la notion de prise en charge personnalisée et initié le développement d'unités de coordination ou d'antennes en oncogériatrie. Le Plan cancer 2014-2019 consacre deux de ses actions spécifiquement à l'oncogériatrie. De nombreux outils (par exemple des outils d'évaluation gériatriques pour le repérage des fragilités afin d'adapter les traitements) et des organisations (unités de coordination et antennes en oncogériatrie) se sont développés pour améliorer la prise en charge des personnes âgées et pour développer et structurer la recherche clinique. La coordination des soins à domicile demeure l'un des points faibles de la prise en charge des personnes âgées souffrant de cancer. Elle a donné lieu à des expérimentations de parcours personnalisés des patients pendant et après le cancer.

Sources : INCA

Pour l'ensemble des cancers, on observe globalement depuis 1980 une baisse de la mortalité par cancer. La mortalité dépend du nombre de cas incidents (nouveaux cas), de la proportion de cas de stade avancé au moment du diagnostic et de l'efficacité des prises en charge. Parmi les nouveaux cas, les cancers de mauvais pronostic sont à la baisse. L'apparition de nouveaux traitements et les modifications des pratiques médicales qui entraînent des diagnostics plus précoces expliquent en partie ces évolutions et expliquent également que la survie des personnes atteintes de cancers soit en augmentation et comparable ou supérieure à la moyenne européenne. En France, globalement la survie augmente d'environ 1,5% par an depuis 15 ans. Il convient toutefois de noter que la survie à 5 ans<sup>33</sup> varie considérablement selon la localisation cancéreuse, de 4% pour le mésothéliome pleural

<sup>33</sup> Il s'agit de la survie nette, c'est-à-dire la survie que l'on observerait si le cancer était la seule cause de décès possible. Le calcul a été réalisé sur la période 2005-2010 chez des personnes atteintes de cancer diagnostiqué entre 1989 et 2010. La survie nette est un indicateur épidémiologique important car, en s'affranchissant des éventuelles variations de mortalité liées aux autres causes de décès, elle permet de comparer l'efficacité du système de soins entre différentes périodes dans un même pays ou entre pays, ce qui n'est pas le cas avec la survie observée. Seules les tumeurs solides ont été analysées, les hémopathies malignes ne sont pas de le champ de l'étude.

Toutes les données présentées sont issues du rapport « Survie des personnes atteintes de cancer en France métropolitaine 1989-2013 ». Anne Cowppli-Bony *et al.* Étude à partir des registres des cancers du réseau Francim. Février 2016. INCa, InVS, HCL, Francim.

à 96% pour le cancer du testicule chez les hommes et de 7% pour le cancer du pancréas à 98% pour le cancer de la thyroïde chez les femmes. Un quart des cancers diagnostiqués ont une survie nette inférieure à 33% à 5 ans. Ces cancers de mauvais pronostic représentent 31% des cancers chez les hommes et seulement 17% chez les femmes. Ces différences entre hommes et femmes s'expliquent en grande partie par le fait que plusieurs cancers de très mauvais pronostic (cancer du poumon, de l'œsophage, du foie,...) sont plus fréquents chez les hommes. De plus, il est probable que les femmes bénéficient d'une plus grande précocité de diagnostic liée à une sensibilisation accrue à la prévention et au dépistage. Les facteurs qui influencent la survie sont nombreux. Parmi ces facteurs, l'efficacité des traitements anticancéreux a un rôle majeur. On notera, par ailleurs, que l'existence d'un dépistage peut avoir des conséquences paradoxales sur la survie. C'est le cas du cancer du col utérin dont la survie diminue entre 1989 et 2010. Le dépistage permet le diagnostic de lésions précancéreuses, se traduisant par une baisse de l'incidence. Ainsi, les cancers diagnostiqués au stade invasif sont moins nombreux, mais comportent une proportion plus importante de cancers de mauvais pronostic, ce qui induit une baisse de la survie des cancers invasifs diagnostiqués<sup>29</sup>.

## Dépenses de soins

En 2013, sur les 56 millions de personnes affiliées au régime général, 34% ont eu un recours à des soins pour une maladie chronique parmi lesquelles 2,5 millions ont été prises en charge pour un cancer.

Les dépenses liées au cancer dans le champ de l'ONDAM se sont élevées à 15,1 milliards d'euros et représentent 10% de la dépense totale. C'est le 2<sup>e</sup> poste de dépense pour les maladies chroniques derrière les maladies psychiatriques, au même niveau que les maladies cardio-neuro-vasculaires. Les soins hospitaliers concentrent la majorité des dépenses à hauteur de 55%. Au sein des soins de ville qui représentent 37% de la dépense totale, les médicaments représentent le poste de dépense le plus important (45% des dépenses), suivi des soins de médecins et des transports (16% pour chaque poste)<sup>34</sup>. Les dépenses moyennes par patient sont très variables selon que le cancer est en phase active ou non (tableau 1).

Les dépenses liées au cancer croissent plus vite que les effectifs de personnes prises en charge pour cancer qui ont peu évolué depuis entre 2011 et 2013 (4,3% an vs 0,7%). L'accroissement est de 545 millions d'euros sur la période.

**Tableau 1. Effectifs et dépenses moyennes remboursées par an et par patient en 2013 pour le cancer\***

	Effectifs	Dépense moyenne totale	dont soins de ville	dont hospitalisations	dont prestations en espèces
<b>Cancers</b>	2 460 700	5 155 €	1 936 €	2 867 €	352 €
<b>dont</b>					
<b>Cancers actifs</b> <sup>35</sup>	1 031 700	10 893 €	3 685 €	6 663 €	544 €
<b>Cancers surveillés</b>	1 499 700	966 €	642 €	120 €	204 €

Champ : régime général (y compris SLM). France entière

\* Ces montants restent élevés quand on les compare aux autres grandes pathologies prévalentes (maladies cardio-neurovasculaires : 3 569 euros pour 3,5 millions de bénéficiaires traités ; diabète : 2 174 euros pour 2,9 millions de bénéficiaires traités ; maladies respiratoires chroniques hors mucoviscidose : 870 euros pour 2,9 millions de bénéficiaires traités). D'autres pathologies sont plus coûteuses mais concernent moins de personnes : pathologies cardio-

<sup>34</sup> CNAMTS, Analyse médicalisée de l'ONDAM, rapport Charges et produits 2016. 186p.

<sup>35</sup> Un **cancer actif** est défini sur deux ans à partir du PMSI-MCO (DP ou DR spécifiques du cancer, y compris les formes *in situ*, ainsi que les codes en Z de chimiothérapie et radiothérapie) et/ou des ALD apparues sur les deux ans. Un **cancer sous surveillance** est défini à partir du PMSI-MCO (DP ou DR spécifiques dans les cinq ans, ou DA dans l'année n ou n-1) et/ou des ALD. Un cancer est donc considéré comme actif s'il a donné lieu, dans les deux ans (année n ou n-1), soit à une hospitalisation pour traitement à l'exclusion des hospitalisations pour bilan seul, soit à une hospitalisation pour métastase, soit à l'initiation d'une prise en charge pour ALD, soit à un traitement par certaines thérapies ciblées (trois délivrances l'année n ou n-1).

neurovasculaires aiguës (n= 310 800 : dépenses moyennes remboursées = 10 045 euros) ; dialyse chronique pour les patients en Insuffisance rénale chronique terminale (n= 39 400 : dépenses moyennes remboursées = 65 091 euros).

Source : CNAMTS, *Analyse médicalisée de l'ONDAM*.

En 2014, 5,6 millions de patients ont été transportés (tous régimes), soit 8% de la population des consommateurs, et le coût de ces transports pour l'Assurance Maladie s'est élevé à 4 milliards d'euros. La répartition des dépenses de transport en fonction des pathologies des patients montre que 22% des dépenses, soit 860 millions d'euros, concernent des patients atteints de cancer. C'est la première cause des dépenses de transport.

En 2014, les médicaments de spécialité (traitement du VIH, du cancer, de la polyarthrite rhumatoïde de la sclérose en plaques, de la DMLA...) continuent d'être les principaux moteurs d'augmentation des dépenses. Hors rétrocession, ils s'accroissent de 156 millions d'euros par rapport à 2013. Parmi ces médicaments, les traitements du cancer ont enregistré la plus forte croissance (+ 150 millions d'euros, soit + 8,4%).

## B. La lutte contre le cancer : une volonté politique affirmée

Depuis les États généraux du cancer organisés par la Ligue nationale contre le cancer en 1998, le cancer bénéficie d'une attention accrue des pouvoirs publics. En devenant une « priorité présidentielle », la lutte contre le cancer s'est amplifiée en France dès 2003. Le premier plan de lutte national contre le cancer 2003-2007 a été renouvelé en 2009 puis en 2014 (3<sup>e</sup> plan cancer). Mesure emblématique du 1<sup>er</sup> plan cancer, la création par la loi de santé publique du 9 août 2004 de l'institut national du cancer (INCa), agence d'expertise sanitaire et scientifique chargée de coordonner les actions de lutte contre le cancer, a permis d'impulser une dynamique décisive dans la lutte contre le cancer et dans la prise en charge des malades et de jouer un rôle d'accélérateur de progrès, en apportant une vision intégrée de l'ensemble des dimensions sanitaire, scientifique, sociale, économique liées aux pathologies cancéreuses ainsi que des différents champs d'intervention (prévention, dépistage, soins, recherche).

Le Plan cancer 2003-2007 a défini une première stratégie globale de lutte contre le cancer et permis d'organiser une coordination des acteurs à l'échelon territorial en créant les réseaux régionaux de cancérologie (RRC), les centres de coordination en cancérologie (3C), et les sept cancéropôles<sup>36</sup> ; le deuxième plan cancer (2009-2013) a introduit la notion de prise en charge personnalisée. L'accès à l'innovation était au centre de ce plan. Le Plan cancer 2014-2019 a pour ambitions de mettre plus rapidement encore les innovations au service des malades et de donner à chacun, partout en France, les mêmes chances de guérir.

Parmi les avancées significatives de ces dix dernières années, on peut citer la généralisation du dépistage organisé du cancer du sein et plus récemment du cancer colorectal. Des critères définissant le standard minimum de qualité dans la prise en charge ont été établis, les établissements de santé devant satisfaire à ces critères pour être autorisés à traiter des malades atteints de cancer (en chirurgie, en radiothérapie et en chimiothérapie)<sup>37</sup>. Des innovations en matière de prise en

---

<sup>36</sup> 7 cancéropôles ont été créés dès 2003 lors du premier Plan cancer. Ce sont des structures de **coordination des opérateurs de recherche** à l'échelle d'une région ou d'une inter-région, et qui exercent leur mission dans un champ disciplinaire unique : la cancérologie. Ils ont été labellisés une première fois par l'INCa en 2011. Les cancéropôles sont reconduits par le Plan cancer 2014-2019, avec une adaptation de leurs objectifs et de leurs missions. En 2014, l'INCa a organisé une nouvelle procédure de labellisation de ces structures pour la période 2015-2017.

<sup>37</sup> Le 3<sup>e</sup> plan cancer prévoit l'évolution des critères d'autorisation des établissements prenant en charge les patients atteints de cancer en définissant des indicateurs de qualité de prise en charge des patients par localisation de cancer, établis en lien avec les professionnels, et rendus progressivement accessibles au public par établissement. En outre, le dispositif des autorisations et les critères d'agrément doivent évoluer pour intégrer les nouvelles modalités de prise en charge (telles que la chimiothérapie orale ou la radiologie interventionnelle).

Un changement du régime des autorisations est prévu par la loi de modernisation du système de santé (article 51). Il s'agit de passer d'un système autorisant les équipements d'imagerie appareil par appareil à un système plus dynamique



charge et de coordination des soins (réunions de concertation pluridisciplinaire, plan personnalisé de soins, dispositif d'annonce, soins de support, consultation de fin de traitement) instaurées dès le premier plan cancer dépassent maintenant pour certains dispositifs le cadre strict de la cancérologie (expérimentations PAERPA).

La volonté politique particulièrement affirmée de faire de la lutte contre le cancer une priorité nationale se traduit par une médiatisation importante des plans cancers et par des financements conséquents. L'obligation de résultats est à la mesure des attentes et des financements accordés. A cet égard, un premier rapport de la Cour des comptes en 2008<sup>38</sup> était assez critique sur l'absence de suivi, notamment budgétaire et économique et d'évaluation du plan cancer. Depuis, une gouvernance des plans cancer a été mise en place. Des rapports d'étapes sont publiés annuellement par l'INCa et les plans cancer font l'objet d'évaluations par des organismes indépendants. En 2009, des évaluations ont été menées par le Haut Conseil de la Santé Publique (HCSP)<sup>39</sup> et par l'IGAS sur le volet prévention et organisation des soins du 1<sup>er</sup> plan cancer<sup>40</sup>. Le Plan cancer 2009-2013 fait l'objet d'une évaluation en cours par le HCSP, dans le cadre de l'évaluation de dix ans de lutte contre le cancer. Une évaluation à mi-parcours a été publiée<sup>41</sup>. Des diverses évaluations, il ressort que l'articulation ville-hôpital reste un échec des différents plans : « *l'articulation entre la prise en charge hospitalière et la prise en charge en ville est incontestablement l'un des points les plus faibles du plan cancer. L'accompagnement continu des patients au-delà du traitement initial, notamment dans les périodes charnières entre le traitement curatif et la surveillance, les rechutes, les décisions de non traitement et les soins palliatifs n'est pas assuré et les procédures ne sont formalisées dans aucune des régions visitées* ». Concernant le deuxième plan cancer, il était préconisé de renforcer le rôle central du médecin généraliste dans le parcours des personnes avant, pendant et après la maladie mais aucune mesure précise n'y était associée et cet objectif n'a pas été atteint<sup>42</sup>. De plus, la coordination du parcours de soins reste très hospitalo-centrée sans intervention explicite du secteur médico-social en particulier.

### C. Le cancer en France : perspectives

Avec le vieillissement de la population, le nombre de cas de cancers va inéluctablement augmenter dans l'avenir. Toutefois, l'exercice de projection est complexe car il dépend de nombreux paramètres qu'il est difficile de maîtriser pour certains. En particulier, l'évolution des taux d'incidence et de prévalence en fonction de l'âge dépend à la fois du risque d'avoir la maladie, donc des facteurs de risque auxquels les différentes générations ont été exposées, mais aussi très largement des comportements en matière de dépistage ou de diagnostic qui peuvent être à l'origine d'une anticipation du diagnostic. Par exemple, la diminution de l'utilisation des traitements hormonaux substitutifs de la ménopause aura probablement un impact important à long terme sur l'incidence des cancers du sein qu'il est difficile de prévoir. La prise en compte de facteurs compétitifs du fait de l'augmentation de co-morbidités avec l'âge est également délicate<sup>43</sup>. En faisant l'hypothèse d'un maintien des taux d'incidence des cancers par âge observés en 2005, et à partir des projections démographiques du scénario central de l'INSEE<sup>44</sup>, des travaux menés par l'INCa estiment que 130 000

---

autorisant une activité d'imagerie. Cette nouvelle approche instaurera des règles de qualité, de sécurité et de compétences professionnelles.

<sup>38</sup> « La mise en œuvre du plan cancer ». Rapport thématique – Cour des comptes, juin 2008, 176 pages,

<http://www.ladocumentationfrancaise.fr/rapports-publics/084000337/index.shtml>.

<sup>39</sup> <http://www.ladocumentationfrancaise.fr/rapports-publics/094000084/index.shtml>.

<sup>40</sup> <http://www.ladocumentationfrancaise.fr/var/storage/rapports-publics/094000353.pdf>.

<sup>41</sup> <http://www.hcsp.fr/explore.cgi/avisrapportsdomaine?clefr=296>.

<sup>42</sup> Pr A. Buzyn. Les apports des Plans cancer à la cancérologie. Oncologie (2014) 16: HS4–HS6.

<sup>43</sup> Par exemple les cancers prostatiques surviennent à des âges où la mortalité compétitive est forte. Un gain théorique de deux années de survie permet donc fréquemment de mourir d'autre chose que de son cancer.

<sup>44</sup> Robert-Bobée I, Projections de population 2005-2050 pour la France métropolitaine : méthode et résultats, Documents de travail de l'Insee, n° F0603. Juillet 2006.

cas de cancer seront diagnostiqués en 2025 chez les personnes âgées de 75 ans ou plus (contre 90 000 en 2005)<sup>45</sup>.

Une difficulté de l'exercice de prospective au-delà de l'analyse des évolutions tendanciennes tient largement à la place que l'on accorde ou non à la prévention dans les *scénarii*. Prévenir le cancer, c'est l'ensemble de ce que l'on peut faire, à titre individuel et collectif, pour diminuer le risque de survenue de la maladie. En l'état actuel des connaissances, on estime que 40% des cancers pourraient être évités par des modifications des comportements individuels et collectifs. Si la prévention apparaît ainsi comme un moyen d'action essentiel et efficace pour faire reculer la survenue du cancer, elle nécessite de renforcer les politiques publiques de prévention et de promotion de la santé qui ne porteront leurs fruits et ne seront quantifiables pour le système de santé que des décennies plus tard. Il s'agit également par cette voie de lutter efficacement contre les inégalités de santé car les comportements en matière d'alimentation ou d'activité physique favorables à la santé sont souvent liés à des déterminants sociaux ou économiques et contribuent ainsi aux inégalités observées en France face au risque de cancer. Or ces politiques dépassent largement le champ de la santé. Pour agir sur l'ensemble des déterminants de la santé, il faut une action coordonnée, ainsi que des stratégies et des initiatives communes interministérielles.

Le traitement du cancer associe trois types d'interventions qui peuvent être utilisés seuls ou en association : la chirurgie, la radiothérapie et la chimiothérapie (par voie intraveineuse ou plus rarement par voie sous-cutanée ou orale). Pour la grande majorité d'entre eux, ces traitements nécessitent une hospitalisation en établissement de santé mais peuvent être éventuellement réalisés à domicile pour les chimiothérapies<sup>46</sup>. Conjointement aux soins spécifiques oncologiques dans la prise en charge des malades, les soins de support sont indispensables afin d'assurer la meilleure qualité de vie possible aux patients tout au long de la maladie, sur le plan physique, psychologique et social en prenant en compte la diversité de leurs besoins, ceux de leur entourage et ce quels que soient leurs lieux de soins. L'étude d'Unicancer « Quelle prise en charge des cancers en 2020 ? » identifie les évolutions suivantes : le développement de la chirurgie ambulatoire, la réduction du nombre de séances de radiothérapie (radiothérapie hypofractionnée), le renforcement des chimiothérapies à domicile, le développement de la biologie moléculaire au stade du diagnostic et du traitement grâce aux thérapies ciblées, ainsi que le développement de la radiologie interventionnelle et des soins de support<sup>47</sup>. D'après cette étude qui vient d'être réactualisée, le nombre de séjours de chirurgie ambulatoire devrait quadrupler jusqu'en 2025. Ainsi, le taux de chirurgie ambulatoire passerait de 17% en 2012 à 75% pour la chirurgie du cancer du sein et de 3% à 15% pour la chirurgie des cancers de l'ovaire. Globalement, cela se traduirait par une diminution de 20% de lits en hospitalisation classique en faveur d'une augmentation d'environ 40% de places de chirurgie ambulatoire. Des besoins croissants pour l'ensemble des segments d'activité qu'il s'agisse de l'activité en hôpital de jour, en médecine ou en chirurgie, du développement de la radiothérapie stéréotaxique ou de la radiologie interventionnelle sont anticipés.

Les innovations sur le médicament (développement des thérapies ciblées et de l'immunothérapie, formes orales) et les innovations technologiques (développement d'activité à très forte valeur technologique comme le séquençage haut débit ou la radiothérapie hypofractionnée) ont un impact sur les pratiques de soins et sur la recherche ainsi que sur le développement de bases de données cliniques. L'enjeu sera de maîtriser à la fois ces traitements de précision hyper-spécialisés et la poursuite des soins à domicile pour des patients aux besoins très différents. Il s'agit de relever les

---

<sup>45</sup> Etat des lieux et perspectives en oncogériatrie. Collection Rapports et Synthèses – INCa, mai 2009 – 381p.

<sup>46</sup> Seuls les établissements d'HAD et les réseaux territoriaux de cancérologie sont actuellement en mesure de réaliser des chimiothérapies injectables au domicile.

<sup>47</sup> Quelle prise en charge des cancers en 2020 ? De la chirurgie ambulatoire aux soins de support : les six tendances les plus structurantes pour la prise en charge des patients atteints d'un cancer à horizon 2020. UNICANCER - Dossier de presse 2013 36p.

défis de l'intégration et du décloisonnement : intégration de la recherche aux soins et intégration des prises en charge au plus près du lieu de vie des patients.

## 2. Continuum soins-recherche : une nouvelle problématique

### A. Les médicaments innovants, sources d'incertitude, favorisent l'émergence d'un modèle d'expérimentation permanent

Selon les définitions proposées par l'ANSM, une thérapie est qualifiée de « standardisée » quand elle fait appel à un traitement dit d'ancienne génération qui n'implique pas une thérapie « ciblée » dictée par une cible génomique ou protéique. Une thérapie est qualifiée de « stratifiée » quand elle peut bénéficier à une « strate » ou cohorte de patients qui ont en commun une particularité biologique comme par exemple, l'hyper expression de HER 2 dans le cancer du sein et l'utilisation des médicaments anti HER 2. Une thérapie pourrait devenir « personnalisée » lorsqu'il sera possible de personnaliser les traitements au vu non seulement du génotypage de la tumeur mais aussi du profil des patients (état général, comorbidités, profil génétique...). Le processus de « thérapie personnalisée » n'est donc pas actuellement validé et s'inscrit encore clairement dans le domaine de l'expérimentation<sup>48</sup>.

D'après l'ANSM, les premiers résultats d'identification des anomalies moléculaires montrent que la capacité à proposer un traitement spécifique dicté par les caractéristiques génomiques de la tumeur serait actuellement au mieux de l'ordre de 20% des cas mais devrait s'accroître dans les prochaines années. D'après le rapport d'activité 2014 de l'INCa, le nombre de thérapies ciblées ayant une AMM en cancérologie et disponibles avec un test « compagnon » est passé de deux pour trois indications en 2004 à 16 pour une vingtaine d'indications en 2014.

### Un changement de paradigme dans la conduite des essais cliniques

Une nouvelle approche ou porte d'entrée des traitements anticancéreux est articulée autour des caractéristiques moléculaires de la prolifération tumorale et non plus seulement de la localisation et du type histologique de la tumeur. De plus, le développement des connaissances scientifiques améliore la compréhension de la biologie des tumeurs et l'identification de nouvelles cibles d'action permettant le développement de nouveaux traitements agissant directement sur la cellule tumorale ou son environnement. Sont par exemple identifiées les voies utilisées par certains cancers pour inhiber la réponse immunitaire<sup>49</sup>.

---

<sup>48</sup> Rapport ANSM. Conduite des essais cliniques de médicaments en onco/hématologie ciblés, guidés par la génomique. Décembre 2014. 15p.

<sup>49</sup> Au cours de ces dernières années, un nouveau mécanisme d'échappement tumoral a été mis en évidence. Ainsi après l'activation d'un lymphocyte T (LT), des mécanismes de régulation négatifs de cette activation sont mis en place reposant sur l'augmentation d'expression de molécules de co stimulation inhibitrices. Ces molécules secondairement induites sur les LT vont, après interaction avec leurs ligands souvent exprimés par les cellules tumorales, inhiber différentes fonctions lymphocytaires T. Des essais cliniques ont montré que l'administration d'anticorps dirigés contre ces molécules ou leurs ligands permettait de lever cet état d'anergie avec des résultats cliniques spectaculaires. Ainsi un traitement immunomodulateur par l'anticorps anti- CTLA-4 (cytotoxique T-lymphocyte antigène) ou ipilimumab a démontré son efficacité chez des patients atteints de mélanomes métastatiques. L'administration d'un anticorps anti-CTLA-4 augmente la survie des patients. Cet anticorps est aujourd'hui commercialisé et l'ipilimumab a obtenu une extension d'AMM pour le traitement en 1<sup>ère</sup> ligne du mélanome avancé (avis de la commission de la transparence du 19 novembre 2014). D'autres anticorps bloquant la molécule PD-1 ou son ligand PDL-1 ont également entraîné des réponses cliniques objectives chez des patients atteints de mélanomes métastatiques, de cancer du rein et de cancer du poumon. De façon intéressante, les réponses cliniques observées sont souvent persistantes. Ces molécules levant un frein physiologique à l'activation des LT, des effets secondaires de type auto immunitaire ont été observés lors de l'emploi de ces molécules de façon plus marquée avec l'anti-CTLA-4 qu'avec le blocage de l'axe PD-1- PDL1.

<http://journee-chip.com/files/92/calendrier/carcinose-et-immunotherapie.pdf> (IGR).

De nouveaux modèles d'essais cliniques, essais précoces et combinatoires, apparaissent à la faveur de l'émergence de ces nouveaux traitements (traitements ciblés, immunothérapies spécifiques).

Outre le principe même de ces essais intrinsèquement novateur, des méthodologies nouvelles et très variées leur sont appliquées incluant notamment des protocoles intégrés (plusieurs phases en un seul essai), des « design » adaptatifs, des utilisations/comparaisons de plusieurs médicaments parfois sans AMM (novel-novel)... et ils sont jugés sur des résultats intermédiaires comme le pourcentage de rémission complète. Les essais ne sont plus figés et sont modifiés ou s'adaptent selon les résultats préliminaires, voire selon l'arrivée de nouveaux médicaments ou la découverte de nouvelles mutations. Ces essais peuvent aussi inclure des patients présentant des tumeurs de localisation différentes. Par exemple, le crizotinib, initialement prescrit dans le cancer du poumon, cible des tumeurs présentant des altérations de gènes retrouvées dans plus de 20 types de cancers différents. Par ailleurs, plusieurs anomalies génomiques peuvent être recherchées, pouvant donner ainsi accès à plusieurs thérapies ciblées. Ils sont dits essais « Umbrella ».

Les problèmes méthodologiques pour l'évaluation sont nombreux. En premier lieu, il est difficile de mettre en place des études de puissance statistique suffisante pour une population cible restreinte (par exemple dans le cas d'anomalies moléculaires touchant moins d'1% des patients). Il s'agit également d'analyser conjointement une stratégie diagnostique et l'efficacité d'un traitement ce qui fait appel à des méthodes d'évaluation spécifiques<sup>50</sup>. Les stratégies thérapeutiques sont par ailleurs très évolutives et souvent combinées (associations, usage séquentiel de différentes molécules), rendant difficile l'évaluation *a priori* de l'apport thérapeutique d'un médicament et remettent en cause les critères d'évaluation actuels et les méthodes de conduite d'essais reconnues (larges essais de phase III). Le plus complexe est de déterminer si l'utilisation est préférable en première, deuxième ou troisième ligne.

Ces difficultés n'empêchent pas la mise sur le marché de ces médicaments potentiellement très efficaces pour certains patients. Dans le cadre des procédures européennes, des indications thérapeutiques sont ainsi accordées sur la base d'essais non comparatifs, avec un niveau de preuve plus faible que celui habituellement nécessaire pour l'octroi d'une AMM. La majorité des indications accordées le sont sur des critères d'évaluation autres que la survie globale (critère d'évaluation le plus robuste) comme la survie sans progression ou un taux de réponse qui sont habituellement considérés comme des critères intermédiaires d'évaluation. Il s'agit toutefois de médicaments dont le mode d'action repose sur une justification pharmacologique bien appréhendée, ayant démontré un taux de réponse élevé, dans une situation rare et sans alternative thérapeutique disponible. Les AMM accordées dans ces situations sont presque systématiquement des AMM conditionnelles<sup>51</sup> qui garantissent une diffusion précoce de ces molécules dans un cadre sécurisé.

Ce contexte est source d'incertitudes pour les autorités de remboursement et de fixation des prix : la nouveauté du mécanisme d'action et l'ignorance résultante en termes de sécurité à long terme (exemple des immuno-modulateurs) ; l'hétérogénéité observable de l'efficacité, identifiée par des réponses différentes par sous-groupe ; la difficulté de prévoir la durée de traitement (les rechutes sont fréquentes en raison de l'émergence de sous-clones tumoraux résistants au médicament utilisé) ou inversement de définir une règle d'arrêt de traitement ; l'absence d'essai contre comparateur, ou une durée d'essai jugée trop courte rendent complexes l'anticipation d'un impact budgétaire ou le calcul d'un ratio coût-efficacité<sup>52</sup>. D'un point de vue budgétaire, il faut également prévoir que les traitements à venir vont s'ajouter au développement des autres thérapeutiques anticancéreuses avec un **accroissement de l'offre thérapeutique précoce**. L'avenir est clairement à l'étude de médicaments donnés en combinaison, de façon à circonvier ou à contourner les résistances. Des

---

<sup>50</sup> Méthodologie d'évaluation d'un test compagnon – Guide méthodologique. HAS, Service évaluation des actes professionnels - Février 2014.

<sup>51</sup> Situation de la chimiothérapie des cancers en 2013 – Rapport INCa, 126p.

<sup>52</sup> G. de Pourvoirville, L.Mongrédien . L'accès au marché remboursé pour les médicaments : les contrats de partage de risque fondés sur les résultats — ESSEC-CES – 2012.

résultats très prometteurs laissent penser que la combinaison (ou l'administration séquentielle) de médicaments ciblés inhibant la croissance tumorale, comme les inhibiteurs de certaines tyrosine-kinases, avec d'autres agents intervenant à d'autres étapes du développement tumoral, comme la réponse immunitaire ou l'angiogénèse, apportera des réponses thérapeutiques beaucoup plus durables.

### La nécessité de faire évoluer les dispositifs d'évaluation et d'accès au marché

On le voit, les méthodologies des essais pour les nouveaux traitements ne sont pas standardisées. Le plan cancer 2014-2019 prévoit de faire évoluer les modèles des essais en fonction des évolutions conceptuelles induites par l'arrivée des thérapies ciblées (action 5.6)<sup>53</sup>. En 2013, on dénombre environ 800 molécules ciblant des anomalies particulières liées à la transformation cellulaire, en cours de développement ou en cours d'évaluation. Ces adaptations des modèles des essais doivent être liées à l'évolution des dispositifs d'évaluation (action 5.7). En particulier, le gain de ces traitements pour les patients dans telle ou telle nouvelle indication devrait être mieux appréhendé à un stade précoce. Les autorités d'évaluation et de tarification doivent arbitrer l'intérêt de financer ou non un dispositif de prise en charge précoce par la collectivité ou d'autoriser une AMM précoce et dans quelles conditions.

Le besoin d'outils permettant de hiérarchiser et d'évaluer ces essais est donc impérieux. Il s'agit de privilégier l'évaluation rapide de l'efficacité d'un traitement innovant afin de l'arrêter s'il n'est pas efficace ou s'il n'a qu'un impact marginal sur la durée de survie. Une échelle d'évaluation a été proposée par les professionnels (regroupés au sein de l'ESMO, société européenne d'oncologie médicale) pour estimer la magnitude du bénéfice attendu des traitements du cancer (oncologie solide uniquement) à partir d'essais comparatifs (étude randomisée, étude comparative de cohortes, méta-analyse)<sup>54</sup>. L'utilisation d'échelles de ce type est intéressante car elle vise à signaler quels médicaments présentant d'importants avantages cliniques devraient être considérés afin que les patients puissent y accéder rapidement.

En France, une telle échelle pourrait trouver une utilité lors de l'évaluation de l'éligibilité au remboursement, lors de l'évaluation d'ATU de cohorte et de RTU, étant donné l'évolution rapide des pratiques de prise en charge dans le traitement des cancers, le raccourcissement du cycle des innovations et le nombre croissant d'anticancéreux disponibles. Il s'agit de permettre l'accès des patients aux médicaments incontournables de la pathologie.

Le développement des thérapies ciblées et de l'immunothérapie spécifique et parallèlement les modalités de régulation particulières mises en place par la puissance publique (délivrance d'ATU dès la phase II de développement d'un médicament, AMM conditionnelles, AMM précoces, ASMR conditionnelles demain) favorisent l'émergence d'un modèle d'expérimentation permanent. Dans ce cadre, les modalités de l'évaluation sont questionnées. Pour certains, ces évolutions préfigurent un modèle d'évaluation en 2 étapes articulé autour d'études en vie réelle : (i) une phase d'AMM conditionnelle, en amont de la fixation des tarifs, « phase d'expérimentation en situation semi-réelle de prescription » avec recueil de données dans le cadre d'études observationnelles de grande ampleur ; (ii) une phase post AMM en aval de la prise en charge de ces traitements par la collectivité, reposant sur des données issues des bases de données publiques ou privées (SNIIRAM, PMSI, CépiDc, bases de données cliniques, etc.)<sup>55</sup>. De telles évolutions ne sont toutefois pas sans risques et nécessitent de définir les modalités concrètes de l'évaluation en termes méthodologiques et techniques ainsi que le champ d'application, de façon concertée entre les acteurs, probablement à

<sup>53</sup> L'ANSM a ainsi publié fin 2014 une première série de recommandations pour la « Conduite des essais cliniques de médicaments en onco/hématologie ciblés, guidés par la génomique ».

<sup>54</sup> N. I. Cherny *et al.* A standardised, generic, validated approach to stratify the magnitude of clinical benefit that can be anticipated from anti-cancer therapies: the European Society for Medical Oncology Magnitude of Clinical Benefit Scale (ESMO-MCBS). *Annals of Oncology* 26: 1547–1573, 2015.

<sup>55</sup> [http://www.sante-2025.org/wp-content/uploads/2010/03/Sante\\_2025-fiche-66.pdf](http://www.sante-2025.org/wp-content/uploads/2010/03/Sante_2025-fiche-66.pdf).

un niveau européen. La question du financement de ce type d'études est également soulevée afin d'éviter un transfert de la charge de la preuve sur la collectivité et sur la recherche publique dans le cadre du développement des produits.

### La mise à disposition précoce de médicaments innovants nécessite de revoir la doctrine de prescription hors AMM

Des effets des nouveaux traitements, parfois très importants dans certains sous-groupes peuvent être décrits, justifiant une mise à disposition accélérée. Il faut s'attendre à un accroissement de ce type de demande avec le développement des thérapies ciblées. La mise à disposition précoce de médicaments innovants doit s'accompagner de dispositions garantissant aux patients un accès équitable et sécurisé.

L'encadrement juridique existe (cf. encadré). Toutefois, ces dispositifs s'adressent généralement à peu de patients et l'ensemble des situations cliniques potentiellement cibles ne sont pas toujours couvertes, tous les cas ne faisant pas l'objet d'une stratégie de développement de la part des laboratoires pharmaceutiques. De plus, la population cible d'un traitement est susceptible de s'élargir en fonction de l'évolution des connaissances et des résultats de la recherche, que les méthodologies des nouveaux types d'essais cliniques permettent, ouvrant la voie à l'accroissement de prescriptions hors AMM.

#### Encadrement juridique

L'accès facilité pour les patients aux innovations, notamment aux molécules innovantes avant AMM est possible dans le cadre d'**essais cliniques de phase I ou II** réalisés au sein des centres d'essais cliniques de phase précoce (CLIP) labélisés par l'INCa depuis 2010. En 2015, 16 centres de recherche clinique de phase précoce en oncologie ont à nouveau été labélisés pour une durée de quatre ans. Ces centres se répartissent en 5 centres de lutte contre le cancer (CLCC), 4 centres hospitalo-universitaires (CHU) et 7 regroupements de CHU-CLCC. Le nombre de patients inclus dans des essais cliniques de phase précoce est en constante augmentation depuis 2010 mais finalement assez faible. Au total, entre 2010 et 2013, 9 972 patients ont été inclus et 671 nouveaux essais ont été réalisés<sup>56</sup>.

Cet accès précoce est aussi possible via les dispositifs spécifiques que sont l'ATU et la RTU :

- L'ATU (autorisation temporaire d'utilisation) est une mesure dérogatoire à l'autorisation de mise sur le marché (AMM) inscrite dans le code de la santé publique (articles L 5121-12 et R 5121-68 à 71). Elle peut être accordée, à titre exceptionnel, si le médicament vise à traiter une pathologie rare ou grave, s'il n'y a pas de traitement alternatif approprié et si l'efficacité et la sécurité du médicament sont fortement présumées (s'agissant de l'ATU de cohorte) ou présumées (pour ce qui concerne les ATU nominatives). Les médicaments faisant l'objet d'une ATU sont pris en charge par l'assurance maladie à prix libre à 100% pendant la durée de validité (financement MERRI à l'hôpital et sur l'enveloppe ONDAM – soins de ville pour les médicaments rétrocedés). L'**ATU de cohorte** est demandée par l'industriel, qui doit s'engager à déposer une demande d'AMM. Tous les patients de la cohorte sont traités et surveillés suivant des critères établis dans un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations. Les **ATU nominatives** sont délivrées à la demande et sous la responsabilité du médecin prescripteur. L'octroi d'une ATU nominative est soumis à condition par l'ANSM qui demande que soit remplie l'une des conditions suivantes : (i) demande d'une ATU de cohorte ou d'AMM en cours ; (ii) essai ou demande d'essai clinique conduit en France ne pouvant inclure le patient concerné. La mise en place d'un protocole d'utilisation et de recueil d'information n'est pas systématique.
- La réglementation actuelle permet également des prescriptions hors AMM encadrées notamment au travers des **recommandations temporaires d'utilisation RTU** (après signalement par l'INCa ou avis de l'INCa après saisine de l'Ansm). Après l'AMM, la loi introduit ainsi la possibilité de recourir à une RTU dans une indication donnée, qui peut être proposée par l'ANSM, dans des conditions très règlementées, s'il existe des données ou des preuves d'efficacité. Un suivi doit être mis en place et financé par le laboratoire (mais le médicament est financé par la collectivité sous réserve d'un avis favorable de la HAS). La durée de la RTU, est désormais renouvelable sans précision de durée. Le dispositif est sans obligation d'extension de l'indication pour les laboratoires et les prescripteurs ne sont pas contraints à prescrire conformément à la RTU. La mention sur l'ordonnance « prescription sous RTU » doit permettre de distinguer ces prescriptions de celles hors AMM.

<sup>56</sup> <http://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-la-recherche/Recherche-clinique/Structuration-de-la-recherche-clinique/Les-CLIP2>.

La prescription hors AMM se fait sous la responsabilité du médecin prescripteur et doit être documentée dans le dossier médical du patient pour assurer une traçabilité. On constate que c'est une pratique très répandue dans le champ de la cancérologie. Fin 2014, une analyse des remontées des OMEDIT concernant 6 médicaments anticancéreux de la liste en sus<sup>57</sup> montrait que 19% des prescriptions étaient identifiées hors AMM (PTT<sup>58</sup> compris), 17% hors référentiels (hors AMM et hors PTT). Les utilisations hors AMM signalées pouvaient correspondre à des localisations différentes de cancer, à des associations non prévues, à une cible moléculaire identique mais pour un cancer d'organe différent. La part réelle du hors AMM est certainement plus importante en volumétrie si l'on considère également les médicaments hospitaliers pris en charge au sein des GHS et les médicaments disponibles en ambulatoire, notamment les thérapies ciblées administrées *per os*.

Ces résultats posent la question de la définition du hors AMM, de son bien-fondé, de son évaluation, de son encadrement et de la limite des outils réglementaires disponibles (RTU). L'usage hors AMM d'un médicament innovant ne permet pas la collecte d'informations en termes notamment de pharmacovigilance et d'efficacité. Il est donc nécessaire de mieux encadrer la prescription de ce type de médicament associé à un risque plus élevé d'effets indésirables<sup>59</sup>. S'il s'agit de garantir aux patients les meilleures conditions de sécurité, se pose aussi la question de l'égalité d'accès à ces thérapeutiques sur le territoire. De plus, à l'heure où de nouvelles immunothérapies spécifiques très prometteuses arrivent sur le marché (anti PD-1, anti PDL-1), la part du hors AMM concernant les médicaments innovants et coûteux est susceptible de croître considérablement à court ou moyen terme.

Une réponse proposée par l'INCa est le programme AcSé<sup>60</sup> visant à faciliter et sécuriser l'accès hors AMM aux traitements innovants pour l'ensemble des établissements autorisés pour l'activité « traitement médical du cancer » disposant d'une capacité à réaliser de la recherche clinique et couverts par des assistants de recherche clinique (ARC) de cancérologie ou des équipes mobiles de recherche clinique. Ce programme est cependant limité aux thérapies ciblées. Ce dispositif concerne les molécules pour lesquelles une indication existe déjà pour un autre organe ; 2 essais sont ouverts à ce jour : AcSé crizotinib et AcSé vemurafenib. Les traitements sont étudiés dans le cadre d'essais cliniques de phase 2 ouverts à des patients, adultes et enfants, atteints d'un cancer et en situation d'échec thérapeutique (ce dispositif permet donc de pallier le déficit d'essais cliniques chez ces patients), et dont la tumeur présente une altération génétique ciblée par le médicament. Les médicaments concernés ont obtenu ou vont obtenir une AMM pour une autre indication de cancer. Les plateformes de génétique moléculaire pour cette activité (réalisation des tests préalable à l'identification des indications lors de l'élaboration de l'essai et pour l'inclusion des patients) sont financées par l'INCa. En revanche, par convention, c'est le laboratoire qui assure la fourniture gratuite de la molécule en quantité suffisante pendant la durée de l'essai. D'après les données de l'INCa, environ 150 patients ont reçu le crizotinib et environ 70 le vemurafenib.

La doctrine d'encadrement du hors AMM doit être revue. Il s'agit *in fine* de privilégier l'inclusion dans les essais plutôt que l'usage hors AMM des médicaments afin de garantir un accès sécurisé à l'innovation et la conduite d'évaluations cliniques dans les règles de l'art. La réglementation actuelle permet un encadrement des prescriptions hors AMM au travers des RTU. Une alternative est la reconnaissance du bien-fondé d'une utilisation dans des recommandations ou référentiels de bonne

---

<sup>57</sup> Ce dispositif expérimental répondait à la recommandation du rapport de l'IGAS d'avril 2012 visant à renforcer le soutien de l'échelon national en matière d'appréciation du bien-fondé des justifications des prescriptions hors référentiel relevées par les ARS dans les établissements de santé. Les données concernant 22 195 patients en instauration de traitement sur une période de trois mois ont été collectées auprès des OMEDIT (19 régions) pour 6 médicaments « traceurs » (Alimta® (pemetrexed), Avastin® (bevacizumab), Erbitux® (cetuximab), Herceptin® (trastuzumab), Mabthera® (rituximab), Vectibix® (panitumumab)).

<sup>58</sup> PTT : protocole temporaire de traitement (ont disparu au profit des RTU).

<sup>59</sup> Tewodros Eguale *et al.* Association of Off-Label Drug Use and Adverse Drug Events in an Adult Population JAMA Intern Med, 2015.

<sup>60</sup> <http://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-la-recherche/Recherche-clinique/Le-programme-AcSe2>.



pratique mais d'autres outils réglementaires pourraient être nécessaires. Pour les thérapies ciblées, il pourrait s'agir d'une évolution vers des AMM moléculaires. Cela suppose dans tous les cas d'identifier les situations devant prioritairement faire l'objet d'une évaluation en vue d'un éventuel encadrement. Des critères de sélection devraient permettre de qualifier l'écart constaté par rapport à l'AMM (écarts dits « majeurs », tels que l'utilisation d'un médicament dans une localisation tumorale autre que celle visée par son AMM ; risques potentiels en termes de sécurité voire de pertes de chance, etc.). Ces analyses devraient se fonder sur les données fournies par les OMEDIT, afin d'identifier rapidement les prescriptions non acceptables ou au contraire celles susceptibles de faire l'objet d'une RTU. Cela nécessite des pratiques harmonisées concernant le recueil et l'analyse des données entre OMEDIT.

Il n'est pas envisageable d'évaluer toutes les situations hors référentiels dans la mesure où elles sont trop nombreuses, et concernent souvent un nombre restreint de patients, ou qu'elles sont « non majeures ». Néanmoins la traçabilité des prescriptions est nécessaire et l'amélioration de la qualité des informations transmises par les prescripteurs aux OMEDIT devrait être un objectif fort au service de l'amélioration de la qualité et de la pertinence des soins. Ainsi, les « contrats de bon usage des médicaments et des produits et prestations » conclus entre les ARS et les établissements de santé doivent être renforcés en ce sens.

## **B. Des pratiques professionnelles insuffisamment documentées : faire évoluer les dispositifs de veille et d'accès précoce aux innovations techniques**

L'évolution des pratiques professionnelles a pour objectif d'améliorer les soins en mobilisant de nouveaux traitements, des traitements supposés plus efficaces ou avec moins d'effets secondaires. L'innovation est le moteur principal de l'évolution des pratiques : des dispositifs médicaux et des actes moins invasifs accompagnent ou remplacent peu à peu les traitements classiques dans de nombreuses situations cliniques. Ainsi, la coelioscopie a remplacé la laparotomie, le développement d'examens morphologiques à visée diagnostique (échographie, scanner ou IRM) permet de cibler les indications chirurgicales, la radiologie interventionnelle permet de proposer des actes diagnostiques ou thérapeutiques moins invasifs que la chirurgie ou inaccessibles à celle-ci et permet de réduire le temps de retour aux activités normales du patient. En cancérologie, de nouvelles pratiques émergent liées au développement de la radiologie interventionnelle, ou de la radiothérapie utilisée en peropératoire.

Des dispositifs de veille institutionnelle permettent d'identifier les innovations médicamenteuses et techniques qui vont arriver à court, voire à moyen terme. Cependant, ces dispositifs restent insuffisants. Les innovations technologiques sont susceptibles d'induire des évolutions organisationnelles qui doivent être anticipées. En particulier, pour les établissements de santé il s'agit de prévoir les adaptations nécessaires à leur implémentation (adaptation des plateaux techniques, ressources en personnels, besoins de formation...).

De même que pour le médicament, des dispositifs existent pour accompagner le développement et la diffusion précoce de dispositifs médicaux et d'actes innovants. Certains sont spécifiques à la cancérologie comme le dispositif de soutien aux essais en cancérologie. La mise en œuvre du Référentiel des actes Innovants Hors Nomenclature (RIHN) permet également un accès aux actes de biologie et d'anatomopathologie, innovants pour la cancérologie. En dehors de ces actions spécifiques, l'encadrement précoce pour les actes innovants reste circonscrit aux innovations de rupture ou à celles dont l'impact médico-économique est supposé élevé. Ainsi, la radiothérapie peropératoire dans le cancer du sein a fait l'objet d'un appel à projets lancé en 2011, et l'évaluation par la HAS est en cours<sup>61</sup>. Les travaux d'inscription à la nomenclature pourront être lancés si l'évaluation

---

<sup>61</sup> Note de cadrage. Evaluation de la radiothérapie peropératoire dans le cancer du sein. HAS – octobre 2015.

démontre le bénéfice médico-économique de l'intervention. Pour le forfait innovation, deux arrêtés ont été publiés à ce jour. Le premier, dans le champ de la cancérologie, est relatif à la prise en charge de la destruction par ultra-sons focalisés de haute intensité par voie rectale d'un adénocarcinome de la prostate (arrêté du 7 mai 2014).

En réalité, la diffusion de nouvelles pratiques de soins est possible dès que les dispositifs médicaux associés ont obtenu un marquage CE et/ou sont accessibles sur le marché (inscription sur ligne générique existante, équipements sous le régime des autorisations,...). Celle-ci peut-être facilitée dans les grands centres du secteur public ou ayant des missions de service public (CHU, CLCC, EBNL) car ces centres bénéficient de crédits recherche ou d'autres lignes budgétaires permettant la réalisation d'actes innovants, pouvant être à l'origine d'inégalités d'accès en fonction du secteur de prise en charge. Ces pratiques posent surtout la question de la diffusion de dispositifs dont le niveau de preuve est encore insuffisant. C'est le cas en particulier des tests pronostiques et prédictifs qui peuvent être financés par les ARS sur le Fonds d'intervention régionale (FIR). Aussi, ceux-ci font-ils l'objet d'une attention particulière dans le plan cancer 2014-2019.

La diffusion peut être toutefois freinée par les délais d'intégration dans la Classification commune des actes médicaux (CCAM). Ces délais peuvent être très longs<sup>62,63</sup>. Diverses mesures ont été prises pour les réduire<sup>64</sup> mais des marges de progrès existent encore. Dans le champ du cancer, l'action 5.12 du plan cancer 3 prévoit différentes mesures visant à accélérer le processus de tarification des actes et traitements innovants pour un accès plus rapide.

Bien qu'interdits par le code de la sécurité sociale (art. L162-1-7), des codages par assimilation d'actes non inscrits à la CCAM sont parfois réalisés pour obtenir une valorisation tarifaire via un Groupe homogène de séjour (GHS), mais cette valorisation ne permet pas de prendre en compte la spécificité de l'acte concerné. De plus, l'activité ne peut être tracée. Par exemple pour la chirurgie robotique mini-invasive qui se développe depuis 10 ans, en l'absence de documentation spécifique, il est difficile de quantifier le volume d'actes concernés et leurs indications, ceux-ci ne pouvant par définition être identifiés dans les bases médico-administratives. Ainsi, il est probable qu'en pratique, des actes innovants pour lesquels un tarif n'a pas été défini sont associés à des actes plus classiques qui permettent de valoriser les séjours au cours desquels ils sont réalisés. C'est sans doute le cas pour les traitements par cryothérapie qui accompagnent une résection tumorale plus classique. Car, si l'on en croit les pratiques affichées par certains établissements sur leur page d'accueil, le traitement des tumeurs et métastases par cryothérapie est réalisé (dès lors que cette activité est autorisée) dans de nombreuses indications alors que le seul acte technique identifié dans la CCAM est JGND002 « cryothérapie de prostate ».

Il manque ainsi tout un pan d'informations permettant d'objectiver la réalité de la diffusion dans l'exercice professionnel de pratiques innovantes dès lors qu'elles sont possibles. L'INCa et la HAS ne sont souvent au courant que trop tardivement et la question se pose de l'efficacité de pratiques qui échappent potentiellement à l'évaluation dans le cadre d'essais *ad hoc* et donc du gain potentiel de ces techniques, de la perte de chance pour des patients qui ne seraient pas dans les « bonnes filières » de prise en charge ou qui seraient traités à tort. Ces questions qui ne sont pas spécifiques à la cancérologie sont cependant particulièrement cruciales et sensibles dans ce champ où les enjeux de connaissance pour les patients et les professionnels de premier recours sont évidents pour une orientation précoce et adaptée des patients.

---

<sup>62</sup> Dans le cas du traitement des symptômes du bas appareil urinaire liés à l'hypertrophie prostatique par laser, le marquage CE des DM associés était effectif au moment de la demande d'évaluation de l'acte par la société française d'urologie en février 2009. La HAS a rendu son rapport d'évaluation positif pour une inscription de l'acte à la CCAM, en novembre 2013. L'inscription de l'acte à la CCAM n'est toujours pas effective au moment de la rédaction de ce rapport.

<sup>63</sup> Centre d'analyse stratégique. « Le dispositif médical innovant - Attractivité de la France et développement de la filière ». La documentation Française. 2013, n°54. 140p.

<sup>64</sup> Article 52 de la LFSS 2014.

<https://www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do?cidTexte=JORFTEXT000030258165&categorieLien=id>.

Pour appuyer une demande d'inscription d'un acte aux nomenclatures, les sociétés savantes fournissent parfois des données dont on peut légitimement interroger la validité en l'absence de méthodologie de recueil clairement établie. La surveillance (au sens épidémiologique) de l'innovation dans sa phase de diffusion précoce, nécessite de tracer individuellement les actes. Une solution serait la mise en œuvre d'une CCAM « descriptive ». Ce dispositif existe depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2015 sur le champ des établissements de santé (CCAM descriptive à usage PMSI<sup>65</sup>) mais il ne concerne que les actes en attente de tarification c'est-à-dire les actes qui ont fait l'objet d'une évaluation avec un « service attendu suffisant » ou « service attendu indéterminé » par la HAS (actes « 800 »). Il existe une incitation au codage puisque les actes sont associés à des GHS correspondants. La généralisation d'un tel dispositif à un ensemble d'actes innovants avant avis de la HAS ou même seulement en cours d'évaluation devrait être analysée.

La pérennité d'un dispositif de veille technologique nécessite l'adhésion des professionnels et la garantie de l'indépendance des flux de collecte pour la surveillance d'une part, et pour la tarification d'autre part. Les acteurs peuvent jouer un rôle d'alerte important sur leurs pratiques, susceptible d'améliorer les prises en charge, que cela justifie ou non de revoir les tarifications. Les informations sur les options thérapeutiques engagées pour un patient sont en général colligées dans le dossier médical du patient et dans les comptes-rendus opératoires pour les actes chirurgicaux. Ainsi, une veille sur les pratiques innovantes pourrait être réalisée par les sociétés savantes et les établissements sous l'égide de la HAS et/ou de l'INCa garantes de la méthodologie quant aux bonnes pratiques de collecte et de restitution dans le cadre d'un observatoire des pratiques innovantes.

La numérisation et les dispositifs de reconnaissance sémantique ouvrent de larges perspectives pour une organisation de la veille sur les pratiques à moyen terme à partir de dossiers médicaux informatisés.

Au-delà de l'organisation d'une veille technologique et des actes innovants il faut élaborer une doctrine concernant l'accès précoce et sécurisé à ces innovations pour les patients ainsi qu'à leur prise en charge par la collectivité dans l'attente d'une évaluation permettant la création d'actes techniques et leur tarification dans des délais cohérents avec les besoins. A cet égard, il convient probablement de distinguer les actes techniques déjà inscrits à la CCAM dans une autre indication, d'actes complètement nouveaux. Le forfait innovation (qui s'applique également aux actes) devrait être réservé à cette dernière catégorie d'actes. Pour les autres actes, par analogie avec le médicament et la possibilité de prescription hors AMM, il faut réfléchir à un dispositif intermédiaire. Un tel dispositif devrait s'appuyer sur les professionnels.

Enfin, il semble indispensable d'engager une réflexion sur les moyens qui permettraient de réduire de manière significative les délais d'inscription des actes à la CCAM.

### 3. Accès aux soins innovants

L'accès à l'innovation en cancérologie est un sujet qui mobilise aujourd'hui tous les acteurs de la santé. Le débat est surtout focalisé sur les aspects tarifaires et budgétaires et plus particulièrement sur les coûts des nouveaux traitements qui sont abordés plus loin (cf. partie 5). Mais d'autres enjeux se jouent pour les patients et les professionnels de premier recours qui les accompagnent. Faciliter l'accès aux soins innovants passe en premier lieu par un partage par tous d'une information accessible, fiable et compréhensible. Les délais de réalisation des différents examens ont un impact sur les délais de prise en charge et renvoient également à des problématiques d'organisation des soins sur les territoires (cf. partie 4). Il s'agit d'assurer une orientation rapide et adaptée des patients, éventuellement dans le cadre d'essais cliniques. A cet égard, les réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) ont un rôle crucial. Par ailleurs, le développement des analyses génomiques

---

<sup>65</sup> Pour la 1<sup>ère</sup> édition, seuls les actes évalués par la HAS entre 2005 et 2010 ont été concernés. En 2015 un rattrapage est prévu pour les actes évalués depuis 2010.

des tumeurs qui transforment l'exercice de l'anatomocytopathologie en cancérologie appelle à des évolutions de pratiques. Enfin, les analyses génétiques personnalisées se développent, facilitées par l'apparition de nouvelles techniques de séquençage (séquençage haut débit) et posent des questions éthiques. Leur encadrement doit être anticipé.

## A. Les enjeux d'information et de communication

Le dispositif d'annonce intégré à l'organisation des établissements de santé autorisés pour le traitement du cancer prévoit des temps de discussion et d'explication sur la maladie et les traitements afin d'apporter au patient une information adaptée sur sa prise en charge. Mais avant la tenue du dispositif d'annonce qui suit la RCP c'est le médecin traitant qui est au cœur de l'échange d'information. Le médecin de ville est bien souvent celui qui fait « la première annonce » au patient lors de l'examen clinique qui amènera au bilan de dépistage, ou lors des résultats de ce premier dépistage avant l'orientation vers une consultation spécialisée.

Les usagers et les patients doivent avoir les moyens d'être plus actifs et participatifs dans la prise de décision concernant leur prise en charge. L'information a pour but de faire comprendre les options thérapeutiques dans une situation clinique donnée mais également d'aider le patient à se repérer dans le système de soins. La diversité des sources d'information désormais disponibles est de nature à réduire l'asymétrie d'information entre professionnels et patients mais en réalité il est difficile de faire le tri. Il s'agit moins d'un manque d'information que d'un problème de lisibilité et de hiérarchisation dans l'environnement informationnel dense et souvent confus. Ces difficultés concernent aussi bien les patients que les professionnels de santé.

Sur les différents sites, l'information disponible est ainsi souvent cloisonnée en fonction de la spécificité des rédacteurs ou renvoie à d'autres sites pour les plus généralistes ou à des documents pas toujours à jour ou qui ne sont pas harmonisés entre institutions. De plus, il ne faut pas négliger les fortes attentes des patients concernant les pratiques de soins non conventionnelles souvent peu exprimées auprès des médecins traitants (alimentation, homéopathie, ostéopathie, sophrologie...) <sup>66</sup> :

- Les opérateurs nationaux tels que la HAS, l'INCa ou l'ANSM mettent régulièrement à disposition des recommandations concernant les prises en charge, les médicaments ou les technologies de santé à destination des professionnels de santé. Des documents à destination des patients sont également produits mais ne sont pas toujours connus du grand public. La plateforme « Cancer info » qui constitue la mise en application de la mesure 19.5 du plan cancer 2009-2013 propose des guides thématiques, cancer par cancer ou sur des problématiques transversales <sup>67</sup>.
- Dans les régions, les ARS, les centres de coordination en cancérologie (3C), les établissements de santé eux-mêmes ou les réseaux de soins diffusent de nombreuses informations relatives à l'organisation et à l'offre de soins locale tandis que les OMEDIT délivrent par ailleurs des outils et fiches médicaments développés localement à destination des professionnels et des patients de leur région. La HAS diffuse également via Scope Santé des informations sur la certification et la qualité des soins (sécurité, satisfaction...) des établissements autorisés à pratiquer une activité de cancérologie.

A ce niveau, les informations délivrées sont nombreuses, redondantes et parfois hétérogènes, à la fois entre les régions et au sein même des régions. Ces observations appellent à un réagencement permettant d'apporter une information fiable et structurée aux patients et aux professionnels en fonction d'orientations nationales claires sur les objectifs et le contenu des informations que l'on souhaite dispenser.

---

<sup>66</sup> « Les soins de support. Pour mieux vivre les effets du cancer ». La ligue contre le cancer. Août 2009. 43p.

<sup>67</sup> Cancer info comprend trois modes d'accès : (i) des guides thématiques, cancer par cancer ou sur des problématiques transversales ; (ii) une rubrique internet ([www.e-cancer.fr/cancer-info](http://www.e-cancer.fr/cancer-info)); (iii) une ligne téléphonique 0 805 123 124 (ouverte du lundi au vendredi de 9h à 19h et le samedi de 9h à 14h).

- Enfin, les associations de patients ou des patients eux-mêmes via des forums sont des relais de diffusion sur les pratiques, les établissements... Ces associations peuvent être moteur pour la diffusion d'informations non couvertes par ailleurs. On peut citer en exemple le site « la vie autour »<sup>68</sup> qui recense sous forme de carte interactive les associations qualifiées proposant des soins de support sur l'ensemble du territoire. Typiquement ces sites devraient pouvoir bénéficier d'un audit permettant de leur délivrer ou non un label de qualité.

L'hétérogénéité des informations reste problématique, notamment pour ce qui concerne les opérateurs publics en région. Il convient en particulier d'améliorer la lisibilité de l'offre locorégionale (voire interrégionale pour les cancers rares ou les situations complexes). Certains pays comparables à la France se sont dotés d'un site d'information en santé de référence. Il constitue une porte d'entrée unique sur les questions de santé, à destination du grand public (malades, familles et citoyens) et des professionnels de santé. La création d'un Service public de l'information santé, inscrite dans la loi de modernisation du système de santé (article 21) participe de cette volonté. Il s'agit d'organiser un service public d'information global sur la santé, de la prévention à l'orientation dans le système. C'est un chantier multi-institutions qui doit être considéré comme prioritaire sachant qu'il est également prévu des portes d'entrées régionales via les ARS.

Se pose par ailleurs la question de la validité et de la qualité des informations diffusées dans le public. La HAS a dans ses missions la certification des sites internet santé. La politique menée en matière de certification des sites internet a consisté jusqu'en 2013 à promouvoir auprès des éditeurs de sites internet une « homologation » fondée sur le respect des 8 principes du HONcode. Ces critères reposent majoritairement sur le respect et le suivi d'un cahier des charges de transparence et de bonne pratique éditoriale<sup>69</sup>. La certification ne donne donc pas de garanties sur la qualité du contenu des sites. En pratique, les internautes croisent fréquemment les informations, cherchent des interlocuteurs dans la même situation qu'eux, sans se reposer sur des labels qualité. Afin de faire évoluer le dispositif, la HAS travaille avec des représentants de patients, des usagers et des professionnels de santé sur des « repères » à proposer aux internautes pour une navigation « privilégiant l'esprit critique des internautes » mais ne prévoit pas de création d'un label de qualité à proprement parler pour les sites web consacrés à la santé. Ce type de dispositif existe toutefois dans le champ de la prévention. Depuis fin 2014, l'INPES (Institut national de la prévention en santé<sup>70</sup>) propose un label « Aide en santé » pour les dispositifs de prévention et d'aide à distance en santé (associant des lignes téléphoniques et des sites internet)<sup>71,72</sup>. Basé sur une démarche volontaire des candidats, un audit indépendant permet de s'assurer que les services répondent bien à des exigences précisées dans un cahier des charges. Un comité d'attribution valide ensuite l'attribution sur la base de constats objectifs. Le label est valable trois ans et renouvelable. Cette première expérience devrait être mobilisée par les pouvoirs publics et servir de socle de réflexion pour proposer une labellisation plus large des sites santé notamment dans le champ de la cancérologie.

<sup>68</sup> <https://www.lavieautour.fr/>. Ce site a été développé par l'Association Francophone pour les Soins Oncologiques de Support.

<sup>69</sup> Les sites certifiés s'engagent à respecter les principes suivants : (i) les qualifications des rédacteurs ; (ii) la complémentarité : compléter et non remplacer la relation patient-médecin ; (iii) la politique de confidentialité des informations personnelles soumises par les visiteurs du site ; (iv) la/les source(s) des informations publiées et les dates de publication/actualisation sur les pages de santé ; (v) les justifications des affirmations sur les bienfaits ou les inconvénients de produits ou traitements ; (vi) l'accessibilité de l'information, l'identification du webmestre, une adresse de contact ; (vii) les sources de financements ; (viii) la séparation entre la politique publicitaire et la politique éditoriale.

<sup>70</sup> L'Institut de veille sanitaire (InVS), l'Inpes (éducation et prévention) et l'EPRUS, l'établissement de préparation et de réponse aux urgences sanitaires sont regroupés au sein d'un Institut pour la prévention, la veille et l'intervention en santé publique : Santé Publique France.

<sup>71</sup> [http://www.inpes.fr/10000/themes/telephonie\\_sante/label\\_aide\\_en\\_sante.asp](http://www.inpes.fr/10000/themes/telephonie_sante/label_aide_en_sante.asp).

<sup>72</sup> La ligne téléphonique Cancer Info de l'INCa est en cours de candidature pour le label qualité INPES « Aide en Santé ».

## B. Accès aux essais cliniques

Avec le brouillage des frontières entre soins et recherche, les essais précoces deviennent de fait des voies d'accès à l'innovation thérapeutique, notamment pour les patients atteints de cancers avancés, et le débat bioéthique se déplace sur le terrain de la justice et de l'égalité d'accès à la recherche bien que la question de la protection des sujets reste essentielle<sup>73</sup>. Des revendications sur les « droits à l'essai » se font jour en cancérologie comme pour le VIH-Sida dans les années 1990<sup>74</sup>. Dans ce contexte, garantir un accès équitable aux essais cliniques devient un enjeu majeur. Une des composantes de ce débat devient de ce fait la transparence de l'activité de recherche c'est-à-dire la publication de tous les essais et surtout les essais négatifs ou interrompus, ce qui n'est pas la politique éditoriale actuelle et représente une perte d'information du public dans ce débat éthique. La question de la prise en charge des séjours liés à ces essais se pose aussi.

En supposant que la connaissance est susceptible de faciliter l'inclusion de patients qui seraient demandeurs, l'INCa publie les répertoires d'essais en cancérologie et certains grands centres en cancérologie font de même. Il s'agit d'une information exhaustive et actualisée concernant les essais cliniques en cancérologie menés en France. Un moteur de recherche intégré au registre permet de filtrer spécifiquement les essais cliniques en fonction de différents critères. Le rapport d'activité de l'INCa 2014-2015 rapporte qu'au 31 décembre 2014, le registre affichait 1 886 essais cliniques de promotion industrielle et académique, dont 563 essais ouverts aux inclusions.

Selon les orientations du plan cancer 2014-2019 (objectif 5), l'objectif est d'inclure 50 000 patients par an dans des essais cliniques. L'enquête annuelle menée en 2014 par l'INCa auprès des établissements ayant reçu, dans le cadre des plans cancer, des financements pour des personnels de soutien aux investigateurs dans l'inclusion et le suivi des patients, a permis l'évaluation des activités de recherche clinique en 2014. Une hausse sensible du nombre de patients inclus dans les essais cliniques en cancérologie a été observée : une augmentation de 97% entre 2008 (année de référence) et 2014, + 122% pour les patients participant aux essais académiques et + 22% pour les patients participant aux essais industriels au cours de la même période.

Diverses mesures organisationnelles concourent à l'atteinte de cet objectif. Une étape décisive a été franchie en 2006 avec la mise en place des 28 plateformes de génétique moléculaire<sup>75</sup>, accessibles à tous les malades sur le territoire permettant l'accès aux traitements ciblés. La création des plateformes de séquençage moléculaire est une mesure emblématique de l'accès à des soins innovants pour tous. Le programme AcSé participe également à cette politique. Ce programme propose un accès précoce et sécurisé (conditions d'un essai de phase 2) à des thérapies ciblées à des patients atteints de cancer en échec thérapeutique, et dont la tumeur présente une même altération génétique. A terme, la question de l'organisation du séquençage se posera pour d'autres pathologies. Une mission pilotée par Aviesan (Inserm) est en cours pour faire des propositions d'organisation sur l'ensemble du territoire. Afin d'apporter un soutien aux établissements de soins et de faciliter leur participation aux essais cliniques, il est également prévu de poursuivre le soutien aux centres d'essais précoces<sup>76</sup> (CLIP<sup>2</sup>) et de développer les équipes mobiles de recherche clinique (EMRC) composées de personnels spécialement formés dans la conduite des essais.

---

<sup>73</sup> Valérie Gateau, Philippe Amiel. Essais précoces en cancérologie, éthique et justice. La lettre du cancérologue, 2012, XXI (10), pp.514-518.

<sup>74</sup> [http://www.liberation.fr/societe/2010/06/08/cancer-un-malade-en-colere\\_657377](http://www.liberation.fr/societe/2010/06/08/cancer-un-malade-en-colere_657377).

<sup>75</sup> Actuellement ces plateformes sont financées sur l'enveloppe MERRI. Ces actes vont être financés par le biais du Référentiel des Actes Innovants Hors Nomenclature (RIHN) à compter de 2016. L'INCa finance également les plateformes pour des programmes spécifiques, comme le programme des biomarqueurs émergents, l'implémentation du NGS ou encore l'activité de criblage dans le cadre du programme AcSé.

<sup>76</sup> L'activité de ces CLIP a été publiée et est consultable sur le site e-cancer.fr. La procédure de partenariat public/privé mise en place par l'INCa dans le cadre du deuxième Plan cancer permet aux 16 centres labellisés INCa de phase précoce (CLIP<sup>2</sup>) de conduire des essais cliniques de phase précoce avec des molécules mises à disposition gratuitement par des laboratoires dans des indications ne faisant pas partie des priorités de leurs développements. Par ailleurs, la labellisation des CLIP<sup>2</sup> en



Cependant, malgré un environnement facilitateur, la trajectoire des patients jusqu'aux essais précoces dépend des réseaux institutionnels existants et de l'implication de l'oncologue lui-même, qui reste la principale source d'informations pour les patients<sup>77</sup>. Avec la complexification croissante des traitements et du fait que les traitements ne s'adressent qu'à un nombre limité de patients dans le cadre d'essais cliniques, ces réseaux ont un rôle important dans la prise en charge des patients. A cet égard, le rôle des réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) est central. Lieu d'échanges entre spécialistes de plusieurs disciplines sur les stratégies diagnostiques et thérapeutiques en cancérologie, la RCP est organisée par un établissement, un groupe d'établissements ou un réseau de cancérologie, dans le cadre des centres de coordination en cancérologie (3C). C'est à ce niveau que doit être proposée l'inclusion d'un patient dans un essai ou un protocole de recherche. La RCP est un élément obligatoire et opposable mis en place au sein des établissements autorisés en cancérologie et l'évaluation régulière des RCP doit rendre compte d'une amélioration continue de la qualité des soins et du service médical rendu au patient (indicateur de qualité IPAQSS)<sup>78</sup>. Localement leur généralisation peut toutefois poser des problèmes liés au manque de ressources et de disponibilité des praticiens. Depuis leur développement à la suite du premier plan cancer, les RCP ne cessent d'évoluer. Schématiquement, on distingue les RCP territoriales, en général des RCP d'organe qui permettent de gérer 95% des situations cliniques et les RCP de recours ou d'expertise qui concernent les tumeurs rares par exemple les tumeurs neuro-endocrines ou oncopédiatriques organisées à un niveau régional ou national. Plus récemment, les RCP d'appui, préconisées par le rapport Vernant<sup>79</sup> en cas d'échec thérapeutique se développent. Elles sont destinées à proposer soit une poursuite de traitements spécifiques basés sur les données de la littérature, soit une prise en charge palliative.

Avec le déploiement des plateformes de génétique moléculaire et du programme AcSé, des RCP moléculaires se développent progressivement dans les grands sites notamment en pneumologie et en pathologie mammaire pour les formes avancées métastatiques. Ces RCP moléculaires étant une porte d'entrée pour l'accès aux traitements innovants, il est nécessaire d'en organiser le déploiement au niveau national pour garantir un accès précoce équitable pour tous les patients sur l'ensemble du territoire.

### C. Enjeux autour des laboratoires d'anatomocytopathologie

Le rôle des anatomopathologistes est essentiel dans le parcours de soins des patients atteints de cancer. Le rôle traditionnel de l'anatomocytopathologie (ACP) est, par l'analyse morphologique des cellules et des tissus, d'établir ou d'aider au diagnostic des maladies. La preuve et le typage histologique du cancer restent sauf exception indispensables avant la mise en route d'un traitement. Le résultat d'anatomopathologie doit être obtenu dans les meilleurs délais pour éviter les retards à l'initiation des traitements. Par ailleurs, les progrès de la biologie moléculaire se traduisent par l'explosion des techniques de recherche de caractéristiques de la tumeur généralement appréciées par la mise en évidence *in situ* d'anomalies génétiques ou de modification de l'expression de certaines protéines (exemple de HER2 dans le cancer du sein) qui peuvent aider au diagnostic de tumeur, ou prédire la réponse tumorale à un traitement. L'évaluation des biomarqueurs se fait à l'aide de tests associés aux thérapies ciblées, aussi appelés tests compagnons. Les tests compagnons sont de trois types : (i) les tests biochimiques et immunohistochimiques, comprenant les analyses de protéines et d'enzymes ; (ii) les tests cytogénétiques qui font appel aux chromosomes (caryotypage,

---

2010 a aussi permis d'augmenter le nombre de patients inclus dans les essais cliniques de phase précoce. Les deux-tiers des essais réalisés portaient sur des thérapies ciblées et 12% sur des immunothérapies.

<sup>77</sup> Sylvain Besle. Etude des structures de coordination entre soins et recherche : le cas des essais précoces en cancérologie. [http://www.paris-sorbonne.fr/IMG/pdf/BESLE\\_Sylvain\\_2015\\_position\\_de\\_these.pdf](http://www.paris-sorbonne.fr/IMG/pdf/BESLE_Sylvain_2015_position_de_these.pdf).

<sup>78</sup> Globalement ce sont environ 80% des patients qui bénéficient aujourd'hui d'une RCP pour la prise en charge initiale d'un primo diagnostic de cancer et les taux varient selon les types d'établissements, les spécialités et le volume d'activité. Axés sur la traçabilité dans le dossier médical et la pluridisciplinarité (RCP datée avec proposition de prise en charge et au moins 3 spécialités représentées), ces résultats nationaux ne donnent pas d'information sur l'orientation des patients vers un essai ou un protocole de recherche. HAS. Réunion de Concertation Pluridisciplinaire en cancérologie - Campagne 2014.

<sup>79</sup> Recommandations pour le troisième Plan Cancer. Rapport Vernant – juillet 2013.



hybridation *in situ* par fluorescence, FISH) ; (iii) les tests moléculaires qui font appel à l'ADN et à l'ARN. Si les tests moléculaires sont réservés de fait aux plateformes moléculaires, les tests biochimiques et cytogénétiques peuvent être réalisés en ville. La validité analytique, c'est-à-dire la capacité du test à détecter les modifications moléculaires qu'il est supposé détecter, est elle-même fonction de la précision et de la fiabilité des procédures<sup>80</sup>. Il est primordial de garantir des contrôles de qualité des laboratoires réalisant ces tests. En l'état actuel de la législation, les services d'ACP hospitaliers, de même que les structures libérales exerçant en cabinet de spécialité, ne sont pas soumis à l'accréditation obligatoire selon la norme ISO 15189. Parmi les structures réalisant des actes d'ACP, seuls sont soumis à l'accréditation obligatoire (sous l'égide du COFRAC<sup>81</sup>) les laboratoires de biologie médicale. *A contrario*, les structures d'ACP qui s'engagent dans une démarche d'accréditation le font sur la base du volontariat, sans contrainte réglementaire de délai en termes d'entrée dans la démarche, à l'inverse des laboratoires de biologie médicale.

Le développement des thérapies ciblées en oncologie a un impact sur les analyses réalisées par les laboratoires. De nombreux prélèvements arrivent pour être analysés dans les laboratoires de ville, à la recherche de cellules tumorales permettant d'établir le diagnostic. C'est le cas par exemple pour les suspicions de mélanomes dont l'ablation est réalisée en ville. Dans ce cas, il peut être nécessaire de récupérer le tissu d'exérèse afin de procéder à l'analyse génomique de la tumeur ou de relire des lames afin d'aider à la décision thérapeutique (notamment dans le cadre des RCP). Il s'avère d'une part que ce ré-adressement du produit d'exérèse vers les plateformes de génétique moléculaire dédiées peut être long. D'autre part, il s'accompagne d'un dédommagement des laboratoires d'ACP par les plateformes de génétique moléculaire pour le désarchivage et l'envoi des blocs.

Les enjeux à moyen terme sont d'une part d'organiser « le parcours des prélèvements tumoraux » permettant une meilleure fluidité des circuits de transmission des produits d'exérèse vers les plateformes de génétique moléculaire lorsque cela est requis, de développer la numérisation des lames et d'autre part de renforcer le contrôle qualité des procédures dans les laboratoires. Il y a en effet un besoin urgent à mettre en place une telle démarche globale et reconnue, complétant celle déjà accomplie par la profession.

#### 4. Les défis organisationnels

Les innovations techniques et technologiques vont profondément bouleverser les modes de prises en charge et l'organisation des soins. A titre d'exemple on peut citer la radiothérapie per-opératoire qui est une innovation majeure. Dans le cancer du sein, cette pratique vise à remplacer 25 séances de radiothérapie par une seule séance au moment de la chirurgie. Elle est actuellement en cours d'évaluation par la HAS. Ces évolutions portées par une hyperspécialisation des professionnels et le développement de plateaux techniques de haute technicité (chirurgie mini-invasive, radiologie interventionnelle, radiothérapie peropératoire) vont de pair avec une offre de plus en plus spécialisée incitant à la concentration des ressources et à la gradation des niveaux de prise en charge.

D'un point de vue systémique, même si les hospitalisations conventionnelles seront de plus en plus courtes, il s'agit de faire face à un accroissement du nombre de recours (augmentation des files actives) lié d'une part aux évolutions démographiques et d'autre part à une adaptation des prises en charge pour des patients dont l'espérance de vie augmente. Le développement de la chirurgie ambulatoire nécessitera une profonde réorganisation des unités de chirurgie.

Pour les patients, il s'agit d'assurer l'accès à des soins très techniques et de qualité répondant précisément à leurs besoins sur l'ensemble du territoire tout en préservant la continuité et la fluidité des parcours de soins qui conditionnent la qualité de vie et les résultats des traitements eux-mêmes.

---

<sup>80</sup> Expertise collective INSERM. Tests génétiques. Questions scientifiques, médicales et sociétales. Novembre 2008, 390p.

<sup>81</sup> Comité français d'accréditation.

Avec la chronicisation de la maladie, les phases de transition ville-hôpital vont se multiplier mais la majeure partie du parcours des patients se réalisant en ambulatoire, les enjeux de la coordination entre les professionnels intervenant aux différents niveaux de la prise en charge s'en trouvent renforcés.

## A. Graduer les niveaux de prise en charge

L'offre est aujourd'hui structurée par le dispositif des autorisations. En 2015, 935 établissements de santé et centres de radiothérapie de statut libéral étaient ainsi autorisés par les agences régionales de santé à prendre en charge des patients atteints de cancer<sup>82</sup>. Le Plan cancer 2014-2019 prévoit de faire évoluer le périmètre du dispositif des autorisations de traitement du cancer, afin de prendre en compte notamment les évolutions dans les techniques de prise en charge et l'accès à l'innovation (action 2.6). Les critères d'agrément seront également révisés, pour s'adapter à l'état de l'art des différentes disciplines et améliorer notamment l'orientation des situations complexes (action 2.5). Un changement du régime des autorisations relatives aux équipements d'imagerie, porté par la loi de modernisation du système de santé (article 51) est également en cours. Il s'agira de passer d'un système autorisant les équipements d'imagerie appareil par appareil à un système plus dynamique autorisant une activité d'imagerie. Cette nouvelle approche instaurera des règles de qualité, de sécurité et de compétence professionnelle.

### Dispositif d'autorisation

Depuis 2009 et conformément à deux décrets du 21 mars 2007<sup>83</sup> et à un arrêté du 29 mars 2007<sup>84</sup>, les établissements de santé doivent disposer d'une **autorisation spécifique, délivrée par l'agence régionale de santé (ARS) pour une durée de cinq ans, pour l'activité de traitement du cancer** (chimiothérapie, chirurgie du cancer, radiothérapie).

L'autorisation repose sur trois critères : des **conditions de qualité** (exemples : mise en place d'un dispositif d'annonce, tenue d'une réunion de concertation disciplinaire, accès pour la personne malade à des soins « de support »), des **critères d'agrément** (comme la présence permanente d'un radiothérapeute et d'un radiophysicien pendant la durée du traitement) et des **seuils d'activité** minimale pour certains traitements et types de cancer :

- en matière de chirurgie des cancers, l'activité minimale par an et par établissement est de 30 interventions pour la chirurgie du sein, digestive, urologique et thoracique, 20 pour la gynécologie et l'oto-rhino-laryngologie (ORL) ;
- pour la radiothérapie externe, le seuil d'activité minimale est d'au moins 600 patients traités chaque année ;
- pour la chimiothérapie, le seuil d'activité minimale est fixé à au moins 80 patients traités par an, dont au moins 50 en ambulatoire. Des aménagements sont prévus ; ainsi, si un établissement a une activité inférieure aux seuils en chimiothérapie, il pourra continuer à participer à l'offre de soins en réalisant des chimiothérapies en tant qu'« établissement associé ». Des dispositions spécifiques s'appliquent à l'HAD selon que celle-ci est rattachée ou non à un établissement autorisé ; il n'y a pas de notion de seuil d'activité minimale.

L'organisation des soins en cancérologie a évolué de façon très importante au cours de la dernière décennie notamment sous l'impulsion forte des plans cancer successifs et avec la création de l'Institut National du Cancer. Les agences régionales de santé sont responsables de la déclinaison du Plan cancer dans leur région. Elles organisent la concertation au sein de la conférence régionale de santé et de l'autonomie (CRSA) et des conférences de territoire. Les SROS-PRS, schémas d'organisation sanitaire en région, prévoient de structurer l'offre de soins en cancérologie sur le principe d'une organisation graduée et d'un fonctionnement en réseau<sup>85</sup>. Cette organisation est

<sup>82</sup> Voir la carte interactive sur le site de l'INCa : <http://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-sante/L-organisation-de-l-offre-de-soins/Traitements-du-cancer-les-etablissements-autorises/Carte-interactive-de-l-offre-de-soins-en-cancerologie>.

<sup>83</sup> <http://www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do?cidTexte=JORFTEXT00000275848>.

<sup>84</sup> [http://www.legifrance.gouv.fr/jopdf/common/jo\\_pdf.jsp?numJO=0&dateJO=20070330&numTexte=68&pageDebut=05963&pageFin=05964](http://www.legifrance.gouv.fr/jopdf/common/jo_pdf.jsp?numJO=0&dateJO=20070330&numTexte=68&pageDebut=05963&pageFin=05964).

<sup>85</sup> [http://social-sante.gouv.fr/IMG/pdf/Guide\\_SROS.pdf](http://social-sante.gouv.fr/IMG/pdf/Guide_SROS.pdf).

renforcée au niveau régional par des centres de coordination en cancérologie (3C)<sup>86</sup>, la formalisation explicite d'un réseau régional de cancérologie<sup>87</sup> ainsi que le développement d'une coopération interrégionale<sup>88</sup>. De nombreuses innovations ont été implémentées dans ce cadre telles que le dispositif d'annonce, la pluridisciplinarité au sein de réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP), l'engagement de plans personnalisés de soins et la mise en œuvre de soins de support, notamment la prise en charge de la douleur et des soins palliatifs.

Ces activités de soins sont ainsi théoriquement organisées en 4 niveaux dont 3 niveaux de recours autour de sites de cancérologie (offre ville-établissement de proximité, plateau technique de recours infrarégional, niveau de recours régional et niveau de recours interrégional voire national) et d'un fonctionnement en réseau centré autour du patient et de son médecin traitant en fonction des compétences, de l'environnement technique et des activités des établissements de santé. En réalité, cette structuration n'est pas opérationnelle. Le dispositif en vigueur concernant les autorisations ne repose d'ailleurs pas à ce jour sur un modèle de gradation des soins. Aussi, observe-t-on une insuffisante lisibilité des activités assurées par les établissements, une gradation mal identifiée entre « établissements de recours », « établissements à activité spécialisée », « établissements de proximité », ainsi qu'une insuffisance de conventions entre établissements de santé qui nuisent sur le terrain à la fluidité des parcours de soins. Une illustration des difficultés est donnée par la difficile mise en place des pôles régionaux de cancérologie institués par le premier plan cancer qui devaient être constitués d'établissements de santé exerçant des missions régionales hautement spécialisées, de recours et d'expertise, de recherche clinique et d'innovation. Prévus initialement pour fonctionner sur un mode coopératif (coopération entre CHU et CLCC notamment), ils n'ont pas toujours débouché et ne sont plus portés comme modèle par les orientations nationales en matière de lutte contre le cancer (ne sont plus mentionnés dans les plans cancers 2 et 3)<sup>89</sup>. De plus la coopération infrarégionale notamment entre ARS et 3C mériterait d'être clarifiée.

Il s'agit à présent de donner un sens concret aux objectifs d'organisation. L'organisation doit être en phase avec le continuum des soins et les évolutions des prises en charge (ambulatoire, chimiothérapie à domicile, radiothérapie hypofractionnée, allongement des durées de traitement...) et doit être capable d'absorber un accroissement des besoins de soins en cancérologie, de faire face à une hyperspécialisation des prises en charge et d'accroître les capacités de prise en charge au domicile des patients. Une mise en œuvre concrète impose une meilleure lisibilité et une clarification des missions, des champs d'intervention clairs et des articulations formalisées entre les acteurs. En particulier les établissements qui participent aux prises en charge (structures de courts séjours, HAD, SSR, ...) et leurs missions (initiation du traitement, suivi, etc.) doivent être clairement identifiés dans les parcours de soins. Aujourd'hui par exemple, il existe des « SSR de cancérologie » par reconnaissance contractuelle mais pas dans les mentions complémentaires en tant que telles<sup>90</sup>. Ces établissements peu nombreux existent en Ile-de-France notamment par le biais d'un cahier des charges spécifique.

---

<sup>86</sup> Les centres de coordination en cancérologie (3C) ont pour mission d'assurer la qualité et de fédérer la pluridisciplinarité au niveau d'un ou plusieurs établissements de santé, notamment par l'organisation et le suivi des réunions de concertation pluridisciplinaires.

<sup>87</sup> L'appartenance à un RRC fait partie des obligations que doivent remplir les établissements de santé pour être autorisés à pratiquer les traitements du cancer. L'Institut national du cancer a finalisé fin 2013 la procédure de reconnaissance des 25 réseaux régionaux de cancérologie (8 réseaux sont implantés dans des CLCC).

<sup>88</sup> Cette coopération interrégionale est encore rare mais on peut noter la mise en place d'organisations interrégionales pour la cancéropédiatrie (OIR).

<sup>89</sup> Cour des comptes. Rapport sur l'application des lois de financement de la Sécurité sociale. Chapitre VIII - Les centres de lutte contre le cancer : un positionnement à redéfinir dans l'offre de soins, Septembre 2015.

<sup>90</sup> Les décrets prévoient en effet une seule modalité d'autorisation avec des possibilités de mentions complémentaires (décrets n° 2008-376 et 2008-377 du 17 avril 2008 relatifs aux conditions techniques de fonctionnement applicables à l'activité de soins de suite et de réadaptation. Journal officiel 2008;20 avril).

Le maillage territorial doit également permettre de répondre à des situations complexes. Ainsi, le cas des tumeurs fréquentes à prise en charge non standard doit être intégré<sup>91</sup> : certains plateaux d'analyse, d'expertise et les praticiens de ce plateau peuvent ne pas être disponibles de manière homogène sur les territoires. Ne pas y avoir accès est une perte de chance pour les patients alors qu'une organisation permettant de faciliter cet accès optimiserait les chances de gain de survie des patients que les bilans ou les traitements soient réalisés en totalité ou pour partie dans les centres experts.

Le HCAAM préconise ainsi une approche graduée des prises en charge permettant une meilleure allocation des ressources en fonction des situations avec dans ce cadre une clarification du rôle des acteurs en particulier du rôle de chaque établissement en lien avec la ville sur un territoire donné.

Dans ce schéma :

- Le niveau 3, le plus élevé concerne les établissements assurant des fonctions de recherche, de soins et d'enseignement (type CLCC et CHU). Ces établissements assureraient le pilotage d'un réseau d'établissements de santé (inscrits dans le projet d'établissement). Des antennes pourraient opérer depuis ces centres de niveau 3 sur le modèle des équipes mobiles permettant la mobilité de professionnels spécialisés (radiothérapeutes, oncologues spécialisés) depuis ces centres. Des consultations avancées en oncologie médicale pourraient être créées.
- Le niveau 2 est constitué d'établissements favorisant une offre de soins « continue » permettant de réserver le niveau 3 aux prises en charge rares ou très spécialisées et d'éviter les hiatus dans les prises en charge. Dans un contexte dynamique de continuum soins-recherche (voir partie 2), outre le développement des équipes mobiles de recherche clinique, il pourrait être proposé le développement d'unités de recherche clinique localisées dans ces établissements. Ces « niches d'expertise » doivent permettre d'assurer un accès plus large aux innovations thérapeutiques.
- Le niveau 1 s'inscrit dans un maillage territorial « communautaire » au plus près des patients et de leur médecin traitant. A ce niveau, il est nécessaire de garder une certaine souplesse. D'une part, il s'agit de prendre en compte les réalités des territoires. Les filières de prise en charge doivent être fondées sur les synergies et les complémentarités au niveau local et donc être construites en partenariat après la réalisation de diagnostics territoriaux permettant d'identifier les acteurs (HAD, SSIAD, réseaux de soins, professionnels libéraux...) et leur périmètre d'activité sur l'ensemble des champs d'intervention qu'il s'agisse de soins curatifs mais également de soins de support et de soins palliatifs. D'autre part, le dispositif doit pouvoir être évolutif.

Aujourd'hui l'organisation doit intégrer la diffusion des chimiothérapies orales, le développement de la chirurgie ambulatoire et la prise en charge à domicile de patients polypathologiques dont la symptomatologie varie (patients en rémission, paucisymptomatiques, oligométastatiques ou en fin de vie). Il est donc nécessaire de prévoir une organisation fonctionnelle intégrant ces diverses composantes. Le développement de structures proposant une offre transversale avec « guichet unique » répond à cette exigence d'intégration de soins entre la ville et l'hôpital. Dans ce contexte, il s'agit d'assurer la présence d'une offre globale cohérente, comprenant les différentes catégories de services à des niveaux satisfaisants pour couvrir les besoins du territoire, une graduation des accompagnements et des prises en charge, la mutualisation des moyens logistiques ou humains.

L'hyperspécialisation et la concentration des compétences dans des pôles en nombre limité doit conduire à revoir les critères d'autorisation des activités. Les conséquences d'un éloignement géographique des patients des lieux de soins doivent également être anticipées. Il faut pouvoir garantir aux patients l'accès à des soins spécialisés, par exemple des traitements itératifs de radiothérapie, parfois éloignés de leur lieu de résidence. Les hébergements temporaires non

---

<sup>91</sup> Ravaud Alain, « Parcours de soins en cancérologie et financement. », *Journal de gestion et d'économie médicales* 2/2014 (Vol. 32), p. 105-112.

médicalisés sont une condition préalable à l'essor des pratiques ambulatoires qu'il convient d'accompagner.

Des structures d'hébergement pour patients, hors établissement de santé existent déjà à l'étranger, notamment dans les pays d'Europe du nord : Danemark, Finlande, Norvège, Suède. Dans ces exemples, les prestations proposées sont généralement partiellement médicalisées avec par exemple la présence d'une infirmière ou la délivrance de certains soins<sup>92</sup>. En France, le dispositif réglementaire est limité à une circulaire de la CNAMTS datant de 1993<sup>93</sup> et les expériences recensées sont très limitées. L'article 53 de la LFSS 2015 prévoit une expérimentation nationale pour les hébergements à proximité des établissements de santé destinés exclusivement aux patients quel que soit leur type (hôtels hospitaliers, MAH<sup>94</sup>, appartements individuels, chambres d'hôtes,...) et des travaux de la HAS, sur saisine de la direction générale de l'offre de soins (DGOS), ont précisé les critères d'éligibilité des patients au dispositif prévu par l'expérimentation<sup>95</sup>. La prise en charge à terme de ces dispositifs d'hébergement pourrait relever de l'assurance maladie. Il s'agit de prendre en charge des patients résidant loin des établissements de santé et qui nécessitent des transports coûteux et /ou une hospitalisation la veille ou le lendemain de l'intervention ou du soin ; à des situations de patients attendant, en fin d'hospitalisation, un avis diagnostique, une décision médicale ou une procédure diagnostique proposée par l'établissement, sans nécessiter de surveillance médicale ou paramédicale la nuit. Une telle évolution mérite d'être discutée.

## B. Articuler les différents niveaux, les enjeux de la coordination et du parcours

Les progrès médicaux et la chronicisation de la maladie complexifient les parcours des patients avec la réalisation de soins très techniques et ponctuels dans des centres hyperspécialisés tandis qu'une part croissante de traitements est prodiguée en ambulatoire, en périphérie des grands centres du fait de la standardisation des protocoles, voire au domicile des patients avec le développement des chimiothérapies orales et la simplification des protocoles de chimiothérapie parentérale. Ces évolutions, allongement des parcours de soins et multiplicité des interventions et des intervenants aux divers stades de la prise en charge dans différents segments du système de soins, appellent une coordination accrue entre les professionnels hospitaliers et les professionnels de santé de proximité (médecin traitant, infirmier, pharmacien, professions paramédicales). Cette exigence de coordination, notamment celle de coordination entre la ville et l'hôpital, partagée par l'ensemble des acteurs est permanente dans la politique de lutte contre le cancer mais reste à concrétiser, les plans cancer successifs n'ayant pas à ce jour réussi à avancer de façon significative dans cette voie.

---

<sup>92</sup> [http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2015-05/experimentation\\_d\\_hotels\\_pour\\_patients\\_-\\_feuille\\_de\\_route.pdf](http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2015-05/experimentation_d_hotels_pour_patients_-_feuille_de_route.pdf).

<sup>93</sup> DGR n° 27/93 - ENSM n° 6/93. Circulaire précisant les conditions de prise en charge des structures appelées "Hôtel pour Malades".

<sup>94</sup> Les maisons d'accueil hospitalier (MAH) se sont développées depuis les années 1970 pour permettre de rester auprès de la personne hospitalisée (adulte ou enfant) et pour donner la possibilité aux patients de poursuivre des soins ambulatoires dans des établissements éloignés de leur domicile. La loi de modernisation du système de santé (article 26) donne un statut aux activités mises en œuvre par les MAH. Un cahier des charges doit préciser les conditions de conventionnement des MAH avec les établissements de santé. Actuellement, on compte environ 70 MAH sur le territoire. Les modes de financement sont variés en fonction des publics, de la nature des conventions *etc.* Certaines complémentaires prévoient comme les mutuelles, la prise en charge de tout ou partie des hébergements.

<sup>95</sup> Les critères d'éligibilité des patients à un hébergement à proximité d'un établissement de santé retenus pour la HAS : (i) l'accord du patient ; (ii) les conditions d'accès et de prise en charge : critère d'éloignement du lieu de résidence du patient de l'établissement de santé et critère relatif aux conditions d'hébergement précisant l'absence de besoin de surveillance continue par les professionnels de santé ; (iii) l'organisation et le périmètre de la prise en charge (en amont de l'hospitalisation, en alternance avec une hospitalisation et après une hospitalisation) et l'insertion dans le parcours de soins du patient ; (iv) les caractéristiques des patients, en particulier, critères médicaux et relatifs à l'autonomie ; (v) des critères sociaux ; (vi) les conditions relatives aux autres personnes hébergées ; (vii) la durée de la prestation d'hébergement. HAS. Rapport d'orientation. Critères d'éligibilité des patients à un hébergement à proximité d'un établissement de santé, Novembre 2015. 64p.

Le patient est au centre des enjeux. Il s'agit de réduire les délais de prise en charge, d'éviter la réalisation redondante d'examen, de prévenir l'apparition de complications ou d'événements indésirables, d'éviter des ruptures dans les prises en charge et d'améliorer la qualité de vie des patients. C'est aussi une question d'efficience pour le système de santé. Ce coût mériterait d'ailleurs d'être évalué comme cela a pu être fait par exemple aux Etats-Unis<sup>96</sup>.

Le cœur de la coordination concerne l'échange d'informations et la communication entre les intervenants dans le parcours de soins d'un patient. Le partage du dossier médical apparaît dans ce cadre comme un outil informatique indispensable, même si en fonction des évolutions des pratiques et des prises en charge ainsi que des évolutions technologiques, les formes de la coordination peuvent évoluer nécessitant de réinterroger régulièrement à l'aune des objectifs qu'on leur assigne les outils et les solutions proposés. Ainsi le plan cancer 2014-2019 propose de nouvelles actions pour renforcer l'articulation ville-hôpital en s'appuyant sur le développement d'outils et d'échanges dématérialisés : généralisation du dossier communicant en cancérologie (DCC), dématérialisation et intégration des plans personnalisés de santé (PPS) dans le DCC, développement de supports d'information informatisés<sup>97</sup>, télémédecine (actions 2.19 à 2.22). De nouveaux acteurs de la coordination apparaissent : infirmières de coordination, gestionnaires de cas, pharmaciens hospitaliers et pharmaciens d'officine dans la sécurisation du circuit du médicament. Le plan cancer prévoit de tester l'apport d'infirmière de coordination en cancérologie (action 16.5 du plan cancer 3) dans le parcours de soins des patients<sup>98</sup>.

Des solutions sont expérimentées pour favoriser les échanges entre professionnels. Par exemple, en Alsace, Simral (Service d'imagerie médicale en région Alsace) est une solution régionale de partage d'images médicales pour les radiologues et les médecins cliniciens, avec des fonctions mutualisées d'archivage neutre, de gestion des images (Pacs) et de systèmes d'information radiologique (SIR). Une phase pilote a débuté début 2014. Ce projet est fondé sur la mutualisation d'une solution industrielle comprenant un bouquet de services auxquels les adhérents pourront s'abonner selon leurs besoins, avec un paiement à l'usage. Il devrait permettre un meilleur suivi et un accès aux examens durant les réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP). Le centre Léon-Bérard de Lyon a mis en place un dossier patient informatisé ouvert sur l'extérieur.

Il n'existe pas par ailleurs de répertoire opérationnel des ressources ou d'orientation spécifique à la cancérologie permettant de programmer efficacement la sortie et le parcours des patients. Pourtant l'éloignement de lieux de soins hyperspécialisés du lieu de vie des patients accentue la nécessité de ces outils. Il s'agit de renforcer l'articulation des prises en charges entre les différents niveaux.

Du fait de la segmentation des prises en charge, les parcours de soins sont assez peu analysés dans leur globalité depuis l'entrée dans le parcours de soins en intégrant la dimension ville-hôpital. Focalisées sur des segments de prise en charge (parcours intrahospitalier, réseaux de soins...), les études menées visent d'abord à améliorer l'efficience des structures qui en sont les promoteurs. Il

---

<sup>96</sup> Donald M. Berwick, Andrew D. Hackbarth, "Eliminating Waste in US Health Care" JAMA 307, no. 14 (April 11, 2012):1513-6.

<sup>97</sup> Dans le cadre du développement des chimiothérapies à domicile, l'INCa publie ainsi des recommandations de bonnes pratiques qui ont pour but d'aider les professionnels de santé, notamment de premier recours, à gérer plus efficacement les toxicités les moins graves liées à ces traitements, à éviter le recours à certaines hospitalisations et à orienter rapidement les patients nécessitant une prise en charge spécialisée en cas de toxicités plus importantes. Ces premières recommandations concernent la prévention et la gestion des effets indésirables liés aux chimiothérapies par voie orale. Elles s'adressent aux professionnels de santé, oncologues et spécialistes d'organes, médecins généralistes, pharmaciens et infirmiers notamment. Deux guides ont été publiés à ce jour.

<sup>98</sup> Depuis 2010, afin de répondre aux enjeux du parcours de soins en cancérologie en termes d'information des patients et de coordination des professionnels, des postes d'infirmiers de coordination en cancérologie (IDEC) ont été créés, dans 35 établissements pilotes. Cette première expérimentation a révélé l'important apport du dispositif pour les patients et leur entourage, contrastant néanmoins avec des effets plus mitigés sur la coordination ville-hôpital. Dans ce contexte, une deuxième expérimentation a été lancée en 2014 par la DGOS en coordination avec l'INCa.

s'agit « d'optimiser », « d'améliorer la performance » des segments de parcours au bénéfice de l'organisation des structures. Les patients qui sont pourtant au centre des parcours sont assez peu mobilisés, ni comme objet d'étude, ni comme partie prenante de l'organisation.

Ainsi, c'est plutôt l'analyse des parcours intrahospitaliers facilitée par l'existence de systèmes d'information internes et de l'existence de méthodologies partagées (la méthode des chemins cliniques, benchmarking et indicateurs de qualité) qui guident les actions d'amélioration des parcours de soins. Toutefois, les réalisations sur lesquelles ces études débouchent débordent le cadre strict des établissements. Par exemple, les Hospices Civils de Lyon en Rhône-Alpes ont développé une hotline réservée aux médecins de ville afin de faciliter l'accès à une prise en charge rapide des patients. L'objectif est de proposer un rendez-vous téléphonique aux médecins traitants dans les 5 jours. A partir de travaux réalisés sur les parcours de soins<sup>99</sup>, l'Institut Gustave Roussy met en place un dispositif expérimental « CAPRI » combinant TIC (mise à disposition de tablettes aux patients pour le suivi des traitements, développement d'un portail dédié sur le site de l'IGR permettant la gestion des agendas, outils de télésurveillance...), création de postes d'infirmières dédiées à la coordination et à la gestion des alertes et développement de l'éducation thérapeutique. Une expérimentation des oncologues de l'Institut Curie et du centre René Huguenin de Saint-Cloud (Hauts-de-Seine) vise quant à elle à déployer une application d'aide à la décision en cas de toxicité des chimiothérapies orales. Cette application doit permettre au patient d'être bien orienté dans ce type d'urgence spécifique.

Sur le champ ambulatoire, la HAD peut faire l'objet d'évaluations médicoéconomiques afin de préciser sa place dans les prises en charge. Par exemple, dans le cadre du développement des chimiothérapies à domicile des travaux ont été menés par la HAS<sup>100</sup>. Ces travaux comparent prise en charge en HDJ et prise en charge en HAD (cf. partie V). La place des réseaux de soins n'était pas envisagée dans cette analyse. Toutefois, une étude publiée en 2011<sup>101</sup> a comparé ces coûts des chimiothérapies à domicile par des réseaux à ceux associés aux séjours hospitaliers (HDJ). A durée égale, les coûts étaient relativement proches lorsque les coûts de transports n'étaient pas intégrés. Sous réserve d'une volumétrie permettant de mutualiser un certain nombre de charges et à condition qu'elle soit intégrée dans une gestion globale de la prise en charge, la chimiothérapie à domicile coordonnée par un réseau de santé était considérée comme une solution tout à fait compétitive sur le plan médicoéconomique.

De façon assez générale, la place des réseaux est en débat<sup>102</sup>. Le plan cancer 2003-2006 précisait ainsi que « *les réseaux, qui devront faire toute leur place aux praticiens libéraux et notamment aux médecins généralistes, seront régulièrement évalués et appliqueront des normes de qualité fixées au niveau national et régional* ». Hétérogènes, fragiles financièrement et intrinsèquement car dépendants de la bonne volonté des acteurs locaux, ils ne répondent pas à un mode d'organisation univoque. Toutefois des initiatives ont été prises pour préciser leur contour. La DGOS a publié en 2012 un guide visant à faire évoluer les réseaux de santé vers la polyvalence et une mission d'appui aux médecins généralistes et aux équipes de premiers recours pour la prise en charge des situations

---

<sup>99</sup> Ces travaux montrent que les typologies de parcours de soins sont assez circonscrites et que l'on peut considérer trois niveaux d'organisation : les patients les plus courants, pour lesquels l'organisation de la sortie, une information claire et une coordination légère sont suffisantes ; les patients complexes, qui nécessitent une programmation ajustée et des interventions complémentaires, avec un support au niveau des soins à domicile et des outils de suivi réactifs ; et enfin les patients très complexes, qui souvent allient co-morbidités et vulnérabilité sociale, pour lesquels un monitoring rapproché est à mettre en place. Ils relèvent de ce qui est communément appelé le « case-management ». Rapport d'activité IGR – 2014.

<sup>100</sup> HAS - Conditions du développement de la chimiothérapie en hospitalisation à domicile : analyse économique et organisationnelle. Service évaluation économique et santé publique. Janvier 2015. 175p.

<sup>101</sup> Valérie Buthion, Thierry Lagrange, Anouar Fanidi. La chimiothérapie à domicile : complémentarité ou concurrence dans la stratégie des structures hospitalières ? Journal de gestion et d'économies médicales. 2011, vol. 29 – 18-35.

<sup>102</sup> Hôpital et médecine de ville face au cancer : les enjeux de la coordination de la prise en charge des malades atteints de cancer au sein de réseaux de santé. École doctorale 180 : « Sciences humaines et sociales : cultures, individus, sociétés ». Lucile Hervouet, novembre 2012.



complexes (notamment sur les aspects médico-sociaux)<sup>103</sup>. La HAS, à la faveur de l'expérimentation PAERPA, a développé une batterie d'indicateurs visant à rendre compte de l'évolution demandée aux réseaux de santé en termes de fonctions d'appui et d'assistance au parcours<sup>104</sup>.

Au-delà des outils d'échange et de communication qui sont des conditions nécessaires mais pas suffisantes pour la coordination des soins, l'adhésion et la reconnaissance mutuelle des acteurs est fondamentale pour la construction et la réussite de la mise en place de nouvelles organisations<sup>105</sup>. Au niveau local les réseaux de santé en sont un bon exemple. De même les RCP peuvent être considérées comme une réussite mais elles avaient déjà l'adhésion des professionnels en s'inscrivant dans une culture déjà ancienne de pluridisciplinarité.

Pour le HCAAM, les enjeux de coordination de moyen terme portent sur la sécurisation de la chimiothérapie à domicile, le renforcement de la place du médecin traitant dans la coordination des soins afin d'assurer la continuité des prises en charge et le développement d'outils permettant d'orienter les patients.

La coordination des soins en cancérologie bénéficie d'une attention particulière mais morcelée. Des solutions visant à améliorer la coordination sont implémentées ou expérimentées que ce soit au niveau national garantissant une certaine cohérence de l'action publique ou au niveau local avec le risque de fragmentation et d'épuisement car fragiles et reposant sur la bonne volonté et le dynamisme des acteurs locaux. Un bilan complet de ces dispositifs doit être réalisé afin d'en tirer les enseignements et mettre œuvre une politique réaliste et partagée.

Les enjeux de la coordination sont partagés entre les acteurs mais les besoins de connaissance restent importants sur l'ensemble des parcours de soins des patients dont l'analyse en particulier médicoéconomique reste fragmentée et ne permet pas d'avoir une vision stratégique de la place de nouveaux acteurs du parcours. Ces analyses doivent être promues. En particulier, la question se pose de développer des paiements incitatifs à la coordination et si oui, lesquels.

Les solutions de coordination qui reposent de plus en plus sur les nouvelles technologies de l'information se développent au niveau régional et ce bien qu'elles ne bénéficient pas toujours d'un modèle économique pérenne. Elles devraient faire l'objet d'une politique harmonisée au niveau national et plus volontariste sous peine de voir se développer des projets locaux qui à terme risquent d'obérer l'implémentation de solutions nationales.

Formaliser la coordination n'est pas coordonner. Il faut mobiliser davantage les patients et les acteurs intervenant dans la prise en charge des cancers et créer les conditions qui favorisent l'intérêt à agir.

## 5. La chimiothérapie des cancers

La prescription des anticancéreux est très réglementée. Elle ne peut être faite que par un spécialiste ayant la qualification ordinale en cancérologie. Les patients doivent bénéficier de l'avis d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) qui s'appuie sur les référentiels de bon usage établis par l'INCA et les recommandations de bon usage des médicaments (RBU) retenues dans le cadre des contrats passés entre l'ARS et les établissements autorisés (qui conditionnent les remboursements à 100% des médicaments de la liste en sus).

---

<sup>103</sup> Guide méthodologique - Améliorer la coordination des soins : comment faire évoluer les réseaux de santé ? DGOS – octobre 2012.

<sup>104</sup> [http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c\\_2040388/fr/tableau-de-bord-des-indicateurs-de-suivi-des-reseaux-de-sante](http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_2040388/fr/tableau-de-bord-des-indicateurs-de-suivi-des-reseaux-de-sante).

<sup>105</sup> Innovation organisationnelle et prise en charge des maladies chroniques. La coopération entre partenaires distants. Huard P., Schaller P. Pratiques et Organisation des Soins. Volume 42 n°2/avril-juin 2011. Améliorer la prise en charge des maladies chroniques. Stratégie. Huard P., Schaller P. Pratiques et Organisation des Soins. Volume 41 n°3/juillet-septembre 2010.

La chimiothérapie s'inscrit dans une dynamique en très forte évolution avec la diffusion des thérapies ciblées et des immunothérapies spécifiques<sup>106</sup> qui commencent à arriver sur le marché. Ces médicaments modifient profondément la prise en charge et le pronostic de certains cancers. C'est le cas notamment des nouveaux traitements du mélanome métastatique jusqu'alors sans alternative thérapeutique. Ils permettent dans d'autres cas d'obtenir des bénéfices thérapeutiques importants en association ou de façon séquentielle avec d'autres médicaments.

Depuis quelques années, le nombre de personnes traitées par chimiothérapie croît plus vite que le nombre de nouveaux cas de cancers du fait de nouvelles indications de chimiothérapie correspondant à davantage de situations de cancer et donc de patients, de la prolongation des traitements liée la chronicisation de certains cancers avec un plus grand nombre de cycles de chimiothérapie par personne et de l'augmentation du nombre de lignes de traitements proposés (traitements des stades avancés/métastatiques de la maladie).

Si certaines chimiothérapies sont dispensées dans le cadre de séjours hospitaliers, la plupart sont réalisées en ambulatoire. Ces séances se déroulent selon diverses modalités : dans les hôpitaux de jour des centres hospitaliers publics ou privés, dans le cadre d'une prise en charge en Hospitalisation à Domicile (HAD), ou par des infirmières libérales coordonnées par un réseau de santé au domicile du patient. La prescription du médecin hospitalier initie le processus de soins et influe sur les prescriptions qui seront poursuivies en ville en fonction des produits de santé sélectionnés. Les anticancéreux administrables à domicile ne sont pas déterminés de manière réglementaire et leur liste n'est pas figée<sup>100</sup>. Il peut s'agir de traitements intraveineux, sous-cutanés ou sous forme orale. C'est au médecin prescripteur, en lien avec le patient, de juger, dans le cadre d'une concertation pluridisciplinaire, la possibilité ou pas de déléguer à domicile la réalisation de la chimiothérapie.

La dépense pour ces médicaments anticancéreux aux prix unitaires très élevés va s'accroître très vite sur un modèle de « niche-busters ». Cette stratégie est facilitée (i) par le développement des techniques de séquençage du génome qui permettent de cibler les sous-groupes de patients potentiellement répondeurs, (ii) par les potentialisations de produits qui conduisent à des possibilités de combinaisons de traitements, complexes à évaluer et à tarifier, (iii) par le système de la liste en sus.

Une réflexion autour des modèles d'accès au remboursement et de fixation du prix des médicaments est indispensable et urgente afin d'asseoir les principes qui permettront d'assurer de façon pérenne l'accès à ces traitements.

### Chimiothérapie en France – quelques chiffres

*D'après le rapport INCa – situation de la chimiothérapie des cancers en 2014*

#### **MCO**

##### *Séjours et séances*

2,5 millions d'hospitalisations, soit 9,4% des hospitalisations en MCO réalisées en France, mentionnent une chimiothérapie en 2013 ; 89,8% sont réalisées en séances, les autres au cours de séjours avec au moins une nuitée.

77% de l'activité est concentrée sur un quart des établissements autorisés. La part du secteur public (établissements de santé antérieurement sous dotation globale : CH, CHRU, CLCC et privé à but non lucratif) est prédominante pour les séances (68,1%), comme pour les séjours avec nuitée (90,4%). Depuis 2011 le nombre de séances progresse davantage dans les établissements publics que dans les établissements privés et le nombre de séjours est en baisse dans les deux secteurs.

Les dépenses d'hospitalisation (séjours et séances) pour/avec chimiothérapie en 2013 s'élèvent à 1,754 milliard d'euros (945,2 millions d'euros pour les séjours, 808,4 millions d'euros pour les séances) soit une augmentation de 5,5% par rapport à 2012 à périmètre constant. Cette évolution est plus importante pour les hospitalisations (+ 7,8%) que pour les séances (+ 2,0%).

<sup>106</sup> L'immunothérapie spécifique permet de restaurer ou d'améliorer les capacités du système immunitaire à se défendre ou à combattre le cancer.

## Patients

En 2013, l'activité de chimiothérapie a concerné 292 406 personnes soit une hausse de 1,6% par rapport à l'année précédente et de 3,7% par rapport à l'année 2011. L'âge des personnes est stable par rapport à 2012, avec un âge moyen de 62,2 ans et un âge médian de 64 ans ; 20% des personnes ont plus de 75 ans et 1,4% moins de 18 ans. Une prise en charge a eu lieu en établissement privé pour 27% des personnes, en CH pour 28%, en CHU-R pour 24%, en CLCC pour 16% et en établissement privé non lucratif pour 5%.

### HAD

Il existe deux modes de prise en charge en HAD en lien avec l'activité de chimiothérapie anticancéreuse : la **surveillance post-chimiothérapie** et l'**administration de chimiothérapie**. La surveillance de chimiothérapie anticancéreuse est prépondérante. En 2013, elle représente 338 842 journées pour 6 219 personnes. Le nombre de journées réalisées avec chimiothérapie anticancéreuse est de 128 930 pour 4 264 personnes. Cela ne représente que 3% des journées d'HAD toutes pathologies confondues et 4,1% des personnes prises en charge en HAD. On note une progression par rapport à 2011, avec respectivement 41 618 journées et 1 731 personnes supplémentaires (+ 47% et + 68%) portées pour 60% par des établissements de santé privés à but non lucratif, pour 25% par des établissements publics et pour 15% par des entités privées de statut commercial.

### SSR

L'activité de chimiothérapie est marginale en SSR. En 2013, on décompte 75 887 journées de SSR réalisées avec chimiothérapie anticancéreuse pour 2 156 personnes. Cela représente moins de 1% des journées et des personnes prises en charge en SSR mais il existe des établissements de SSR très spécialisés en cancérologie.

### Chimiothérapie à domicile

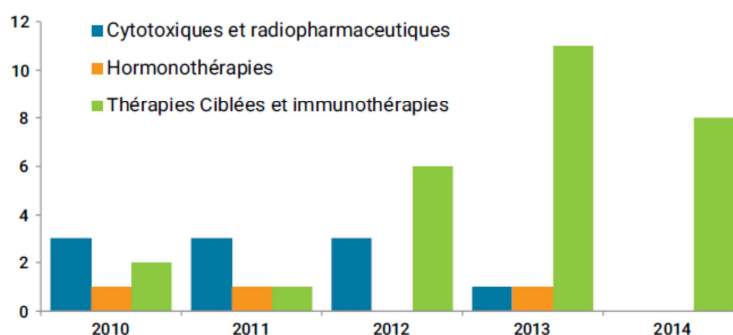
Concernant les chimiothérapies à domicile, on ne dispose que de données indirectes sur les volumes et le montant global des remboursements réalisés par l'assurance maladie pour les médicaments placés sur la liste de rétrocession ainsi que sur les médicaments délivrés en officine.

## A. Antinéoplasiques : une offre importante et innovante et des dépenses croissantes

Une spécificité française relevée par des travaux réalisés pour la commission des comptes de la sécurité sociale concerne le recours plus rapide aux médicaments innovants en France comparé à d'autres pays<sup>107</sup>. Entre 2010 et 2014, 67 nouveaux médicaments anticancéreux ont été autorisés (97 indications au cours de la dernière décennie). En moyenne 8 AMM initiales par an (molécules mises à disposition pour la 1<sup>ère</sup> fois) ont été accordées. Ces AMM concernent le plus souvent les thérapies ciblées et les immunothérapies spécifiques (71% des nouvelles AMM – 29 en 5 ans).

Ces molécules ont pour la majorité un bénéfice thérapeutique reconnu : 32% des ASMR attribuées aux indications des anticancéreux sur la même période sont de niveau I à III ; 32% des ASMR sont de niveau IV.

Figure : classes des molécules mises sur le marché pour la première fois sur la période 2010-2014.



Source : INCa (la chimiothérapie orale du cancer en 2014 – note d'analyse, décembre 2015).

<sup>107</sup> Rapport à la commission des comptes de la sécurité sociale. Juin 2016 – pages 120-123.

En 2013, les dépenses associées aux traitements anticancéreux pour l'Assurance maladie s'élevaient à 2,6 milliards d'euros (contre 2,4 milliards en 2012), répartis comme suit (hors dépenses intra GHS)<sup>108</sup> :

- 1,5 milliard lié aux médicaments de la liste en sus à l'hôpital ;
- 200 millions pour la rétrocession dont près de 150 concernent les thérapies ciblées ;
- 880 millions pour l'officine<sup>109</sup>, soit une augmentation de 14% par rapport à 2012, essentiellement portée par les thérapies ciblées (avec une part de 54,4% et une croissance de +15,7%) et l'hormonothérapie. Les anticancéreux oraux représentent quant à eux environ 86% des montants remboursés par l'assurance maladie pour les médicaments anticancéreux.

Les médicaments anticancéreux représentent la moitié du montant total de la liste dite « en sus » et ce, pour 36 médicaments du cancer, avec une augmentation du montant consacré à ces médicaments de +6,7% entre 2012 et 2013, et avec des particularités notables : des dépenses concentrées sur très peu de ces molécules (5 molécules représentent près de 840 millions d'euros de dépenses).

Seize thérapies ciblées sont inscrites sur la liste en sus, elles sont à l'origine d'une dépense de 1,1 milliard d'euros soit 40% du montant total consacré par l'assurance maladie à la liste en sus et 74% du montant consacré par l'assurance maladie aux anticancéreux de la liste en sus. Il faut souligner que ces montants ne prennent pas en compte les dépenses liées à la réalisation préalable des tests génétiques (analyse moléculaire des tumeurs) qui concernent une population beaucoup plus large que celle susceptible de bénéficier du traitement ciblé, entre 1% et 20% des cas selon les anomalies. Ces analyses sont financées sur l'enveloppe RIHN (MERRI) et l'INCa complète le financement pour le programme des biomarqueurs émergents.

D'après l'INCa, les dépenses relatives aux médicaments du cancer devraient doubler dans les 3 à 5 ans notamment avec la diffusion de l'immunothérapie spécifique inhibitrice des points de contrôle. Le premier médicament de cette classe est un anticorps anti-CTL4 (ipilimumab) autorisé en 2011 dans le traitement du mélanome métastatique qui a considérablement amélioré la survie de ce cancer. Viennent d'arriver sur le marché en France des molécules qui étaient déjà disponibles dans le cadre d'ATU de cohorte : les anticorps monoclonaux anti-PD1 qui sont très prometteurs pour des patients atteints de cancer du poumon non épidermoïde, non à petites cellules, la forme la plus fréquente du cancer du poumon et, dans le traitement en première ligne du mélanome avancé.

## B. Quelles évolutions possibles ?

### *... pour maîtriser les prix des médicaments innovants*

L'arrivée de nouveaux traitements à l'efficacité prometteuse, mais à des prix unitaires très élevés, interroge notre modèle d'accès au remboursement et de fixation du prix des médicaments. Ainsi une cure d'ipilimumab coûte 80 000 euros pour quatre injections. Aux États-Unis sur 58 médicaments anticancéreux approuvés entre 1995 et 2013, le prix tenant compte de l'inflation et des années de vie gagnée, a augmenté de 10% par an en dollars constants (8 500 \$/an)<sup>110</sup>.

Le potentiel de développement des thérapies ciblées est majeur si l'on considère le nombre de mutations par tumeur, entre 50 et 1 500, qui sont autant de cibles thérapeutiques possibles<sup>111</sup>. Il faut souligner que la fréquence de chaque anomalie est rare. Ainsi, le nombre de patients concernés reste encore faible. Mais ces nouveaux traitements ne sont pas substitutifs, ils augmentent l'arsenal

<sup>108</sup> Situation de la chimiothérapie des cancers en 2014. Juillet 2015 – INCa – 84 pages.

<sup>109</sup> Les données concernant les médicaments délivrés à l'officine ne portent que sur le régime général de l'Assurance maladie, elles ne couvrent donc que les personnes affiliées à ce régime, soit 73% de la population totale.

<sup>110</sup> David H. Howard, Peter B. Bach, Ernst R. Berndt, and Rena M. Conti . « Pricing in the market for anticancer drugs », National Bureau of Economic Research. January 2015. <http://www.nber.org/papers/w20867.pdf>.

<sup>111</sup> La chimiothérapie orale du cancer en 2014 – note d'analyse, décembre 2015. INCa.

thérapeutique à disposition des professionnels pour traiter les cancers et s'ajoutent aux traitements existants. La prévalence des patients recevant ces traitements augmente donc en conséquence. De plus, il n'y a pas de durée optimale de traitement : à la différence des chimiothérapies conventionnelles, les thérapies ciblées se caractérisent par une prise au long cours jusqu'à progression de la maladie ou intolérance. Pour l'immunothérapie, les schémas thérapeutiques ne sont pas stabilisés et dans l'avenir, ces traitements vont profondément modifier les prises en charge : les populations cibles vont rapidement s'élargir du fait soit de l'extension de leurs indications à d'autres cancers, soit de leur utilisation en première ligne dans des formes moins avancées de cancer, soit en association ou avec d'autres traitements (chimiothérapie conventionnelle, thérapie ciblée).

Le mécanisme de fixation des prix basé sur l'ASMR est inflationniste par construction. De plus, la fixation du prix des molécules bénéficiant d'une ATU pèse également dans les négociations *a posteriori*. Le présent rapport (volume I) ouvre des pistes pour une évolution de la politique tarifaire (prix cible, tarification temporaire, tarification individuelle, fixation des prix par indication, partage des risques). Le rapport suggère également un renforcement de la coordination européenne, la mobilisation des marges d'économies possibles par l'encouragement d'une prescription économe. L'exemple du cancer nourrit cette réflexion.

Dans un contexte de continuum soins-recherche tel que l'on peut l'anticiper, une difficulté pour la fixation des tarifs des nouveaux traitements contre le cancer tient, comme on l'a vu, d'une part aux incertitudes concernant leur efficacité et leur sécurité (voir paragraphe 2) et d'autre part à l'évolution dans le temps de la population traitée par rapport à la population cible initiale. La place de ces traitements dans les stratégies de prise en charge est en effet difficile à préciser *ex-ante*. Or cela conditionne le tarif qui sera proposé par le CEPS. Certains mécanismes permettraient d'amortir les dépenses (prix à la performance, remises glissantes). La mise en œuvre de contrats de risque partagés fondés sur les résultats ou la mise en place d'un remboursement temporaire<sup>112</sup> sont-elles des options à privilégier pour l'accès au marché remboursé de ces médicaments ? Il est effectivement important d'assortir la fixation du prix de ces médicaments à des clauses incluant un accord de suivi et d'études en vie réelle tel que prévu par l'accord cadre du 31 décembre 2015. Un comité de suivi des études en vie réelle a été créé, il réunit CEPS/CT/CEESP<sup>113</sup>. La question du tarif pour des associations de médicaments est un autre enjeu. Une doctrine partagée entre organismes responsables de la fixation des prix et industriels reste à élaborer.

Le développement d'études en vie réelle est donc une clé pour l'avenir. La France dispose d'outils puissants qui pourront être mobilisés dans ce cadre (PMSI, SNIIRAM, registres). Toutefois la « généralisation » d'études en vie réelle est une proposition ambitieuse qui nécessitera outre des travaux techniques et une mobilisation de l'ensemble des acteurs, un portage volontariste. Des évolutions en ce sens sont en cours pour la constitution de bases de données en vie réelle. Quelques exemples peuvent être mentionnés mais des progrès doivent encore être accomplis pour s'assurer de la représentativité de ces bases à des fins d'évaluation. On peut notamment citer le programme ESME (Epidémiologie-Stratégie Médico-Economique) lancé sous l'égide d'UniCancer et Roche qui adopte une approche transversale par pathologie (cancer du sein métastatique)<sup>114</sup> et le programme PRM (programme de remboursement personnalisé) qui vise à décrire l'utilisation des traitements développés par produits en vie réelle. L'objectif est « d'ouvrir une voie vers l'amélioration de modèles de financement »<sup>115</sup>.

---

<sup>112</sup> D. Polton. Rapport sur la réforme des modalités d'évaluation du médicament. Novembre 2015. 168p.

Il s'agit d'un remboursement pour une durée limitée durant laquelle seraient collectées des données cliniques et médico-économiques qui permettraient à la HAS, à l'issue de la période d'affirmer son jugement et d'évaluer si la promesse est réellement tenue (page 72 du rapport).

<sup>113</sup> Les produits de santé à l'hôpital – FHF – rapport 2015.

<sup>114</sup> [http://www.unicancer.fr/sites/default/files/DP\\_ESME\\_UNICANCER\\_Roche\\_07.10.14.pdf](http://www.unicancer.fr/sites/default/files/DP_ESME_UNICANCER_Roche_07.10.14.pdf).

<sup>115</sup> [http://www.pharmaceutiques.com/archive/une/art\\_1568.html](http://www.pharmaceutiques.com/archive/une/art_1568.html).

La crainte d'une évolution non maîtrisée des dépenses qui pourrait pénaliser à terme les patients se fait jour. En témoignent des sessions dédiées au prix des médicaments anticancéreux lors de congrès internationaux de professionnels ou la publication de plaidoyers et tribunes qui se succèdent dans la presse spécialisée ou généraliste. Selon une étude récente publiée dans le *Lancet*, les disparités entre pays européens, varient considérablement pour les prix faciaux des nouveaux anticancéreux. D'après les données publiées, la Grande-Bretagne, le Portugal et les pays méditerranéens – la Grèce, l'Espagne – paient le prix unitaire le moins élevé pour ces anticancéreux, alors que la Suède, la Suisse et l'Allemagne paient le prix fort<sup>116</sup>. Les accords confidentiels que les industriels négocient directement avec les Etats ne sont pas pris en compte dans cette étude. Si la comparaison tend donc à surestimer les écarts de coût, ces travaux ont surtout le mérite d'une part de témoigner de l'opacité du dispositif de fixation des prix qui les tire à la hausse dès lors qu'un prix facial élevé a été obtenu (contre remise) dans les pays référents et d'autre part de rendre compte de l'asymétrie qui existe entre les industriels qui sont en situation de monopole face à des Etats en situation de concurrence pour obtenir les prix les plus bas.

Le développement médiatique de la question du prix des médicaments anticancéreux qui dépasse largement nos frontières est peut-être la promesse d'une réflexion internationale qui peine jusqu'à présent à se mettre en place. Pourtant cette réflexion est nécessaire et urgente. C'est en ce sens que vont les initiatives récentes du gouvernement français.

### *... pour lever les freins au développement des chimiothérapies à domicile*

Un mouvement se fait de l'hôpital vers la ville avec des possibilités croissantes de réalisation de chimiothérapie à domicile, mais le modèle de financement de l'hôpital qui est le prescripteur des chimiothérapies (*via* des GHS bien rémunérés et la liste en sus) n'incite pas à la coopération et au développement des chimiothérapies en dehors de l'hôpital, que ce soit pour les patients les plus complexes, nécessitant une prise en charge en HAD (alternative à l'hospitalisation conventionnelle) ou pour les patients moins lourds par un réseau de santé spécialisé à leur domicile. Toutefois, l'INCa a été saisi par la DGOS en août 2015 pour proposer un référentiel organisationnel pour les chimiothérapies orales (en cours). Les premiers travaux ont permis de modéliser le contenu de la consultation de primo-prescription, qui devrait faire l'objet d'un financement spécifique en MIG à partir de 2016.

D'après les travaux de la HAS<sup>117</sup>, bien que les chimiothérapies en HAD soient réalisées dans les mêmes conditions de qualité et de sécurité qu'en HDJ, cette activité peine à émerger. En 2013, 4 264 patients ont bénéficié d'une chimiothérapie anticancéreuse en HAD ce qui représentait près de 129 000 journées soit une part très marginale de l'activité de chimiothérapie. Cette activité progresse peu dans le temps. Le coût de la prise en charge en HAD est généralement plus faible que celui de l'hospitalisation conventionnelle mais reste lié aux modalités de tarification retenues en HAD (par jour et séquences) et est protocole dépendant. Une autre étude médicoéconomique a permis de mettre en évidence qu'un traitement alterné HDJ/HAD pouvait permettre jusqu'à 16,5% d'économie pour l'assurance maladie par rapport à un traitement exclusivement réalisé en HDJ<sup>118</sup>.

Les raisons du faible investissement dans cette activité sont multiples. Il existe en particulier des blocages liés au mode de tarification qui ne semble pas bien adapté à l'activité de chimiothérapie en

---

<sup>116</sup> Sabine Vogler, Agnes Vitry, Zaheer-Ud-Din Babar. Cancer drugs in 16 European countries, Australia, and New Zealand: a cross-country price comparison study, décembre 2015.

[www.thelancet.com/oncology](http://dx.doi.org/10.1016/S1470-2045(15)00449-0) Published online December 3, 2015 [http://dx.doi.org/10.1016/S1470-2045\(15\)00449-0](http://dx.doi.org/10.1016/S1470-2045(15)00449-0).

<sup>117</sup> Conditions du développement de la chimiothérapie en hospitalisation à domicile : analyse économique et organisationnelle. HAS – Service évaluation santé publique et médicoéconomique – Janvier 2015.

<sup>118</sup> Touati M., Moreau S., Lefort S. *et al.* Le dispositif ESCADHEM de chimiothérapie injectable à domicile du Réseau HEMATOLIM : Evaluation médicoéconomique par modélisation d'une prise en charge alternée entre l'Hôpital de Jour et l'Hospitalisation à Domicile d'un traitement par Bortezomib. Poster, Société Française d'Hématologie, Paris, 26-28 Mars 2014.



HAD<sup>119</sup> et d'autre part, le coût du transfert (charge de travail des oncologues prescripteurs) n'est pas nul voire important selon les cas pour l'établissement prescripteur mais non rémunéré et donc peu incitatif au transfert de patients vers l'HAD, même si localement des expériences fructueuses de prise en charge coordonnées peuvent se développer comme en Limousin avec Hématolin. De plus, le modèle de tarification (tarification de l'activité et facturation des molécules onéreuses sur la liste en sus) incite les établissements à réaliser les chimiothérapies en HDJ.

Il existe un réel problème de la prise en charge financière de certains médicaments hors des structures d'hospitalisation MCO notamment en SSR, en HAD et dans le secteur médico-social (EHPAD, MAS et FAM). Les chimiothérapies en sous cutanée ou orales peuvent être suivies en dehors de l'hôpital, et non plus en hospitalisation de jour où sont administrées les chimiothérapies injectables mais leur coût en HAD ou en SSR est incompatible avec les tarifs d'HAD (si elles ne figurent pas sur la liste en sus) ou la dotation annuelle de financement en SSR. Or, il devrait être possible de poursuivre en SSR un traitement par chimiothérapie initié en MCO sans avoir de rupture de parcours c'est-à-dire sans avoir à réhospitaliser un patient en HDJ-MCO pour des raisons financières parce que les molécules relèvent de la liste en sus MCO.

L'impact du coût des médicaments n'est en effet pas le même dans un financement au séjour et dans un financement à la journée. C'est d'ailleurs la difficulté du champ HAD, payé par journée d'hospitalisation, et qui, ayant la même liste de molécules onéreuses que le champ MCO, subit le poids de la dépense en spécialités pharmaceutiques à la journée pour un modèle qui a été construit au séjour. La liste des molécules onéreuses est gérée uniquement en fonction du champ MCO. Aujourd'hui la tarification de l'HAD en journée et non en séjour, amplifie les difficultés en cas de radiation d'une spécialité de la liste en sus. L'enveloppe des listes remboursées hors GHS représente pour l'HAD un montant de 20,9 millions d'euros en 2013<sup>108</sup>.

Faciliter le développement de la chimiothérapie à domicile nécessite en particulier des travaux d'ajustement des modèles tarifaires pour éviter les effets contre-incitatifs (la HAS a proposé de développer des forfaits d'externalisation vers l'HAD), de développer une offre spécifique et spécialisée permettant d'assurer une continuité des soins basée sur la confiance des acteurs (s'appuyer sur les tutelles – ARS et OMEDIT – et les centres de coordination en cancérologie ; favoriser l'usage d'outils communs – logiciels, documentation de procédures types, etc.). Les travaux conduits en 2015 avec les fédérations hospitalières ont permis de mettre en place un recueil des consommations des médicaments onéreux hors liste en sus<sup>120</sup>. Les consommations ainsi recueillies devraient donner lieu pour la campagne tarifaire 2016 à un versement de crédits d'aide à la contractualisation.

### *...pour maîtriser la dépense*

La régulation actuelle des traitements anticancéreux est hétérogène avec trois segments : médicaments délivrés sur la « liste en sus » en établissement de santé, médicaments délivrés dans les établissements de santé en dehors de « liste en sus » (financés par les GHS), médicaments délivrés en ville (rétrocédés ou via les officines).

Les anticancéreux de la « liste en sus » regroupent les médicaments les plus coûteux et en principe innovants. Une difficulté liée à cette liste réside dans le frein à des parcours fluides de patients : dans la mesure où cette liste n'est pas en vigueur dans les structures de SSR ou les EHPAD, le patient doit rester ou revenir en MCO pour la délivrance du produit. D'apparente gratuité pour l'hôpital car financé en sus des GHS, ce dispositif est un puissant incitatif en faveur de la prescription des produits

---

<sup>119</sup> D'après le rapport de la HAS « (i) Certains séjours peuvent bénéficier d'une tarification relativement avantageuse (quand l'intervalle entre deux injections est inférieur à 5 jours, le patient peut rester en HAD durant toute cette période), alors que d'autres ne peuvent tarifier que le jour de l'injection (intervalle supérieur à 5 jours entre deux injections) ; (ii) le coût de certains traitements hors liste en sus peut s'avérer prohibitif pour les établissements par rapport au tarif journalier perçu.

<sup>120</sup> Instruction n°DGOS/R4/2015/304 du 9 octobre 2015 relative à la mise en place d'un recueil d'information sur les traitements coûteux hors liste en sus consommés dans les établissements d'hospitalisation à domicile.



les plus coûteux et un incitatif à faire de l'établissement le site privilégié de l'administration du traitement ce qui n'est pas favorable à une maîtrise de ce poste de dépense. On note à cet égard, que la suppression de certaines molécules de la liste en sus est considérée par les professionnels de santé comme un « déremboursement ».

En matière budgétaire, des mesures sont proposées par voie réglementaire pour contrôler la dépense de médicaments, dans le cadre des lois de financement de la sécurité sociale ou non : contrat de bon usage visant à garantir la pertinence des prescriptions des médicaments de la liste en sus, régulation spécifique de la liste en sus, taux L pour les médicaments délivrés en ville, en rétrocession ou figurant sur la liste en sus... Certaines mesures sont plus ponctuelles. Par exemple, l'article 63 de la LFSS 2015 prévoit que certains GHS sont dorénavant « minorés d'un montant forfaitaire. L'arrêté du 12 février 2015 (paru au JO du 17 février) fixe le montant du forfait à 40 euros et limite cette mesure aux GHS de séance de chimiothérapie tumorale ou non tumorale : GHM 28Z07Z et 28Z17Z. Par ailleurs, la circulaire relative à la campagne budgétaire et tarifaire du 22 avril 2015 apporte des éléments « de sensibilisation » dans son annexe XI pour une meilleure prescription des anticancéreux, notamment dans les indications avec une ASMR IV et V.

On peut s'interroger sur la cohérence d'incitations tarifaires segmentées et ponctuelles et de leurs effets systémiques. Des mesures globales et transversales plus ambitieuses sont nécessaires afin de favoriser les prises en charge les plus efficaces.

Une piste d'évolution pourrait être de définir l'allocation des moyens alloués sur la base des prises en charge transversales, regroupant l'ensemble des postes de dépenses concernées, indépendamment du lieu de réalisation du traitement : dépenses des produits anticancéreux, qu'ils soient récents ou non et qu'ils soient délivrés en ville ou à l'hôpital, dépenses de laboratoires directement liées (analyses génomiques en particulier), GHS de séances, GHT de l'HAD, soins infirmiers et/ou médicaux à domicile (incluant l'acte de prescription) et dépenses de transports engagés spécifiquement pour cette activité. Cela nécessite la mise en place d'un système d'information complet, chaînant les différentes briques existant à l'heure actuelle : GHS, FICHCOMP, délivrance en ville, fiche de RCP, fiche de délivrance de la PUI, dossier médical électronique partagé d'oncologie.

Un tel schéma paraît ambitieux et demande de nombreux travaux techniques, mais à titre d'étape intermédiaire, il pourrait déjà être mis en place une enveloppe partielle « oncologie hospitalière » regroupant les dépenses de médicaments anticancéreux, les GHS de séances, les tests biologiques. Cela ne répondrait qu'à une partie des problèmes identifiés. Il faudrait dans ce cadre lever *a minima* la contre-incitation qui existe pour la prise en charge à domicile en trouvant des solutions de rémunération pour l'établissement de santé prescripteur : (i) tarification à un niveau élevé de la consultation de prescription d'une chimiothérapie *per os* ; (ii) forfait pour l'ensemble de la cure, qu'elle soit réalisée dans l'établissement ou à domicile.

# Présentation des rapports de prospective sur l'innovation en santé

---

Roland CASH

## Note de synthèse sur les rapports de prospective publiés en France ces 20 dernières années

La présente note propose un bilan synthétique des sujets évoqués par les rapports de prospective sur l'évolution du système de santé produits au cours de ces dernières années. Elle confronte, en outre, ces exercices à la réalité afin de voir en quoi et pourquoi, le cas échéant, ceux-ci avaient omis certains facteurs ou exagéré certaines évolutions.

### A. Sélection des rapports analysés

Ont été retenus dans la présente note les rapports et travaux ayant, au moins pour une partie de leur contenu, à la fois :

- Une réflexion sur le système de santé en termes prospectifs
- Une présentation des innovations intervenant dans le système de santé (innovations portant sur les connaissances, les produits, les technologies, les procédures...)
- Une analyse sur l'impact de la réflexion prospective et des innovations sur l'organisation du système de santé

Chaque rapport a fait l'objet d'une fiche de synthèse (cf. ci-dessous).

D'autres rapports, plus descriptifs sur tel segment de l'innovation ou prospectifs mais ne comportant pas de volet sur l'organisation des soins, ont été rassemblés mis à profit essentiellement pour discuter des aspects de veille stratégique et technique.

### B. Description des rapports

Dans la recherche bibliographique effectuée, trois types de rapports ont été identifiés :

- des travaux prospectifs globaux, abordant les différents aspects d'évolution du système de santé : démographiques, épidémiologiques, sociologiques, techniques... dans le cadre d'une analyse systémique :
  - le rapport « Santé 2010 » réalisé par le Commissariat général du Plan, rédigé en 1993
  - le rapport « Quel système à l'horizon 2020 ? » du Ministère de la Santé et de la DATAR, rédigé en 2000
  - le rapport de l'Office de prospective en santé de Sciences Po, 2008.

La perspective adoptée dans ces travaux est proche : une fois passés en revue les différents facteurs pouvant avoir un impact sur le système de soins (facteurs démographiques, épidémiologiques, sociétaux, techniques), la réflexion porte sur ce que ces facteurs pourront induire comme évolutions. Tout se passe comme si le progrès technique était considéré comme un facteur exogène au système de soins, une « donnée extérieure », venant modifier les équilibres, le système devant s'y adapter. Les évolutions dans l'organisation des soins sont ainsi conçues comme des conséquences, même si plusieurs scénarios restent possibles ; à cet égard, le

rapport Santé 2010 développe 3 scénarios contrastés, dont le scénario tendanciel, proche de ce qui a été observé (cf. encadré).

Toutefois, dans le rapport Santé 2020, qui se place de manière plus volontariste dans la perspective de mettre en place une organisation des soins cible, le progrès technique est davantage vu comme un possible facilitateur en faveur de cette organisation cible, notamment au regard des possibilités offertes par les NTIC.

- des analyses réalisées du point de vue industriel et/ou des institutions de recherche :
  - soit assez globales, comme le rapport « Santé 2025 » du LEEM et le rapport Alcimed réalisé pour la CNSA et l'ANR ;
  - soit sectorielles, notamment sur les nouvelles technologies de l'information et de la communication et la télémédecine, mais aussi sur les dispositifs médicaux et l'imagerie (rapports PIPAME).

Dans ces approches, le point de vue est différent : il s'agit d'identifier les pistes de développement industriel qui à la fois répondent à des besoins de santé et permettent à l'industrie française d'occuper une position significative. Les questions d'organisation des soins sont abordées soit comme leviers, soit comme obstacles, sans parler des aspects réglementaires et tarifaires, régulièrement critiqués pour les freins qu'ils imposent à la diffusion de l'innovation.

- Une analyse centrée sur un domaine pathologique particulier, le cancer : le rapport d'Unicancer « Quelle prise en charge des cancers en 2020 ? »

La synthèse réalisée s'appuie surtout sur les trois premiers rapports, en empruntant quelques éléments aux autres travaux, mais l'ensemble de ces documents ont été mis à contribution dans la suite des travaux du HCAAM.

#### **Encadré : les trois scénarios présentés dans « Santé 2010 »**

##### **Le scénario tendanciel**

Les objectifs de croissance des dépenses de soins sont gérés à court terme ; ils font l'objet de négociations sectorielles annuelles ; des objectifs de santé publique sont fixés ; mais leur mise en œuvre reste disparate. Le principe du libre choix du médecin est confirmé.

La prise en charge des techniques nouvelles n'est pas anticipée et se fait sous pression des professionnels, des industriels ou des usagers.

Les industriels développent les techniques du système biomédical qu'ils pensent pouvoir faire reconnaître par les cliniciens et prendre en charge par les régimes d'assurance-maladie.

Le champ des techniques diagnostiques et curatives s'est largement diversifié. Les progrès de l'imagerie tridimensionnelle, l'utilisation de la robotisation et de la miniaturisation permettent des interventions précoces par des procédés peu invasifs sur les problèmes vasculaires et tumoraux.

Les techniques de suppléance moyenne ont nettement progressé, elles sont largement solvabilisées.

Les thérapies géniques sont pratiquées dans les centres autorisés selon des protocoles multicentriques européens et internationaux. Le Comité national d'éthique a donné son accord pour le traitement par thérapie génique des maladies monogéniques, mais tout dépistage systématique par les techniques de prédiction génétique est interdit dans le cadre de programmes de santé publique.

Les techniques de suppléance légère et d'aide à la vie quotidienne sont laissées à l'initiative de la solidarité locale, les prises en charge sont très disparates. Ceux qui les connaissent et qui en ont les moyens s'organisent pour pouvoir en bénéficier.

La médecine de spécialité garde sa prépondérance, le libre accès au spécialiste n'est pas remis en cause. Mais localement, les « contrats-santé » proposés par les généralistes peuvent trouver des développements importants. La médecine à l'acte reste le principe d'organisation et de financement des soins ; mais les actions de prévention et de dépistage sont intégrées à la pratique de la médecine libérale pour la mise en œuvre régionale des objectifs de santé publique.

Le nombre de lits hospitaliers a été modérément réduit ; les prises en charge ambulatoires se multiplient mais les besoins d'hébergement pour personnes dépendantes et démentes augmentent fortement.

Les procédures d'allocation de ressources sont vécues comme arbitraires par les professionnels et par les gestionnaires hospitaliers qui voudraient voir mieux prises en compte la sévérité des maladies et la qualité des soins prodigués.

Les usagers se regroupent en associations pour défendre leurs intérêts et pour faire valoir leurs besoins.

Une certaine maîtrise des dépenses est obtenue, mais personne n'est satisfait ; les débats sont toujours parcellaires et conflictuels...

Cette régulation à court terme du développement des techniques se traduit par une prolongation significative de l'espérance de vie, mais les effets sur l'espérance de vie sans incapacité sont insuffisants : on est dans un scénario d'extension de la morbidité.

#### **Le scénario technique : les professionnels organisés**

L'orientation a été prise de maîtriser la dépense sociale de soins et de laisser une large part du financement des soins aux fonds privés de façon à ouvrir au maximum l'éventail des réponses techniques de l'ensemble du système de santé. Le système d'assurance sociale couvre la prise en charge des techniques sur base forfaitaire. Elle correspond à un protocole technique de base. Des protocoles alternatifs peuvent être choisis par les patients qui ont alors à leur charge les différences de coûts. Les usagers sont ainsi incités à faire des arbitrages explicites entre leur charge financière et des avantages de confort, de temps, de qualité, etc.

L'objectif de santé est de faire reculer au maximum les limites actuelles de la maladie et de la mort. Pour ce faire, on pense qu'il faut laisser les techniques donner progressivement la pleine mesure de leurs potentialités et favoriser leur développement indépendamment du coût et de leur impact. Les professionnels gardent l'entière maîtrise de leur mise en œuvre et promeuvent pour garder la confiance des usagers et des financeurs le développement d'une médecine d'experts.

Les médecins sont regroupés en réseaux de spécialistes organisés autour de la prise en charge d'un organe ou d'un système fonctionnel. Les innovations sont rapidement intégrées à l'arsenal thérapeutique et les professionnels mettent en place un système de certification obligatoire préalable à l'exercice de toute nouvelle technique. Les hôpitaux établissent des contrats avec les producteurs de soins, réduisent leur nombre de lits. Les centres de soins ambulatoires se multiplient.

L'organisation technique du domicile et de l'environnement (télématique, domotique...) est possible. Elle permet aux personnes handicapées et dépendantes, solvables (ou assurées), de se maintenir à domicile.

Cette expansion technique doit permettre de retarder l'âge moyen d'apparition des maladies dégénératives et de la sénescence ; l'espérance de vie s'accroît ; la durée de vie sans incapacité est accrue ; on est potentiellement en situation de compression de la morbidité.

Cependant, les failles du système de solidarité, les possibilités de connaissance des risques individuels de maladie grèvent l'action sur les facteurs sociaux et environnementaux et les pathologies qui leur sont liées. L'exclusion des personnes à risque élevé devient un nouveau problème social.

Le faible niveau de la prise en charge publique crée rapidement des problèmes d'accès aux techniques nouvelles et amplifie les différences d'état de santé (et de mortalité) liées aux conditions économiques et sociales individuelles.

La dépense sociale est maîtrisée à court terme, les réponses techniques immédiates sont de très haut niveau, mais les coûts résiduels pour les usagers ou les assureurs complémentaires sont élevés ; la dépense de santé pèse de plus en plus lourd dans le budget des ménages et dans le PIB.

#### **Le scénario de la santé organisée**

Des objectifs de santé publique cadrent les actions de maîtrise des dépenses et le développement des techniques. Le ministère de la Santé définit tous les cinq ans des objectifs de réduction de la mortalité évitable. Les déterminants sociaux mais aussi génétiques des problèmes de santé des individus et d'une collectivité fondent l'organisation des actions de santé. Les programmes de prévention des risques et de dépistage ajustés sur les risques individuels sont valorisés et mis en œuvre par les entreprises et les collectivités locales.

Les professionnels font les arbitrages entre les techniques ; ils peuvent être amenés à justifier leurs choix techniques devant les commissions médicales spécialisées des assureurs.

Les techniques curatives ayant démontré leur efficacité se développent, et l'acharnement thérapeutique et les techniques supplétives lourdes (assistance cardiaque...) sont fortement remis en cause. Le nombre de lits d'hospitalisation a été réduit de 60%, les anciens hôpitaux gardent à un niveau régional la responsabilité des techniques chirurgicales lourdes.

Pour tenir compte des aspects sociaux et environnementaux de la santé, des instances médico-sociales sont mises en place. Elles sont responsables de l'état de santé d'une population, et disposent pour ce faire d'un forfait annuel par personne. Elles ont la capacité de mobiliser rapidement un système de soins de proximité. Pour l'essentiel ceux-ci peuvent être organisés et le suivi en ambulatoire mis en œuvre grâce au développement des techniques d'auto-surveillance, des logiciels d'aide à l'auto-médication, des systèmes d'aide au diagnostic et de consultations par vidéo-téléphone.

Le champ de la prise en charge s'élargit par la mise à disposition du plus grand nombre des techniques qui ont pour objet de réduire dépendance et handicap et de prévenir les risques : suppléance fonctionnelle « légère », aménagement du domicile et de l'environnement, systèmes d'alarme voire systèmes de surveillance intégrés.

Les interventions médicales sont orientées sur la prise en charge globale des personnes, le nombre de spécialistes diminue, le champ des prestations de soins solvabilisées effectuées par des non-médecins s'élargit (ergothérapie, psychothérapie).

L'espérance de vie globale augmente peu, mais l'espérance de vie sans incapacité est nettement accrue ; on est en situation de compression de la morbidité. Les inégalités et les problèmes de santé liés à la pauvreté sont limités. Le niveau d'éducation sanitaire s'est élevé.

Cependant, des pressions fortes s'exercent pour rouvrir des espaces individuels dans la gestion de la maladie, de ses risques et des recours aux soins.

La dépense médicale et sociale est élevée ; les arbitrages financiers qui ont amené en début de période à faire de la santé une priorité sont remis en cause ; il faut trouver d'autres modes de solidarité plus privés pour que s'expriment les préférences individuelles.

## C. Les thématiques évoquées couvrent un champ très vaste

Les différents rapports évoquent de façon constante les thèmes suivants :

- **Biotechnologies** dans les domaines diagnostiques et thérapeutiques, avec dans certains rapports, un développement spécifique sur la médecine prédictive liée à la connaissance du génome humain (par exemple dans la pratique du diagnostic prénatal).

Les thérapies géniques sont discutées avec prudence, en dehors des pathologies rares. Il est reconnu qu'elles pourront prendre une place dans l'arsenal thérapeutique, mais de façon limitée en raison de leur complexité et de leur coût ; la thérapie cellulaire serait aussi limitée dans son développement du fait des freins réglementaires et éthiques, et des questions de sécurité (risque d'évolution cancéreuse).

- **Techniques d'imagerie médicale** de moins en moins invasives, avec plus grande précision des images, reconstructions 3D, imagerie moléculaire (par exemple pour un bilan d'extension tumorale)...
- Dans le domaine pharmaceutique, développement de la **médecine personnalisée** et meilleur ciblage des traitements grâce à la pharmacogénomique.
- **Chirurgie moins invasive**, avec miniaturisation et robotisation
- **Techniques de suppléance fonctionnelle** : il est même évoqué le concept de « l'homme reconstruit », à travers cinq champs : les biomatériaux, les transplantations, la culture cellulaire et les cellules souches, la bionique, les nanotechnologies, avec des combinaisons entre ces technologies, dans le cadre d'une véritable ingénierie biologique et tissulaire
- **Développement des NTIC** comme support aux activités de soins, avec de multiples aspects :
  - Intégration dans les équipements des laboratoires de biologie, les appareils d'imagerie...
  - Systèmes experts d'aide au diagnostic
  - Dossier médical informatisé
  - Télé-suivi à domicile, grâce au nombre croissant d'appareils biomédicaux miniaturisés et communicants, de capteurs, voire de systèmes couplant diagnostic et délivrance de produits
  - Télé-consultations, télé-imagerie, etc.

Le développement de ces outils est perçu à la fois comme un moyen de répondre à des besoins ressentis par des praticiens et des patients, et un moteur de la diffusion de pratiques collectivement jugées bonnes (travail en réseau, partage de l'information et de l'expertise,

évaluation...). A cet égard, leur diffusion est soumise à une volonté collective devant se traduire par un modèle économique adapté.

- Dans le rapport de Sciences Po de 2008 (mais pas dans les rapports plus anciens), un long développement est effectué sur les **nanotechnologies**, avec plusieurs types d'applications :
  - Délivrance des médicaments : vecteurs pour transporter des principes actifs ou les encapsuler, en ciblant des tumeurs par exemple ;
  - En neurosciences, implantation d'électrodes pour commander une prothèse ;
  - Possibilité de coupler diagnostic et traitement, via des dispositifs miniaturisés in vivo réalisant le diagnostic en temps réel et délivrant la dose adaptée de produit ;
  - Puces intégrées, capteurs, orientant l'individu sur des comportements de prévention ; services médicalisés aux particuliers utilisant les réseaux de communication.
- Dans le rapport d'Alcimed, un long développement porte sur les **technologies favorisant l'autonomie** des personnes, faisant appel en particulier aux NTIC et aux dispositifs médicaux mais dans une optique spécifique : aides techniques pour la motricité, outils de communication, domotique, assistance robotique...

Il est souligné que même s'il est commode de distinguer ainsi les principaux champs, certaines innovations résultent de l'utilisation simultanée de différentes technologies : systèmes experts pour la recherche en génétique, utilisation de matériaux biocompatibles pour développer une suppléance fonctionnelle plus performante.

Dans les rapports récents, ce principe de **convergence des technologies** est largement souligné, avec de possibles apports conjoints de la biologie, de l'imagerie, de la microélectronique, des technologies de l'information, des sciences cognitives... Les « nanosciences », les différents types de capteurs constituent des illustrations de telles convergences.

Les **innovations organisationnelles** ont été parfois discutées comme un thème à part entière, avec les réseaux de soins, les cabinets de groupe, un exercice orienté vers une prise en charge globale et coordonnée, incluant la prévention, le développement de l'évaluation et des démarches qualité. Des propositions sont formulées pour accompagner ce mouvement, car par définition, ces innovations doivent faire l'objet de démarches volontaristes ; elles ne vont pas s'imposer par elles-mêmes.

## D. Ces rapports de prospective identifient un impact fort du progrès technique sur l'organisation des soins

**Les grandes tendances** évoquées à l'œuvre dans le système sont les suivantes :

- Réduction des explorations et thérapeutiques invasives, et donc diminution des risques et de la pénibilité des interventions, diminution des durées de séjour, réduction des effets secondaires, amélioration de l'efficacité des prises en charge ;
- Constat d'une inadaptation du système de santé à la prise en charge des maladies chroniques : nécessité de promouvoir le travail en équipe, un exercice plus collectif et plus coordonné des soins ; rôle croissant de l'éducation thérapeutique et de l'information du patient, qui devient davantage acteur de sa santé (mouvement qui pourrait être favorisé par les dispositifs d'auto-diagnostic, d'auto-suivi, etc.) ;
- Demande sociale en faveur du maintien à domicile ;
- Sur le plan financier, plusieurs évolutions sont discutées :
  - gains de productivité permis par l'allègement des séjours, l'apport des NTIC, etc.

- extension du champ des possibles, donc de la demande (notamment recul des limites d'âge pour les interventions), induisant à l'inverse une pression sur le financement des soins ;
- coûts unitaires élevés de certaines innovations (organes artificiels, traitements médicamenteux ciblés...).

**Sur le plan de l'organisation des soins**, les tendances anticipées sont les suivantes :

- Une concentration des plateaux techniques d'imagerie, avec l'aide de la télémédecine et des possibilités d'interprétation à distance.
- Une probable réorganisation des laboratoires de biologie : regroupements des équipements, mise en place de véritables plateformes logistiques de réception des prélèvements. Il est mentionné aussi le développement d'équipements portables plus proches du patient.
- Le développement de la chirurgie « minimale » et de la chirurgie ambulatoire.
- Des possibilités plus grandes de maintien à domicile des personnes dépendantes, du fait des technologies de suivi à distance.

Dans ce domaine des dispositifs et procédures de maintien à domicile, il existe un besoin d'intégration de la production de soins et de l'émergence d'une offre industrielle dans ce but.

- Il existerait en conséquence un double mouvement :
  - Pour les techniques de pointe, concentration de l'expertise et des équipements dans quelques centres spécialisés, renforçant le rôle des centres universitaires ;
  - Pour les interventions allégées par la moindre invasivité des techniques, et grâce aux procédures de travail en réseau et à la télémédecine, l'offre de soins ambulatoires et les établissements de premier recours pourraient voir leur rôle se développer (avec des durées de séjour raccourcies, des traitements en ambulatoire ou à domicile), dans le cadre d'une dispensation plus collégiale des soins.

Des établissements de santé moins spécialisés et centres de convalescence garderaient ainsi toute leur place.

Pour tous ces aspects, il est souligné l'importance d'anticiper l'évolution des métiers et des compétences.

## **E. Dans ces différents rapports, des difficultés liées à l'émergence de ces innovations sont aussi soulignées**

- Les problèmes éthiques posés par la médecine prédictive sont évoqués, notamment pour le diagnostic pré-implantatoire.
- Une autre difficulté majeure anticipée dans ces travaux est le risque d'inégalités d'accès aux nouvelles technologies, non seulement dans le cas où elles seraient trop coûteuses, mais aussi si elles ne sont développées que dans les grands centres universitaires avec un rationnement obligatoire du fait de la technique (comme dans le cas des greffes d'organes) ou du coût. D'autres sources potentielles d'exclusion existent : exclusion par l'information,...

Cette question de la prise en charge est aussi évoquée pour les dispositifs de maintien à domicile et d'auto-suivi (capteurs,...), qui pourraient ne pas rentrer dans le panier de soins remboursables par l'AMO.

- Le coût est en lui-même une difficulté, si la collectivité n'arrivait plus à financer les innovations les plus onéreuses.



- La question de la confidentialité des informations se pose au regard de la mise en place de vastes bases de données de santé via les capteurs et autres dispositifs.
- Le risque de recours non hiérarchisés aux examens complémentaires (facilités par l'innocuité des examens et la rémunération à l'acte), avec en conséquence un risque de prescriptions inutiles, est évoqué, si la substitution entre anciens et nouveaux actes ne se fait pas.
- Pour les innovations souhaitées, la lenteur de diffusion est considérée comme une difficulté importante, du fait des aspects réglementaires et tarifaires, mais aussi des besoins de formation et d'évolution des métiers. A cet égard, l'absence de modèle économique pour la télémédecine est régulièrement considérée comme un frein majeur à son développement, de même qu'au développement d'une offre industrielle structurée.

## **F. La question de l'intervention publique et de la régulation de la diffusion des innovations est aussi posée**

Les attentes vis-à-vis de l'intervention publique abordent différents angles (en dehors des aspects de politique industrielle) :

- arbitrages sur le champ des techniques prises en charge par la collectivité ;
- orientation de la recherche fondamentale, et encouragement de la pluridisciplinarité ;
- définition des critères de santé, de sécurité, d'efficacité pour la mise sur le marché des technologies nouvelles ; clarification et amélioration des méthodes d'évaluation dans les différents champs ;
- régulation de la diffusion des innovations via le système tarifaire et les procédures réglementaires ;
- mise en place d'une cellule de veille des innovations et des pratiques innovantes ;
- mise en place de cycles de formation adaptés pour des spécialisations particulières ;
- mise en place d'un modèle économique adapté pour l'utilisation des NTIC dans l'optique d'une organisation en réseau des différents niveaux d'intervention ;
- organisation du partage des données de santé.

## **G. Réflexions conclusives**

Il est frappant de constater que les évolutions en discussion à l'heure actuelle étaient déjà évoquées dans les travaux anciens. Cela signifie à la fois que ces travaux avaient correctement identifié les principaux enjeux mais aussi que la situation n'a pas dans tous les domaines évolué aussi rapidement que prévu. Par exemple, dans Santé 2010, un accent particulier était mis sur la médecine prédictive et force est de constater qu'en 2010, l'horizon de ce rapport, ce développement n'est pas encore aussi important que prévu. Avec prudence, il était attendu aussi quelques succès en thérapie génique dans la mucoviscidose, mais ce n'est pas encore le cas. Par contre, en cancérologie, les progrès anticipés dans le domaine pharmaceutique ont été au rendez-vous. A l'inverse, concernant le SIDA, tous les espoirs étaient mis dans le développement rapide d'un vaccin, mais le succès dans la lutte contre cette infection est venu des anti-rétroviraux, encore balbutiants en 1993.

Dans le domaine de l'équipement, une réflexion était menée sur les « doctor-tests », équipements de diagnostic biologique portables, au plus près du patient, mais ce développement n'a pas eu lieu.

L'émergence de la chirurgie ambulatoire a été moins rapide qu'anticipé également, même si à l'heure actuelle, ce mode de prise en charge s'est largement développé. D'une manière générale, on peut dire que pour les innovations de rupture, tels les anti-rétroviraux, l'anticipation a été trop prudente, alors que pour des innovations supposant une formation des professionnels, des

changements de pratique et d'organisation, comme la chirurgie ambulatoire, l'anticipation a été trop optimiste sur le délai de diffusion.

Même s'ils discutaient parfois les évolutions possibles en matière d'espérance de vie, ces rapports prospectifs ont cependant omis un phénomène important, qui est celui de la diminution du taux de mortalité dans les principales pathologies (cancérologie et pathologies cardiovasculaires) du fait de progrès lents mais continus. De fait, le débat classique entre « innovations de rupture » et « innovations incrémentales » peut à cet égard paraître trop schématique, tant l'innovation, dans le secteur de la santé, est devenue un processus continu et permanent. A noter que parmi les innovations ayant permis un tel succès dans le traitement de ces affections, entrent en jeu certes des progrès dans les domaines diagnostiques et thérapeutiques mais aussi une meilleure connaissance des facteurs de risque et de la manière de les maîtriser (y compris sur le plan socio-comportemental) et une organisation innovante des dépistages, ainsi qu'une meilleure organisation des soins urgents dans le cas des maladies cardiovasculaires, tous ces éléments n'ayant pas ou peu été anticipés.

# Annexes

## Annexe 1 : Rapport *Santé 2010*, volet « Innovations technologiques et demandes de santé »

Année : 1993

**Promoteur du rapport** : Commissariat général au plan

**Auteurs** : Marie-Laure Pibarot et Christine Meyer

**Contributeurs** : Claudine Blum-Boisgard, Anne Fargot-Largeault, François Gros, Claude Kornblum, Marcel Legrain, Claude Le Pen

### *Methodologie*

Réflexion collective à travers des ateliers et des contributions spécifiques demandées à des experts et rédaction d'un rapport de synthèse par les auteurs.

Contributions annexées :

- A. Fagot-Largeault : Questions éthiques
- F. Gros : Les développements de la biologie et leurs effets sur le système de santé
- C. Kornblum : L'impact des technologies sur le système de soins dans la période 1990-2010 : exemples de l'imagerie, de la suppléance fonctionnelle et de l'informatique médicale
- PL. Fagniez et D. Houssin : L'évolution de long terme d'une activité médicale : la chirurgie digestive en France
- SD. Kipman et JM. Thurin : Réflexion prospective sur la santé mentale
- C. Le Pen : Médicament et industrie pharmaceutique : réflexions sur l'avenir

### *Domaines technologiques couverts*

- Biotechnologies dans les domaines diagnostiques, thérapeutiques et de la prédiction, avec un développement spécifique sur la médecine prédictive et la connaissance du génome humain (par exemple dans la pratique du diagnostic prénatal). Mais les thérapies géniques sont discutées avec prudence, en dehors des pathologies rares
- Techniques d'imagerie médicale
- Chirurgie minimale et techniques d'intervention par agents physiques (laser, ultra-sons)
- Techniques de suppléance fonctionnelle :
  - Pathologies cardiovasculaires
  - Orthopédie, handicap, vieillissement : prothèses articulaires, prothèses auditives, appareillages et techniques d'aide à la vie quotidienne...
  - Pathologies chroniques : dialyse rénale, pompes à insuline, respirateurs...
- Développement de l'informatique comme support aux activités de soins, dont :
  - Intégration dans les équipements des laboratoires de biologie, les appareils d'imagerie...
  - Systèmes experts d'aide au diagnostic
  - Développement de l'informatique hospitalière

Il est souligné que même s'il est commode de distinguer ainsi les principaux champs, certaines innovations résultent de l'utilisation simultanée de différentes technologies : systèmes experts pour

la recherche en génétique, utilisation de matériaux biocompatibles pour développer une suppléance fonctionnelle plus performante...

### *Principaux enseignements*

#### *Les grandes tendances :*

- Priorité aux techniques non ou peu invasives : chirurgie (coelioscopie...) et techniques minimales, utilisation de l'IRM ou des ultrasons plutôt que des radiations ionisantes
- Recherche de plus d'efficacité et de fiabilité des techniques (automatisation, robotisation)
- Plus de confort et moins d'effets secondaires
- Enjeux d'une meilleure productivité de l'acte médical et/ou du processus de prise en charge, fonction des négociations tarifaires et de la rapidité des substitutions de techniques

#### *Les points de vigilance :*

- Problèmes éthiques posés par la médecine prédictive
- Risque d'addition d'examen complémentaires et de recours non hiérarchisés (facilités par l'innocuité des examens et la rémunération à l'acte), donc risque de prescriptions inutiles
- Coût des nouveaux produits et nouvelles techniques, arbitrages à effectuer selon des priorités sociales ou médicales
- Etre attentif aux questions de diffusion des innovations : distinction entre la phase d'innovation « technique » et la phase d'innovation « clinique », intégrant les questions de formation des professionnels, d'intégration de l'innovation dans les pratiques

#### *Autres conséquences :*

- Elargissement des indications des explorations diagnostiques avec l'innocuité des examens, l'amélioration des techniques, la simplicité d'utilisation
- Elargissement du champ de la demande en chirurgie
- Sémiologie nouvelle se référant à des normes biologiques, d'imagerie... non forcément reliées à une expression clinique : le recours au système de soins peut se faire pour des « porteurs sains d'image et/ou de constante biologique anormales »
- Dans le domaine pharmaceutique, développement de produits combinant un prix unitaire élevé, des indications larges et une bonne efficacité thérapeutique

#### *Les impacts sur l'organisation des soins :*

- En imagerie, développement de plateaux techniques importants qui concentrent l'essentiel des appareils
- Restructuration des métiers médicaux
- Diffusion en deux temps de l'innovation : d'abord concentration, organisation de centres de référence, évaluation, puis dissémination
- Hospitalisations programmées et écourtées, ou sans hébergement : demande de l'organisation et de la flexibilité
- Développement des soins au domicile avec suivi à distance (avec questions à résoudre : responsabilité, sécurité)

### *Questions ouvertes sur les politiques publiques*

- Sur l'orientation de la recherche fondamentale

- Sur la définition des critères de santé, de sécurité, d'efficacité pour la mise sur le marché des technologies nouvelles
- Sur la régulation de la diffusion des innovations : via le système tarifaire et les procédures

#### *Développement de scénarios*

- *Scénario tendanciel* : la prise en charge des techniques nouvelles n'est pas anticipée et se fait sous pression des professionnels, des industriels ou des usagers. Notons que le développement de ce scénario sur les développements techniques, l'organisation des soins, le rôle des professionnels, des usagers, etc. décrit assez bien ce qui s'est passé
- *Scénario technique : les professionnels organisés* : rôle plus important des assureurs complémentaires, grande autonomie des professionnels, médecine d'experts, extension du champ des interventions médicales avec idée de gestion du capital-santé, réseaux de spécialistes, rapide diffusion des innovations, mais exclusion croissante des personnes à risque élevé, augmentation du coût à charge des ménages
- *Scénario de santé organisée* : on fixe des objectifs de santé publique, avec programmes de prévention, etc. Des arbitrages sont faits entre techniques. Accent mis sur la prise en charge globale des personnes, les soins de proximité. Développement de la télématique, des consultations à distance...

## Annexe 2 : Rapport préparatoire au schéma de services collectifs sanitaires « Quel système de santé à l'horizon 2020 ? »

Année : 2000

**Promoteur du rapport** : Ministère de l'Emploi et de la Solidarité - DATAR

**Rapporteur principal** : Dominique Polton, CREDES

**Contributeurs** : Comité scientifique d'une trentaine de personnes

Et auteurs de parties du rapport : Marianne Berthod-Wurmser, Jean-Etienne Caire, Marie-Danièle Champion, Roland Cash, Agnès Couffinhal, Carole Cretin, Véronique Ghadi, Michel Grignon, Alain Letourmy, Marie-Claire L'Helgouach, François Lhoste, Christine Meyer, Frédéric Rupprecht

### *Objectif principal du rapport*

Préparer la réalisation du schéma de services collectifs sanitaires servant à mettre en perspective, à 20 ans, les travaux conduits dans le cadre de la révision des SROS.

### *Méthodologie*

Réflexion collective à travers des réunions de travail du comité stratégique, des contributions régionales et des contributions spécifiques.

Sur le volet « progrès technique et impact sur les services sanitaires », outre une analyse bibliographique, un panel d'experts a été interrogé par voie de questionnaire. 34 experts ont répondu, sur 140 personnes et institutions sollicitées (notamment l'ensemble des sociétés savantes).

### *Domaines technologiques couverts*

*Trois sources d'évolutions du côté de l'offre de soins sont identifiées et discutées :*

- Le progrès technique,
- La démographie médicale,
- L'évolution des pratiques professionnelles, des métiers et de l'organisation des soins, chaque paramètre étant en interaction avec les autres.

*Trois grands domaines techniques porteurs d'évolutions ont été évoqués :*

- La biologie moléculaire et la médecine génétique, avec plusieurs aspects :
  - Le diagnostic et la prédiction de certains risques
  - Les applications thérapeutiques : la thérapie génique et la thérapie cellulaire apparaissaient encore comme incertaines et à échéance lointaine
- Innovations techniques :
  - techniques exploratoires de moins en moins invasives, plus grande précision des images,
  - miniaturisation et robotisation en chirurgie,
  - en biologie, diffusion d'équipements portables plus proches du patient
  - nouveaux médicaments dans les domaines suivants : anticancéreux, antidiabétiques, modulateurs du système immunitaire, antiviraux...
- Nouvelles technologies de l'information et de la communication, qui pourraient constituer un levier majeur de transformation du système, du fait :

- De leur appropriation par les soignants : échange d'informations, accès à des bases de données, télé-expertise, dossier médical partagé, formation continue, outils d'aide à la décision médicale...
- Et de leur appropriation par les patients : portails santé, avis médical en ligne, pharmacie électronique...

Le développement de ces outils est perçu à la fois comme un moyen de répondre à des besoins ressentis par des praticiens et un moteur de la diffusion de pratiques collectivement jugées bonnes (travail en réseau, partage de l'information et de l'expertise, évaluation...).

« Il faut néanmoins garder à l'esprit qu'une telle évolution est avant tout de nature culturelle, même si l'outil technique peut la favoriser et l'accompagner. Il faut donc créer les conditions favorables à cette évolution (par la formation initiale et permanente, par des incitations appropriées). »

En outre, *les innovations de nature organisationnelle* (réseaux, évaluation, organisation de la prévention...) ont été mentionnées comme tout aussi majeures par les experts consultés.

### *Principaux enseignements*

#### *Les grandes tendances :*

- Réduction des explorations et thérapeutiques invasives, et donc diminution des risques et de la pénibilité des interventions, diminution des durées de séjour, amélioration de l'efficacité des prises en charge
- Exercice plus collectif des soins

#### *Les points de vigilance :*

- Problèmes éthiques posés par la médecine prédictive
- Gestion de la confidentialité des informations
- En télémédecine, responsabilités juridiques du médecin, de l'expert consulté...
- Question centrale de l'accès de tous au progrès technique, les risques d'exclusion étant multiples (exclusion financière, exclusion par l'information, exclusion par le rationnement de l'offre compte tenu des coûts engagés)

#### *Autres conséquences :*

- Les pathologies potentiellement les plus concernées par les avancées thérapeutiques seraient :
  - Les maladies monogéniques,
  - la pathologie cancéreuse,
  - Les pathologies du vieillissement : maladies neuro-dégénératives, ostéoporose, AVC...
- Sur le plan financier, à la fois gains de productivité permis par l'allègement des séjours, l'apport des NTIC, etc. et extension du champ des possibles, induisant une pression sur le financement des soins

#### *Les impacts sur l'organisation des soins :*

- Anticipation d'un double mouvement :
  - Pour les techniques de pointe, concentration de l'expertise et des équipements dans quelques centres spécialisés, renforçant le rôle des centres universitaires ;



- Pour les interventions allégées par la moindre invasivité des techniques, développement accru de la chirurgie ambulatoire et extension des indications (notamment recul des limites d'âge). De ce fait et grâce aussi aux procédures de travail en réseau et à la télémédecine, l'offre de soins ambulatoires et les établissements de premier recours pourraient voir leur rôle se développer (avec des durées de séjour raccourcies, des traitements en ambulatoire ou à domicile), dans le cadre d'une dispensation plus collégiale des soins.
- Modification de la structure des spécialités médicales et chirurgicales, impact sur la formation initiale et la formation continue
- Evolution des pratiques professionnelles, avec un exercice :
  - Plus organisé et plus collectif
  - Plus orienté vers une prise en charge globale et vers la prévention et le dépistage
  - Tourné vers une approche plus communautaire et tournée vers la santé publique : fonctions de veille, d'alerte, d'épidémiologie
  - Plus évalué

Avec émergence de nouveaux métiers d'animation, de gestion, d'évaluation au sein des organisations collectives

#### *Questions ouvertes sur les politiques publiques*

- Besoin de mise en place d'une cellule de veille des pratiques innovantes
- Mise en place de cycles de formation adaptés pour des spécialisations particulières
- Favoriser l'utilisation des NTIC dans l'optique du schéma, à savoir une organisation en réseau des différents niveaux d'intervention.

## Annexe 3 : Rapport 2008 de l'Office de prospective en santé de Sciences Po

Année : 2008

**Promoteur du rapport** : Chaire Santé Sciences Po

**Sous la direction de** : Didier Tabuteau

**Contributeurs** sur le thème de l'innovation technique et l'organisation des soins :

- Mélanie Heard : Les récents rapports de prospective en santé
- François Moutet : L'homme reconstruit : Bilans et perspectives : une réflexion
- Claude Marsault : Prospective en imagerie médicale
- Bertrand Jordan : Génétique et médecine génétique
- Valérie Sabatier et Vincent Mangematin : Les nanobiotechnologies dans la santé à l'horizon 2025
- Elias A Zerhouni : La médicalisation de la société : les transformations du rapport à la maladie
- John-Paul Vader : Les métiers de la santé
- Pierre-Louis Bras : Développement des maladies chroniques et avenir de la médecine générale : un regard à partir d'expériences étrangères
- Gérard Manrique : Les industries des produits de santé

### *Objectif principal du rapport*

Organiser une réflexion prospective sur le secteur de la santé à l'horizon 2025, dans toutes ses dimensions : démographique, épidémiologique, technologique, sociétale, économique, industrielle... (à noter qu'un autre rapport a été publié en 2011 par cet office de prospective, portant sur les rôles et responsabilités des usagers du système de santé)

### *Méthodologie*

Réflexion collective à travers des groupes de travail et séminaires, et contributions rassemblées dans le rapport.

### *Domaines technologiques couverts*

- La biologie moléculaire et la médecine génétique, avec plusieurs aspects :
  - Le diagnostic et la personnalisation croissante des traitements
  - Les applications thérapeutiques : la thérapie génique pourra prendre une place dans l'arsenal thérapeutique, mais de façon limitée en raison de sa complexité et de son coût ; la thérapie cellulaire sera aussi limitée dans son développement du fait des freins réglementaires et éthiques, et des questions de sécurité (risque d'évolution cancéreuse)
  - L'extension du champ du diagnostic pré-implantatoire
- L'imagerie médicale : explorations dynamiques et fonctionnelles, dépistage, radiologie interventionnelle, télé-imagerie...
- Les nanobiotechnologies :
  - Délivrance des médicaments : vecteurs pour transporter des principes actifs ou les encapsuler, en ciblant des tumeurs par exemple
  - En neurosciences, implantation d'électrodes pour commander une prothèse par exemple

- Possibilité de coupler diagnostic et traitement, via des dispositifs miniaturisés in vivo réalisant le diagnostic en temps réel et délivrant la dose adaptée de produit
- Puces intégrés, capteurs, orientant l'individu sur des comportements de prévention ; services médicalisés aux particuliers utilisant les réseaux de communication...
- La suppléance fonctionnelle (« L'homme reconstruit »), à travers cinq champs : les biomatériaux, les transplantations, la culture cellulaire et les cellules souches, la bionique, les nanotechnologies, avec des combinaisons entre ces technologies, dans le cadre d'une véritable ingénierie biologique et tissulaire
- Le marché pharmaceutique : médecine personnalisée, pharmacogénomique... conduisant à des traitements plus ciblés ; développement des vaccins
  - Sont évoqués aussi des thèmes comme les alicaments, les nutraceutiques et compléments alimentaires, en fort développement
- La télémédecine et le nombre croissant d'appareils biomédicaux miniaturisés et communicants : « gérontechnologies »

Émerge l'idée d'une convergence des disciplines : biologie (devenant une biologie des systèmes), imagerie, microélectronique, technologies de l'information, sciences cognitives...

En outre, *l'évolution des métiers est discutée*, à travers quelques exemples de nouveaux métiers possibles : l'intervenant polyvalent en soins ambulatoires (assurant le rôle de coordination et d'effecteur de soins), le gestionnaire d'équipe de prise en charge hospitalière, le responsable « sécurité des soins » à l'hôpital, le responsable site Internet « santé », un évaluateur de l'impact sanitaire...

### *Principaux enseignements*

#### *Les grandes tendances :*

- Constat d'une inadaptation du système de santé à la prise en charge des maladies chroniques, nécessité de promouvoir le travail en équipe
- Selon les travaux du NIH, la médecine devrait être :
  - prédictive : identification des risques individuels en fonction du génome et de l'environnement
  - préemptive<sup>121</sup> : élimination d'un facteur de risque, suivi à distance de constantes biologiques
  - personnalisée : adaptation des traitements en fonction de la génomique
  - participative : participation des individus et des communautés
- Rôle croissant de l'éducation thérapeutique et de l'information du patient

#### *Les points de vigilance :*

- Risques éthiques devant les possibilités d'amélioration génétique humaine
- Va-t-on vers un gouvernement des corps ? Une biopolitique d'Etat ?
- Devant la complexité et le coût de certains dispositifs, se posera la question de leur accessibilité

---

<sup>121</sup> Prévention et préemption sont des notions différentes : « la prévention consiste à stopper un processus déjà lancé, par exemple les premiers signes d'une maladie, alors que la préemption consiste à supprimer l'évènement moléculaire initial pour exclure toute possibilité que quoi que ce soit ait lieu. ».

- En imagerie, des problèmes surgiront devant l'archivage de millions d'images et les règles d'accès à fixer
- Devant la multiplication des actes possibles, se pose le problème de la juste prescription

*Les impacts sur l'organisation des soins :*

- Développement de centres d'excellence pour une prise en charge spécialisée de haute technologie et développement parallèle d'hôpitaux moins spécialisés, centres de tri ou centres de convalescence (par exemple pour les technologies de « reconstruction » : mise en œuvre à l'hôpital puis surveillance et coordination des interventions de suite au domicile...)
- En imagerie, faudra-t-il regrouper toutes les machines et créer des plateaux techniques imposants ? Cela permettrait d'optimiser l'utilisation des machines onéreuses et de les rapprocher des zones de concentration de compétences. Une aide serait apportée par la télémédecine et les possibilités d'interprétation à distance.
- En biologie, miniaturisation croissante, pouvant aboutir à des « microlaboratoires », au chevet du malade

Mais aussi probable réorganisation des laboratoires : regroupements des équipements, mise en place de véritables plateformes logistiques de réception des prélèvements

- Possibilité de suivi à domicile via des capteurs, des systèmes couplant diagnostic et délivrance de produits, suivi à distance, etc.
- Sur les métiers, à la fois besoin d'expertise et de spécialisation et besoin de polyvalence, pour une prise en charge globale du patient : nécessaires coopérations entre professionnels de santé

#### *Questions ouvertes sur les politiques publiques*

- Arbitrages sur le champ des techniques prises en charge par la collectivité
- Adaptation des formations initiales et continues
- Organisation d'une veille prospective et de lieux de débats sur les enjeux politiques de la santé
- Adaptation de la politique de recherche, vers une plus grande pluridisciplinarité
- Orientation du système de santé vers le « chronic care model » : travail en équipe, rémunération à la performance, soutien au patient (plateforme téléphonique, éducation thérapeutique, voire suivi à domicile de paramètres biologiques), utilisation des NTIC...
- Mise en place d'un modèle économique pour les techniques favorisant le maintien à domicile, et la télémédecine en général

#### *Scénarios*

Sans construire des scénarios complets, chaque volet analysé fait l'objet d'un rapide développement sur « le pire et le meilleur », évoquant ce qui pourrait se passer dans des situations extrêmes.

*Exemple sur la médecine génétique :*

Développement d'une médecine personnalisée réservée aux riches des pays riches, discrimination contre les porteurs de « mauvais gènes », amélioration génétique aboutissant à une caste d'individus « améliorés ».

Utilisation intelligente des données génétiques pour la prévention, maîtrise des coûts de santé par une meilleure adaptation des traitements, maintien d'un système de santé universel, refus de toute modification génétique humaine.

*Exemple sur la prise en charge des maladies chroniques :*

L'organisation du système de soins primaire reste inchangée : prise en charge opportuniste des maladies chroniques, médecin isolé, équipement informatique construit autour d'un simple dossier médical personnel qui n'est qu'un entrepôt de données. Les expériences de disease management sont un échec du fait des contraintes pesant sur leur développement et d'une réaction hostile du corps médical.

Des ruptures culturelles et pratiques permettent une évolution profonde de l'organisation des soins primaires : travail en équipe des médecins de premier recours avec des personnels infirmiers et non-soignants, outils informatiques favorisant un suivi proactif des malades chroniques, cabinets médicaux rémunérés, pour partie, en fonction de leur performance pour leur clientèle de malades chroniques.

## Annexe 4 : Rapport « Etude prospective sur les technologies pour la santé et l'autonomie », Alcimed, effectué pour l'ANR et la CNSA

Année : 2007

**Promoteur du rapport** : ANR et CNSA

**Auteurs** : Alcimed (A. Poulain, R. Piovan, A. de Varax, M. Letellier)

### *Objectif principal du rapport*

Identifier et caractériser les technologies pour la santé et l'autonomie en matière de marché qu'elles représentent et d'apport de ces technologies pour le secteur industriel français à l'horizon 5-10 ans (hors innovations en termes de services)

### *Méthodologie*

Identification des attentes sociétales, des tendances technologiques, des groupes technologiques porteurs, via :

- Consultation de rapports bibliographiques
- Auditions d'acteurs du secteur
- Conseils du comité de pilotage

Dans le domaine de l'autonomie, 5 besoins sociétaux ont été identifiés : le maintien à domicile, le besoin de communication, le besoin de mobilité, la stimulation des capacités, l'employabilité des personnes handicapées, dans le cadre d'une prise en charge personnalisée.

Pour les groupes technologiques retenus (compte tenu de l'horizon de 5-10 ans et des possibilités de réalisation par l'industrie française : au nombre de 7 pour la santé, 6 pour l'autonomie), la capacité de positionnement et d'innovation de la France sur ces technologies a été mesurée, via la consultation de rapports et bases de données, et d'entretiens complémentaires, dans une dimension internationale (approche surtout qualitative). Pour l'autonomie, cette réflexion s'est basée sur la réponse aux besoins fondamentaux identifiés.

Des recommandations ont enfin été formulées.

### *Domaines technologiques couverts*

Groupes technologiques « porteurs » :

- Dans le champ de la santé :
  - les techniques interventionnelles (avec l'analyse en particulier des Gestes Médicaux Chirurgicaux Assistés par Ordinateur - GMCAO)
  - l'imagerie moléculaire (par exemple pour un bilan d'extension tumorale)
  - l'ingénierie tissulaire, médecine régénératrice (orthopédie, implantologie dentaire, substitution de pancréas...)
  - les dispositifs médicaux implantables intelligents (électrostimulation, neurostimulation, délivrance contrôlée de médicaments...)
  - les systèmes embarqués communicants
  - le diagnostic in vitro
  - les technologies de l'information et de la communication avec des applications santé
- Dans le champ de l'autonomie :
  - les dispositifs de rappel de tâches et de stimulation (exemples : logiciel paramétrable,...)

- les aides techniques pour la motricité (exemples : déambulateurs intelligents,...)
- les technologies d'interface (exemples : dispositifs permettant la transformation du discours oral en discours écrit en temps réel,...)
- le renforcement des outils de communication spécifiques (exemples : technologie basée sur une centrale inertielle qui cartographie l'environnement et permet de situer les déplacements de la personne en mesurant ses écarts par rapport à des points de repères,...)
- la domotique (exemples : élaboration de standards communs dans la conception des bâtiments publics, permettant une accessibilité universelle,...)
- l'assistance robotique, qui peut être vue comme la synthèse des autres développements (exemples : robot animal...)

Dans ces domaines, il est remarqué que « la France possède une force vive d'une cinquantaine de laboratoires publics travaillant sur les 6 axes technologiques analysés. En parallèle des « pôles d'excellence » commencent à émerger au sein desquels on retrouve des laboratoires de recherche publics mais aussi d'autres acteurs (professionnels de santé, Centres d'Investigation Technologiques, jeunes pousses,...). Cependant, cette recherche reste diffuse avec une politique de structuration des travaux de recherche encore trop récente et discontinue, peu multidisciplinaire et peu visible sur la scène internationale. »

Le rapport y ajoute des travaux sur les infrastructures (y compris l'accessibilité numérique).

### *Principaux enseignements*

*Les grandes tendances technologiques transversales :*

- émergence des nanotechnologies
- miniaturisation
- interopérabilité
- multi-modalité
- numérisation

A noter que « les experts interrogés accordent autant d'importance aux innovations technologiques de rupture qu'aux innovations incrémentales qui contribuent autant à l'augmentation de la qualité des soins. »

*Le rapport développe par ailleurs des données sur le marché et la politique industrielle française dans ces domaines :*

Le rapport développe les obstacles pour les industriels français : difficultés d'accès au remboursement, lourdeur et opacité des procédures d'évaluation, mise en œuvre de centrales d'achat, manque de visibilité de la politique en la matière (« la France veut-elle faire des économies, faire de la santé pour tous, préparer l'avenir en aménageant les structures de soins pour réagir à l'émergence de nouveaux besoins sanitaires ? »), relations non optimisées entre monde académique et industriel, manque de système de financement intermédiaire.

*Les impacts sur l'organisation des soins :*

Le fait de développer les technologies pour l'autonomie a pour objectif le maintien à domicile dans de bonnes conditions (cf. liste des besoins sociétaux évoqués plus haut).



### Recommandations communes aux deux domaines

- Assurer une visibilité de ces domaines (en particulier, les technologies pour l'autonomie, dont les finalités sont à la fois médico-sociales et/ou sociales et ne correspondent à aucun secteur industriel clairement défini)
- Mettre tout en œuvre pour assurer la prise en charge des technologies innovantes : le système actuel de prise en charge est long, trop complexe, inadapté.
- Soutenir les jeunes pousses et fédérer les PME actives sur ces domaines ; mettre en place et renforcer les pôles d'excellence
- Définir les cadres d'évaluation des technologies innovantes et mettre en place un cadrage éthique
- Développer la multidisciplinarité, par exemple dans la sélection des projets de recherche
- Motiver les équipes académiques et industrielles françaises des TIC à travailler dans ces domaines
- Lancer une action commune aux deux domaines santé et autonomie autour des technologies de l'information et de la communication associant la personne ou le patient et son environnement
- Appréhender ces domaines à l'échelle *a minima* européenne.

Des recommandations plus spécifiques sur le programme TecSan de l'ANR sont également formulées.

Enfin, des recommandations particulières sur le champ de l'autonomie sont proposées :

- Proposer d'introduire une personne ou une équipe dédiée par exemple au ministère du Travail, des Relations Sociales et des Solidarités qui se saisisse de la question des technologies pour l'autonomie
- Renforcer la structuration de « pôles d'excellence » autour des technologies pour l'autonomie et valoriser ces pôles
- Améliorer la sélection des projets financés et renforcer leur accompagnement afin d'assurer leur pérennité et leur adéquation aux besoins des personnes en perte d'autonomie
- Rendre visibles les outils de financement disponibles aujourd'hui et en mobiliser d'autres autour de l'autonomie
- Définir des règles d'évaluation adaptées aux technologies pour l'autonomie
- Créer une prise en charge dédiée des technologies pour l'autonomie au sein de l'APA pour les personnes âgées et simplifier le système de prise en charge des technologies pour l'autonomie
- Faciliter et alléger le processus de développement des technologies pour l'autonomie
- Continuer à soutenir et développer les actions menées par l'observatoire du marché et des prix des aides techniques pour veiller et communiquer sur les besoins des personnes en situation de perte d'autonomie
- Favoriser l'enseignement et l'information sur les technologies pour l'autonomie.

## Annexe 5 : Rapport du LEEM « Santé 2025 : un monde d'innovations »

Année : 2010

**Promoteur du rapport :** LEEM

**Sous la direction de :** Isabelle Delattre, François Bourse, Régine Monti-Tessier

**Contributeurs :** comité de pilotage et comité scientifique, associant des membres du LEEM, des chercheurs, des responsables de programmes scientifiques... ; préface de Didier Tabuteau

### *Objectif principal du rapport*

Dans la suite du rapport « Innovation santé 2015 » élaboré en 2007, il s'agit dans ce présent travail « d'approfondir, de renforcer, d'étendre les progrès scientifiques prometteurs dans les domaines des cellules souches, des nanotechnologies, des biomarqueurs, etc. ; de favoriser le passage à l'industrie et au marché de ces axes de progrès pour les transformer en solutions thérapeutiques, et d'encourager le développement des innovations dans toute la chaîne de soins et de santé : qu'elles relèvent du champ de l'organisation, de la technologie de l'information, de la psychologie, etc. »

### *Méthodologie*

Réflexion collective en 4 étapes :

- Constitution d'une base d'informations scientifiques, rédigée par des spécialistes, chercheurs d'AVIESAN, d'ARIIS, des entreprises du médicament (fiches synthétiques disponibles sur [www.sante-2025.org](http://www.sante-2025.org), par champ thérapeutique, par type d'innovations...)
- Recueil des représentations de l'avenir des principaux groupes d'acteurs concernés, par voie de questionnaire auprès d'associations de patients, chercheurs, médecins, industriels... (environ 200 personnes)
- Débat public, à travers un séminaire et un colloque (300 participants)
- Construction d'une plateforme commune sur les principaux leviers à actionner en matière d'innovation, via des groupes de travail animés par le LEEM

### *Trois axes de réflexion*

- Innovation et industrialisation : la biologie est passée d'une biologie descriptive à une biologie explicative avec l'essor de la biologie moléculaire, puis à une biologie systémique, intégrative, née de la convergence de l'informatique, de la génomique et des nanotechnologies. Et on peut envisager une biologie de synthèse : création de biomatériaux pour la reconstruction tissulaire, l'administration de médicaments, la médecine prédictive.

Innovations marquantes : imagerie moléculaire, ingénierie tissulaire et médecine régénératrice, vaccins multi-antigènes, anticorps recombinants...

La convergence de plusieurs de ces innovations conduit à la médecine personnalisée.

- Gestion du patrimoine santé, approche plus globale intégrant soins et prévention, médecine plus « individuelle » ; articulation du diagnostic, de l'analyse et du traitement ; outils et techniques de surveillance et suivi de l'état de santé
- Efficience du système de santé :  
« Un grand nombre de nouveaux traitements des pathologies chroniques passeront par des associations de molécules de plus en plus adaptées, avec un système de suivi par données physiologiques et/ou via des biomarqueurs de l'état de santé et du respect de la prise de médicament, en y adjoignant des services technologiques comme la télétransmission de données entre le domicile du patient, le cabinet du médecin généraliste, l'hôpital en continuité, de soins à domicile et de services à la personne »

Il y aura nécessité de coordination entre les différents niveaux de soins pour permettre la diffusion des innovations au plus près du patient ; les lieux de soins seront diversifiés et interconnectés, du domicile au centre universitaire expert.

« La diffusion des innovations nécessitera de revoir le schéma centré sur l'information du médecin spécialiste et généraliste en l'élargissant aux acteurs concernés par la production et la distribution des soins : infirmières, thérapeutes, care managers... »

Le schéma suivant résume quelles sont les innovations essentielles étudiées et les transformations induites :

### Une vision synthétique des transformations à venir pour les innovations santé d'ici à 2025 :



#### Principaux enseignements

##### Les grandes tendances :

- Contexte marqué par des pathologies de plus en plus chroniques mais aussi par une pression accrue pour l'efficacité et l'efficacité des traitements,
- Incertitudes pour le passage de la découverte à l'innovation thérapeutique (contraintes financières, juridiques, formations...),
- Contexte propice aux nouvelles approches entre soins et prévention,
- Développement de l'éducation à la santé, de l'éducation thérapeutique, du patient acteur de sa santé,
- Compétition intense et investissements majeurs pour les sciences de la vie et de la santé.

##### Les points de vigilance :

- Accessibilité à tous, respect du principe de l'égalité d'accès aux soins.

#### *Les impacts sur l'organisation des soins :*

- « Pour favoriser la dynamique d'évolution des Sciences de la vie marquée par l'essor de la biologie intégrative d'ici à 2025, il faudra développer l'interdisciplinarité, la mise en place de centres ressources et la mutualisation des grands équipements »,
- Parmi ces équipements, la mise en place de biobanques devient un enjeu stratégique,
- Développement de la recherche translationnelle,
- « Nécessité de pôles et filières de recherche/innovation forts favorisant la création de valeur ajoutée industrielle et la diffusion des innovations thérapeutiques auprès des malades » (ex : IHU, Lyon Biopôle, Institut de la Vision...),
- Développement de la fonction de « care management », à savoir la coordination et l'intégration au plus près du patient,
- Des nouveaux métiers ou nouvelles compétences seront nécessaires,
- Les innovations organisationnelles et le partage des informations contribueront à l'efficacité des soins : outils de diagnostic voire d'intervention à distance, assistance à domicile, télésanté...

#### *Questions ouvertes sur les politiques publiques*

- Développer de nouvelles méthodes d'évaluation des dispositifs de santé prenant en compte l'ensemble de la chaîne de soins,
- Développer des filières d'excellence,
- Favoriser la recherche-développement,
- Assurer une promotion collective de la santé,
- Partager les données de santé.

#### *Trois scénarios sur le « renouveau de la sécurité sociale » sont proposés.*

Et en termes *de recommandations*, 12 chantiers collectifs sont proposés pour l'émergence et la diffusion des innovations dans notre système de santé, dont :

- la mise en place d'une filière « autonomie à domicile »,
- la révision du processus d'évaluation du progrès thérapeutique,
- l'évolution des métiers et des formations des acteurs de santé,
- la coordination territoriale des lieux d'innovation et l'intégration volontariste du monde industriel,
- l'investissement dans 3 filières d'excellence : industrie de la cellule, nanotechnologies appliquées à la médecine, immuno-vaccins,
- l'information et l'implication des citoyens acteurs de santé,
- la promotion collective de la santé,
- des informations et bases de données partagées,
- et plusieurs chantiers sur les aspects industriels.

## Annexe 6 : Rapport « Imagerie médicale du futur », PIPAME

Année : 2013

**Promoteur du rapport** : Ministère du redressement productif

**Auteurs** : D&Consultants (D. Carlac'h, E. Grillot, B. de Keukeleire, K. Templier, A. Le Guennec, R. Othman)

### *Objectif principal du rapport*

Mieux faire connaître la filière de l'imagerie médicale française et donner une vision prospective des ruptures technologiques et du positionnement industriel français dans un environnement mondialisé.

### *Méthodologie*

Plus de cent entretiens qualitatifs approfondis auprès d'acteurs industriels, académiques et institutionnels.

Analyse des travaux déjà menés par le CGEIET.

Comité de pilotage regroupant la DGCIS et les ministères intéressés, des acteurs industriels et académiques (LEEM, SFR, ANSM...), des représentants des autorités de réglementation et des représentants de Bpifrance.

### *Domaines technologiques couverts*

- Les différents domaines de l'imagerie médicale. Sont identifiées 6 briques technologiques :
  - les traceurs (agents de contrastes et radiopharmaceutiques) ;
  - la génération du signal ;
  - le traitement du signal ;
  - la visualisation de l'image ;
  - l'archivage, la communication et le stockage des images ;
  - la sécurité et le confort du patient.
- Et différentes finalités sont exposées :
  - l'imagerie structurelle recueille des informations sur la morphologie des organes, tissus ou cellules, comme la taille, le volume, la localisation, ou encore la forme d'une éventuelle lésion, etc. ;
  - l'imagerie fonctionnelle, encore appelée imagerie métabolique et moléculaire, vise à étudier le fonctionnement et l'activité physiologique des organes, tissus ou cellules par notamment la technologie TEP ;
  - l'imagerie interventionnelle correspond à l'ensemble des actes médicaux réalisés sous le contrôle de dispositifs d'imagerie, comme le repérage, le guidage, le contrôle optimal du geste médical, etc.
- L'informatique médicale doit relever les enjeux suivants :
  - adapter l'ergonomie et l'automatisation des logiciels de post-traitement à l'utilisation par un praticien ;
  - héberger et transférer des images quasi instantanément, de manière sécurisée et sans perte d'information utile au diagnostic ;

- contribuer à améliorer la prise en charge des patients ;
- accompagner la croissance de l'hospitalisation à domicile ;
- développer des solutions pour planifier les interventions, faciliter le diagnostic et limiter le temps d'acquisition et d'exposition.

Une description du paysage industriel français et du marché de l'imagerie et de l'informatique médicale, ainsi qu'un diagnostic par filière et par modalités sont fournis.

### *Principaux enseignements*

#### *Les grandes tendances :*

- médecine personnalisée
- des besoins en imagerie croissants, ciblant une meilleure prévention, un diagnostic de plus en plus précoce et un suivi thérapeutique personnalisé
- le patient, acteur de son parcours de soins

#### *Les points de vigilance :*

- Parmi les pays de l'OCDE, les établissements de soins français sont en retard dans la mise en place de systèmes d'information. Le parc des systèmes d'information est hétérogène et insuffisamment interopérable, sa gouvernance insuffisante et nécessite des réseaux haut débit entre les infrastructures, même si les programmes « Hôpital numérique » et « Territoire de soins numérique » sont en cours pour y remédier.
- Confidentialité des informations.
- Problème de la capacité des infrastructures pour stocker et échanger une grande quantité de données.

#### *Les impacts sur l'organisation des soins :*

- L'imagerie médicale de demain devra répondre aux enjeux d'une organisation efficace et efficiente des soins, principalement en termes d'information médicale, de procédures et de protocoles :
  - Protocolisation et standardisation de la prise en charge des patients,
  - Evolution vers la délégation de tâches,
- « L'imagerie médicale du futur doit être pensée comme un vecteur d'économies de santé dans le cadre de la médecine personnalisée »,
- Un déploiement accéléré de la télé-imagerie dans les établissements de soins :
  - « Compte tenu des répartitions territoriales des établissements de soins et des équipements disponibles, l'imagerie médicale devient communicante. Les établissements s'organisent autour des PACS (Picture Archive and Communication System) et d'un système d'information interopérable. Les pratiques médicales évoluent vers la téléimagerie. Il est probable que des plateaux technologiques, regroupant des équipements coûteux et performants au sein des CHU ou IHU et dédiés à une ou plusieurs pathologies, se multiplieront dans les prochaines années, à l'instar de ce que existe déjà en Allemagne »,
  - La téléimagerie pourrait participer à l'optimisation de l'efficacité du système de soins,
- « La France dispose d'un taux d'équipement en dispositifs d'imagerie médicale dédiés aux soins inférieur à la moyenne des pays de l'OCDE pouvant engendrer d'une part des temps d'accès aux

équipements hors des recommandations, d'autre part des examens d'imagerie réalisés en doublon.

On assiste en Europe à une concentration des établissements de soins et à la fermeture de plus petits hôpitaux.

La baisse démographique du nombre de radiologues et les coûts d'investissement en matériels d'imagerie se sont accompagnés de l'émergence de plateaux d'imagerie regroupés, en lien avec les établissements de santé, et permettant une optimisation du parcours de soins du malade, ainsi qu'une interprétation des images à distance ».

- Les professionnels de santé devront être formés à l'utilisation des solutions innovantes communicantes, à la spécificité des logiciels de traitement des images de plus en plus sophistiqués, ainsi qu'à la manipulation des « big data ».

#### *Prospective technologique :*

- La France dispose d'une recherche d'excellence, avec des plateaux techniques de pointe, reconnue mondialement, une industrie dynamique et exportatrice, mais sans leader mondial.
- Le rapport détaille le positionnement des industries françaises par segment de marché, et précise l'ensemble des progrès techniques attendus.
- Cinq domaines technologiques ont été identifiés, représentant l'imagerie médicale du futur, à savoir une médecine plus personnalisée, plus prédictive, communicante et à la portée de tous :
  - les traceurs d'imagerie ;
  - les équipements d'imagerie « légers », à fort potentiel d'avenir, en particulier l'imagerie optique (biologique et in vivo dont l'endoscopie) et les ultrasons ;
  - les composants et sous-systèmes, pour des équipements d'imagerie multimodale ;
  - les logiciels de traitement d'images multimodales ;
  - les systèmes d'information.

#### **Recommandations**

- simplification du parcours administratif et raccourcissement des délais pour la mise à disposition des innovations aux patients
- optimisation des procédures de prise en charge temporaires par l'assurance maladie (forfait innovation, etc.)
- renforcement des partenariats public-privé
- ...

Et parmi les leviers pour le développement de l'imagerie médicale du futur, figurent les points suivants concernant l'organisation des soins :

- développer et moderniser les systèmes d'information hospitaliers
- déployer les PACS sur tout le territoire et les rendre interopérables
- standardiser les procédures d'acquisition des solutions d'imagerie innovantes
- favoriser la télémédecine en imagerie médicale par une révision de la codification des actes d'imagerie médicale et la formation des professionnels de santé à son utilisation
- optimiser l'accessibilité de l'imagerie aux patients et à la recherche

Des recommandations sur les leviers technologiques et leviers industriels sont également formulées.



## **Annexe 7 : Rapport « Dispositifs médicaux : diagnostic et potentialités de développement de la filière française dans la concurrence internationale », PIPAME**

**Année** : 2011

**Promoteur du rapport** : Ministère du redressement productif

**Auteurs** : Développement et Conseil (D. Carlac'h, E. Grillot, B. de Keukeleire, R. Othman)

### **Objectif principal du rapport**

Proposer des recommandations d'action de soutien pour favoriser le développement de la filière française des dispositifs médicaux, à travers :

- un état des lieux international dans 12 pays-cibles, dont la France,
- un diagnostic sur les capacités de recherche et développement, de production et de commercialisation des entreprises de cette industrie en France,
- l'évaluation du potentiel de développement des entreprises françaises,
- la définition d'une stratégie de soutien des acteurs et des propositions d'accompagnement par les pouvoirs publics

### **Méthodologie**

Recherches documentaires, 40 entretiens auprès d'acteurs ciblés, en France et à l'étranger (entretiens, table ronde).

Comité de pilotage regroupant la DGCI, des acteurs industriels (SNITEM, APPAMED, SFRL, AVIESAN...).

### **Domaines technologiques couverts**

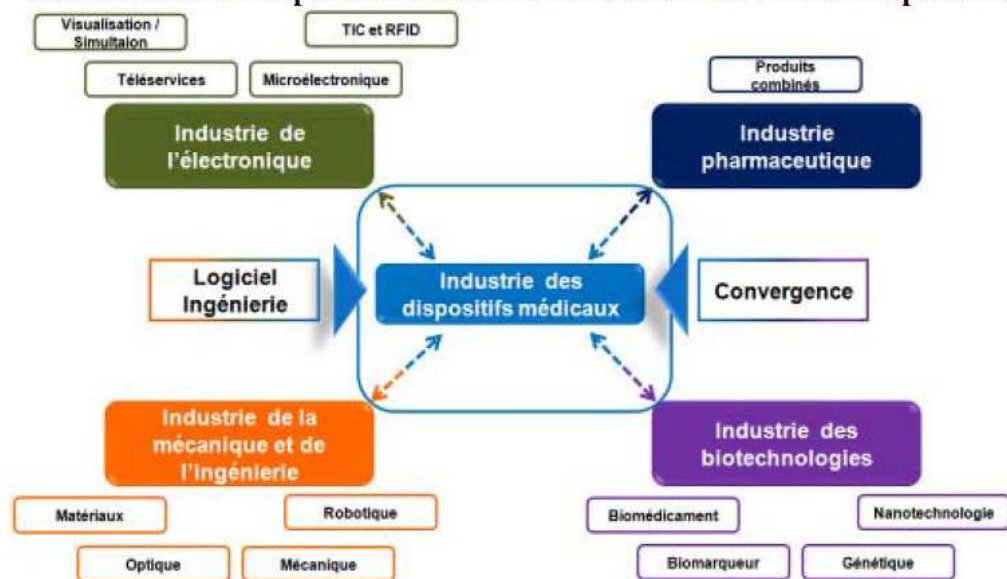
- Dispositifs médicaux, dont certains segments sont particulièrement actifs en France :
  - Diagnostic in vitro
  - Implants actifs et non actifs
  - Optimisation de la délivrance des médicaments
  - Aides techniques et textiles techniques à usage médical
  - Dispositifs médicaux dits d'équipement :
    - Imagerie médicale et préclinique
    - Chirurgie mini-invasive
    - Gestes chirurgicaux assistés par ordinateur
- Technologies de l'information et de la communication pour la santé, E-Santé

### **Principaux enseignements**

*Les grandes tendances :*

- La convergence des compétences nécessaires est traduite dans le schéma suivant, soulignant l'importance des collaborations (partenariats avec les acteurs privés, publics, institutionnels, cliniques) et de l'innovation en réseau :

## Croisement des compétences nécessaires à l'innovation dans les dispositifs médicaux



Source : Analyse Développement & Conseil, 2011.

- Concernant la position de la France dans cette industrie, « l'analyse comparative des pays ayant des activités significatives dans les dispositifs médicaux fait apparaître une position de l'industrie française comparable à celle du Royaume-Uni ou du Japon, derrière les leaders que sont les États-Unis et l'Allemagne.

L'étude a mis à jour un écosystème technologique, scientifique et clinique significatif pour accompagner le développement des dispositifs médicaux en France, malgré l'absence de *cluster* dédié à la filière.

### Les points de vigilance :

- Les exigences réglementaires sont prises en compte souvent tard dans le développement, avec parfois nécessité de reprendre une partie du développement.
- Le temps réglementaire est particulièrement long en France :

« La France est considérée comme le dernier pays à pénétrer en Europe car le temps nécessaire à la création d'un code de remboursement et d'un acte est trop long par rapport aux autres pays (environ six ans pour créer un code et un acte en France contre un peu plus d'un an aux États-Unis et en Allemagne) ».

Or, le cycle de vie d'un DM peut être court.

- Il faut mettre en place une évaluation clinique adaptée à la variété des dispositifs médicaux et orientée pour démontrer le bénéfice patient par rapport au coût du dispositif. Les exigences sont perçues comme plus fortes en France que dans les autres pays européens.
- Manque de compétences et de formations sur les aspects technico-réglementaires en France.

### Quelques éléments sur l'organisation de la recherche

- L'industrie des dispositifs médicaux bénéficie en France d'un potentiel collaboratif de R & D important constitué de laboratoires au sein des universités, de CHU, et de grands organismes de recherche (CEA, CNRS, INRIA, INSERM, etc.).
- Certains CHU ont une forte activité de recherche clinique sur les DM, avec des domaines de spécialisation. Par exemple, Le Sud-Est de la France apparaît comme centre de référence pour les essais cliniques des dispositifs médicaux de diagnostic in vitro, alors que le CHU de Grenoble

possède une visibilité européenne sur la recherche biomédicale en robotique pour la neurologie et chirurgie mini-invasive, le CHU de Nantes pour l'ingénierie tissulaire et le CHU de Rennes pour les implants cardiaques.

- Depuis avril 2009, les principaux acteurs de la recherche biomédicale et en santé se sont rassemblés pour créer AVIESAN (Alliance pour les Sciences de la Vie et de la Santé), une alliance née de la volonté d'accroître les performances de la recherche française en favorisant sa cohérence, sa créativité, son excellence et sa visibilité. AVIESAN a confié aux Instituts thématiques multiorganismes une mission de coordination des opérateurs nationaux de la recherche. Dix Instituts thématiques multiorganismes ont ainsi été mis en place, au nombre desquels figure « l'Institut des Technologies pour la Santé » (ITS). L'Institut se décline en cinq segments principaux : l'imagerie, le développement du médicament, les biotechnologies et la bio-ingénierie, la chirurgie, les techniques interventionnelles, l'assistance aux patients et à la personne, l'e-santé.

### *Recommandations*

- L'un des objectifs proposés par les auteurs est, fort logiquement au regard des constats, de raccourcir le temps d'accès au marché des nouveaux dispositifs médicaux, pour atteindre des délais en adéquation avec les cycles de développement et de commercialisation du DM.
- Il s'agirait aussi, dans le même esprit, de résoudre les problèmes de méthodologie d'évaluation des DM innovants.
- Une autre série de recommandations porte sur la mise en place d'un contexte favorable aux partenariats et à l'exportation.

## Annexe 8 : Rapport « Prospective organisationnelle pour un usage performant des technologies nouvelles en santé »

Année : 2013

**Promoteur du rapport :** Ministère du redressement productif, et Conseil général de l'économie, de l'industrie, de l'énergie et des technologies

**Auteurs :** R. Picard, A. Vial

### *Objectif principal du rapport*

Apporter un éclairage prospectif sur les conditions organisationnelles pour un usage performant des technologies nouvelles en Santé, avec un regard particulier sur la télémédecine

### *Méthodologie*

Entretiens auprès d'experts, réflexions conduites par un groupe de travail pluridisciplinaire, comprenant des décideurs, des chercheurs, des offreurs et représentants des professionnels

### *Domaines technologiques couverts*

Technologies de l'information et de la communication, télémédecine, télésanté, « big data »

### *Principaux enseignements*

*Les grandes tendances :*

- Le patient-citoyen acteur du système, pouvant devenir « l'arbitre de l'évaluation de l'offre en même temps qu'une composante clé du financement », pouvant notamment influencer sur les objectifs suivants :
  - éviter l'accès injustifié à des ressources coûteuses ;
  - sécuriser l'environnement extrahospitalier, dans la limite d'un coût de journée inférieur à celui de l'hospitalisation ;
  - supprimer les déplacements évitables classiquement pris en charge, notamment entre le domicile et le lieu de consultation...
- Développement d'outils de « bien vivre » : « pratiquement toutes les branches de l'économie donnent une coloration « Santé » à une partie de leurs gammes : qu'il s'agisse du transport, de l'agro-alimentaire, des jeux électroniques, des objets communicants, de l'habillement, du sport, etc. »
- Nouveaux gisements de données attendus avec les applications de télésanté

*Les points de vigilance :*

- Inadéquation des approches normatives
- Disparité des approches territoriales
- Une situation industrielle préoccupante :
  - Absence de modèle économique
  - Impossibilité pour un acteur unique de faire une proposition sur le bouquet de services et nécessité de constitution d'un consortium, mais problèmes d'interopérabilité
  - Offres hétéroclites, incompatibles, rendant l'intégration très difficile (absence de règles et conventions partagées)

- Les financeurs potentiels, publics ou privés, peuvent motiver leur engagement de façon très différente voire antagoniste : certains sont partie prenante de l'écosystème local et privilégieront la résolution de problèmes du bassin de vie ; d'autres au contraire, s'inscriront dans une logique de marché national ou supra national ou seront sensibles à la résolution de problématiques macroéconomiques ou sociétales.
- Une demande publique non coordonnée, qui déstructure l'écosystème global, induisant des offres segmentées, incompatibles, ne répondant pas au vrai besoin. Exemple : offre de télémédecine par spécialité.
- Cette diversité et cette non coordination de la demande publique (par exemple entre secteurs sanitaire et médico-social) induisent des surcoûts industriels et limitent le développement d'entreprises et grands groupes spécialisés.
- « Les clivages administratifs, la défense de leurs prérogatives par les diverses structures, le niveau d'expertise requis - tant côté technique que médical ou dans les sciences humaines et de gestion - la méfiance administrative vis-à-vis de l'industrie, rendent extrêmement difficile en pratique un règlement global et concerté de la question ». Et en parallèle, en dehors du système de santé, se développent des outils de « bien vivre » qui jouent sur les comportements des citoyens, leurs connaissances en santé, la relation patient-soignant.
- Le saupoudrage d'argent public qui en résulte favorise plus les approches opportunistes que la structuration de filières potentielles (exemple des appels à projets).
- Faiblesse des maîtrises d'ouvrage.
- Offre encore très centrée sur l'hôpital.

*Les impacts sur l'organisation des soins :*

- Les TIC peuvent faciliter ou optimiser :
  - le travail des professionnels au service de la personne sur son lieu de vie,
  - l'articulation des activités et la coordination des professionnels
  - les relations avec les établissements de soins
  - l'accès à de nouvelles sources d'informations sur l'état sanitaire et social des populations
  - les échanges d'informations entre acteurs du secteur sanitaire et social
- L'évaluation doit prendre en compte les questions d'organisation et de ressources humaines. Par exemple, la télé radiologie peut, selon le contexte, accroître la valeur d'un appareil sous-utilisé ou bien la productivité d'un praticien en déplacement permanent.
- Se posent aussi des questions de délégation de compétences.

*Questions ouvertes sur les politiques publiques / Recommandations*

- Le rapport souligne l'inadéquation du cadre institutionnel actuel et l'absence d'un cadre technique et fonctionnel susceptible d'inciter les industriels à investir dans la télésanté.
 

« On attend encore les règles architecturales, d'urbanisme, les caractéristiques universelles d'une plateforme de service à domicile susceptible de porter les bouquets de service de demain... »
- De nombreuses recommandations sont émises en conséquence, dont :
  - Mettre en place une structure de gouvernance et de régulation transverse chargée d'établir et de piloter une stratégie globale en matière de télésanté et de télémédecine

afin de permettre la mise en adéquation des dimensions économiques, techniques et d'organisation de façon concertée

- Mettre en place un observatoire des outils du « bien-vivre », ou produits du secteur concurrentiel visant la santé
- Mettre en place de façon concertée des règles et solutions techniques et architecturales qui facilitent la prise en main des solutions de télésanté par les communautés d'acteurs et les patients/citoyens et œuvrer à la structuration de l'écosystème
- Accélérer la mise en œuvre d'une solution d'identification numérique unique du patient. Mettre en place des règles homogènes d'identification des autres acteurs de l'écosystème à domicile, aujourd'hui limité à certaines professions. Favoriser la convergence des règles de gestion des SI sur ces bases
- Former individuellement et collectivement les acteurs de la santé, y compris les patients et citoyens, leurs aidants à l'usage de la télésanté, dans la perspective d'une utilisation généralisée et courante de ce type de solution.

## Annexe 9 : Rapport prospectif sur le devenir de l'écosystème de santé et les TIC

Année : 2010

**Soutien** du Conseil Général des Technologies d'Information

**Auteurs** : Thomas Houy, Laurent Gille

**Contributeurs** : un groupe de travail composé d'experts TIC et santé de plusieurs organisations (industriels, assureurs, Ordres professionnels, HAS, INSERM...), réuni au sein de Télécom ParisTech, de juillet 2008 à avril 2009

### *Objectif principal du rapport*

Organiser une réflexion prospective sur le secteur de la santé

### *Méthodologie*

Réflexion collective au sein du groupe de travail et rédaction d'un rapport. L'analyse a été organisée suivant trois domaines :

- L'évolution de l'état de santé des populations
- La production de soins
- La régulation de l'écosystème de santé

### *Domaines technologiques évoqués*

- Equipements de monitoring, d'investigation et même de traitement, embarqués, pour le suivi à domicile ; biocapteurs ; objets connectés ; robotique d'assistance, *i.e.* biogérontechnologies, équipement du patient et de son environnement (les aidants)
- Dossier médical informatisé
- Simulation corporelle

### *Principaux enseignements*

*Les grandes tendances :*

- Interrogations sur la médecine préventive / prédictive
- Interrogations sur l'auto-prise en charge du patient, du fait des possibilités ouvertes par les dispositifs d'autodiagnostic, d'autoprescription et d'autosuivi
- Evolution du rapport médecin-patient, avec l'information du patient, l'évolution de la notion de confiance, la télémédecine...
- Prise en charge par une communauté de soignants, exercice collectif de la médecine
- Interrogations sur l'importance et la prise en compte des protocoles : extension de leur rôle avec des systèmes d'aide à la décision ? ou portée limitée aux affections simples ?

*Les points de vigilance :*

- Question éthique : peut-on imposer un « devoir de santé » aux populations dont la santé est assurée par le système social ?
- Le développement d'équipements d'assistance et de surveillance à domicile déclenche un double questionnement :



- Sur leur prise en charge financière
- Sur leur labellisation et leur manipulation : s'agira-t-il d'équipements médicaux sous une responsabilité d'usage médicale ou s'agira-t-il d'équipements banalisés, "colorés" santé, d'un large usage?
- Secret médical dans le cadre du dossier médical informatisé partagé
- Arbitrage entre la maîtrise de la dépense de santé (ou le déplafonnement de cette dépense, avec hausse de la part des assurances privées) et la réduction des inégalités d'accès aux soins (ou l'acceptation d'un certain niveau d'inégalité)

*Les impacts sur l'organisation des soins :*

- Objectifs de réduction des risques iatrogènes et de parcours de soins plus rapides (pas de délai, coordination meilleure)
- « Il y a clairement un besoin d'intégration de la production de soins, et de soins et de services sociaux, pour réduire l'ensemble des coûts de transaction et pouvoir offrir un guichet unique dans la relation du patient au système de soins :
  - Dans le contexte d'un scénario qui maintient de façon centrale la relation médicale, le médecin traitant devra pouvoir assurer, en s'appuyant vraisemblablement sur une infrastructure de services sous-jacente, ces services d'intégration.
  - Dans le cadre d'un scénario où l'organisation des soins est prise en charge par une organisation "industrielle", celle-ci aura la charge de l'intégration des soins, c'est-à-dire la gestion de bout en bout des parcours de soins et en garantira la qualité au sens large, c'est-à-dire aussi l'efficacité ; la question se pose de savoir alors quel type d'acteurs industriels va investir cette nouvelle fonction. »
- « On peut penser que trois types d'organisation industrielle peuvent émerger:
  - Les assureurs, et/ou à travers eux, des opérateurs de centres sociaux, peuvent adresser rapidement les besoins d'intégration des personnes âgées et dépendantes, et ouvrir peu à peu leurs prestations à d'autres populations ;
  - Les sociétés de services à la personne, issues soit des assistants traditionnels, soit des sociétés créées à l'occasion des dispositifs Borloo, peuvent également prendre place sur ce marché, soit directement, soit "en marque blanche", pour d'autres groupements ;
  - Enfin, des associations de professionnels de santé (centres médicaux ou maison de santé rurales ou de quartier, pharmaciens...) peuvent très certainement intervenir, avec le soutien logistique d'autres prestataires, dans ce processus d'intégration, favorisant une intégration centrée sur le maintien d'une relation médicale centrale. »
- Les hôpitaux soit tissent des relations de complémentarité avec la médecine de ville, soit montent des organisations qu'ils contrôlent complètement et dans lesquelles la médecine de ville n'intervient que comme prestataire.
- « La différenciation des établissements médicaux, et leur concurrence, poussent leur spécialisation et vraisemblablement leur excellence. Dans un tel contexte, une attractivité régionale, interrégionale et internationale, devrait se développer. »

*Deux scénarios contrastés*

- *Scénario de continuité : le médecin reste au centre du jeu*

Maintien de la relation de confiance médecin-patient, peu d'obligations sur le patient, maintien du rôle central du médecin traitant, qui gère le dossier médical informatisé, renforcement du rôle des protocoles. Le médecin traitant peut recourir à des services de coordination. Les dispositifs

technologiques à usage de santé restent sous maîtrise médicale. Les assurances privées voient leur rôle s'accroître, dans certaines limites.

- *Scénario d'ouverture : une garantie sous conditions*

« Ce second scénario place au second plan la relation médicale pour mettre en avant la garantie d'une "marque" (qui pourra être celle d'une institution hospitalière ou d'un groupe "industriel") quant à la qualité et l'efficacité d'un parcours de soins. Un processus de contractualisation s'introduit dans la relation entre le patient et ce nouveau type d'organisation. Si celui-ci devra s'appuyer indéniablement sur les protocoles disponibles, chaque organisation concurrente aura à cœur de chercher à se distinguer par l'intelligence, la personnalisation, l'adaptation des protocoles à la personne soignée et à son contexte. Il est possible que cette structuration de l'écosystème permette d'aboutir à un dossier médical personnel unique transférable, avec intervention de tiers ou médiateurs pour en régler les aspects délicats. »

Les dispositifs d'assistance à la prévention et à la santé se développent. On devrait alors assister à un déplaçonnement des dépenses de santé, les assureurs privés couvrant l'assistance. La notion de devoir de santé devrait s'imposer.

A noter que « la plupart de ces choix ne sont pas liés à la technologie, mais la technologie pourra peser dans les bifurcations qui devront être considérées. »

## Annexe 10 : Livre blanc « Télémédecine 2020 »

**1<sup>er</sup> rapport : Faire de la France un leader du secteur en plus forte croissance de la E-Santé, Syntec, 2012 ; 2<sup>ème</sup> rapport : Modèles économiques pour le télésuivi des maladies chroniques, SNITEM/Syntec, 2013**

### *Objectif*

Apporter de la visibilité sur la création de valeur engendrée par ce secteur, présenter ses potentialités et ses métiers, évaluer son apport sur le plan médicoéconomique, à travers plusieurs études de cas.

### *Méthodologie*

Groupe de travail télémédecine, associant des entreprises et experts du secteur, avec le concours du cabinet JALMA pour le 1er rapport, le cabinet Alixio Care Management Consulting et le groupe AEF pour la 2ème étude.

Analyse documentaire.

Entretiens réalisés auprès d'un panel diversifié et représentatif de 115 acteurs du secteur : fournisseurs de technologies, experts, établissements de soins, instituts de formation, etc.

Les acteurs régionaux publics, ARS et structures chargées du développement de l'e-santé, ont également été associés à cette étude lors d'un séminaire au cours duquel 17 régions françaises ont été représentées.

### *Domaines technologiques couverts*

- Les différents champs de la télémédecine :
  - La téléconsultation
  - La télésurveillance médicale
  - La téléexpertise
  - La téléassistance
  - La réponse médicale apportée dans le cadre de la régulation médicale des urgences ou de la permanence des soins
- Auxquels il faut ajouter les services de santé à distance, comme l'accompagnement à distance des malades chroniques sur le long terme ou des personnes âgées et dépendantes, qui n'impliquent pas nécessairement la participation d'un médecin.

Sont distingués trois ensembles :

- Un premier ensemble, le plus petit, constitué des produits et services de télémédecine, qui comporte : les logiciels destinés aux solutions de télémédecine (ex : applicatifs d'analyse de données de santé, applicatifs d'aide à la décision, systèmes d'alerte, applicatifs d'accompagnement à l'auto-gestion de sa santé) ; les équipements de visioconférence ; les dispositifs médicaux communicants, et le matériel informatique éventuellement associé ; les prestations d'intégration de ces équipements, et de conseil informatique ; les prestations de services de télémédecine (ex : plateforme de suivi à distance, prestations de conseil, services de soins à distance) ; les prestations d'évaluation des solutions de télémédecine.
- Un deuxième ensemble, correspondant aux produits et services de télésanté, qui englobe le précédent et inclut également : les dossiers médicaux partagés, les infrastructures des réseaux de santé, les prestations de services d'hébergement des données de santé, les infrastructures de

télécommunications, les prestations d'intégration de ces équipements, et de conseil informatique.

- Un troisième ensemble, le plus vaste, regroupant les précédents et intégrant plus largement l'ensemble des équipements destinés à l'informatisation du système de santé français, qui comprend :
  - Les systèmes d'information hospitaliers,
  - Les systèmes d'information destinés aux professionnels de santé,
  - Les prestations de services d'archivage des données de santé,
  - Les prestations de services visant à garantir l'interopérabilité des SI.

### **Principaux enseignements**

*Etudes de cas lors de la 1<sup>ère</sup> étude :*

- Diabeo : système d'accompagnement à distance des patients atteints de diabète de type 1 et 2 insulinotraités, lancé en 2004 : via un portail web.
- Calydia : système de télésurveillance des patients atteints d'insuffisance rénale terminale suivis en dialyse péritonéale à domicile, existant depuis 2005, utilisant la technologie du stylo communicant.
- SCAD (Suivi cardiaque à domicile) : projet d'amélioration de la prise en charge de l'insuffisance cardiaque déployé en 2006 en Basse-Normandie, qui comporte notamment la mise en place d'un système de suivi à domicile des patients en sortie d'hospitalisation. Il repose sur l'utilisation d'un terminal dédié à écran tactile installé au domicile du patient.
- OncoPL : réseau régional de cancérologie déployé en Pays de la Loire et ayant recours à des solutions de télémédecine pour améliorer la prise en charge et le suivi des patients atteints de cancer. Ce réseau est composé de 50 établissements de santé assurant la prise en charge de patients cancéreux, dont la moitié est équipée de matériel de télé-expertise.

*Etudes de cas lors de la 2<sup>ème</sup> étude, visant à apporter des éclairages sur les modalités de financement des solutions de télémédecine dans des programmes observés à l'étranger :*

- Programme CorBene en Allemagne : contrat de soins intégrés dans l'insuffisance cardiaque, avec télésurveillance médicale, afin de diminuer le nombre de séjours hospitaliers, améliorer l'état de santé, améliorer les pratiques. Le service est rémunéré par les caisses d'assurance-maladie sur la base d'un forfait mensuel par patient.
- Programme Mein Herz (Allemagne) : télésuivi de patients atteints d'insuffisance cardiaque (transmission du poids, de la pression artérielle, de l'ECG...) ; dispositif d'économies partagées ex post entre l'établissement de santé et l'organisme payeur, au regard de l'écart entre le coût observé et le coût de référence par patient. La réduction des coûts d'hospitalisation couvre largement le coût du télésuivi et la hausse du coût de traitement médicamenteux.
- Programme TELEMACO et PTP en Italie : télésurveillance et téléconsultation pour des patients atteints de BPCO (entretiens par vidéoconférence avec un infirmier tuteur), dans le cadre d'un programme régional de télémédecine visant à garantir la continuité des soins dans des zones isolées. Les objectifs sont l'amélioration de la prise en charge et la réduction des hospitalisations inutiles ou inappropriées. Les hôpitaux reçoivent de la région un forfait par patient.
- Programme E-Cardiocare aux Pays-Bas : télésurveillance et téléconsultation pour des patients atteints d'insuffisance cardiaque, dans le cadre d'un tarif négocié entre l'assureur et l'offreur de soins. La plateforme installée au domicile comprend du coaching personnalisé (éducation thérapeutique) et la télésurveillance des indicateurs cliniques. Outre la réduction des

hospitalisations et des complications, le programme cherche à mettre en place un prototype pérenne d'organisation et de financement de la télésanté.

- Programme « Patient briefcase » au Danemark : télésurveillance de la fonction pulmonaire et téléconsultation (par connexion internet sécurisée) pour des patients atteints de BPCO. Le Briefcase est un dispositif de la taille d'un ordinateur portable, doté d'une webcam et d'un microphone, ainsi que d'un spiromètre et d'un oxymètre. A noter que les actes de télémédecine sont pris en charge par le système de santé (GHS ambulatoires). Une baisse de 10 à 14% du risque de réadmission à court terme est observée.
- Veterans Health Administration / Programme CCHT aux Etats-Unis : télésurveillance et téléconsultation pour le suivi à domicile de patients à risques (patients en déficit d'autonomie pour au moins 3 activités de la vie quotidienne, malades chroniques), organisé au sein de son propre réseau de soins. La coordination et la prise en charge du dispositif de télésanté sont sous la responsabilité d'un « care coordinator » (souvent du personnel infirmier ou un travailleur social), qui organise la mise à disposition des dispositifs médicaux (outils communicants, outils de télésurveillance, systèmes de téléconsultation) et la formation du patient. Il est en relation avec l'ensemble des professionnels impliqués dans la prise en charge de ses patients via le dossier médical personnalisé VHA. Il transmet chaque mois un rapport résumant les données de télésanté au médecin traitant de ses patients. Plusieurs études attestent de bénéfices médicaux ou économiques.

#### *Les grandes tendances :*

- Les gains sont, au moins qualitativement, démontrés. En termes d'efficacité clinique, Diabeo a montré un meilleur équilibre glycémique. L'efficacité économique est même argumentée quantitativement dans le cas de SCAD et dans plusieurs des exemples étrangers.
- Les succès de ces projets dépendent d'une vision stratégique et d'une impulsion politique forte et continue dans le temps, ainsi que d'un ensemble de bonnes pratiques en matière de mise en place de parcours de soins, d'inclusion sélective des patients, de support d'un SI santé, d'articulation avec des systèmes de disease management, d'évaluation, etc.

#### *Les points de vigilance :*

- Un modèle de financement instable, largement soumis aux aléas du cadre expérimental
- Un manque de visibilité pour les industriels
- Les gains de coûts issus de la baisse des hospitalisations sont parfois atténués par des hausses de coûts significatifs sur d'autres postes (notamment le médicament).
- Suppose une évolution des pratiques des professionnels, ce qui demandera un effort en termes de conduite du changement.

#### *Les impacts sur l'organisation des soins :*

- Dans l'ensemble, les gains relèvent des catégories suivantes :
  - réduction de l'isolement géographique,
  - sécurisation des pratiques médicales (diminution des complications médicales évitables, continuité des soins),
  - suppression de certaines consultations,
  - réduction du nombre d'hospitalisations,
  - transports évités,
  - réorganisation du temps de travail et temps médical économisé.

- Il est noté que les gains devraient être particulièrement importants dans :
  - la prise en charge des maladies chroniques,
  - le maintien à domicile et le retour à domicile post-hospitalisation des personnes âgées dépendantes,
  - la téléradiologie.
- La télémédecine peut transformer la relation soignant-soigné ; plusieurs expériences internationales montrent qu'il est possible et efficace de dématérialiser une partie importante des consultations médicales, afin de rendre possible une plus grande régularité des contacts et dans le même temps de réduire les coûts. Ce peut ainsi être un levier d'efficience dans le système de santé :
  - Cet objectif de réorganisation suppose l'intégration préalable à tout nouveau projet de télémédecine d'un objectif d'optimisation de la chaîne de soins (hôpital, ambulatoire, médico-social), en étant le vecteur de décloisonnements, de nouvelles délégations de tâches, de transferts de compétences et d'alternatives à l'hospitalisation.
  - L'impératif d'amélioration de l'efficience de la production suppose également de gager tout investissement important dans la télémédecine sur l'objectif de réorganisation des processus de soins dans le sens d'une rationalisation de la pratique médicale.
  - La recherche de l'efficience doit enfin orienter les programmes de télémédecine vers une perspective à très court terme d'industrialisation.

#### *Questions ouvertes sur les politiques publiques / Recommandations*

- « Il est impossible de dépasser le stade expérimental sans une source de financement pérenne, c'est-à-dire sans l'implication de l'Assurance-maladie »
- Proposition de mise en place d'une structure de concertation permanente, un lieu d'échange entre tous les acteurs
- La gouvernance doit offrir stabilité et visibilité
- L'implication des patients doit être recherchée
- L'évaluation médico-économique doit être développée, en tenant compte du fait que les investisseurs ne sont pas toujours ceux qui récupèrent directement les bénéfices.
- Il existe un fort besoin de formation des acteurs de la filière.
- ...

#### *Scénarios*

##### *Scénarios d'évolution à 5 ans développés dans le 1<sup>er</sup> rapport*

- Le scénario le plus probable est un scénario de continuité, dans lequel on n'observe pas de changement majeur dans la stratégie des pouvoirs publics. Les budgets publics destinés à la télémédecine ne sont pas réévalués ; toutefois des investissements relativement importants, tels que les investissements d'avenir du Commissariat général à l'investissement par exemple, sont réalisés dans le secteur. Ce scénario propose une croissance annuelle moyenne de 15%, c'est-à-dire un taux comparable à ce qui a été observé ces dernières années dans le secteur.

Dans ce cas de figure, la croissance est néanmoins très significative et le secteur doublera en 5 ans. La télémédecine serait amenée à peser 160 à 300 millions d'euros d'ici à 2015.

- Le scénario le plus optimiste avance un taux de croissance annuel du secteur de 30% environ. Il pourrait se réaliser si les acteurs du secteur se mobilisent de façon importante, et que des

investissements conséquents sont réalisés. La télémédecine représenterait alors un domaine d'investissement stratégique pour les pouvoirs publics. Il impliquerait un triplement, voire même un quadruplement du secteur en 5 ans. Le marché de la télémédecine pourrait ainsi atteindre 300 à 520 millions d'euros dans 5 ans.

Dans le 2<sup>ème</sup> rapport, ce sont des scénarios de prise en charge de la télémédecine qui sont discutés. Plusieurs scénarios sont présentés :

- Remboursement de la télémédecine, à l'acte, au forfait, ou au GHS.
  - Ce scénario, s'il permet de solutionner le financement de la télémédecine, répond peu aux difficultés posées par l'éclatement des structures de gouvernance et de pilotage du système de santé, ainsi qu'aux enjeux de décloisonnement de ce dernier.
- Modèle de soins intégrés, en s'appuyant sur un réseau d'opérateurs tiers.
  - Ce modèle apporte une réponse aux questions du financement de la dépense des soins de télémédecine et de leur organisation dans le champ des maladies chroniques. La contractualisation pilotée par les territoires entre fournisseurs, opérateurs de soins et payeur public permet de créer les conditions d'un déploiement plus souple. Ce modèle permet également de structurer le parcours de santé de façon intégrée et confère à l'organisme payeur une meilleure visibilité sur les conditions du financement de la dépense de santé ainsi que sur la pertinence médico-économique du parcours de santé.
- Idem avec une variante : délégation de service public aux assureurs de droit privé.
- Réseau de soins public dédié, dans le cadre d'une politique nationale « maladies chroniques ». Ce réseau de soins « maladies chroniques » internalise l'ensemble des compétences du parcours de santé : prévention, réalisation des soins, disease management. Le réseau se dote d'une compétence de care management internalisée et déploie une infrastructure informatique de santé dédiée.
- Privatisation de la santé.
- Un dernier scénario, uniquement prospectif et volontairement écarté dans les cas étudiés, pourrait être basé sur un rôle renforcé du citoyen dans la prise en charge de sa santé. Informé, éduqué, équipé de technologies lui permettant de s'auto-suivre et de mesurer ses propres constantes, accédant à des services de suivi en ligne qu'il choisit, ce « super e-patient » finance pour une grande partie sa prise en charge et soutient un marché tourné vers l'innovation et la consommation de masse.

Les auteurs appellent à une prise de conscience rapide et au lancement de programmes d'envergure, et soulignent que « selon une étude récente d'InMedica, environ 308 000 patients seraient télésuivis dans le monde en 2012 dans les domaines de l'insuffisance cardiaque, de la BPCO, du diabète, de l'hypertension artérielle et des maladies mentales. Les Etats-Unis représentent 75% de ce total (227 000 patients), suivis par le Royaume-Uni, l'Allemagne et la Chine. Le cabinet anticipe une forte croissance sectorielle dans les années à venir (+ 600% en 5 ans aux Etats-Unis) et prévoit qu'environ 1,8 millions de patients seront télésuivis dans le monde en 2017. »



## Annexe 11 : Rapport Unicancer : « Quelle prise en charge des cancers en 2020 ? »

Année : 2013

**Promoteur du rapport** : Unicancer

### *Objectif principal du rapport*

Identifier et qualifier les principales évolutions des prises en charge en cancérologie d'ici à 2020 et en évaluer les impacts en termes de capacité (nombre de lits, effectifs...) et d'effectifs médicaux

### *Méthodologie*

Interview de 40 experts (oncologues médicaux, pharmaciens, radiothérapeutes...) avec le concours du cabinet Cap Gemini entre février et juin 2013. Les experts sélectionnés étaient issus des CLCC, mais aussi d'autres structures de soins en France (CHU, cliniques privées) et à l'étranger (hôpitaux spécialisés dans les traitements des cancers aux Pays Bas, aux Etats-Unis et au Royaume-Uni). Enfin, quelques entretiens avec des professionnels de l'industrie pharmaceutique sont venus compléter ce panorama. L'étude a été conduite sous le contrôle d'un comité scientifique composé d'experts des CLCC représentant les différentes disciplines de la prise en charge en cancérologie.

Elle a été réalisée en trois temps :

- Identification des évolutions des thérapeutiques les plus structurantes pour le développement de la cancérologie d'ici 2020.
- Qualification et quantification des six tendances identifiées.
- Evaluation d'impact en termes de nombre de lits/places, de temps d'équipement et de temps médical.

### *Six tendances identifiées*

- Développement de la chirurgie ambulatoire : cible de la moitié des patientes opérées pour cancer du sein (contre 17% en 2012).
- Réduction du nombre de séances de radiothérapie grâce à des techniques plus performantes, notamment le développement de l'hypofractionnement ; la radiothérapie hypofractionnée consiste à intensifier la dose délivrée lors de chaque séance afin de réduire le nombre de séances : devrait concerner 50% des traitements des cancers du poumon, 45% des traitements du cancer du sein, ainsi que 35% des cancers de la prostate.
- Réalisation de la chimiothérapie à domicile grâce au développement des traitements oraux (représentant déjà 25% des traitements et pouvant atteindre 50%) et de l'HAD. En outre, certaines chimiothérapies intra-veineuses pourront être réalisées à domicile.

On devrait assister, du fait des thérapies ciblées, à une baisse relative du nombre de thérapies due à la non prescription de certaines chimiothérapies, notamment dans la prise en charge du cancer du sein, mais aussi à un allongement des durées de traitement et à une croissance du nombre de patients du fait de l'accroissement de l'incidence de la maladie.

- Caractérisation des tumeurs : mieux connaître les tumeurs pour mieux les soigner de manière ciblée. On devrait assister à une généralisation de la caractérisation des tumeurs par biologie moléculaire et du dépistage génétique des populations à risque. Les patients atteints de maladie métastatique devraient avoir un suivi renforcé.
- Développement de la radiologie interventionnelle (amélioration des techniques de guidage, perfectionnement des techniques de dépôt des médicaments...), permettant de réaliser des actes plus précis et moins invasifs : devrait être multipliée par quatre dans les prochaines années.

À titre d'exemples, il est possible, par le seul point d'entrée d'une aiguille, de détruire de petites tumeurs du foie ou des métastases du poumon, par un courant électrique (radiofréquence), par le froid (cryoablation) ou en les brûlant par des microondes (thermoablation).

Le guidage de toutes ces interventions par l'imagerie confère une précision jusqu'ici inégalée aux gestes, y compris quand ils sont effectués en profondeur, et en particulier quand ils se déroulent dans des zones à risque élevé. Les organes cibles sont les métastases osseuses, hépatiques, pulmonaires.

- Développement des soins de support pour prendre en charge le patient dans sa globalité.

### *Principaux enseignements*

#### *Les grandes tendances :*

- Nouveaux modes d'organisation moins fondés sur le séjour hospitalier et nécessitant une plus grande coordination entre tous les acteurs de la prise en charge
- « La prise en charge des patients atteints de cancer se caractérisera par une succession d'interventions très spécialisées lors des épisodes aigus, suivi de phases d'accompagnement et de surveillance. Les établissements de santé spécialisés devront devenir le pivot de l'organisation du parcours des patients atteints d'un cancer. »

#### *Les points de vigilance :*

- En radiothérapie, le mode actuel de financement basé sur le nombre de séances freine l'évolution vers les nouvelles pratiques. Une évolution vers la forfaitisation pourrait lever ce frein.
- De même en radiologie interventionnelle, la tarification devra être adaptée.

#### *Les impacts sur l'organisation des soins :*

- Le développement de la chirurgie ambulatoire nécessitera une profonde réorganisation des unités de chirurgie. Cela se traduira par une diminution de 20% de lits en hospitalisation classique en faveur d'une augmentation de 40% de places de chirurgie ambulatoire.
- En radiothérapie, on devrait avoir moins de séances avec des séances plus longues, et un temps de préparation plus long. Le besoin en accélérateurs serait accru de 9%.
- L'évolution en chimiothérapie nécessitera une meilleure articulation avec les autres acteurs de la médecine de ville (médecins, pharmaciens, infirmières...) et devra s'appuyer sur les programmes d'éducation thérapeutique afin d'assurer une bonne observance des traitements. Les prescriptions des traitements par voie orale demandent aussi des consultations plus longues afin d'améliorer l'observance et d'expliquer les éventuels effets indésirables. Une augmentation de 9% du nombre d'oncologues serait nécessaire.
- Des équipes communes biopathologistes-oncogénéticiens devraient se créer, avec augmentation des effectifs de 40%.
- Développement des séjours pour radiologie interventionnelle, dont un tiers en ambulatoire, et diminution en conséquence de 5% des séjours en chirurgie.
- Doublement des effectifs consacrés aux soins de support.

### *Questions ouvertes sur les politiques publiques*

- Adapter la tarification aux évolutions évoquées
- Créer une MIG « soins de support » dont l'allocation serait fixée en fonction de l'activité carcinologique des établissements.

## Annexe 12 : Technologies clés 2015, Direction générale des entreprises

Mars 2011

### Objectif

« L'étude technologies clés 2015 a pour objectif d'identifier des segments stratégiques de notre économie et de mener une analyse des forces et faiblesses du développement de ces technologies en France.

Technologies clés 2015 est le résultat des nombreux échanges organisés avec plus de 250 spécialistes, experts, représentants du monde socioéconomique sur les enjeux qui se posent à notre société tant sur le territoire national que sur les marchés mondiaux.

Les technologies clés sont présentées sous une forme très synthétique de description de la technologie, de ses applications, de son état de diffusion, de l'état de la concurrence et des acteurs qui lui sont associés ». Un chapitre est consacré à la « *santé et à l'agro-alimentaire* ».

### Ingénierie cellulaire et tissulaire

La recherche dans le domaine de l'ingénierie tissulaire consiste à reconstruire des tissus humains complets tels que la peau, le cartilage et les ligaments. Les cellules peuvent être autologues (provenant de l'organisme receveur lui-même) ou allogéniques. Il peut également s'agir de cellules différenciées ou de cellules souches adultes ou embryonnaires.

Applications : la thérapie cellulaire peut s'appliquer en immuno-oncologie, en cardiovasculaire, en orthopédie, en neurologie, pour traiter le diabète, etc. Aujourd'hui, une quarantaine de produits est commercialisée dans le monde.

Position relative de la France : la France figure parmi les acteurs majeurs du domaine de la thérapie cellulaire. Elle a été pionnière dans le champ des cellules de sang de cordon ombilical et elle se distingue également dans le champ des cellules souches mésenchymateuses et des cellules souches adultes.

### Ingénierie génomique

Le génome peut être manipulé afin de faire pénétrer un ou plusieurs gènes d'intérêt dans les cellules ou les tissus d'un organisme vivant. De nouvelles recherches sont aujourd'hui développées et reposent sur des petits ARN interférents (ARNi). Cette technique de ciblage cellulaire des ARNi permet le blocage des ARN messagers (ARNm) par les ARNi et ainsi la correction d'un dysfonctionnement d'une protéine. Le transfert de gènes et la vectorisation sont des facteurs clés dans la maîtrise de l'ingénierie génomique.

Applications : l'ingénierie génomique trouve de nombreuses applications très connues en agronomie et agroalimentaire (OGM). Mais les enjeux sont tout d'abord médicaux. Les maladies concernées sont nombreuses mais actuellement, si les essais sur les animaux sont porteurs d'espoir, le passage de l'animal à l'homme ne paraît pas être pour tout de suite.

Position relative de la France : la France possède une bonne position en recherche avec la présence de plusieurs centres de recherche de pointe en génétique et génomique.

### Ingénierie du système immunitaire

L'ingénierie du système immunitaire a pour but de mieux le manipuler. L'objectif principal est de modifier et d'optimiser tous les composants du système immunitaire (cellules ou molécules). Par exemple, la manipulation d'une cellule dendritique présentant un antigène d'une tumeur stimulera la destruction de la tumeur par le système immunitaire.

Bonne position de la France dans la recherche fondamentale en immunologie et en vaccinologie.

### *Technologies pour la biologie de synthèse*

La biologie de synthèse associe le séquençage de l'ADN, la synthèse de cet ADN et la modélisation informatique.

Applications : à long terme, ses champs d'application en biologie sont : médicaments personnalisés, détection précoce de certaines pathologies, intervention médicale au niveau moléculaire plutôt que chirurgical.

Le positionnement de la France est modeste.

### *Systèmes bio-embarqués*

Les systèmes bio-embarqués résultent d'une forte interdisciplinarité : compétences médicales, biologiques, chimiques, physiques (matériaux, mécanique et électronique). Les technologies utilisées sont notamment issues des secteurs de l'aéronautique et des télécommunications.

Les recherches actuelles et futures portent sur les grands axes suivants :

- pour la médecine régénératrice, combiner une partie synthétique – un polymère – avec des cellules différenciées et des cellules souches du patient (exemple de vaisseaux à partir de polymères biodégradables qui se remodelent en artères biologiques fonctionnelles lorsqu'elles sont combinées avec des cellules) ;
- plus largement combiner l'approche système mécanique et système biologique, en couplant avec des principes actifs ou agents thérapeutiques ;
- utiliser des technologies de membranes et de traitement de surface de plus en plus sophistiquées ;
- intégrer dans les systèmes bio-embarqués des capteurs de suivi en temps réel et des logiciels analysant les données et appliquant les décisions résultantes (par exemple pour la délivrance de principes actifs) ;
- mettre au point des systèmes résorbables ne laissant aucun corps étranger quelques mois-années après la mise en place ;
- annihiler les possibilités de rejet ;
- augmenter la durée de vie, en luttant contre les phénomènes de corrosion et de vieillissement, et en dotant les systèmes bio-embarqués d'alimentation en énergie adaptée ;
- augmenter le niveau de fiabilité des systèmes tout en les miniaturisant le plus possible.

Applications : les systèmes bio-embarqués possèdent des applications dans tous les domaines de la santé, notamment en chirurgie orthopédique, dentaire et traumatologique, en cardiovasculaire, ainsi que dans le domaine du sport et des neurosciences.

Position relative de la France : la France est plutôt en bonne position (fortes compétences dans les technologies aéronautiques, microélectroniques, biologiques et médicales).

### *Capteurs pour le suivi en temps réel*

On distingue plusieurs typologies de capteurs :

- les biocapteurs, incorporant un matériau biologique comme des enzymes ou des anticorps, des cellules ou de l'ADN ;
- les capteurs basés sur un signal électrique (capteurs chimiques potentiométriques, capteurs à polymère conducteur, etc.) ;
- les capteurs basés sur une interaction avec des ondes électromagnétiques ;

- les capteurs basés sur une interaction avec des ondes ultrasonores ;
- les capteurs basés sur des variations de fréquence, ou impliquant des agents sélectifs ;
- les capteurs basés sur des technologies MEMS / MOEMS et NEMS / NOEMS (systèmes respectivement micro et nano-électromécaniques).

Applications en santé : les capteurs pour le suivi en temps réel trouvent des applications majeures en télésurveillance

Position de la France : la recherche sur les capteurs en santé, et notamment en télémédecine, est particulièrement poussée aux États-Unis... la France possède des acteurs phares tels que ST Microelectronics et des compétences académiques fortes.

### *Technologies de diagnostic rapide*

On distingue plusieurs types de systèmes pour le diagnostic rapide :

- des tests ayant pour support des bandelettes basées sur des membranes, nécessitant une seule goutte d'échantillon ;
- des tests moléculaires ;
- des tests basés sur des technologies « compact disc » ;
- des dispositifs microfluidiques, décrits comme des laboratoires sur puce, permettant d'intégrer, sur une surface de quelques centimètres carrés, l'ensemble des volumineux appareils d'analyse biologique ;
- la PCR temps réel (réaction de polymérisation en chaîne) qui permet en temps réel d'amplifier in vitro une séquence génomique spécifique de la présence de la cible recherchée et de détecter simultanément « en temps réel » l'apparition des séquences amplifiées.

Applications : de nombreuses pathologies et situations cliniques sont concernées : infections, maladies cardiovasculaires, situations d'urgence, soins intensifs, etc. Par ailleurs, le diagnostic rapide permet de prendre en charge rapidement un blessé ou une personne malade lors de son évacuation.

Position relative de la France : la France dispose de fortes compétences académiques et d'environ 200 entreprises, des start-up et des PME travaillant sur la convergence de la biologie, des biomatériaux, de la microélectronique et des nanotechnologies.

### *Technologies pour l'imagerie du vivant*

Les enjeux de l'imagerie du vivant sont particulièrement importants en santé. L'imagerie fonctionnelle du cerveau permet par exemple d'améliorer la cartographie des fonctions cérébrales. L'imagerie permet également de mieux comprendre les anomalies de développement et de dysfonctionnement mais aussi de réaliser un suivi de l'efficacité thérapeutique du traitement.

Par ailleurs, l'imagerie du vivant constitue un outil de choix dans le développement de molécules, biomarqueurs et produits, pour comprendre les mécanismes biologiques en jeu.

Position relative de la France : forte compétence mais sur le plan industriel, le marché mondial est verrouillé par les trois géants que sont Siemens, Philips et General Electric. Un espoir... En France, SuperSonic Imagine est aujourd'hui la seule entreprise au monde à proposer un appareil d'imagerie multi-ondes, utilisé en cancérologie.

## **Annexe 13 : AVIESAN, Institut thématique multi-organismes : Technologies pour la santé, orientations stratégiques**

**Décembre 2011**

Un état des lieux a été effectué dans 5 domaines : imagerie, chirurgie et techniques interventionnelles, biotechnologies et bio-ingénierie, médicament et e-santé.

Cet état des lieux comprend : le nombre de chercheurs enseignants chercheurs et le nombre de techniciens/ingénieurs, la taille et le nombre des unités de recherche, leur répartition géographique, leur appartenance aux différents organismes de recherche (CNRS, INSERM, CEA, INRA, Curie...), les publications, les formations.

En ce qui concerne les publications des unités dans le domaine des technologies pour la santé, pour les années 2006-2007, selon les « Top 1% WOS » représentant les publications de la France dans le premier percentile du corpus mondial, on compte 28 publications en biotechnologie, 39 en chirurgie, 77 en imagerie et 108 pour le médicament, soit 230 publications sans doublon sur un total de 9294 publications françaises sur cette période.

### ***Domaine de l'imagerie***

3 sous-domaines sont distingués : l'imagerie anatomique ou morphologique, l'imagerie fonctionnelle (pour visualiser la fonction des organes) et l'imagerie interventionnelle qui aide à une intervention chirurgicale ou radiothérapeutique.

Les futurs développements passent par exemple, par l'amélioration des détecteurs pour augmenter la sensibilité et les résolutions spatiale et temporelle de l'imagerie, le développement de l'imagerie endoscopique, le développement de sondes chimiques (organiques et inorganiques) ou des sondes moléculaires pour observer un échantillon en utilisant différentes modalités d'imagerie.

En France, des structures d'excellence existent :

- dans le domaine du développement des détecteurs et de l'imagerie moléculaire (instituts CNRS : IN2P3 et INST2I ; instituts CEA : I<sup>2</sup>BM, LETI, IRFU + l'ESPCI) et des PME (Biospace, Mauna Kea Technologies, Supersonic Imagine, Trixel, ...) en partenariat avec les grands groupes industriels.
- dans les domaines de la modélisation et de l'analyse des signaux, des données et des images (Inria, Institut Telecom, CNRS, CEA, Universités).

### ***Domaine des biotechnologies et bioingénierie***

Le domaine est vaste et s'étend des biomatériaux aux biomarqueurs pour la médecine préventive et la médecine personnalisée, des bioprocédés (catalyseurs biologiques pour transformer une matière première chimique ou biologique en produits possédant les qualités d'usage requises) à l'intégration des nanotechnologies.

En France, le domaine des dispositifs implantés connectés à la bioingénierie est fortement compétitif.

Les laboratoires dans le domaine des micro-nanotechnologies pour le diagnostic sont de compétitivité internationale. Par rapport aux autres biotechnologies, il existe une bonne valorisation (création de start-up) dans le domaine des dispositifs médicaux à l'interface avec la chirurgie et l'aide au patient. Mais ceci est contrebalancé par le nombre insuffisant de dépôts de brevets associés à des licences et à des créations d'entreprise dans le domaine biotechnologique. Le manque d'interaction entre les structures de valorisation des organismes de recherche mais aussi l'incapacité des structures d'évaluation à prendre en compte les travaux d'innovation technologique et la valorisation peuvent expliquer cette insuffisance. Il serait donc nécessaire selon les auteurs du rapport

d'augmenter la valorisation et la collaboration industrielle pour soutenir un développement important des entreprises de biotechnologie françaises.

### ***Domaine du médicament***

Ce domaine regroupe les technologies pour notamment produire des médicaments personnalisés. Il existe en France des domaines d'excellence : chimie médicinale, modélisation chémo-informatique, la recherche et le ciblage de composés biologiquement actifs, la délivrance et le ciblage du médicament, le métabolisme et le transport, la pharmacogénétique, les essais cliniques.

De plus, le monde académique français est en bonne position au niveau européen et mondial pour la mise en commun de larges collections des produits du patrimoine des laboratoires à des fins de criblage grâce à une convention nationale regroupant près de trente institutions.

### ***Domaine de la chirurgie, des techniques interventionnelles et assistance au patient et à la personne***

Cette thématique couvre les technologies chirurgicales incluant la simulation, la navigation, la comanipulation et la télé opération, les instruments, les accessoires et appareillages associés, mais également la radiologie interventionnelle, la radiothérapie, les dispositifs implantables, les dispositifs de suppléance fonctionnelle, les prothèses et orthèses, et aussi la rééducation et l'assistance aux personnes âgées ou handicapées.

Les défis technologiques concernent principalement les techniques chirurgicales et interventionnelles, la radiothérapie, les dispositifs médicaux implantables actifs (DMIA), l'assistance à la personne (systèmes d'assistance ergonomiques peu encombrants).

Les domaines d'excellence sont nombreux avec par exemple le développement des premiers stents coronaires (Toulouse), le traitement de la maladie de Parkinson et du tremblement par stimulation électrique cérébrale profonde (Université Joseph-Fourier/CHU Grenoble/Inserm), la chirurgie robotisée à distance et chirurgie mini invasive sans cicatrice (IRCAD/CHU Strasbourg), la conception à Grenoble (TIMC-Imag) de dispositifs de GMCAO (robots et systèmes de navigation) mis en œuvre sur plusieurs dizaines de milliers de patients...

De plus, la France voit se développer des PME de taille critique et très dynamiques positionnées sur les biocapteurs et les systèmes électroniques avec des applications santé. Ces sociétés fournissent des solutions innovantes pour les leaders internationaux des DMIA (MXM). Autres points positifs : la présence de grands acteurs industriels internationaux sur le territoire, un partenariat industriel (PME locales, MXM et Vivaltis) assurant un transfert de technologie efficace, etc.

Mais il existe des points de faiblesse : un positionnement du tissu industriel français exclusivement sur quelques briques technologiques et qui n'intègre pas l'ensemble du système de GMCAO contrairement à ce que font les leaders mondiaux, l'absence d'acteurs industriels en robotique intéressés par les applications médicales,...

### ***E-santé***

L'e-santé est l'application à la santé des technologies de l'information et de la communication, ce qui regroupe l'ensemble des systèmes d'information dans le domaine de la santé (incluant le champ d'exploitation des données collectées) et la télésanté.

Les défis sont multiples : aider à la décision médicale et à l'augmentation de la qualité des soins, exploiter au mieux les systèmes d'information, favoriser le partage de l'information, faciliter l'accès des patients au diagnostic et aux soins, offrir des solutions économiquement viables aux questions liées au vieillissement de la population, à la dépendance et au maintien de l'autonomie, etc.

Des discussions portent sur le Dossier Patient Informatisé, la connexion des bases de données nationales d'origine médico-administrative avec les bases de données issues de la recherche...



La télésanté est en elle-même un très vaste domaine avec le développement de biocapteurs, l'analyse des signaux et leur stockage, l'imagerie médicale et la robotique. Tous ces éléments vont dans le sens d'une santé personnalisée.

En France, il existe des petites et très petites entreprises, dynamiques mais en nombre insuffisant.

« Le déploiement de solutions d'E-Santé dépend essentiellement de la capacité de notre système de santé et de notre organisation médico-sociale actuelle à se réformer et à évoluer vers une prise en charge des questions de santé de façon décentralisée. Par ailleurs ces mêmes solutions ne pourront être déployées que si la réglementation évolue dans le sens d'une prise en charge de ce type de dépense. »

Sur plusieurs thèmes, le rapport souligne le manque de coordination entre les acteurs académiques, l'absence de coordination scientifique nationale conduisant à des recherches redondantes, de même que la faiblesse de la coordination entre structures en charge de la valorisation. Un autre point faible fréquent est l'absence d'acteurs industriels français de niveau international.

#### *Principales recommandations organisationnelles*

- Assurer une meilleure coordination des recherches
- Accroître l'efficacité du transfert depuis la recherche fondamentale vers la recherche clinique
- Améliorer l'accès, la gestion et l'interconnexion des plateformes
- Amplifier l'offre de formation multidisciplinaire et promouvoir une meilleure reconnaissance des métiers des technologies pour la santé

#### *Principales recommandations opérationnelles*

- Engager, au niveau national, une réflexion sur le mode de gestion et de fonctionnement des grandes plateformes d'imagerie
- Créer un groupe de travail chargé de recenser l'ensemble des candidats "agents d'imagerie" sur lesquels travaillent les équipes
- Mettre en place une interface entre cohortes de patients et nouveaux outils technologiques en prenant exemple sur ce qui se fait notamment en Suède et en Hollande
- Contribuer à la mise en place de formations initiales dans le domaine des biotechnologies émergentes
- Créer un « atelier » du médicament dont la mission serait de promouvoir auprès des communautés académique et industrielle, les technologies et savoir-faire les plus innovants et compétitifs pour la conception de candidats médicaments et leur promotion vers le développement clinique de Phase I/II
- Consolider l'état des lieux de la recherche chirurgicale et proposer des moyens permettant de mieux la structurer au sein du tissu hospitalier et universitaire pour améliorer sa visibilité
- Définir de nouveaux programmes de formations multidisciplinaires et interuniversitaires (ingénieur, médecin, biologiste) sur le long terme avec des bourses d'études spécialement dédiées et favoriser la diffusion des techniques actuelles par le biais de formations continues.

## Annexe 14 : Articles de synthèse parus dans « Science et Santé », INSERM, entre 2011 et 2014

### *Médecine personnalisée- Les promesses du sur-mesure, mai-juin 2013*

La médecine personnalisée grâce au séquençage automatique de l'ADN de chaque patient va-t-elle devenir une réalité ? A partir de notre génome, il est possible d'identifier les prédispositions à certaines maladies et les indices permettant d'affiner un pronostic ou de développer des thérapies ciblées. De nombreux exemples existent déjà.

Les premiers pas ont consisté à caractériser les prédispositions génétiques de certains patients afin d'adapter la surveillance des traitements. L'exemple le plus connu est le cancer du sein lié aux gènes BRCA1 et BRCA2 mutés. Les femmes porteuses de ces gènes mutés ont un risque élevé (50%) de développer un cancer du sein. Il en est de même pour le diabète avec le gène GYS1 et son allèle AA2 dont la présence suggère une augmentation du risque de développer un diabète de type 2.

Dans le cas du diabète, certains patients développent cette maladie suite à la défection de canaux dans le pancréas empêchant la libération de l'insuline ; ce défaut est lié à des mutations du gène ABCC8. Or il existait depuis longtemps un traitement hypoglycémiant agissant sur les canaux. Ces patients, en nombre restreint certes, ont pu ainsi utiliser ce traitement hypoglycémiant sans injection d'insuline !

Un autre exemple est le VIH où la sensibilité au traitement varie selon l'allèle HLA-B\*5701 : les patients porteurs de cet allèle ont un risque plus élevé d'intolérance au traitement par abacavir. En conséquence, avant de prescrire ce traitement, un test génétique doit être effectué.

Ainsi la médecine personnalisée se développe mais il faut remarquer que les gènes impliqués dans les maladies ou les thérapeutiques ne sont repérables que chez très peu de patients ; la vaste majorité des patients sont encore sous des thérapeutiques ou des préventions de pathologies standardisées.

Actuellement, l'objectif reste la détection des cancers.

L'utilité de la médecine spécialisée grâce au séquençage de l'ADN s'observe à différents niveaux :

- Au niveau de l'efficacité thérapeutique

Dans le cas du cancer du sein, a été trouvé un lien entre la résistance au traitement et une surexpression du gène HER2. Le traitement proposé est une molécule qui agit directement sur les récepteurs HER2 des cellules cancéreuses. Dans le cas de cancers colorectaux, l'analyse génomique des tumeurs permet de prédire leur réponse à certains traitements (gène KRAS dont la mutation réduit l'efficacité d'une molécule ciblant un facteur de croissance) ; comme cette mutation est fréquente, il est donc nécessaire maintenant de la détecter avant de traiter... pour rien !

- Au niveau de la découverte de nouveaux traitements

Dans le cas des leucémies myéloïdes chroniques et les leucémies aiguës lymphoblastiques avec mutation des gènes BCR et ABL qui occasionne un dérèglement de la tyrosine kinase régulant la division cellulaire, un médicament interagissant spécifiquement avec l'enzyme a permis de guérir les patients atteints.

- Au niveau des biomarqueurs

Des biomarqueurs non invasifs permettent de suivre l'efficacité du traitement, comme les cellules tumorales circulantes, signes de métastases à venir, ou l'ADN tumoral circulant pour suivre l'évolution de la maladie. Il s'agit d'un premier bilan prometteur mais il ne touche qu'un nombre restreint de malades. Dans l'avenir, tout ne sera pas génétique ! Les facteurs d'hygiène de vie restent essentiels. Ensuite les tests donnent des probabilités de développer une maladie, non un diagnostic. Et un point noir émerge : au moment où le coût de la santé augmente année après année et dépasse

les possibilités financières des pays, ces tests et thérapies ciblées ont un coût de développement important. Il faut que le coût des tests permettant de détecter les cancers soit peu onéreux quand on l'applique à toute une population... Il est probable que des choix de prise en charge devront être faits.

#### *Les nanotechnologies, mars-avril 2012*

Les applications de ces technologies au domaine de la santé sont nombreuses et offrent de grandes potentialités :

- A visée diagnostique : des diagnostics in vitro sont réalisés grâce à des labopuces pas plus grosses qu'un quart de timbre-poste et capables grâce à la PCR miniaturisée de détecter des brins d'ADN viral par exemple, comme ce fut le cas lors de l'épidémie de grippe aviaire quand il fallut tester des dizaines d'échantillons très vite.
- Ces technologies sont aussi utilisées dans ce qu'on appelle l'imagerie moléculaire : des objets nanoscopiques sont envoyés en « éclaireurs » dans les tissus afin qu'ils s'attachent aux molécules recherchées (par exemple des protéines tumorales) et permettent de les visualiser, par fluorescence par exemple. Cela peut permettre de guider le geste du chirurgien lors de l'ablation de petites tumeurs.
- A visée thérapeutique : transport de traitements ciblés. Une protéine, l'albumine, contient un agent anti-cancéreux, paclitaxel, et devient un 'nanovéhicule' capable de détruire sa cible, la cellule tumorale du sein métastatique. C'est un exemple emblématique de la thérapeutique par les nanotechnologies. Il existe 27 nanomédicaments anticancéreux actuellement. Les liposomes sont les vecteurs de choix car ils sont capables de véhiculer un médicament en l'encapsulant.
- Implantation d'objets miniaturisés : neuroprothèses lors d'handicap moteur ou sensoriel en cours d'étude, avec neurostimulation... On peut imaginer également des micro-pompes implantées capables de délivrer des médicaments (dans le diabète, sur des sites des tumeurs inopérables...).

Sur le plan général, la toxicité des nanoparticules est insuffisamment connue, et l'évaluation des risques est parcellaire.

La répartition des brevets en nanomédecine est largement dominée par les USA avec 51% des brevets (contre 9% en France). Les études ciblent surtout les nanomédicaments pour lutter contre les cellules cancéreuses.

#### *L'imagerie médicale, une révolution continue, janvier-février 2014*

Les innovations en imagerie sont nombreuses. Elles sont soit en cours d'application médicale soit encore dans le domaine de la recherche. Quelques-unes sont citées :

- La technologie EOS permet de réaliser à la fois des radiographies de face et de profil, des pieds à la tête afin d'obtenir une image en 3D, utile à la chirurgie orthopédique.
- Une équipe lyonnaise met au point des techniques de tomographie X à l'échelle nanométrique, en faisant appel au rayonnement issu du synchrotron. Les images obtenues ont une meilleure résolution et les radiations sont moindres. Ces travaux ont permis d'explorer le réseau de lacunes et de canaux du tissu osseux.
- L'imagerie fonctionnelle par ultrasons permet de réaliser une image du cerveau entier en fonctionnement avec une grande résolution ; son application pourrait être utile par exemple chez les enfants prématurés.
- Les radioéléments peuvent être fixés sur des nanobodies (anticorps très petits) reconnaissant par exemple une molécule d'adhésion présente sur les cellules de la paroi des vaisseaux et

surexprimée dans les plaques d'athérome. La visualisation de ces plaques grâce au marquage radioactif serait possible.

- En IRM, une technique permet de s'affranchir des mouvements physiologiques, comme la respiration, donnant des images plus nettes.
- La magnétoencéphalographie repose sur la mesure du champ magnétique induit par les courants post-synaptiques des neurones activés ; ces applications seraient surtout pour le moment concentrées sur l'épilepsie.
- Le recours à de nouvelles molécules de ciblage spécifiques des tissus à étudier constitue une autre source de progrès, comme les aptamères, des oligonucléotides que l'on peut synthétiser sur commande. Ce nouveau type de ligands présente des propriétés d'affinité comparables à celles des anticorps. Marqués par une molécule fluorescente, ce sont de possibles agents de ciblage pour l'imagerie optique. Par exemple, deux aptamères ciblent des protéines surexprimées à la surface de plusieurs cellules cancéreuses de différentes origines.

### *Greffe – L'homme réparé, novembre-décembre 2011*

De grands progrès ont été réalisés dernièrement. Par exemple aux USA, après avoir induit une tolérance via l'injection de cellules immunitaires du donneur, 8 greffés sur 12 ont pu arrêter leur traitement anti-rejet. C'est une avancée d'autant plus importante que les immunosuppresseurs utilisés pour l'implantation du greffon dans l'hôte induisent des infections et augmentent le risque de cancer chez les patients greffés.

Le grand problème de la greffe est le manque de greffon, et cela quelque soit l'organe à greffer.

En cardiologie où la greffe représente le traitement de l'insuffisance cardiaque, des recherches portent sur les thérapies cellulaires cardiaques qui consisteraient à injecter de nouvelles cellules musculaires dans les zones 'mortes' du myocarde. Pour cela, les meilleures cellules sont les cellules embryonnaires humaines qui ont la capacité de se transformer en cellules myocardiques. Une autre piste : la mise au point de cœurs artificiels.

D'autres pistes sont explorées pour les autres organes, comme :

- les nouveaux implants cochléaires insérés directement dans le tronc cérébral ;
- une paire de lunettes munie d'une caméra, qui transmet des images à un capteur situé à la surface de l'œil, qui, lui-même, envoie ces informations à une prothèse nantie de 60 électrodes, posée sur la rétine. L'implant stimule alors les neurones rétinien pour recouvrer une forme de vision ;
- la pompe à insuline pour remplacer le pancréas défaillant : les besoins en insuline, mesurés par capteur, sont dispensés par la pompe, via une canule, directement sous la peau ;
- une prothèse de la main bionique : des électrodes attachées aux muscles de l'avant-bras récupèrent les signaux nerveux générés par les nerfs, reflètent des intentions de mouvements de la main. Un microprocesseur les traduit pour qu'une prothèse prenne le relais pour les réaliser ;
- un exosquelette capable d'amplifier les mouvements du corps. Lorsqu'un membre bouge, un capteur posé sur la peau le détecte et commande à la prothèse externe sur laquelle il est fixé d'accompagner le mouvement, chez les personnes dont les commandes motrices sont affectées.

Pour les cancers touchant les cellules sanguines, les thérapies cellulaires ont ouvert d'importantes perspectives, en greffant des cellules souches saines (auto-greffes, allo-greffes). Et d'autres applications de ces thérapies devraient émerger.

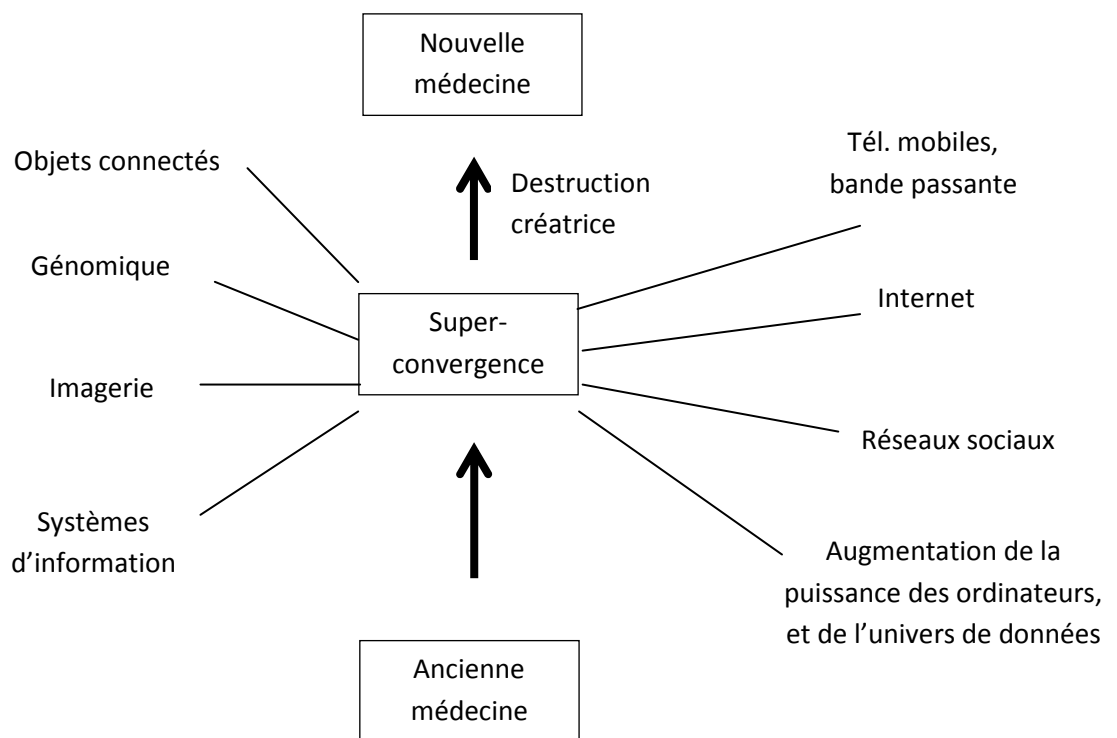
On doit aussi souligner dans ces domaines l'importance des questions éthiques, notamment dans la levée des freins au prélèvement des greffons.

## Annexe 15: The creative destruction of medicine, Dr. Eric Topol, 2012

L'auteur est cardiologue, exerçant dans la Clinique Scripps et est professeur sur le génome à l'Institut de Recherche Scripps. Il a écrit de nombreux articles et livres sur la cardiologie à l'intention des médecins.

« Les médecins prescrivent des traitements qu'ils connaissent mal, pour soigner des maladies qu'ils connaissent encore plus mal, à des organismes humains auxquels ils ne comprennent rien » (Voltaire)

Le titre de l'ouvrage comme l'introduction se réfèrent à l'analyse de Schumpeter, le terme de destruction créatrice reflétant la transformation qui accompagne une innovation radicale. Et l'auteur voit dans la révolution numérique en cours un tel mouvement d'innovation, qui va toucher le secteur de la santé, pour le moment épargné (tant le secteur semble conservateur !). Cette révolution passera par les consommateurs s'ils se saisissent de cette occasion. Un autre facteur devant accélérer ce processus est la numérisation de l'humain, à travers la génomique, le recueil en continu de paramètres physiologiques (actuellement par des objets connectés, mais bientôt par des nanocapteurs à l'intérieur du corps), l'imagerie 3D... devant conduire à une médecine personnalisée, une médecine de l'individu et non de la population, y compris dans le domaine de la prévention.



En face, pour le moment, il y a une médecine sclérosée, avec paiement à l'acte, recommandations de bonnes pratiques basées sur la population moyenne, dépistages et traitements s'appliquant à tous de la même façon alors qu'il faudrait les adapter aux individus ; du coup, il y a surutilisation évidente ; on est dans une médecine imprécise.

Pour entrer dans le sujet, en effet, l'auteur souligne l'inadaptation des prises en charge et thérapeutiques actuelles, avec quelques exemples :

- médicaments pris en prévention, aux coûts élevés et dont les effets ne sont manifestes que pour une petite proportion de personnes. Par exemple les statines : sur 100 patients (sans antécédent) traités, seuls 1 ou 2 éviteront un accident cardiaque, alors pourquoi en donner à tout le monde ? (surtout que, pour quelques-uns, cela va enclencher un diabète...). Tout cela parce que les études prennent souvent comme objectif la baisse de LDL cholestérol, pas le taux d'accidents cardiaques.

Autre exemple : le Plavix, anti-coagulant comparé à l'aspirine... de même, 2 patients sur 100 bénéficient du traitement. Tous les patients ne répondent pas de la même façon, en fonction du métabolisme de Plavix dans le foie ; une analyse du gène concerné permet de savoir qui répondra le mieux (c'est le problème du principe « même dose pour tout le monde » !).

- efficacité comparée de la destruction d'un caillot dans l'infarctus du myocarde par deux types de médicaments : la streptokinase et le t-pA (tissue-plasminogen activator), beaucoup plus coûteux ; ce dernier sauve un patient sur 100 de mieux que la streptokinase. Et on ne sait pas pourquoi, on ne sait pas encore déterminer quels patients en bénéficient le plus.
- prévention des cancers après 50 ans : détection du cancer de la prostate par PSA (mauvais marqueur : nombreux faux positifs), cancer du sein (mammographie), cancer de l'intestin (coloscopie tous les 5 ans) pour TOUS ! Alors que la mammographie donne des faux positifs (environ 10%), impliquant biopsie, IRM... Avec un taux non nul (de 1 à 5 pour 1000) de surdiagnostic et de thérapeutiques agressives qui s'ensuivent et qui ne seraient pas nécessaires.
- questionnement sur le sérieux des évaluations : face à une statine (ezetemibe) dont l'efficacité est douteuse et qui a montré par ailleurs qu'elle augmentait le risque de développer le cancer, l'American College of Cardiology et l'American Heart Association (recevant toutes les deux de l'argent des industriels) ont déclaré que cette molécule était valable !
- stents (record : 67 stents posés sur un patient en 10 ans !) posés d'une manière excessive. Pour 1000 personnes, il y a 437 stents posés contre 192 en France. Qui a raison ? « La différence ne peut pas être simplement liée à la moindre consommation de vin rouge français ».
- sur le plan du comportement des consommateurs, on assiste à une ruée sur des traitements non évalués, en accès libre (vitamine E, omega 3...) ou des procédures interventionnelles non valables (exemple dans la SEP : dilatation des veines du cou).

Comment se sortir de ces mauvaises pratiques ? Le but étant d'arriver à une situation où on aurait le bon médicament, à la bonne dose, pour le bon patient, prescrit par le bon médecin, à un coût raisonnable...

Dans cette affaire, les capacités et connaissances du consommateur sont importantes de sorte qu'il puisse choisir de façon éclairée son traitement : enjeu de l'information de qualité, notamment sur le web et dans les réseaux sociaux, dont certains sont spécialisés dans la santé (ex : « PatientsLikeMe »). Sans compter le rôle des classements des hôpitaux.

### *La clé du changement : le recueil des données, l'accès à l'information*

#### ***Recueil des données physiologiques, objets connectés***

Des données au plus près des patients :

- Possibilité de recueillir des données par internet, mail, téléphone par exemple pour les hypertendus ; est citée aussi la balance Withings fonctionnant en wifi.
- Exemple déjà connu des pacemakers et défibrillateurs implantables : surveillance à distance.
- Monitoring en continu pour les diabétiques : avec une aiguille sous la peau de l'abdomen dosant le glucose et envoyant les données toutes les 5 minutes, pendant 3 à 7 jours pour contrôler le glucose et mieux le réguler, surtout pour le diabète insulino-dépendant. C'est une étape vers le pancréas artificiel.
- Troubles du rythme cardiaque : Holter connu depuis des décennies, et maintenant « iRhythm » : patch qui envoie les données au patient par mail, renvoyé au médecin pour interprétation.
- Signes vitaux : par exemple en obstétrique (« Airstrip ») donnant les signes de contraction utérine et le pouls du fœtus par smartphone en temps réel. Autre application avec le smartphone : télémonitoring de la pression artérielle comme en soins intensifs.

- Asthme : suivi à distance de l'utilisation de l'inhalateur ; patch pour détecter les pollens ; monitoring des signes vitaux pour détecter la réaction des bronches afin de prévenir une crise.
- Diagnostic de l'apnée du sommeil : suivi du sommeil à domicile plutôt qu'au laboratoire hospitalier.
- Pour les troubles dépressifs, il existe des applications pour détecter la tonalité de la voix au téléphone, qui caractérise l'humeur du patient.
- Autres exemples de systèmes de recueil à distance : épilepsie, glaucome, maladie de Parkinson...  
Ces capteurs peuvent être intégrés au smartphone. Ils peuvent aussi contrôler la santé d'un conducteur (analyse du rythme cardiaque, du taux de glucose, du taux d'alcool dans l'haleine...).

Quels sont les objectifs du recueil de ces données à distance ?

- fixer les patients chez eux : concept de « smart medical home », surtout pour les personnes âgées, avec système de détection des chutes, etc. Enjeu de compatibilité technique entre les différents dispositifs de recueil.
- améliorer l'observance : appels par téléphone ou SMS, jusqu'au patch cutané contenant le médicament et le délivrant via un message d'activation à distance ; ou encore capteur intégré à chaque pilule s'activant lors du passage dans l'estomac et envoyant un message à un patch cutané puis au smartphone ; ou la « iPill » qui peut être activée à distance pour délivrer le médicament à un certain endroit du tractus gastro-intestinal.
- faciliter la consultation virtuelle du médecin, en substitution à la consultation en face à face : à New York ou San Francisco, un système a été mis en place pour que les patients puissent échanger avec leur médecin par mail, SMS, vidéo ; la consultation face à face n'a lieu que moins d'une fois par an.

### ***Séquençage du génome des patients***

Trois intérêts sont évoqués :

- Diagnostic des maladies monogéniques, ouvrant des perspectives de traitement (exemple de la mucoviscidose provoquée par une mutation précise et pour laquelle est développé un traitement ciblé)
- Facteurs de susceptibilité de maladies : important pour le cas de maladies transmissibles à ses enfants ; ou pour mettre en place des mesures de prévention et de surveillance pour éviter ou retarder la réalisation du risque. Dans ce cas, le séquençage permet d'effectuer une prévention ciblée.
- Les critiques portent sur les corrélations existantes entre le risque de développer un cancer (ou autre affection) et la présence de tel ou tel gène. Il y a un manque de consensus bien souvent. Mais il est devenu clair que le cancer est moins une maladie d'un organe qu'une affection touchant le génome et les voies métaboliques.
- Se posent cependant des problèmes d'interprétation des données : qui le fait ? quel accès pour le patient ?...
- Pharmacogénomique : en fonction du profil génétique, identification des répondants et des non répondants, adaptation de la posologie... permettant la réalisation d'économies (contrairement à la « médecine de masse ») et la diminution des effets secondaires.

En effet, des molécules anticancéreuses ne sont efficaces que chez certains patients portant un gène particulier ; pour les autres patients, ce traitement est inutile et... onéreux, sans parler des effets secondaires.

Dans le cas des traitements anticancéreux, on s'oriente vers le séquençage de l'ensemble de l'exome (=gènes exprimés) pour cibler les traitements.

Puis suivent les analyses du transcriptome (ARN transcrits), l'épigénomique (expression différentielle de l'ADN en fonction des cellules) et le microbiome (flore intestinale) qui apparaît avoir un rôle important dans le métabolisme, dans l'obésité...

### **Anatomie : de l'imagerie 3D à « l'impression » d'organes**

- Les examens avec radiations ionisantes impliquent une exposition aux radiations (notamment scanner) et ne peuvent être utilisés en prévention, d'autant que le coût est important
- RMN et autres imagerie... devenues si performantes que certains pensent imprimer des organes en 3D ! Dans un futur lointain... car il n'y a pas que la forme de l'organe à imprimer, il faut que l'organe fonctionne réellement.

### **Dossier médical électronique et système d'information de santé**

- Devraient permettre d'améliorer l'efficacité des traitements et de diminuer les erreurs médicales.
- Inclure les données dans un nuage ? Deux questions se posent alors :
  - les données resteraient-elles privées et sécurisées ?
  - le volume de ces données de patients va rapidement devenir gigantesque.

### **Convergence des données**

Rôle central du Smartphone, avec plusieurs combinaisons possibles :

- combinaison objets connectés/génomique : mise en place d'un nanocapteur pour ceux dont le génome a montré des prédispositions aux crises cardiaques ; autres types d'application en oncologie (détection d'ADN ou de cellules cancéreuses dans le sang pour ceux qui sont prédisposés à ce type de maladie), pour surveiller le rejet de greffe, pour surveiller le diabète de type I, l'asthme, etc.
- combinaison génomique/développement de médicaments, via par exemple les cellules souches : elles peuvent se différencier en cellules d'organe à étudier ; s'il existe une anomalie visualisée in vitro, celle-ci pourrait être testée vis-à-vis d'un médicament, d'où choix d'un médicament approprié.
- la « peau électronique » : une puce électronique insérée dans la peau permet de mesurer différents indicateurs (rythme cardiaque, etc.)
- diagnostic d'anomalie génétique en pré-natalité en séquençant le génome en prénatal.

### **Quel avenir pour la médecine ?**

#### **La place des médecins**

Les médecins ont du mal à s'adapter (en général !) ; il faudrait donc lever de nombreux obstacles : changer la formation initiale et la formation continue en donnant une large place au numérique (avec des webinaires, etc.), s'intéresser à la démographie médicale (orientation vers le travail en équipes), à la manière de payer les médecins (le paiement à l'acte est un puissant frein aux évolutions), diffuser des données comparatives d'évaluation à destination des consommateurs, faire évoluer la consultation médicale (la moitié des consultations en face à face serait inutile) vers des consultations de support avec email sécurisé, SMS, réseaux sociaux (qui constituent aussi un outil de coordination des soins entre professionnels), etc. et en développant la télémédecine (« skype »...) ; il existe déjà des nouveaux modèles comme « Hello Health » avec des consultations via vidéo sur le net (on paye un droit d'entrée plus 100 à 200\$ par heure en ligne), ou « One medical group » constitué d'un



groupe de médecins encourageant l'utilisation de l'email et du téléphone sur abonnement (200\$ par an).

Il se posera toutefois des problèmes de responsabilité médicale, à résoudre.

### **Les industries de la santé (essentiellement l'industrie pharmaceutique)**

En difficulté à cause du développement des génériques, de la diminution du nombre de nouvelles molécules mises sur le marché et de l'augmentation des coûts de la R&D.

Trois évolutions sont discutées :

- La wikimédecine : pour les études cliniques, pour les collaborations de recherche entre l'université et les industriels, avec une plus grande transparence, une diminution du coût des études (en ciblant mieux les patients, en pouvant travailler sur de petits échantillons).
- Le modèle de garantie de résultat : devant le coût de plus en plus élevé des traitements, on peut demander de payer au résultat. Et cela est rendu possible avec l'adaptation des traitements en fonction du génome, la diffusion de capteurs, la précision de l'imagerie, etc. surtout dans les maladies fréquentes comme l'HTA, le diabète, le cancer, l'Alzheimer. Il devient possible de mesurer l'effet d'un traitement.

Ces techniques sont aussi précieuses pour une pharmacovigilance réactive (*cf.* apport de Google dans la détermination du début de l'épidémie grippale...).

Elles peuvent aussi permettre d'améliorer l'observance.

- Nouvelles méthodes de marketing et de ventes basées sur le numérique : utilisation de réseaux sociaux ; être au plus près de la prescription et de ses effets.

### **En conclusion**

Les conséquences des nouvelles technologies, la « numérisation » de l'individu, la convergence des techniques pourraient permettre :

- une « vraie » prévention, avec un meilleur ciblage et une action sur la cause : *cf.* exemple du cancer du col de l'utérus et du papillomavirus contre lequel on peut vacciner ; dépistage des maladies génétiques (séquençage du génome chez le fœtus ?) ; profil pharmacogénomique.
- dans les hôpitaux : un besoin de soins hospitaliers en diminution, restreint aux soins intensifs et au monitoring (donc diminution du coût), avec transfert de la surveillance des maladies chroniques à domicile.
- on pourrait s'attendre à 50-70% des consultations remplacées par le monitoring à distance, l'enregistrement numérique des données, des appels téléphoniques, des téléconsultations.

La médecine du futur pour les patients se baserait sur 3 piliers : son génome, son téléphone mobile et les réseaux sociaux (pour échanger avec sa communauté sur sa santé, ses données, s'encourager, indiquer les traitements prometteurs, leurs effets secondaires...), le tout étant enrichi par les données physiologiques et anatomiques.

Pour accélérer les choses, pour une démocratisation de la médecine, il faudrait un mouvement actif des consommateurs, pour contrer le conservatisme du corps médical et des institutions, pour refuser la médecine de masse.

Quelques difficultés des évolutions évoquées sont soulevées :

- Diminution du contact humain : les patients se satisferont-ils d'une médecine virtuelle où l'on traite un ensemble de données ? ne risque-t-on pas une dépersonnalisation des soins ?
- Le déluge de données pose plusieurs problèmes :

- problèmes de standards partagés et d'interopérabilité
- problèmes d'exploitation des données
- protection de ses données de santé, de la vie privée
- protection contre le piratage
- augmentation de la cyberchondrie ?
- problèmes éthiques :
  - par exemple sélection de gènes pour la procréation (risque d'eugénisme)
  - syndrome de « Big Brother » de la personne surveillée dans son lit 24h/24, engendrant une dépression
  - risque d'accroissement des inégalités de santé via des inégalités d'accès à ces techniques

Une autre question : est-ce qu'on pourra un jour se passer des médecins (malgré leur utilité relationnelle et psychologique pour les patients) ? Il y aura en tout cas une meilleure parité de l'information en lieu et place de l'actuelle asymétrie d'information.

# Liste des documents disponibles sur le site du HCAAM<sup>122</sup>

---

Document 1 : Rétrospective des dépenses, des progrès en matière de santé et du progrès médical (*séance du 24 septembre 2015*)

Document 2 : Les systèmes de veille en France et à l'étranger

- Mettre en place un système de veille ambitieux (*séance du 28 janvier 2016*)
- Les dispositifs de veille existants dans le monde (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 3 : L'évaluation médicoéconomique

- Mieux définir la place de l'évaluation médicoéconomique (*séance du 28 janvier 2016*)
- Quelques éléments sur le Royaume-Uni (*séance du 22 janvier 2015*)

Document 4 : Les politiques de soutien et d'aide à l'innovation dans le secteur de la santé (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 5 : La place du citoyen et du patient dans le processus d'innovation en santé (*séance du 18 décembre 2014*)

Document 6 : Ressources humaines et organisation du travail en santé : constats et conditions pour l'émergence et la généralisation des innovations organisationnelles (*contribution de Yann Bourguet, Directeur de recherche à l'IRDES, séance du 23 avril 2015*)

Document 7 : Un cadre favorable à la transformation des organisations (*séance du 22 octobre 2015*)

Document 8 : L'organisation de parcours de soins : l'apport des expériences étrangères pour passer du concept aux actions (*contribution de David Bernstein, séance du 22 octobre 2015*)

Document 9 : Personnes âgées, état de santé et dépendance : quelques données statistiques (*séance du 23 avril 2015*)

- Personnes âgées et perte d'autonomie
- Santé des personnes âgées : données statistiques

Document 10 : L'hôpital demain (*séance du 28 mai 2015*)

- Perspective organisationnelle et technologique de l'hôpital (*contribution de l'EHESP*)
- Les plateaux techniques (*contribution de l'ANAP*)
- Penser l'hôpital de demain (*contribution de Gérard de Pourville, Professeur de la chaire ESSEC santé*)

Document 11 : Le numérique

- Utiliser le levier du numérique (*séance du 24 septembre 2015*)
- Le Danemark, un exemple de stratégie de déploiement des outils de télésanté et de prise en charge globale des personnes âgées (*séance du 23 avril 2015*)

Document 12 : L'administration des dispositifs médicaux (*séance du 28 janvier 2016*)

Document 13 : Les équipements lourds d'imagerie (*séance du 28 janvier 2016*)

---

<sup>122</sup> <http://www.securite-sociale.fr/L-actualite-du-HCAAM>

Document 14 : Structure de l'ONDAM et modalités de régulation (*séance du 25 février 2016*)

Document 15 : Expérimenter des modalités innovantes de financement (*séance du 25 février 2016*)



Haut Conseil pour l'avenir  
de l'assurance maladie

Créé par décret du 7 octobre 2003, pérennisé par la loi du 19 décembre 2005 de financement de la sécurité sociale pour 2006, le Haut Conseil pour l'avenir de l'assurance maladie (HCAAM) rassemble les acteurs du système d'assurance maladie et des personnalités qualifiées, et contribue à une meilleure connaissance des enjeux, du fonctionnement et des évolutions envisageables des politiques d'assurance maladie. Les travaux du HCAAM (rapports et avis), élaborés sur la base d'un programme de travail annuel et de saisines ministérielles, sont publics et peuvent être consultés sur le site Internet de la sécurité sociale.

**Dernières publications  
et actualités du HCAAM**  
[www.securite-sociale.fr/  
L-actualite-du-HCAAM](http://www.securite-sociale.fr/L-actualite-du-HCAAM)

#### Contact

[hcaam@sante.gouv.fr](mailto:hcaam@sante.gouv.fr) - 01.40.56.56.00

#### Adresse postale HCAAM

14 avenue Duquesne - 75350 PARIS 07 SP

#### Locaux HCAAM

18 place des Cinq Martyrs du Lycée Buffon  
75696 Paris cedex 14

Le HCAAM  
est membre du réseau



**FRANCE STRATÉGIE**  
ÉVALUER. ANTICIPER. DÉBATTRE. PROPOSER.