

**Table ronde n°5 :**

**LA DEFINITION DES POPULATIONS CIBLES**

**« COMMENT ANTICIPER AU MIEUX LEUR DEFINITION EN VUE DU REMBOURSEMENT ? »**

**Françoise Hamers, Michel Lièvre, Patricia Maillère**

---

En vue de leur remboursement par l'assurance maladie, la définition qualitative et quantitative des populations cibles est liée à des enjeux de santé publique et économiques importants pour les différentes parties prenantes - industrie pharmaceutique, payeurs, décideurs, agences d'évaluation, patients. Plusieurs acteurs ont exprimé leur insatisfaction à la fois sur la qualité des estimations des populations cibles ou des données permettant de les estimer, et sur le manque de transparence sur la manière dont ces informations étaient utilisées aux différents niveaux du processus décisionnel de remboursement.

Pendant nos travaux, une part importante des débats a porté sur la définition même du terme « population cible ». La constatation a été faite que ce terme englobait des populations différentes, partiellement superposables, définies par les différents acteurs à différents moments du processus depuis le développement d'un médicament jusqu'à sa mise sur le marché et son remboursement, et utilisées par les différents acteurs pour des finalités différentes. Il a également été souligné que la population cible d'un produit n'était pas fixée une fois pour toutes, mais pouvait évoluer au fil du temps en fonction de divers facteurs tels l'évolution des moyens diagnostiques, des stratégies de traitement disponibles et des recommandations. Une revue des avis de la Commission de la Transparence (CT) produits pendant l'année 2009 indique que dans 20% des cas la population pour laquelle la CT estime fondée l'inscription au remboursement, n'avait pu être estimée précisément et que dans un tiers des cas, l'estimation de la population cible avait nécessité le recours à l'avis d'expert. Par ailleurs, dans plus de 85% des cas, la population définie par l'autorisation de mise sur le marché du médicament (AMM) correspondait à la population pour laquelle la CT avait jugé le service médical rendu (SMR) par le médicament comme suffisant pour être remboursé et correspondait également à la population pour laquelle la CT avait qualifié le niveau d'amélioration du service médical rendu (ASMR). Il a également été constaté que dans la grande majorité des cas la « population cible » des médicaments n'était pas réévaluée par

la CT au moment de l'examen de la demande de réinscription au remboursement.

Nous en avons conclu que les estimations des populations pouvaient être améliorées et des propositions ont été faites en vue d'améliorer les estimations qualitatives et quantitatives des populations qui ont un impact significatif dans les discussions du remboursement. Les propositions de notre groupe réuni à Giens sont les suivantes :

- éclaircir le débat et en particulier ne plus parler de population cible mais définir la population à laquelle on s'intéresse (ex : population de l'indication, population éligible au remboursement, population à bénéfice particulier) ;
- améliorer le dialogue entre les parties prenantes pour mieux partager les objectifs, les attentes et les éléments nécessaires pour la décision ;
- produire plus de données épidémiologiques utiles à l'estimation des populations d'intérêt et mieux partager ces données (ex : soutien aux mesures du Comité stratégique des industries de santé [CSIS], portail commun de ressources en épidémiologie, favoriser la recherche dans ce domaine par le crédit impôt recherche, promouvoir la recherche méthodologique et l'utilisation des bases de la Caisse nationale d'assurance maladie des travailleurs salariés [CnamTS]) ;
- améliorer les méthodes d'estimations et notamment formaliser le recours à l'avis d'experts le cas échéant ;
- anticiper en se concentrant sur les situations nécessitant un plan d'action particulier pour l'évaluation du dossier de transparence (ex : médicaments qui se surajoutent à une stratégie thérapeutique existante, quand les données de fréquence (incidence ou prévalence) manquent, que l'épidémiologie varie rapidement ou quand le bénéfice-risque est hétérogène dans les sous-populations de l'indication).