Bulletin de veille stratégique
BULLETIN Nº 2 - MARS 2022

Avertissement : La veille stratégique vise un survol des tendances actuelles pour souligner des sujets de réflexion. Elle ne prétend pas apporter de réponse aux sujets ambitieux qu'elle aborde.

Expériences et apprentissages avec les modalités conditionnelles de remboursement

Comment s'adaptent les systèmes de santé et de services sociaux pour rembourser et implanter des innovations face à leur arrivée massive et de plus en plus accélérée? Proposées dans la littérature et par différentes parties prenantes depuis quelques décennies, l'INESSS se penche sur les **modalités conditionnelles de remboursement**.

Ce bulletin vise **à exposer des constats concernant l'utilisation de ces modalités,** en présentant :

1. **l'expérience internationale avec ces modalités**
2. **les apprentissages issus de cette expérience à ce jour**

À RETENIR

- La **majorité des pays de l'OCDE et de l'Union européenne** ont déjà mis en place des ententes de remboursement conditionnel, et les objectifs poursuivis sont surtout financiers.
- **Les données probantes sont limitées** quant à la capacité des modalités conditionnelles de remboursement à remplir leurs objectifs et différents défis limitent leur opérationnalisation.
- L'expérience internationale pointe vers **certaines bonnes pratiques pour ces modalités** : utilisation judicieuse, conception appropriée, modèle de gouvernance explicite et transparence.

À NOTER

- L'exercice se fonde principalement sur une publication de l'OCDE, pour laquelle une recension d'information a été effectuée auprès de certains pays. Le Canada n'en faisant pas partie, la prudence est de mise dans la généralisation des constats du présent bulletin de veille.
- L'Institut a publié un état des connaissances[1] en 2020 sur l'implantation conditionnelle des technologies innovantes ; celui-ci constitue un document de référence pour la présente veille.

1. Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Implantation conditionnelle des technologies innovantes. Rédigé par Geneviève Plamondon. Québec, Qc : INESSS; 2020. Disponible à : https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/Rapports/Technologies/INESSS_Implantation_technologies_innovantes_EC.pdf.

1. Expérience internationale avec les modalités conditionnelles de remboursement

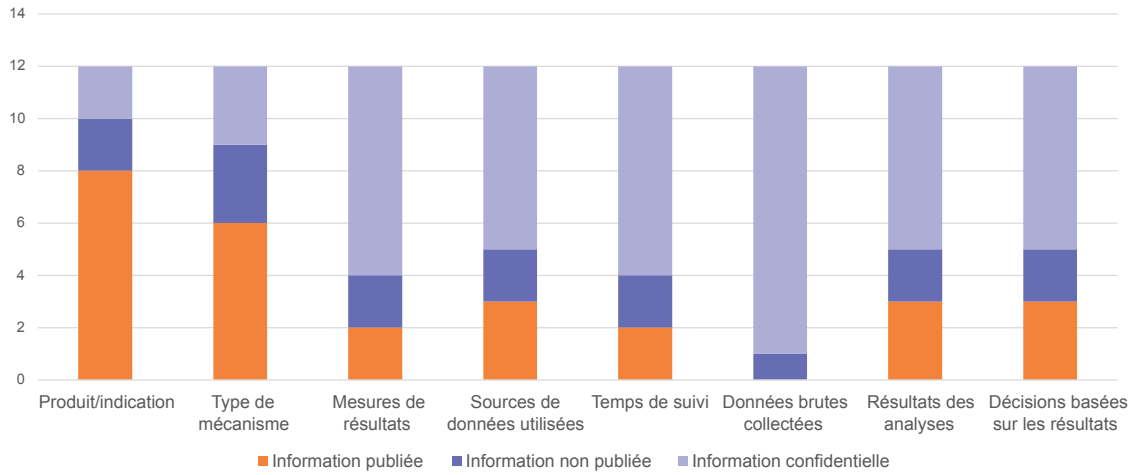
L'expérience internationale avec les modalités conditionnelles de remboursement est importante : en 2019, **environ les deux tiers des pays de l'OCDE ou de l'Union européenne avaient déjà mis en œuvre au moins une entente de remboursement conditionnel.**

L'état des connaissances[2] sur l'implantation conditionnelle des technologies innovantes réalisé par l'INESSS a permis de recenser différents programmes opérationnels au Canada et ailleurs dans le monde, et d'en dégager certains constats (voir le chapitre 6). Toutefois, comme l'INESSS l'a constaté, **les informations publiques sont limitées quant au contenu, à la mise en œuvre et aux résultats des différentes ententes.**

Des entrevues auprès d'experts de **12 pays de l'OCDE** confirment cette situation et indiquent qu'au-delà du produit et du type d'entente, la grande majorité des informations demeurent confidentielles ou non publiées. Il apparait toutefois que ces pays seraient généralement intéressés à obtenir ces mêmes informations des autres pays [Wenzl et Chapman, 2019].

FIGURE 1 – DISPONIBILITÉ DE L'INFORMATION RELATIVE AUX MÉCANISMES BASÉS SUR LA PERFORMANCE

Nombre de pays pour lesquels l'information est publiée, non publiée et confidentielle, sur la base d'entrevues avec des experts de 12 pays de l'OCDE qui utilisent des mécanismes basés sur la performance.

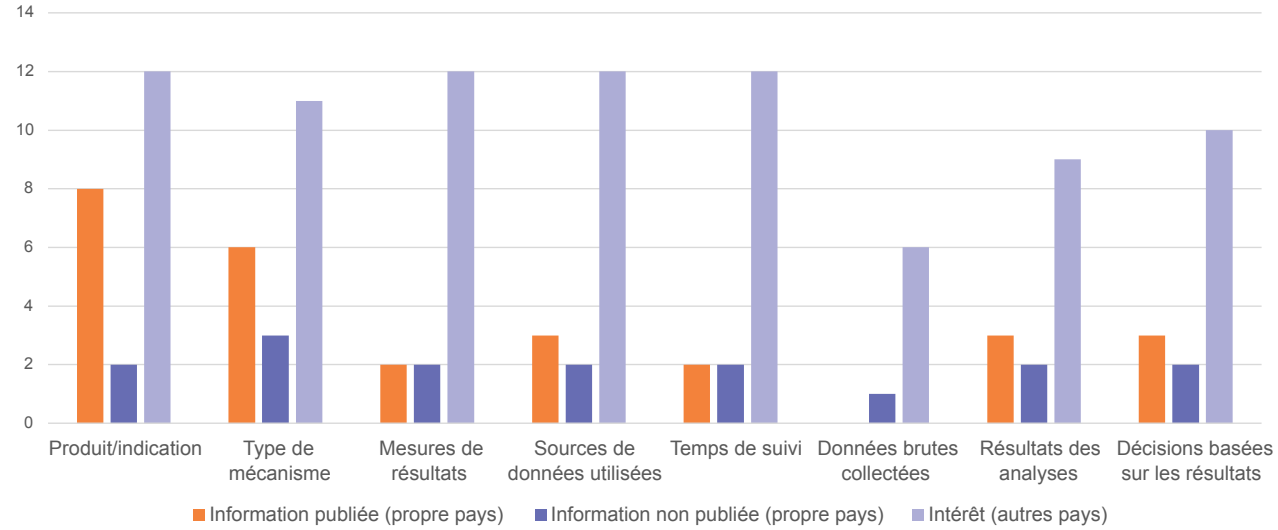


Source : adapté de Wenzl et Chapman, 2019.

2. Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Implantation conditionnelle des technologies innovantes. Rédigé par Geneviève Plamondon. Québec, Qc : INESSS; 2020. Disponible à : https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/Rapports/Technologies/INESSS_Implantation_technologies_innovantes_EC.pdf.

FIGURE 2 – CONFIDENTIALITÉ DE L'INFORMATION CONCERNANT LES MÉCANISMES BASÉS SUR LA PERFORMANCE VESUS L'INTÉRÊT POUR CETTE INFORMATION

Nombre de pays pour lesquels l'information n'est pas confidentielle et pour lesquels il y a un intérêt pour ce type d'information à propos d'autres pays, sur la base d'entrevues avec des experts de 12 pays de l'OCDE qui utilisent des mécanismes basés sur la performance.

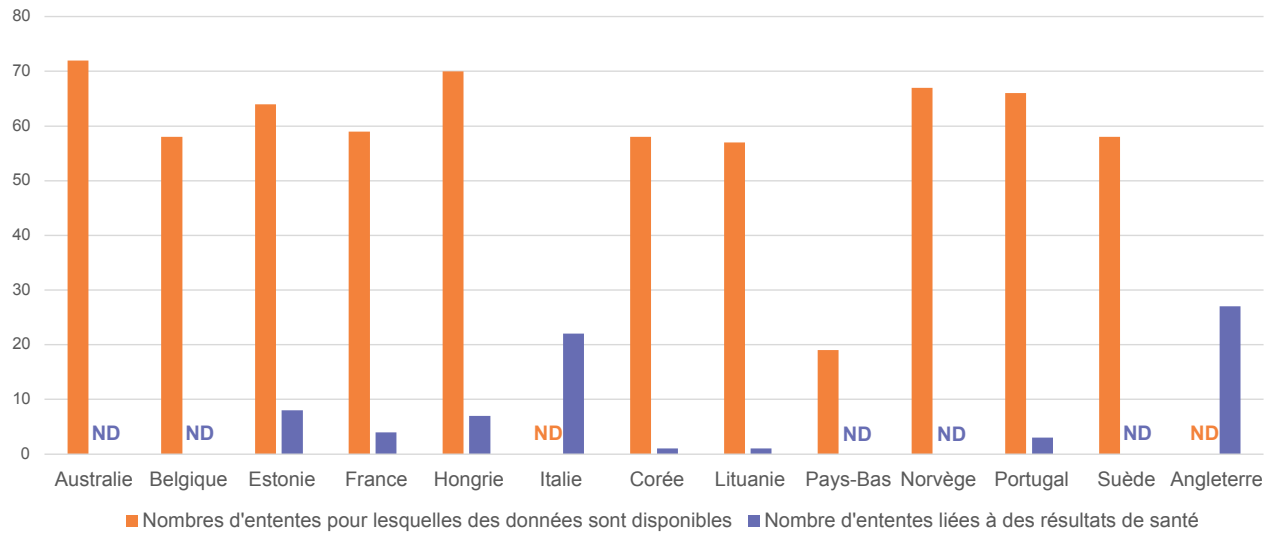


Source : adapté de Wenzl et Chapman, 2019.

Parmi les pays l'OCDE ou de l'Union européenne pour lesquels l'information est disponible, il est constaté que les modalités conditionnelles de remboursement sont **plus fréquentes pour les traitements visant le cancer et les maladies rares**, et qu'elles **poursuivent majoritairement des objectifs financiers**, tels que la gestion de l'impact budgétaire et l'atteinte d'un ratio coût-efficacité désiré.

Par ailleurs, on remarque **un nombre limité d'ententes liées aux résultats de santé dans la plupart des pays**, à l'exception de l'Angleterre et de l'Italie [Wenzl et Chapman, 2019]. Ces éléments sont illustrés ci-dessous.

FIGURE 3 – NOMBRE ET TYPES D'ENTENTES POUR 14 PAYS DE L'OCDE ET DE L'UNION EUROPÉENNE

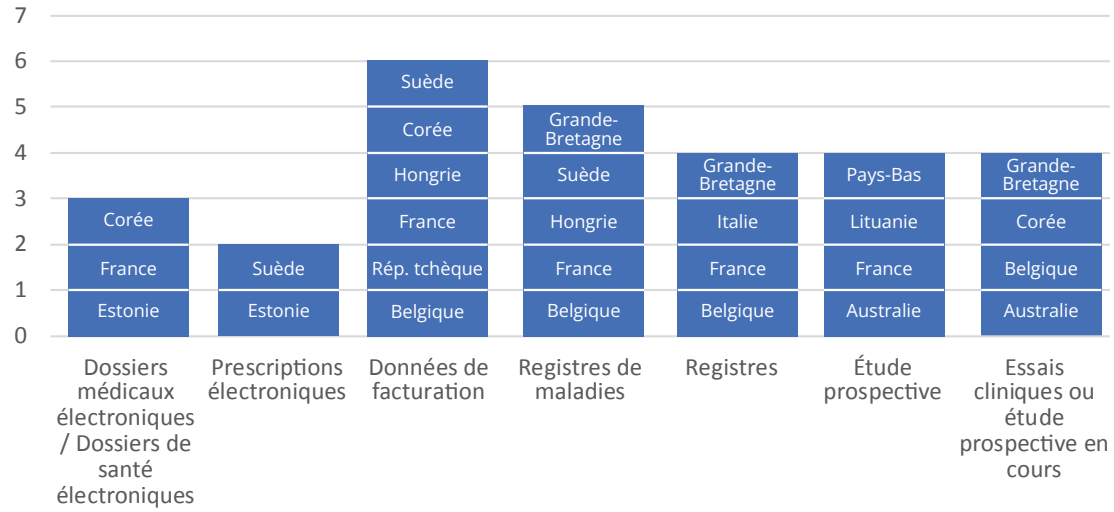


Source : adapté de Wenzl et Chapman, 2019.

L'opérationnalisation des ententes liées aux résultats de santé implique la **mesure de la performance des produits**, et pour ce faire, une **variété de sources de données** peut être mise à profit. Selon les experts des pays de l'OCDE consultés, il appert que les **banques de données de facturation** sont utilisées le plus fréquemment, suivies des registres [Wenzl et Chapman, 2019].

FIGURE 4 – SOURCES DE DONNÉES UTILISÉES POUR L'EXÉCUTION DES MÉCANISMES BASÉS SUR LA PERFORMANCE

Sur la base d'entrevues avec des experts de 12 pays de l'OCDE qui utilisent des mécanismes basés sur la performance



Source : adapté de Wenzl et Chapman, 2019.

2. Apprentissages

2.1. Est-ce que les modalités conditionnelles de remboursement atteignent leurs objectifs ?

Les données probantes sont actuellement limitées quant à la capacité des modalités conditionnelles de remboursement à remplir leurs objectifs, et peu d'autorités ont formellement évalué les ententes mises en œuvre.

D'abord, bien que les mécanismes liés aux résultats de santé puissent soutenir un accès plus précoce à des innovations, optimiser l'utilisation en conditions réelles et partager le risque associé aux éléments d'incertitude, **leur opérationnalisation s'accompagne de défis non négligeables**.

Parmi ceux-ci, notons le fardeau associé pour **leur conception et leur suivi**, ainsi que **les enjeux de gouvernance, de transparence et de respect des ententes par les parties prenantes**. De plus, des **questionnements éthiques** sont soulevés lorsque la disponibilité aux innovations donnée est tributaire de la participation des patients à une collecte de données (le patient est-il contraint, directement ou indirectement, de participer à la recherche ? Dans quelles circonstances et conditions ?). L'état des connaissances (voir le chapitre 5) fournit plus de détails au sujet des forces et des faiblesses.

Par ailleurs, bien que **les modalités financières** semblent à priori plus simples et plus efficaces pour limiter les risques économiques associés à certains produits, **leurs effets à long terme pour la société soulèvent également des questionnements.**

D'une part, les économies engendrées par les ententes financières sont souvent calculées en matière de pourcentage de réduction du prix.

Toutefois, des auteurs soulignent qu'un rabais de 10, 20 ou même 50 % du prix affiché n'est pas nécessairement garant du succès d'une modalité, particulièrement lorsque le prix négocié demeure élevé au regard des comparateurs et que le nouveau produit s'accompagne d'une valeur incrémentale modeste [Neyt *et al.*, 2020].

D'autre part, il est avancé que la négociation entre les payeurs et les fabricants pourraient inciter ces derniers à proposer un prix de départ plus élevé, en réponse à la diminution de revenus anticipée par l'établissement d'une entente financière [Gamba *et al.*, 2020].

2. Est-ce que de bonnes pratiques existent pour la conception et la mise en œuvre de modalités conditionnelles de remboursement ?

Malgré les données probantes limitées, l'expérience internationale des dernières décennies pointe vers **certaines conditions préalables au déploiement optimal des mécanismes de remboursement conditionnel** [Xu et Wu, 2020; Wenzl et Chapman, 2019] :

Utilisation judicieuse. Les modalités conditionnelles de remboursement **nécessitent d'importantes ressources pour leur élaboration et leur suivi**. Elles devraient être utilisées seulement lorsque leurs avantages, en matière d'allocation plus optimale des ressources, surpassent les coûts et le fardeau associés à la négociation et à l'exécution des ententes.

Conception appropriée. Les mécanismes devraient être élaborés de façon à **répondre aux éléments d'incertitude ciblés**, ce qui comprend l'identification de résultats significatifs et mesurables, ainsi que l'établissement ou la mise à profit d'une infrastructure de collectes de données efficace et efficiente. Par ailleurs, lorsque le promoteur du produit est tenu de collecter les données et de soumettre de nouvelles preuves, les incitatifs pour ce faire devraient être considérés lors de la conception des ententes.

Modèle de gouvernance explicite. Les modalités conditionnelles de remboursement **devraient être soutenues par un cadre de gouvernance** traitant notamment des différents **éléments de transparence relatifs aux mécanismes.** Ainsi, le modèle de gouvernance pourrait préciser les informations rendues publiques ou non, en distinguant la transparence du contenu et la transparence des processus. Sur ce dernier point, il serait favorable que les processus d'établissement d'une entente, de collecte et d'analyse des données, et de prise de décision soient transparents pour assurer l'imputabilité des parties prenantes. De plus, le cadre de gouvernance devrait appuyer les différentes actions possibles vis-à-vis des résultats des ententes (désinscription, remboursement, modification du prix, etc.).

Transparence. Il est suggéré que les mécanismes de remboursement conditionnel aient **un niveau minimal de transparence quant aux résultats et preuves générés sur la performance des produits**. Ces informations pourraient être rendues disponibles aux différentes parties prenantes pertinentes, comme les agences règlementaires et les décideurs des différentes autorités, ce qui limiterait la duplication des efforts. Dans la mesure du possible, la confidentialité devrait se limiter aux informations commerciales ne pouvant être divulguées (p.ex., les prix).

Méthodologie

Une veille de la littérature scientifique a été réalisée à partir de la méthodologie élaborée pour l'état des connaissances sur l'implantation conditionnelle des technologies innovantes réalisé par l'INESSS.

Les documents publiés depuis 2019, en français ou en anglais, et susceptibles de répondre aux objectifs ont été sélectionnés. Les articles cités et publiés avant 2019 ont également été consultés lorsque des précisions étaient nécessaires.

Les sites Web des agences règlementaires du Canada, des États-Unis et de l'Europe ont également été examinés pour la section sur la mise en marché précoce ou accélérée.

Références

Gamba S, Pertile P, Vogler S. The impact of managed entry agreements on pharmaceutical prices. Health Econ 2020;29(Suppl 1):47-62.

Neyt M, Gerkens S, San Miguel L, Vinck I, Thiry N, Cleemput I. An evaluation of managed entry agreements in Belgium: A system with threats and (high) potential if properly applied. Health Policy 2020;124(9):959-64.

Wenzl M et Chapman S. Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward. OECD Health Working Paper No. 115. Paris, France : Organisation for Economic Co-operation and Development (OECD); 2019. Disponible à : https://www.oecd-ilibrary.org/content/paper/6e5e4c0f-en.

Xu W et Wu J. International experience with performance-based risk-sharing arrangements: Implications for the Chinese innovative pharmaceutical market. Int J Technol Assess Health Care 2020;36(5):486-91.

Ce bulletin de veille stratégique peut être consulté dans la section **Démarche** du site inesss.qc.ca.

Membres de l'équipe de projet

Auteure principale
Geneviève Plamondon, M. Sc.

Collaborateurs internes
Yannick Auclair, Ph. D.
Mireille Goetghebeur, M. Eng., Ph. D.
Corélia Kostovic, M. Sc.
Monika Wagner, Ph. D.

Repérage d'information scientifique
Renaud Lussier, Ph. D.
Bin Chen, tech. doc.

Coordonnateur scientifique
Olivier Demers-Paquette, Ph. D.

Directrice
Isabelle Ganache, Ph. D.

Transfert de connaissances

Professionnelles scientifiques
Geneviève Corriveau, M. Sc.
Nicole Lemire, M. A.

Techniciennes
Hélène St-Hilaire
Nathalie Vanier

Designer graphique
Jocelyne Guillot, B.A.

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux
Québec