

Rapprocher les deux termes « innovation » et « santé » dans un rapport du HCAAM est une forme de défi si l'on veut bien s'attacher au sens des mots et à leur complexité.

Les sciences sociales proposent ainsi deux grandes approches du processus d'innovation¹.

Une première acception, la plus usuellement retenue, est centrée sur l'adoption et la diffusion de nouvelles technologies constituées, résultant d'un progrès scientifique et technique qui peut être réputé exogène. La question du choix est ici centrale : adopter ou non une nouvelle technologie à tel ou tel moment en fonction des gains attendus de son adoption.

Dans une seconde acception, l'innovation est vue comme un processus endogène qui conduit à l'apparition de nouvelles technologies et de nouvelles structures productives. A ce niveau, la politique publique vise à favoriser la viabilité des processus d'innovation.

L'approche par les systèmes nationaux d'innovation qui rend compte de ces différentes acceptions a été mobilisée par le HCAAM pour conduire son analyse.

Les systèmes nationaux d'innovation (SNI)

L'approche par les Systèmes Nationaux d'Innovation (SNI), proposée par Lundvall (1985), s'intéresse à l'analyse du rôle joué par le contexte institutionnel dans la création des conditions favorables à l'innovation et la maîtrise de la technologie. Elle met en exergue les interactions entre les firmes publiques, privées, universités et institutions (c'est à dire les acteurs de l'innovation) qui facilitent la production de la science et de la technologie au sein des frontières nationales (environnement de ces acteurs).

Dans les pays industrialisés, c'est souvent la définition qu'en donne l'OCDE qui est retenue. Elle considère le SNI comme « *un système interactif d'entreprises privées et publiques (grandes ou petites), d'universités et d'organismes gouvernementaux en interaction axés sur la production scientifique et technologique sur un territoire national.*

L'interaction de ces unités peut être d'ordre

technique, commercial, juridique, social et financier, du moment que le but de celle-ci soit de développer, de protéger, de financer ou de réglementer de nouvelles activités de science et de technologie ».

Il est nécessaire, en effet, de replacer dans un cadre global les innovations dans le domaine de la santé, foisonnant de nouveautés, de découvertes, de solutions innovantes, qu'il s'agisse de produits, d'équipements, d'infrastructures, d'organisations...

Ce foisonnement des possibles, ce potentiel d'innovations fait lui-même face à une infinie diversité de problèmes à résoudre : trouver des solutions thérapeutiques, compenser le handicap et le vieillissement, pallier des lacunes (sectorielles, territoriales, en termes de ressources humaines), garantir la soutenabilité financière et sociale du système...

L'action publique qui en découle doit s'attacher à l'essentiel : les externalités du progrès médical, des considérations d'équité, d'aménagement du territoire, de gestion du long terme, de socialisation de la prise en charge...

En fonction de la configuration du progrès et de la prégnance des différents enjeux, il nous faut repenser les principes d'action et les outils qui à la fois permettent d'intégrer les nouvelles technologies de manière efficace et présentent les caractéristiques attendues d'un système d'innovation :

- agile, dans sa capacité à intégrer rapidement les innovations pour répondre aux besoins, aux attentes des patients et des professionnels ;
- performant, c'est-à-dire à même de concrétiser les promesses du progrès scientifique et technique tout en faisant progresser l'efficacité du système ;
- équitable en faisant de l'accès de tous aux meilleures prises en charge de santé et de la réduction des inégalités une priorité majeure.

A cette fin, le présent avis dresse, tout d'abord, un bilan de l'état des débats concernant l'innovation en santé sur trois plans : les progrès des sciences et des techniques, les innovations organisationnelles et la transformation numérique.

¹ Jean Luc Gaffard et Michel Quéré : « Innovation, coopération inter-entreprise et politique de la concurrence », Economie Rurale n°277-278, septembre-décembre 2003.

Il s'attache ensuite aux principes de l'action publique en situation d'innovation, en dessinant les contours du système d'innovation, en s'attachant à l'économie industrielle du secteur des biens de santé, en considérant la soutenabilité financière du système, la place des usagers et la conduite des politiques de formation.

Il dégage enfin les enjeux opérationnels pour l'action publique, autour de plusieurs axes : le développement d'une approche stratégique au niveau national, la mise en place d'un cadre favorable aux initiatives innovantes, les capacités d'anticipation et d'évaluation, les nouveaux contours de la planification territoriale et les enjeux d'organisation financière et de tarification.

I. Où en est-on de l'innovation en santé ?

1. Qu'en est-il du progrès des sciences et des techniques ? Où va-t-on ?

Ces dernières années, un certain nombre d'observateurs ont fait état d'une « pause » de l'innovation médicale dans le domaine du médicament. Le coût de plus en plus élevé de la recherche et développement, les difficultés liées au processus réglementaire d'admission sur le marché peuvent expliquer cette situation. Mais plus fondamentalement, il est possible qu'il faille voir « *notre manque fondamental de connaissance et le besoin d'une compréhension plus profonde de la haute complexité des systèmes biologiques normaux et pathologiques. De fait, tous les progrès accomplis nous révèlent une biologie d'un haut degré de complexité que personne n'avait encore imaginé²* ».

A contrario de nombreuses voix annoncent une révolution thérapeutique d'envergure dans les prochaines décennies, s'appuyant sur les progrès réalisés dans la connaissance du génome, dans les applications des technologies numériques, dans le développement des sciences cognitives. Ces évolutions ont été théorisées sous le terme *NBIC*, qui recouvre les nanotechnologies, les biotechnologies, les technologies de l'information (notamment l'intelligence artificielle) et les sciences cognitives, avec des phénomènes de

convergence entre ces technologies maximisant leur potentiel.

Sur le plan de l'organisation des soins, on annonce aussi une évolution drastique des métiers et des types de recours des patients, avec une plus grande participation des malades à leur diagnostic et aux choix thérapeutiques, l'amplification des missions des professions paramédicales, le développement des systèmes logiciels experts, l'utilisation massive d'objets connectés convergeant sur le smartphone, le développement des réseaux sociaux autour de communautés de malades, les consultations à distance, etc.³

L'innovation va se poursuivre, un certain nombre de découvertes vont émerger au cours des prochaines années. Nous retiendrons deux enseignements de la littérature – scientifique ou « grise » – consacrée aux innovations technologiques :

- les évolutions majeures attendues devraient résulter de technologies couvrant potentiellement plusieurs finalités.

Il en est ainsi des technologies numériques, susceptibles de bouleverser l'organisation d'un grand nombre de prises en charge (cf. infra) ;

- en outre, pour atteindre une finalité de manière satisfaisante, il s'agit en général de combiner plusieurs technologies émergentes, compliquant d'ailleurs leur implémentation : il faut, pour bénéficier pleinement de leur apport, une mise en place coordonnée et en synergie de l'ensemble de ces techniques.

Le foisonnement des progrès scientifiques et des techniques appelle dès lors une évolution sensible de la posture des autorités publiques :

- la veille doit être organisée et structurée de façon plus systématique afin d'anticiper les évolutions à venir et de les mettre en relation avec les besoins et finalités que l'on identifie et souhaite privilégier ;
- l'intégration des approches doit permettre de corriger ou compléter la segmentation actuelle par type de produit ou d'acte, afin de favoriser les effets de levier à attendre de la synchronisation des innovations et de permettre une couverture effective des besoins identifiés, lorsqu'ils mettent en jeu diverses innovations (produits, actes, technologie numérique, services...)

² E.Zerhouni, Conférence inaugurale à la Chaire d'innovation technologique au Collège de France, janvier 2011.

³ Cf. E.Topol, *The creative destruction of medicine : How the digital revolution will create better health care*, Basic Books, 2013.

- o l'observation et l'évaluation, dans une période de fort bouleversement mettant en jeu des dimensions multiples, doivent privilégier au-delà des évaluations *ex ante* toujours nécessaires, l'étude dans les conditions de la vie réelle.

Innovations susceptibles d'avoir un impact sensible sur le système de soins dans un avenir proche

Favoriser l'autonomie, la prise en charge à domicile

- Biocapteurs, et télé-suivi de constantes physiques et biologiques
- Télémédecine (téléconsultation, télésurveillance, téléexpertise, téléassistance)
- Aides techniques pour les activités de la vie quotidienne, notamment pour la motricité
- Piluliers intelligents
- Dispositifs de rappel de tâches
- Dispositifs de stimulation de la personne
- Assistance robotique
- Domotique (détecteur de fumée, détecteur de chutes, balisage lumineux des parcours nocturnes les plus utilisés...)

Suppléer une fonction physiologique

- Biomatériaux
- Dispositifs implantables (dont dispositifs médicaux implantables intelligents comme les neurostimulateurs, la délivrance contrôlée de médicaments...)
- Interfaces homme-machine, bionique
- Transplantations, organes artificiels
- Thérapie cellulaire, ingénierie tissulaire

Faciliter, accélérer, améliorer le dépistage et le diagnostic

- Imagerie : imagerie structurelle, imagerie fonctionnelle, imagerie moléculaire, à l'aide de biosondes moléculaires, imageries multimodales
- Biomarqueurs, génomique
- Biocapteurs, Systèmes bio-embarqués communicants
- Technologies de traitement de l'information diagnostique et aide à la décision (ex : atlas probabilistes)
- Diagnostic *in vitro*, avec miniaturisation croissante, puces, technologies de diagnostic rapide

Faciliter, améliorer la qualité des gestes chirurgicaux et interventionnels

- Gestes chirurgicaux assistés par ordinateur, robotisation
- Interventions guidées par l'imagerie (imagerie interventionnelle)

Adapter de plus en plus la thérapeutique au patient (hors chirurgie)

- Traitements basés sur des tests de pharmacogénétique (tests compagnons)
- Délivrance des médicaments au plus près de la cible (vectorisation...)
- Rayonnements thérapeutiques : radiothérapie, ultrasons
- Vaccinologie
- Séquençage massif (« génome entier »)

Faciliter le suivi de maladies chroniques

- Imagerie moléculaire
- Suivi post-thérapeutique (ex : télécardiologie)
- DMI intelligents
- Biomarqueurs
- Biocapteurs, Systèmes bio-embarqués communicants
- Autres types de capteurs, notamment pour la télésurveillance

Améliorer la connaissance sur les parcours, l'épidémiologie, l'efficacité des soins et la veille sanitaire

- Constitution de bases de données dans le respect des règles de confidentialité et de sécurité nécessaire ; perspectives du big data
- Développement des outils d'analyse des données de santé

2. Qu'en est-il des innovations organisationnelles ?

Les innovations organisationnelles, étroitement liées aux évolutions technologiques et à la recomposition des métiers, ont été nombreuses depuis le milieu du XX^{ème} siècle, permettant des progrès thérapeutiques majeurs : transformation des prises en charge chirurgicales liées aux

progrès de l'anesthésie et à la lutte contre les infections, développement de techniques d'intervention moins invasives, modification des prises en charge des patients atteints de cancers ou victimes d'infarctus du myocarde, etc.

En ville, le nombre des spécialités s'est accru dans le prolongement de la spécialisation

hospitalière, et les spécialistes ont occupé une place croissante dans les prises en charge ambulatoires. Leur organisation s'est opérée sur un mode d'exercice libéral isolé, puis de plus en plus souvent groupé dans le cadre de cabinets mono-disciplinaires.

La prise en charge de premier recours a elle-même été peu à peu reconsidérée. Des initiatives et expériences portées par les médecins généralistes ont trouvé leur traduction dans la loi et les textes conventionnels avec le médecin référent, puis le médecin traitant. La structuration de ce niveau de prise en charge suppose de consolider le positionnement des différents acteurs des soins primaires (médecins généralistes, pharmaciens, infirmiers, sans parler des autres professions de santé) et l'articulation entre ceux-ci et les soins spécialisés en ville ou à l'hôpital.

Si on considère les questions-clés soulevées par les innovations organisationnelles (encadré ci-dessous), on reconnaîtra, d'une part, que le développement de l'ambulatoire a surtout concerné jusqu'ici les établissements, d'autre part, que toutes les parties du système n'ont pas bougé de conserve, ce qui a conduit à promouvoir un certain nombre de solutions davantage palliatives (des défauts de coordination) que véritablement structurelles.

Questions clés en matière d'innovations organisationnelles

En termes d'organisation de l'établissement de santé de demain

- Spécialisation / Concentration des moyens médico-techniques haut de gamme / diffusion des technologies légères ;
- Continuum de prise en charge entre l'hôpital et la ville ;
- Dissociation des fonctions d'hébergement, médico-techniques et de support ;
- Développement de l'hôpital numérique ;
- Séparation de la gestion des différents types d'activité selon des modèles organisationnels et économiques distincts.

En termes d'organisation des soins de ville de demain

- Développement de formes organisées de prise en charge en soins primaires ;
- Développement de structures dotées de moyens techniques de proximité ;
- Développement de regroupements pluri-professionnels dans le champ des soins spécialisés ;
- Développement des interventions à

domicile.

En termes de prise en charge du handicap et du vieillissement

- Articulation des réponses sanitaires, médico-sociales et sociales pour favoriser le développement de réponses plus inclusives pour la personne et l'aidant.

En termes d'intégration

- **Evolution des formes d'intégration en France** : dans les établissements, dans les territoires au long du parcours de soins et de santé ;
- **Modèles étrangers** : Organisations territoriales confiées à la communauté des médecins généralistes ; groupements à partir d'établissements hospitaliers ; systèmes intégrés par les assureurs.

L'expérience nous enseigne que pour s'implanter valablement et durablement, les innovations organisationnelles doivent satisfaire à un certain nombre de conditions :

- Etre portées par une large communauté de professionnels ;
- Etre accompagnées par des logiques économiques ou techniques fortes ;
- Faire l'objet d'une vision partagée des tutelles et des financeurs et être soutenues dans la durée, hors d'un cadre expérimental ou dérogoire ;
- S'appuyer sur tous les outils nécessaires, juridiques, financiers, technologiques ou techniques, y compris le développement de systèmes d'information adaptés ;
- Faire l'objet d'évaluations multi-dimensionnelles ;
- Inscrire dans une vision systémique l'identification stable et partagée de la position des différents professionnels et structures et leurs rôles respectifs, vision qui doit aussi trouver sa traduction dans les formations.

La transformation par l'innovation organisationnelle renvoie de fait à des choix d'orientation politique et ne saurait se résumer à l'analyse technique de quelques objets administrativement identifiés et trop souvent isolés d'une perspective d'ensemble.

3. La grande transformation numérique : pour quoi faire ?

Le numérique est à juste titre souvent abordé comme un instrument clef au service d'un système de soins plus efficient, ou encore une

innovation nécessaire pour améliorer la qualité des soins et leur coordination. Cette approche ne souligne pas assez la propriété la plus importante des nouvelles technologies de l'information et de la communication : leur capacité à contribuer à une transformation radicale du système de soins et de son organisation.

Si l'on entend faire évoluer le système de santé pour répondre aux enjeux qui sont aujourd'hui les siens, il est nécessaire de considérer les innovations numériques non pas comme un simple outil au service de ce système mais comme la ressource qui peut concourir à la restructuration du système. C'est d'autant plus le cas que le potentiel de ces technologies et leurs caractéristiques sont assez clairement congruentes avec les objectifs de transformation affichés par les pouvoirs publics, notamment avec l'ambition de prendre en charge en ville et à domicile de plus en plus de patients, en particulier poly-pathologiques ou touchés par des affections impliquant aujourd'hui encore une prise en charge en établissement.

Le « décentrage » du système de soins sous l'influence et grâce au numérique peut ainsi être envisagé sous trois angles :

- l'évolution vers un système où l'intégration passe moins par le produit que par les services ou les solutions proposées ;
- le passage à un système centré sur les patients ;
- l'apparition d'un cadre où la valeur du service reposera encore plus qu'avant sur la création, l'exploitation l'échange et l'accès partagé aux données (dans le respect de la vie privée et de l'éthique).

Quelques exemples de technologies numériques utilisées dans le secteur de la santé

- **Capteurs intégrés** à des objets et communicant des données sur l'état de santé du patient (poids, glycémie, température, etc.), le fonctionnement d'un dispositif médical (défibrillateurs) ou encore la situation du patient (dispositifs de surveillance) ou le suivi de son traitement (observance) soit au patient lui-même (Smartphone), soit à un système d'information (industriels, services médicaux) ;
- **Dispositifs d'échange de données** en temps réel entre professionnels de santé et/ou avec le patient (messagerie sécurisée, internet mobile, prescriptions

électroniques) ;

- **Dispositifs de stockage et de partage de données** (imagerie, annuaires, dossier médical informatisé, examens de biologie, dossier pharmaceutique) ;
- **Applications et logiciels de gestion de l'interface entre patients et professionnels** (prise de rendez vous en ligne) ;
- **Logiciels et dispositifs d'optimisation de la gestion des structures de soins** (stocks, flux, ressources, planification : prises de rendez vous coordonnées au sein d'une structure ou entre structures, gestion des plannings d'intervention, gestion des équipements, gestion des équipes, des matériels, etc.) ;
- **Applications et logiciels d'information pour les patients ou les professionnels de santé** (sites internet, applications mobiles de géolocalisation des services de santé, applications donnant des indicateurs d'attente en temps réel aux urgences, logiciels et applications d'orientation des patients) ;
- **Applications et outils de formation** des professionnels ou d'éducation thérapeutique des patients (« serious games », outils de simulation) ;
- **Logiciels et dispositifs de soins ou de diagnostic à distance** (robots chirurgicaux, cabines de télésanté, etc.) ;
- **Dispositifs et logiciels de collecte, de stockage et d'exploitation de données de santé** (PMSI⁴, SNIIRAM⁵, bases de données cliniques, registres, bases de données génomiques, etc.).

Le numérique est devenu une forme institutionnelle déterminante du nouveau régime de régulation en santé. Il n'y a pas à considérer les seules technologies mais les technologies et les services associés, ainsi que les organisations et infrastructures essentielles afférentes.

Cette perspective plaide pour une approche décloisonnée du numérique dans les territoires, une insertion de ces technologies et des infrastructures numériques dans les démarches stratégiques et une définition claire des priorités et des modèles économiques associés.

⁴ Programme de médicalisation des systèmes d'information.

⁵ Système national d'information inter-régimes de l'Assurance maladie.

II. Des principes d'action publique en matière d'innovation

1. Des motifs d'intervention foisonnants

Les opérateurs économiques mettent en œuvre des innovations pour répondre à des besoins de plusieurs natures (médicaux, organisationnels, économiques). Ils en attendent un retour économique, en termes d'activité, de productivité, de débouché, de profit. Le motif d'action est clair. Les signaux marchands existent.

Quel est le but de l'intervention publique ? En quoi est-elle concernée par l'innovation développée par des tiers ? Doit-elle porter elle-même le changement ? À partir de quelles informations ? En vertu de quelle stratégie ? Quelles sont les capacités publiques d'anticipation ? Quels sont les moyens de l'action publique ? Quelle balance entre le mode normatif et planificateur et un mode plus concurrentiel, plus individualisé, plus décentralisé ?

Les motifs d'intervention publique sont *a priori* tous légitimes :

- faire profiter la population des progrès thérapeutiques ;
- favoriser l'autonomie des personnes âgées et des personnes en situation de handicap ;
- assurer l'équité dans la distribution de l'innovation entre groupes sociaux et entre pathologies, voire en profiter pour réduire les inégalités ;
- garantir la sécurité sanitaire ;
- faire prévaloir un certain nombre de considérations éthiques face aux développements de la science ;
- assurer l'équité territoriale par une diffusion équilibrée, voire discriminante, de l'innovation et des vecteurs d'innovation, en faveur des territoires défavorisés ;
- assurer un fort engagement public et privé en faveur de l'innovation, dans la perspective d'externalités positives ;
- assurer la soutenabilité du système en régulant les dépenses de santé (réguler à cette fin la diffusion des innovations coûteuses, dégager les économies liées aux possibilités de substitution ou à une gestion active de la tarification en fonction du cycle de vie de l'innovation) ;

- Informer et permettre au citoyen, à l'utilisateur, au patient d'être acteur de sa santé.

Ces objectifs sont tellement nombreux qu'ils peuvent appeler un interventionnisme tous azimuts. Ils ne sont évidemment pas aisément conciliables globalement. Bien des contradictions apparaissent quand on les considère deux à deux.

Il est dès lors utile de revenir aux fondamentaux : s'agissant de biens et services dont le financement est en grande partie socialisé, comment définir un intérêt collectif supérieur, un supplément de bien être associé à l'innovation – bénéfiques ou bienfaits directs ou externalités positives ?

Les dimensions clés de l'intervention publique

Il n'entre pas dans les attributions du Haut conseil pour l'avenir de l'assurance maladie de statuer sur les politiques les plus performantes en matière de stimulation de la recherche ou d'organisation industrielle des secteurs concernés. Son propos se situe plus volontiers à l'interface de l'innovation et de l'organisation du système de santé.

Sept dimensions de l'intervention publique dans son rapport à l'innovation méritent dans cette perspective d'être approfondies :

- la vision du système d'innovation dont se revendique l'action publique ;
- la sécurité sanitaire ;
- l'articulation entre la politique industrielle et l'ordre institutionnel constitué autour des biens et services de santé (homologation, tarification, propriété intellectuelle) ;
- la soutenabilité financière de l'innovation ;
- le respect du principe d'égalité d'accès aux soins sur les plans financiers et territoriaux ;
- la prise en compte de la demande sociale ;
- l'articulation entre les innovations et le champ de la formation.

2. Consolider le système d'innovation

L'amélioration de l'état de santé, qu'a accompagnée l'augmentation des dépenses de santé depuis plus de 60 ans en France, n'aurait pas été possible sans une transformation profonde de l'organisation du système de santé dont les bases ont été jetées au cours des années 1960 à 1970, à la suite des travaux du comité interministériel présidé par Robert Debré.

Cette réorganisation a installé la médecine scientifique à l'hôpital et plus largement dans

l'ensemble du système de santé. Elle a été accompagnée par la mise en place d'un nouveau Système d'Innovation centré sur les Centres Hospitaliers et Universitaires et les grands organismes de recherche (dont l'INSERM et le CNRS). La forte croissance des investissements dans la recherche, l'intensification des échanges entre le laboratoire et la clinique, ainsi que la diffusion des savoirs favorisée par ce système nouveau ont ouvert une période faste où le progrès médical ne s'est pas démenti, en prise avec les transformations des sciences biologiques et l'évolution de la société.

C'est ce modèle qui continue de structurer le système de santé français. C'est par rapport à lui que se pose la question d'une rupture éventuelle ou du moins d'une transformation profonde que justifient non seulement les potentialités ouvertes par les technologies nouvelles, mais aussi la transformation des besoins de santé et celle du contexte économique et social en ce début de XXI^{ème} siècle.

Quels sont les enjeux contemporains et les leviers d'action ?

- les potentialités du progrès ont changé : alliance des data et de la génomique, individualisation... ;
- les enjeux épidémio-démographiques se modifient ;
- le paysage industriel est en voie de transformation complète ;
- les conditions d'émergence de l'innovation évoluent (living-lab...) ;
- le modèle économique de l'innovation intense et de sa valorisation est à rebâtir ;
- l'organisation du système d'acteurs doit se faire autour du patient et de son parcours et non pas autour des grandes organisations de l'époque ancienne ;
- l'aménagement du territoire est devenu beaucoup plus complexe : polarisation spatiale, spécialisation des territoires, écartèlement (domicile / territoires professionnels...);
- le numérique n'est pas un accessoire du changement ; il est une donnée essentielle de la mutation et des possibilités d'agir ;
- les ressources humaines ne sont pas non plus un accessoire ; elles sont au cœur de la transformation (territorialisation, flexibilité, mobilité, interprofessionnalité...).

L'innovation au service de la transformation du système de santé : quel modèle ?

Passer d'une approche centrée sur des épisodes pathologiques aigus à une médecine de parcours, promouvoir la prévention dans ses dimensions individuelle mais aussi collective appellent une profonde transformation du système de santé.

Le modèle de demain devra combiner une approche populationnelle, plutôt collective, et une approche individualisée de la santé. Il devra continuer de mettre en œuvre la médecine du grand nombre qui a fait la preuve de son efficacité (diffusion de la vaccination, traitements médicamenteux à large diffusion, examens et interventions standardisés), en même temps que se développera une médecine plus personnalisée : médecine de précision associant à des analyses biologiques et génétiques des traitements adaptés à de faibles nombres de malades, développement d'un accompagnement individuel de certains publics ou patients dans leurs parcours de santé et de soins. Ces dernières approches, qui ne sont pas totalement nouvelles, car la prise en charge médicale a toujours été individualisée, concerneront des effectifs importants de patients.

Le lieu d'intégration du système, cohérent avec le lieu d'observation des problèmes de santé et de la maladie, ne peut plus être une structure de soins, en l'occurrence l'établissement de santé mais met en jeu une pluralité de professionnels et d'organisations (dont les établissements hospitaliers) prenant en charge une population ou le parcours de patients.

C'est dans ce cadre que doit être pensée la division des tâches entre les différentes catégories de professionnels et la répartition des moyens techniques qui leur sont nécessaires. Celles-ci doivent prendre en compte une double nécessité : d'une part, permettre l'émergence de pôles nécessitant une forte concentration de moyens humains hautement spécialisés et d'équipements lourds et coûteux, d'autre part, favoriser le déploiement de prises en charge au plus près des patients, voire à leur domicile.

3. S'adapter à la nouvelle donne industrielle

L'industrie des produits de santé a évolué sous l'influence de plusieurs facteurs en interaction : la mondialisation des dynamiques scientifiques et industrielles ; les reconfigurations de l'appareil de production marquées par une forte concentration et une spécialisation accrue de

l'industrie pharmaceutique cependant que l'industrie du dispositif médical présente toujours une très grande diversité d'entreprises (par leur activité et par leur taille); enfin des évolutions répétées des règles en matière d'autorisation de mise sur le marché, de propriété intellectuelle et de tarification.

De nouveaux acteurs industriels sont, par ailleurs, appelés à jouer un rôle croissant dans le champ de la santé entendue au sens large : acteurs du numérique ou encore du secteur des communications.

Les modes de relation traditionnels entre les industries de santé et les offreurs de soins et régulateurs nationaux s'en trouvent transformés.

Un nouveau régime d'innovations intensif en connaissances, la nécessité de recourir à de nouvelles sciences (biologie moléculaire, protéomique, génomique) et de nouveaux outils (techniques de l'information, automatisation), ainsi que le développement de solutions complexes (associations de tests diagnostics et de traitements, association de produits, de produits et d'actes). Tout cela s'accompagne d'une modification des formes de division du travail et des interactions entre acteurs, aussi bien publics que privés aux différentes étapes de la recherche et du développement : implication financière des acteurs privés dans les phases très amont de la recherche, engagement croissant des acteurs publics au niveau de la valorisation de la recherche, diversification des modèles d'articulation entre recherche et développement avec l'accroissement de la part des activités de recherche produites dans le cadre de start-up et la spécialisation de certains acteurs dans la phase de développement associée aux essais cliniques.

Dans un contexte mondialisé, l'implication du système français de recherche et de soins aux différentes étapes de la recherche et du développement des nouveaux produits et solutions thérapeutiques constitue un enjeu en termes de positionnement international de la recherche et de la médecine françaises comme en termes d'accès précoce des patients aux nouveaux traitements sur le territoire français.

Cette évolution a cependant un impact important sur les budgets publics, compte tenu des prix d'entrée des nouvelles thérapies, notamment médicamenteuses. Dans le même temps, la complexité et les cloisonnements institutionnels rendent difficile l'adoption d'innovations portées par les petites et moyennes entreprises, notamment dans le champ du dispositif médical ainsi que des solutions thérapeutiques qui

mettent en jeu des combinaisons de produits ou de produits et d'actes.

La capacité à fixer une perspective pluriannuelle et des règles du jeu prévisibles est dans ce contexte plus que jamais nécessaire pour l'ensemble des acteurs du système.

Enfin, la possibilité de sélectionner les patients les plus susceptibles d'avoir une réponse favorable au traitement, de même que la personnalisation de certains dispositifs ou de solutions de suivi, conduit à l'application d'une partie des traitements et prises en charge à des populations de patients plus restreintes (*a contrario* des « traitements de masse ») ouvrant des problématiques nouvelles tant en termes de production, d'évaluation que de tarification. Les traitements concernés ont d'abord concerné les maladies orphelines, mais portent aussi désormais sur des pathologies (tels les cancers), aux effectifs importants, dont la prise en charge se trouvera segmentée et renchérie, ce d'autant plus qu'aux différentes lignes de prise en charge seront associées dans un certain nombre de cas des combinaisons de produits.

Quelles conséquences de cette nouvelle donne en termes de politique publique dans le champ de la santé ?

Il est important que dans le cadre de la mise en œuvre de la *Stratégie nationale de santé*, soient précisées les orientations et priorités du secteur de la santé permettant de donner aux industriels une visibilité sur l'expression des besoins à un horizon de court et moyen terme.

Les approches transversales favorisant l'émergence et l'adoption des solutions multi-technologies doivent être développées.

Un appui doit être organisé facilitant l'orientation des porteurs de projet et particulièrement des petites et moyennes entreprises dans les phases préalables à l'intégration dans le panier de soins et le système de santé. Ainsi, la mise en place d'un interlocuteur unique (identifiable au niveau national avec antennes régionales), facilitant l'orientation des petites entreprises dans le processus administratif, pourrait constituer une réponse aux difficultés qu'elles peuvent rencontrer pour obtenir la mise sur le marché de leur produit et leur prise en charge par l'assurance maladie.

Une identification et une clarification des différents financements intervenant dans les phases amont devraient être opérées afin d'établir un bilan de l'affectation des financements relatifs à la recherche et au développement.

4. Assurer la soutenabilité financière des innovations

La question de la soutenabilité se pose à deux niveaux.

Elle est tout d'abord à considérer dans un contexte d'arrivée sur le marché de médicaments efficaces et extrêmement coûteux.

- L'émergence de ces traitements efficaces est une bonne nouvelle ; on aurait tort de l'occulter ; les questions qui se posaient au système de tarification pendant des années étaient d'un autre ordre : comment éviter de payer trop cher des médicaments nouveaux aux bénéfices thérapeutiques souvent modestes ? Comment gérer au mieux l'évolution des prix pour tenir compte du contexte concurrentiel (et en particulier de la diffusion possible de génériques) ?
- Le contexte du financement et du développement de la R&D est aujourd'hui profondément modifié : évolution des relations entre recherche publique et privée, modification du partage entre recherche internalisée dans les entreprises et recherche externalisée, renvoyant à des modèles économiques aujourd'hui mal cernés ;
- L'existence de gains thérapeutiques significatifs renforce l'intérêt qui s'attache à la hiérarchisation de ceux-ci : toutes les innovations ne se valent pas, quand bien même elles peuvent alléguer une efficacité plus grande ;
- Les prix hors normes qui peuvent être demandés pour certains produits soulèvent des questions tant en termes d'acceptabilité sociale que de soutenabilité financière. Ils comportent un risque d'éviction de traitements d'autres catégories de patients ou d'autres segments de l'offre de soins. Il renchérissement les coûts de traitement à attendre des futures extensions d'indication et du développement des traitements combinant plusieurs produits ;
- On peut craindre que les mécanismes de régulation qui ont jusqu'ici fonctionné soient moins puissants à l'avenir : en particulier, les pertes de brevet des médicaments chimiques seront moins nombreuses, les médicaments bio-similaires ne permettront pas de dégager des économies équivalentes à celles des médicaments génériques... ;
- Comment, dans un contexte de prix administrés, obtenir à l'instar de ce qui se passe dans un contexte de marché une

diminution du coût des nouveaux traitements au fur et à mesure de l'arrivée de concurrents ?

- Comment assurer, dans le même temps, une prévisibilité pluriannuelle du cadre tarifaire pour les industriels ?

Sur ces deux points, la réponse se trouve dans la gestion des prix et des remises par le Comité économique des produits de santé (CEPS) ;

- En termes techniques, nous entrons dans une période où les coûts par QALY⁶ devraient baisser (ils avaient augmenté quand les innovations étaient modestes et quand le moindre progrès significatif se payait au prix fort) : c'est l'inverse qui se produit ; plus que jamais, la politique de fixation des prix doit rester ancrée sur une appréciation rigoureuse de la valeur thérapeutique comparée des produits ;
- Dans un contexte de forte contrainte budgétaire et de renchérissement des prix, une action concertée des acheteurs de différents Etats, notamment au sein de l'Union Européenne, apparaît légitime. Cette action est destinée à conforter la politique nationale de régulation des prix et non pas à s'y substituer.

La question de la soutenabilité est également à considérer dans un contexte de transformation de l'offre de soins où les redéploiements et les économies potentiels liés à l'innovation sont difficiles à concrétiser.

La lenteur d'adaptation des organisations à l'évolution des technologies, des pratiques et des besoins est indéniablement à l'origine de dépenses évitables.

A l'instar d'autres pays, la France devrait formaliser un dispositif permettant d'anticiper les transformations organisationnelles liées à l'introduction de nouveaux produits ou de nouvelles technologies et d'en suivre la mise en œuvre (cf. infra).

5. Mieux prendre en compte la demande sociale

La demande en matière d'innovation est socialement construite. Les représentations sont essentielles.

Il est des innovations qui s'imposent d'elles-mêmes car elles correspondent à de grands progrès. Certaines, à l'instar des trithérapies il y a vingt ans, justifient la mobilisation sans délai

⁶ *Quality adjusted life year* (année de vie pondérée par la qualité)

des usagers et des pouvoirs publics pour la même raison et sur la base d'une évaluation concluante. En revanche, certaines trajectoires semblent stagner ou s'arrêter. Bien des promesses ne sont pas tenues.

Dans le premier cas, on attend la mobilisation, y compris financière de la collectivité ; dans le second, on s'inquiétera que des moyens publics aient été consacrés, dilapidés dans des aventures industrielles ou organisationnelles sans lendemain. En soi, la défaillance sur le premier registre d'action (par défaut) est plus dommageable (on l'analysera en termes de perte de chance) que la défaillance sur le second registre (par excès).

Le propre de bien des innovations est aussi de dépasser la question de la validation et de la prise en charge publiques, de l'insertion dans un panier de prise en charge défini *a priori*. Nombre d'initiatives n'entrent plus aujourd'hui dans le modèle classique d'homologation (autorisation de mise sur le marché et admission au remboursement) ou de planification : on pense en particulier à des aides techniques, à des dispositifs facilitant l'accessibilité ou à quantité d'applications numériques.

Il faut aujourd'hui considérer pleinement l'évolution des organisations de soins et des contextes de prise en charge, la progression des maladies chroniques, la diffusion des connaissances, l'*empowerment* des associations et des patients, la nécessaire formation des patients à la prise en charge de leur pathologie.

Quelle place pour les associations et pour les usagers en matière d'innovations ?

La forte mobilisation de quelques associations de malades dès la fin des années 1980 s'est traduite par une implication relativement importante dans le processus d'innovation thérapeutique.

Cette contribution s'entend aujourd'hui à plusieurs niveaux :

- l'émergence de communauté de patients (via internet notamment) ;
- l'intervention des patients et des citoyens aux différentes étapes de l'innovation (financement de programme de recherche, participation aux essais thérapeutiques, expression des besoins en innovation, évaluation des innovations) ;
- l'élaboration et le portage d'innovations organisationnelles.

Les évolutions contemporaines invitent ainsi à :

- associer systématiquement les citoyens, usagers, patients au processus d'innovation et à son évaluation ;
- **revoir en continu les formes de la représentation sociale** dans le champ de la santé ;
- **améliorer l'information et le dialogue informé des patients avec le système et leur association aux différentes phases du processus d'innovation** ;
- **consolider les ressources de coproduction de la santé et de l'innovation en santé**, au domicile des patients, avec les aidants, en considérant mieux l'environnement de vie dans le cadre de prises en charge au long cours.

6. Adapter le système de formation

« Dans un système de production en évolution accélérée, la capacité d'innover devient la qualité première par rapport à la capacité de rationalisation. [...] Ce qui va donner le succès, c'est la capacité à innover à la fois dans le produit, dans la technique et dans le rapport au client. Pour maintenir cette capacité, il faut gérer autrement les ressources, et plus particulièrement les ressources humaines. La rationalisation acquise aux dépens de la capacité de réponse et d'initiative des hommes devient contre-productive⁷ ».

L'ambition d'améliorer la formation des médecins était un moteur essentiel de la réforme des années 1960. Les attentes sont aujourd'hui fortes vis-à-vis d'une évolution des formations qui concerne l'ensemble des professions de santé médicales, pharmaceutiques et paramédicales, ainsi que les professions du champ social et médico-social.

Toutes souhaitent voir leur formation évoluer dans le cadre de l'université. C'est une opportunité majeure pour assurer une intégration des savoirs et des apprentissages dans un cadre cohérent pour des professions parties prenantes d'une même transformation. L'aspiration à l'intégration de la pluri professionnalité comme une dimension centrale des enseignements est largement partagée ouvrant la voie à la généralisation du travail en équipe dans tous les segments du système de santé. Pour un certain nombre de professions,

⁷ Michel Crozier, *L'entreprise à l'écoute*.

les enjeux sont la constitution de corps d'enseignants chercheurs au sein de l'Université et la diversification des carrières, favorisant la contribution de toutes les professions à l'innovation, son appropriation et sa diffusion dans un modèle moins hiérarchisé que par le passé.

La nécessité d'assurer plus de cohérence entre formation et réalité des prises en charge qui devraient être de moins en moins centrées sur l'hôpital (notamment les plus spécialisées) conduit à une évolution des lieux de formation théorique et pratique hors des murs du CHU, vers différents types d'établissement et en ville. Ceci appelle une évolution des relations de l'Université avec les CHU et les autres acteurs du système.

L'articulation des formations initiale et continue avec l'évolution du système de santé nécessite une identification des services attendus des professionnels de santé, de leurs compétences et de leurs métiers. Sur ce terrain, la réflexion est encore émergente et trop souvent conduite en silo, par profession, à l'opposé des évolutions qui ont pu être conduites dans d'autres secteurs (pour les métiers de techniciens et d'ingénieurs notamment). Il est certain que l'innovation appelle une concentration et un développement du rôle des médecins sur des activités d'expertise et de synthèse associée à la montée en charge d'interventions soit très techniques et standardisées, soit de l'ordre du *care*, assurées par des professions intermédiaires, techniciens ou professions paramédicales ou professions du secteur médico-social et social. Ce chantier est un chantier majeur.

Enjeux-clés en matière de formation

La formation, initiale et continue, de l'ensemble des professionnels de santé est une dimension-clé de l'accompagnement du changement et de l'innovation organisationnelle, frein ou moteur.

Compte tenu des enjeux pour le système de santé, quelques principes de gouvernance des formations méritent d'être rappelés avec force :

- **Le caractère professionnalisant des formations** ne doit pas être vu comme enfermement dans les frontières des professions ou dans les murs des établissements de formation. La coopération, le décloisonnement commencent dès le stade de la formation ;
- **L'approche par les compétences** doit être promue en tant qu'elle facilite la fongibilité des ressources, les déroulements de

carrière et l'adaptation au changement, technologique et organisationnel ;

- **L'Université a un rôle clé à jouer en matière de formation en santé** : elle fait concourir les disciplines, elle ouvre sur la recherche, elle ménage la diversité des parcours ; elle fait le lien avec les établissements de santé ; elle doit être ouverte sur la ville ;
- Afin d'assurer la cohérence entre la formation et la réalité des prises en charge, **la ville doit être considérée comme un lieu de formation essentiel** ;
- **L'évaluation des formations est une garantie essentielle** pour la qualité des services de santé ;
- La **formation au numérique et par le numérique** est le meilleur gage que le « tournant numérique » sera pleinement assumé.

III. Enjeux opérationnels pour l'action publique en matière d'innovations

1. Créer un cadre favorable aux initiatives innovantes

L'innovation est un processus qui ne se résume pas à la décision ou l'action de quelques acteurs centraux. Au contraire, le flux d'innovations est le résultat d'une multiplicité d'initiatives décentralisées. Petites et grandes entreprises, établissements de santé, professionnels de santé en ville, à l'hôpital, acteurs publics ou privés responsables de la régulation ou du financement ou encore patients imaginent, conçoivent, développent et mettent en place en permanence produits, solutions et organisations innovants.

Une grande partie de ces innovations se développe naturellement dans le cadre de droit commun juridique et financier du système de santé.

Mais certaines d'entre elles nécessitent pour s'inscrire dans la durée, se développer, se généraliser, ou porter pleinement leurs fruits des modifications de ce cadre institutionnel.

Le mécanisme communément employé pour favoriser et encourager l'émergence et la diffusion de ces innovations est le recours à des expérimentations permettant de les financer et d'évaluer leur intérêt.

La mise en œuvre actuelle de ce mécanisme n'encourage cependant pas les initiatives des innovateurs. Les expérimentations sont certes nombreuses, mais elles sont aussi complexes, coûteuses, longues à mettre en place et à évaluer. Très peu des initiatives arrivent au stade de la généralisation ; un grand nombre pâtissent des défauts inhérents aux dispositifs financés de façon dérogatoire et non pérenne, entraînant essoufflement ou disparition du projet.

Même en cas d'évaluation positive, leurs suites peuvent être décevantes, en particulier quand les conditions même des expérimentations (dérogations au droit commun, niveau de financement, implication particulière des acteurs) ne sont pas reproductibles et généralisables.

Favoriser l'innovation en soutenant les innovateurs nécessite de se doter d'une doctrine et d'un cadre lisibles permettant d'encourager, de sélectionner, d'évaluer et de généraliser les initiatives prometteuses.

Ainsi, est-il toujours indispensable d'organiser de longues phases d'expérimentation et d'évaluation quand les expériences françaises ou étrangères montrent qu'une innovation présente des apports significatifs ? Ne faut-il pas penser et organiser, comme cela se fait ailleurs, le lien entre les financements initiaux temporaires d'une innovation (son « amorçage ») et les financements permanents qui permettront sa diffusion ? Ne faut-il pas envisager la création, dans certains territoires, de cadres juridiques et financiers dérogeant de façon durable au droit commun pour y faire émerger des solutions adaptées à leurs enjeux spécifiques ?

Le HCAAM avait en 2012⁸ engagé cette réflexion en proposant de dépasser le cadre actuel des expérimentations. Il entendait promouvoir une démarche consistant à concrétiser, sur quelques territoires spécifiquement désignés, des « projets pilotes » permettant, en concentrant l'effort sur quelques grands bassins de vie servant de laboratoires, d'illustrer « en vraie grandeur » des prototypes d'organisation nouvelle, de les tester et de les généraliser rapidement. Il ne s'agit plus là d'expérimentation, mais de préfiguration. Ces propositions, élargies au champ plus large des innovations technologiques et organisationnelles, sont toujours d'actualité. Leur mise en œuvre serait de nature à créer un cadre plus favorable aux initiatives innovantes.

⁸ « Avenir de l'assurance maladie : les options du HCAAM », avis adopté à l'unanimité lors de la séance du 22 mars 2012.

Favoriser les initiatives innovantes

- Favoriser la collaboration de acteurs (publics et privés) pour identifier les initiatives innovantes justifiant leur déploiement ;
- Donner un cadre favorable à l'émergence d'initiatives innovantes, en organisant le lien entre les financements initiaux temporaires d'une innovation (son « amorçage ») et les financements permanents qui permettront son développement ;
- Dépasser le cadre des expérimentations pour développer des prototypes permettant leur diffusion sur le territoire national une fois la preuve de leur efficacité confirmée ;
- Mettre en place des dispositifs d'accompagnement des innovateurs et des porteurs de projet.

2. Développer une approche stratégique

L'intégration de l'innovation nécessite un portage politique fort et durable pour être en mesure de transformer les pratiques. Ces transformations peuvent, en effet, prendre du temps, requérir des investissements significatifs, nécessiter des délais d'expérimentation puis d'ajustements législatifs, réglementaires ou conventionnels. La constance et la prévisibilité des engagements sont, par ailleurs, les conditions de l'engagement des acteurs en faveur du changement.

Ces conditions ne sont pas aujourd'hui pleinement réunies en termes de gouvernance.

L'action publique relative à l'innovation est partagée entre l'Etat et l'Assurance maladie. Ce partage empêche, en premier lieu, une perspective et une action unifiées et décloisonnées entre ville et hôpital. Chaque acteur peut intervenir de façon autonome, sans cohérence et parfois même de façon concurrente. Les outils de pilotage qui existent entre l'Etat et l'Assurance maladie s'efforcent certes de cadrer et de coordonner les interventions des deux secteurs. Force est de constater que cette situation aboutit parfois à la multiplication de projets au détriment de la généralisation de solutions communes.

Au niveau même du ministère de la santé, il n'existe pas de lieu bien identifié de coordination des acteurs ou d'instance d'arbitrage ou de préparation des arbitrages.

En définitive, la gouvernance actuelle ne permet pas l'affirmation d'une stratégie nationale claire en matière d'innovations.

Un cadre stratégique pluriannuel national de pilotage de l'innovation doit être défini par l'Etat après concertation avec l'assurance maladie et les parties prenantes du système de santé et de l'innovation. L'existence de ce cadre stratégique est nécessaire pour préparer la décision politique et l'inscrire dans le moyen terme. Il pourrait se matérialiser par l'élaboration d'une *Feuille de route* arrêtée par le ministre en charge de la santé.

La simple existence d'un document stratégique ne saurait cependant suffire.

La nomination d'un haut fonctionnaire en charge d'élaborer la politique du ministère de la santé en matière d'innovation est une avancée dans cette voie.

Il paraît normal que soient distingués les objectifs portés par le ministère de l'économie responsable de la politique industrielle et par le ministère de la santé responsable de la politique de santé. Les dispositifs de pilotage stratégique associés doivent logiquement demeurer distincts, en veillant à leur bonne articulation.

Le périmètre et le champ d'intervention de la structure de pilotage devrait couvrir tous les aspects de l'innovation aussi bien organisationnels que technologiques, aussi bien dans le champ du médicament que du dispositif médical ou encore des équipements. De même, sa compétence devrait couvrir aussi bien la ville que l'hôpital. En définitive, le seul critère pertinent de son intervention est le caractère stratégique de l'innovation en cause : impact thérapeutique, impact organisationnel y compris en matière de qualification/formation, impact budgétaire ou encore caractère structurant pour l'ensemble des acteurs.

Quelles missions associées au pilotage national de l'innovation ?

Ce pilotage doit favoriser l'articulation des interventions des différents acteurs et notamment l'Etat et l'Assurance maladie

- **Proposer et formaliser, en concertation avec l'ensemble des acteurs concernés, des priorités** ou des mesures utiles pour l'atteinte des objectifs retenus à l'arbitrage politique sur la base d'analyses documentées ;
- **Suivre et faciliter la mise en œuvre de la feuille de route stratégique**, en particulier en élaborant des plans d'action pluriannuels opérationnels permettant d'accompagner,

suivre et mesurer l'impact de la diffusion des innovations de rupture ;

- **Anticiper les impacts à attendre de l'innovation** (en termes d'organisation, de ressources humaines, d'efficacité,...) **et favoriser la mise en place de plans de diffusion et d'accompagnement du changement** ;
- **Permettre la coordination entre les différents acteurs publics** intervenant dans la régulation du système de santé et la concertation avec les parties prenantes (usagers, industriels, professionnels) ;
- **Elaborer des éléments de doctrine partagés** concernant les pré-requis, les modes d'articulation entre les initiatives de porteurs de projets innovants, les étapes de validation collective en vue d'un déploiement général, les méthodes d'évaluation, les modèles économiques ;
- **Organiser la mise en place de guichets d'accueil et d'orientation territoriaux** des entreprises de santé innovantes en lien avec les autres ministères concernés (industrie, recherche) ;
- **Organiser un continuum entre les programmes de recherche en santé, les différents mécanismes de soutien à l'innovation et les mécanismes d'intégration et de diffusion au sein du système de santé** (évaluation, tarification) en devenant l'interlocuteur de référence pour les acteurs concernés (et notamment les alliances impliquées dans la recherche et l'innovation AVIESAN⁹ et ATHENA¹⁰).

3. Anticiper

En France, de nombreux acteurs se sont dotés de capacités d'anticipation en mettant en place des structures et des processus de veille technologique. Ces initiatives dispersées répondent logiquement aux objectifs diversifiés des structures qui les portent : éclairer et optimiser les décisions d'achat de technologies de santé, anticiper les évolutions des marchés concernés, améliorer le système d'admission au remboursement des technologies de santé, orienter les financements de la recherche, etc. S'il existe des démarches collectives, notamment celle menée sur le médicament par le Comité économique des produits de santé (CEPS), en lien avec les industriels du secteur, et la Haute autorité de santé (HAS), elles restent parcellaires et s'exercent sur un champ limité.

⁹ Alliance nationale pour les sciences de la vie et de la santé.

¹⁰ Alliance nationale des sciences humaines et sociales.

En outre, les éléments collectés et les analyses produites ne sont pas systématiquement accessibles, transparents, partagés.

Au contraire de ce qui existe dans certains pays, les régulateurs français ne disposent donc pas d'un système de veille centralisé leur permettant d'avoir une vision globale de l'environnement technologique de moyen terme et de mieux anticiper l'arrivée des produits ayant un impact potentiel important sur l'équilibre et l'organisation du système de soins.

Anticiper permet de mieux organiser l'évaluation, de prendre les mesures utiles à la bonne intégration de la technologie, de trouver d'éventuelles solutions structurelles ou ponctuelles pour faire face à des coûts importants ou encore d'analyser les réformes et évolutions qui seront nécessaires pour engranger réellement les gains promis par ces technologies. L'anticipation est d'autant plus nécessaire que l'impact d'une technologie dépend pour une part de ses interactions avec les autres éléments du système de soin (autres technologies, cadre tarifaire, pratiques professionnelles, etc.) et qu'il est souvent possible d'arbitrer entre différentes stratégies.

Propositions en matière de veille

- **Retenir un champ large** (médicaments, dispositifs médicaux, pratiques professionnelles) pour prendre en compte les interactions entre les différentes technologies et pratiques ;
- **Sélectionner les technologies en fonction de leur impact** sur le système de soins afin de ne produire que de l'analyse ou de l'information utiles à la décision ;
- **Fournir une information pertinente**, c'est-à-dire portant sur les bénéfices thérapeutiques attendus, leur impact, les coûts/dépenses/économies induits, les indications, les cibles, le potentiel de diffusion, l'impact organisationnel ;
- **Installer un dispositif de veille susceptible de fournir une visibilité pour les 2 ou 3 années suivantes sur les produits de santé accédant au marché ou au remboursement ;**
- **Rendre publics et diffuser largement les produits de la veille ;**
- **S'appuyer sur une organisation en réseau mobilisant largement les moyens existants :**
 - Une veille centralisée, **intégrée au processus d'évaluation et de surveillance, s'appuyant** sur une

organisation en réseau des structures ayant d'ores et déjà une activité de veille. La tête de ce réseau pourrait être abritée par la HAS et l'ANSM¹¹ ;

- Mobilisant les sources d'information d'ores et déjà disponibles ;
- Mobilisant les moyens financiers et humains indispensables à l'efficacité du système.

4. Evaluer

Le modèle d'évaluation des technologies est centré sur une approche produit par produit privilégiant le plus souvent une appréciation clinique fondée sur des études scientifiques justifiant l'accès au remboursement. Ce modèle d'évaluation présente un certain nombre de limites :

- Les traitements innovants combinent de plus en plus souvent différents médicaments, dispositifs et actes de façon concomitante ou successive mettant à mal l'approche analytique. Dans bien des cas, c'est la combinaison qui peut être efficace ou efficiente. C'est donc elle qui devrait pouvoir être évaluée et tarifée. Le système actuel contient des éléments allant dans ce sens (forfaits LPPR¹², évaluation conjointe actes/dispositifs médicaux par exemple). Il n'est pourtant pas globalement conçu sur ce principe et la question de l'évaluation et de la tarification de « solutions » sera de plus en plus prégnante ;
- La distance entre les méthodes d'évaluation et les caractéristiques des technologies risque de s'accroître avec l'arrivée de plus en plus précoce sur le marché de produits disposant d'un niveau de preuves cliniques limité du fait du nombre réduit de patients qu'il est possible de retenir dans les essais (maladies orphelines, thérapies ciblées, certains dispositifs médicaux), ou encore dans le cas de délivrance d'autorisations de mise sur le marché (AMM) très précoces, sur la base de données partielles ;
- L'insuffisante prise en compte par le système d'évaluation et de tarification actuel de la « vie réelle » des technologies. En soi, cette question n'est pas nouvelle mais elle est plus aiguë dans un univers où les technologies évoluent vite, où la pression économique se fait plus forte et les attentes des patients et des soignants, notamment

¹¹ Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé.

¹² Liste des produits et prestations remboursables.

en matière de qualité de vie, de sécurité et de facilité d'usage, plus pressantes ;

- Le coût des technologies nouvelles et plus largement la contrainte financière, ainsi que la nécessité d'avoir une approche globale des effets organisationnels d'un produit ou d'une combinaison de produits, incitent à faire évoluer le champ de l'évaluation médico-économique des technologies de santé.

Propositions en matière d'évaluation

- **Développer une évaluation plus transversale :** poursuivre les efforts engagés pour faire converger les modes et temporalités de l'évaluation des actes, dispositifs médicaux et médicaments. C'est le sens de certaines orientations du Conseil stratégique des industries de santé du 11 avril 2016 ;
- **Développer des méthodes d'évaluation soutenables pour les entreprises,** et particulièrement pour les PME/TPE, notamment nombreuses dans le secteur des dispositifs médicaux ;
- **S'appuyer sur les évolutions de l'HTA¹³ conduites au niveau européen ;**
- **Développer l'évaluation en vie réelle :** la montée en charge des systèmes d'information et des recueils de données ainsi que le développement des études en vie réelle doivent être amplifiés et constituent une réelle opportunité pour renforcer les pratiques de réévaluation rapide des produits ou de groupes de produits et évaluer plus globalement des stratégies de prise en charge ;
- **Préciser la place de l'évaluation médicoéconomique.** Les études (à l'exemple de celles portées par la CEESP¹⁴ de la HAS) présentent des particularités importantes : obliger à une plus grande rigueur dans les essais et études présentées à l'appui des revendications de prix par les industriels (effet observé dans tous les pays qui développent une telle approche) ; objectiver les ratios d'efficacité obtenus en différenciant notamment les différentes indications et populations-cibles ;

Quelle place peuvent occuper **les analyses d'efficacité en primo-inscription** dans le contexte institutionnel français ?

La question est ouverte de savoir si fixer un

seuil qui permettrait d'afficher les prix jugés acceptables au vu des résultats attendus constituerait une aide utile dans la régulation du niveau de prix de certains nouveaux traitements. Ce choix a été écarté en France ;

- **Développer les analyses médico-économiques ex post :** les études d'efficacité sont également très utiles quand elles sont appliquées à un champ plus large que les simples produits de santé ou dans le cadre d'une approche produit par produit. Elles constituent un levier fort pour améliorer les performances et l'efficacité du système de santé. Elles permettent également d'éclairer le débat sur l'allocation de ressources en objectivant les conséquences des décisions prises au cours du temps, en calculant pour plusieurs types d'interventions le ratio coût/utilité ;
- **Adopter une approche multi-dimensionnelle,** en analysant les impacts sur la qualité et l'accès aux soins, l'optimisation du parcours de soins (en termes de qualité de vie, de qualité de prise en charge etc.), l'organisation du travail des professionnels impliqués dans les parcours de soins et la reconfiguration des logiques professionnelles, l'appropriation des outils par les patients et les professionnels, les évolutions des frontières institutionnelles, les coûts observés dans les différents segments du système de soins. Cette approche devrait être systématisée s'agissant de l'innovation organisationnelle, et particulièrement s'agissant du numérique ;
- **Evaluer les dispositifs hors du champ de l'assurance maladie ?**

Un travail est en cours à la HAS en vue de proposer une première approche de régulation souple des logiciels et objets connectés non dispositifs médicaux. Une réflexion a, par ailleurs, été engagée par la CNIL sur le statut des données collectées dans ce cadre.

Dans certains pays européens, émergent d'ailleurs quelques formes de régulation alternatives : l'évaluation n'y est pas cantonnée aux experts institutionnellement reconnus, mais réalisée soit par des professionnels, soit de façon beaucoup plus ouverte par les usagers (retours d'expérience, etc.). On commence à en trouver quelques exemples en France.

¹³ Health technology assessment.

¹⁴ Commission Evaluation économique et de santé publique.

5. Développer une nouvelle approche territoriale

Les territoires bougent dans toutes leurs dimensions. Ils sont le miroir de transformations sociales de grande ampleur. Les dynamiques générales décrites par certains géographes ont leur pendant en matière de santé : la « *France périphérique* » est une réalité pour les soins de premier recours comme pour le second recours d'ailleurs ; la déprise sanitaire territoriale est aussi à l'œuvre dans les banlieues, aux marges des agglomérations, les services de santé ne se comportant pas différemment d'autres services.

La carte des territoires de santé doit s'adapter : les patients sont en demande de proximité raisonnée (accessibilité et qualité) ; les étudiants des formations de santé sont mobiles (pas forcément de la même façon tout au long de leur parcours) ; les professionnels eux-mêmes aspirent à la mobilité géographique pour concilier au mieux leurs attentes en matière de carrière et leurs conditions de vie personnelle et familiale. Le travail de rationalisation fonctionnelle opéré par les régulateurs dessine une nouvelle organisation des équipements et des services.

Les territoires de santé vécus sont la résultante des efforts de rationalisation statistique et institutionnelle mais aussi de la trajectoire de chaque territoire en termes d'offres de services publics en santé et hors-santé. Il faut maintenant y ajouter la transformation numérique, dans sa dimension territoriale.

Les approches nationales ne peuvent dès lors simplement se décliner au niveau des territoires : le changement d'échelle implique aussi un changement de point de vue et les meilleurs concepts pensés au niveau central peuvent devenir des monstres sur le terrain.

La planification doit prendre en compte les nouvelles réalités territoriales. Elle a pour objet le rapprochement au niveau d'un territoire entre les besoins de santé de la population et les moyens destinés à y répondre. Elle vise à assurer un égal accès de tous aux biens et services de santé et à éviter le gaspillage qui pourrait résulter de la constitution d'une offre excessive des moyens les plus coûteux (associés à certains équipements ou à certaines activités onéreux et spécialisés).

Elle est aujourd'hui essentiellement de la responsabilité des ARS et s'incarne dans le Projet régional de santé, qui fixe un cadre d'orientation stratégique en s'appuyant sur une prospective à dix ans. En découle le Schéma régional de santé qui établit pour cinq ans des

prévisions d'évolution et des objectifs opérationnels concernant l'offre sur le territoire.

La planification s'appliquait à l'origine à l'allocation sur le territoire des capacités hospitalières et des équipements lourds, soumis à autorisation en application de la carte sanitaire. Elle a connu une double évolution :

- de son champ d'application. La *carte sanitaire* a été remplacée en 2003 par un Schéma régional, dont la portée s'est progressivement étendue à l'ensemble des activités de soins, de prévention et médicosociales, qu'elles soient réalisées dans le cadre d'établissements ou en ville ;
- de ses conditions d'opposabilité. L'opposabilité concernait les capacités hospitalières fixées en nombre de lits. Elle porte désormais sur l'autorisation d'implantation des activités des établissements de santé. A l'autorisation d'équipements lourds considérés individuellement tend à se substituer l'autorisation de plateaux techniques nécessaires à la réalisation des activités autorisées.

Cette évolution doit se poursuivre et l'action « planificatrice » profondément se transformer.

Il convient en effet de passer d'un modèle combinant l'intervention d'organisations hospitalières et de professionnels libéraux exerçant de façon isolée à un modèle valorisant l'intervention coordonnée d'équipes ou de communautés professionnelles fonctionnant en réseau selon des formats variables et dont l'action soit inscrite dans des territoires. Ceci suppose :

- de définir les leviers nouveaux de l'intégration de ces réseaux qui doivent mobiliser des registres professionnels et des savoirs et outils techniques communs ;
- de repenser les formes de gradation des prises en charge qui ne peuvent plus reposer sur la simple opposition entre prises en charge hospitalière et ambulatoire mais supposent de définir des niveaux de service d'intensité variable qui feront intervenir conjointement acteurs de ville et de l'hospitalisation, tout en assurant la continuité des prises en charge et l'articulation des différents niveaux ;
- de se poser de façon nouvelle la question des infrastructures du système de santé.

Les nouveaux contours des différents niveaux et formes de prises en charge

La structuration de la première ligne de prise en charge au plus près des lieux de vie de la population est un enjeu majeur à l'horizon de quinze ans. Les services qui doivent s'y déployer sont les actions de promotion de la santé et de prévention, les soins de première intention y compris en psychiatrie, la régulation des urgences, l'éducation thérapeutique et le suivi des malades chroniques. Ces services devraient être assurés par les professionnels ambulatoires (généralistes, paramédicaux, pharmaciens et certains médecins spécialistes), articulés avec les établissements hospitaliers de proximité et les établissements de soins de suite et de réadaptation ainsi qu'avec les établissements médico-sociaux.

Au-delà de ce premier niveau, la notion de gradation des services attendus et des moyens mobilisés doit être reconsidérée de façon transversale en s'appuyant sur les ressources de la médecine spécialisée en ville et à l'hôpital. La notion d'activités hospitalières qui structure aujourd'hui la planification devrait de plus en plus souvent s'exprimer à une échelle territoriale qui ne sera plus strictement limitée aux établissements hospitaliers. De façon adaptée aux différentes pathologies et disciplines, des niveaux de recours gradué devraient être définis.

Le développement des prises en charge à domicile, enjeu majeur à l'horizon de 15 ans, devra en particulier s'appuyer sur la définition des services attendus des différents niveaux. Cette définition présidera à l'organisation de l'offre, avec pour objectif de favoriser la prise en charge centrée sur le patient à domicile, mobilisant forcément de nombreux professionnels de santé et sociaux et des moyens techniques et un environnement adapté.

Les nouveaux contours de la planification

L'approche territoriale à moyen terme doit permettre, au-delà de l'identification des équipements les plus coûteux, un élargissement de la vision des moyens à mettre en œuvre aux :

- **moyens techniques**, ne considérant plus les équipements ou matériels de façon isolée mais comme des « plateaux » ou ensembles fonctionnels nécessaires pour les différents niveaux ou types de prise en charge. Au-delà de l'autorisation des équipements (dans un registre de

planification classique), c'est l'usage qui importera de plus en plus, lequel pourra être mieux suivi grâce au numérique, permettant d'assouplir le cadre de régulation ;

- **moyens numériques**, élément structurant et central de l'équipement d'un territoire. Il convient de sortir d'une approche expérimentale pour entrer dans une perspective de déploiement organisé de façon transversale ;
- **infrastructures immatérielles**, aussi bien dans le champ de la recherche et des soins (plateformes génomiques) que de la dispensation des produits de santé (circuits territorialisés de dispensation), dont le fonctionnement pourra être optimisé par le numérique ;
- **moyens humains** : les schémas régionaux de santé devraient être systématiquement associés à un volet ressources humaines, élaboré en concertation avec l'Agence régionale de santé, l'Université, la Région et l'ensemble des acteurs concernés.

La planification devra en outre intégrer les impacts prévisibles sur les organisations de l'introduction de nouvelles technologies et produits de santé.

6. Garantir les conditions du redéploiement des ressources

Au cours des vingt dernières années, la « destruction créatrice » opérée à la faveur de l'innovation s'est essentiellement effectuée dans le système de santé au sein de chaque secteur d'activité, de ville d'une part, hospitalier d'autre part, avec, en revanche, une grande stabilité observée dans la répartition des activités entre chaque grand segment sur la période (en termes de masses financières).

En ville, la part des soins spécialisés s'est accrue, de même que celle des activités paramédicales, cependant que l'activité de médecine générale était stable voire décroissait légèrement. La visite est ainsi devenue très minoritaire dans l'activité médicale.

A l'hôpital, l'activité a connu une spécialisation croissante associée à la technicisation des interventions, les champs d'intervention des différentes disciplines ont été bouleversés et l'hospitalisation de jour, ainsi que l'activité de séances, ont connu une très forte croissance cependant que l'hospitalisation complète en MCO (médecine – chirurgie – obstétrique) décroissait. L'activité des urgences a par ailleurs fortement augmenté.

Dans un contexte de transformation importante, alors même que la croissance des enveloppes de dépenses publiques dévolues à la santé est fortement contrainte, il paraît opportun d'aller plus loin et de faciliter les redéploiements de moyens entre activités et secteurs (sous réserve bien sûr de la pertinence des activités développées par chaque producteur de soins).

Or plusieurs éléments caractéristiques de la régulation financière globale s'opposent à de tels redéploiements :

- Un découpage des enveloppes constituant l'objectif national de dépenses d'assurance maladie (ONDAM) par acteur institutionnel indépendamment de la dynamique des activités poursuivies ;
- Des mécanismes de négociation des objectifs d'évolution des dépenses et des économies à réaliser fonctionnant par type d'acteur institutionnel, avec comme conséquence paradoxale l'octroi de taux d'évolution très peu différenciés pour chacun, le choix n'étant pas fait d'accompagner une évolution pourtant souhaitée vers l'ambulatoire par des taux d'évolution plus élevés dans ce segment. En outre, cette procédure segmentée donne une vision cloisonnée des gains d'optimisation possibles alors qu'il peut arriver qu'une dépense consentie dans un segment du système de soins conduise à des économies dans un autre segment ; de peur de ne pas pouvoir observer ces économies (en raison notamment de freins sociaux), la dépense n'est pas consentie et la situation est figée ;
- De ce fait, la difficulté à opérer tout mouvement significatif entre acteurs institutionnels et à développer des activités transcendant le clivage entre acteurs existants.

Cette problématique a donné lieu à diverses époques à des réflexions visant à médicaliser l'ONDAM et à en décloisonner la gestion.

Propositions en matière de gouvernance financière

Depuis sa création, la construction de l'ONDAM est critiquée dans la mesure où elle s'appuie sur la structure historique des offreurs de soins, et où la régulation qui l'accompagne ne permet que de faibles évolutions structurelles.

Des propositions ont pu être faites pour revoir le découpage de l'ONDAM en retenant dans certains cas des enveloppes décloisonnées entre établissements de santé et ville ou une

approche régionalisée.

La gestion des enveloppes devrait permettre des évolutions variables dans la composition de l'offre territoriale.

La notion de médicalisation de l'ONDAM suggère une construction de l'ONDAM fondée sur une compréhension des dynamiques pathologiques et médicales à l'œuvre dans le système de santé. Ce type de découpage donne les moyens de concrétiser le lien souhaité lors de la mise en place de l'ONDAM entre l'exercice annuel d'encadrement de la dépense réalisé dans le cadre du PLFSS et la fixation d'objectifs sanitaires pluriannuels. Il permet de développer une approche en termes de gains d'efficience ou d'économies à réaliser décloisonnée et « médicalisée ». Il est mis en œuvre par la CNAMTS dans son rapport annuel « Charges et Produits ». Il pourrait être à terme utilisé pour orienter de façon transversale le pilotage et l'allocation des moyens.

Une reconfiguration du découpage de l'ONDAM articulée avec l'approche médicalisée dépassant les découpages sectoriels actuels devrait être mise à l'étude.

7. Pour une tarification au service de l'innovation

Avoir une gouvernance institutionnelle et financière accommodante en termes d'innovations est une nécessité. Il faut aussi que les incitations micro-économiques permettent l'émergence et l'implémentation des innovations techniques ou organisationnelles jugées pertinentes.

Qu'en est-il de ces incitations et donc de l'appréciation que l'on peut porter sur le système de tarification ?

Il est fréquent qu'une évolution technique ou organisationnelle conduisant à déporter une partie de l'activité sur le segment ambulatoire soit freinée par l'établissement hospitalier qui ne souhaite pas voir diminuer ses recettes (par exemple chimiothérapie à domicile, dialyse à domicile). Pour faire face à ces difficultés, plusieurs options peuvent être discutées :

- Faciliter pour l'établissement la réorganisation des activités en gérant notamment les effets revenus ;
- Faciliter la participation de l'établissement aux dispositifs de coordination ville/hôpital ;
- Créer des prestations spécifiques pour accompagner la prise en charge ambulatoire des patients, pour suivre l'exemple de la création en 2016 d'une

mission d'intérêt général (MIG) « primo-prescription en chimiothérapie orale ».

Les déports de prise en charge ne sont pas sans conséquence pour les patients et leur famille s'agissant des soins, des services et des aides techniques. Il s'agit d'un point de vigilance à prendre en compte dans la réflexion sur la tarification et les conditions de remboursement.

Ces évolutions ne règlent cependant pas les questions posées par des transferts importants d'activité de l'hospitalisation à l'ambulatoire et au domicile et par des prises en charge coordonnées.

Sur ce dernier point, le mouvement a déjà été engagé dans le cadre des ENMR (expérimentations de nouveaux modes de rémunération) et du récent règlement arbitral applicable aux structures de santé pluri-professionnelles de proximité¹⁵ : versement d'une rémunération en fonction de l'atteinte de certains objectifs (accès aux soins, travail en équipe, développement du système d'information, missions de santé publique, coordination des prises en charge pour les situations complexes).

Mais la part de ces nouveaux modes de rémunération reste faible (inférieure à 5% du chiffre d'affaires des maisons de santé pluri-professionnelles bénéficiaires par exemple). Comment imaginer dès lors à un horizon d'une quinzaine d'années la rémunération des structures pluri professionnelles ambulatoires ? Une réponse pourrait être la globalisation des paiements, ce qui simplifierait la gestion et inciterait les structures concernées à optimiser les moyens mis en œuvre. La logique à privilégier est, en tout état de cause, celle de la rétribution d'activités et de services rendus et non de structures.

S'agissant du déport d'activité d'un secteur à l'autre ou de la fongibilité entre ceux-ci, un certain nombre de facteurs militent pour diversifier les modalités de tarification :

- La tarification à l'activité et la gestion séparée des enveloppes n'encouragent pas les transferts d'activité souhaitables notamment de l'hôpital vers la ville ;
- Pour accompagner le parcours de soins de malades chroniques, le système actuel apparaît contre-productif : parcours segmenté, coordination non valorisée, prestations utiles et nécessaires comme l'éducation thérapeutique financées sur des bases fragiles et non pérennes ;

- Certaines prises en charge recouvrent un ensemble d'actes et prestations associés, et justifient que soit mis en place un forfait, dont les contours peuvent être variables selon les cas¹⁶.

Pour ces différentes raisons, des systèmes de « paiement groupé » (« bundle payment »¹⁷) ont été mis en place dans plusieurs pays, à titre expérimental ou pérenne. Ce système généralise le principe : « l'argent suit le malade ».

En France le ministère de la Santé a choisi de démarrer des expérimentations de financement au parcours de soins pour trois types de population¹⁸ : les personnes atteintes d'insuffisance rénale chronique, d'affections cancéreuses traitées par radiothérapie externe et les enfants et adolescents atteints d'obésité sévère.

Enfin, dans un cadre de régulation financièrement contraint, il est nécessaire de veiller à l'existence d'une marge suffisante d'investissement permettant d'accompagner les transformations structurelles des établissements aussi bien que de la ville.

Vers la tarification décloisonnée ?

Le principe général est de fixer, pour un épisode de soins (par exemple une hospitalisation, les soins pré et post-opératoires, les réhospitalisations, etc.) ou une période donnée pour les pathologies chroniques (semestre ou année), une rémunération forfaitaire globale qui couvre l'ensemble des moyens nécessaires (prothèses, médicaments, transports, etc.). Pour les soins et prescriptions « hors forfait », c'est-à-dire générés par d'autres pathologies ou d'autres événements sans lien avec l'épisode, la tarification relève de la procédure habituelle.

Il y a deux grands types d'approche :

- L'approche par épisode au sens strict, basée sur un épisode caractérisé, limité dans le temps (ex : intervention chirurgicale programmée, période de récupération après infarctus) ;
- L'approche populationnelle ou territoriale, plus adaptée aux pathologies chroniques

¹⁵ Arrêté du 23 février 2015.

¹⁶ Forfait qui peut être un forfait tout compris intégrant la prise en charge complète d'un épisode de soins (en ville et à l'hôpital), ou encore d'un segment particulier de la prise en charge.

¹⁷ Plusieurs termes sont utilisés pour traduire « bundle payment » : paiement (ou forfait) au parcours, paiement (ou forfait) à l'épisode de soins, forfait global par patient,...

¹⁸ Lois de financement de la sécurité sociale pour 2014 et 2015.

selon laquelle l'opérateur gère les parcours d'un ensemble de patients atteints d'une affection donnée sur un territoire, pendant une certaine période, ouvrant alors la possibilité de financer les tâches de coordination, l'accompagnement du patient, etc.

Au regard de la complexité d'un tel dispositif, il paraît pertinent de démarrer par des domaines où les avantages attendus paraissent particulièrement importants comme l'insuffisance rénale chronique terminale, la prise en charge des chimiothérapies, l'orthopédie froide, ou la prise en charge des personnes âgées dépendantes à domicile.

La principale difficulté réside dans la répartition du paiement forfaitaire entre les différents acteurs de soins.

Ces observations illustrent la nécessité de conduire concomitamment les réflexions sur la tarification et les réflexions sur de nouvelles formes de coordination et d'intégration de l'activité des offreurs de soins.