

CONTEXTE

Les données de vie réelle sont de plus en plus reconnues comme une source d'information essentielle et complémentaire aux études cliniques et ont fait l'objet d'une attention croissante dans l'évaluation des technologies de la santé (ETS) au cours des dernières années.

OBJECTIFS

Les objectifs de cette étude sont de :

- Décrire le rôle des études post-inscription (EPI) dans le processus d'ETS.
- Décrire l'évolution des EPI en France.

RESULTATS

1/ Aires thérapeutiques et objectifs des études post-inscription

253 études ont été menées entre 1997 et 2020, dont :

- 126 études achevées, la **cardiologie** et la **rhumatologie** étant les aires thérapeutiques les plus représentées
- 127 études en cours, notamment en **oncologie** et en **endocrinologie**

Etudes achevées (n = 126 ; 121 médicaments)		Aires thérapeutiques concernées	Etudes en cours (n = 127 ; 120 médicaments)	
Nombre d'études concernées (N)	% (N/n)		Nombre d'études concernées (N)	% (N/n)
17	13%	Cardiovasculaire	10	8%
16	13%	Rhumatologie	6	5%
14	11%	Endocrinologie et métabolismes	16	13%
11	9%	Oncologie	18	14%
11	9%	Maladies infectieuses	13	10%
10	8%	Neurologie	10	8%
10	8%	Urologie	12	9%
7	6%	Diabétologie	0	0%
7	6%	Psychiatrie	1	1%
6	5%	Dermatologie	15	12%
32	25%	Autres	22	17%
7	6%	Plusieurs aires thérapeutiques	3	2%

Tableau 1 : Comparaison des aires thérapeutiques concernées entre les études achevées et en cours

METHODES

En 2019, la Haute Autorité de Santé (HAS) a rendu publique sur son site la liste des médicaments concernés par une EPI, comportant deux catégories :

- Les médicaments avec une demande d'EPI en cours
- Les médicaments qui ont un avis publié concernant une EPI terminée.

Tous les avis publiés avant avril 2020 ont été collectés et analysés.

Une analyse quantitative a été réalisée à partir de la catégorie « objectifs de l'étude » ainsi qu'une analyse qualitative des commentaires et recommandations émis par la Commission de Transparence (CT) de la Haute Autorité de Santé (HAS).

L'évolution, par aires thérapeutiques et par objectifs des études, de deux indicateurs a également été analysée : le **Service Médical Rendu (SMR)** et l'**Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR)**.

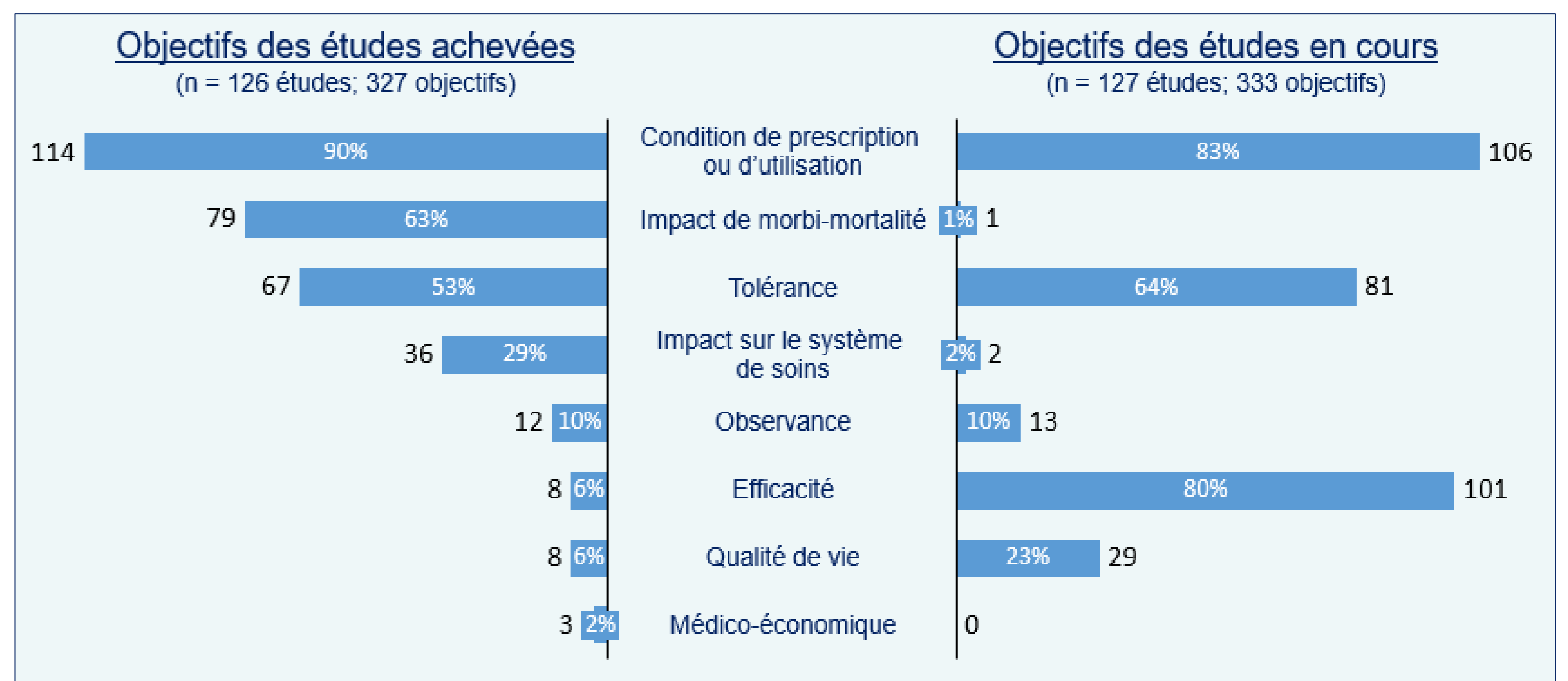


Figure 1 : Comparaison des objectifs entre études achevées et études en cours

- L'évaluation des **conditions de prescription ou d'utilisation des médicaments** est l'objectif le plus fréquent, pour les études achevées et pour les études en cours (>80%).
- L'impact de **morbi-mortalité** et l'**impact sur le système de soins** sont des préoccupations plus importantes pour les études achevées par rapport aux études en cours (63% et 29% vs 1% et 2% respectivement).
- A l'inverse, les études en cours montrent un intérêt plus particulier pour l'**évaluation de l'efficacité** et de la **qualité de vie** par rapport aux études achevées (80% et 23% vs 6%).

2/ Evolution du SMR et ASMR à la suite d'études post-inscription

Des informations sur l'évolution du SMR et de l'ASMR ont pu être clairement identifiées dans respectivement **199 et 66 recommandations** de la commission de la transparence.

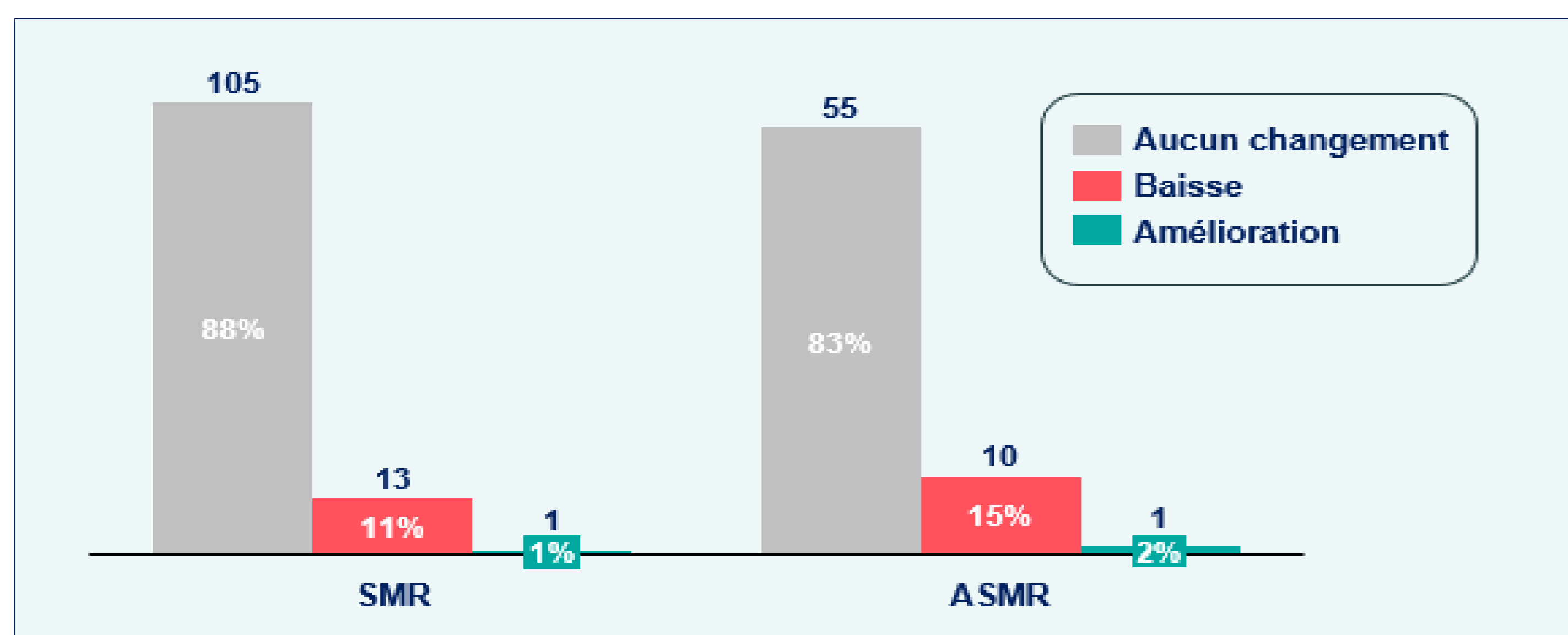


Figure 2 : Évolution du SMR et de l'ASMR à la suite des réévaluations pour lesquelles des études post-enregistrement ont été soumises

- Dans la majorité des cas, le SMR et l'ASMR ont été maintenus.
- Le **SMR** a été modifié pour **12%** des études et de l'**ASMR** pour **17%**
- Le SMR et l'ASMR ont été majoritairement impactés **négativement** (11% et 15% respectivement), avec une amélioration observée une seule fois pour chacun des indicateurs
- **2 études** seulement ont vu à la fois le **SMR** et l'**ASMR** être modifiés.

	SMR		ASMR	
	Détérioration	Amélioration	Détérioration	Amélioration
Objectifs des études	Condition de prescription ou d'utilisation (10) Impact sur le système de soins (10) Impact de morbi-mortalité (6) Tolérance (4)	Condition de prescription ou d'utilisation (1) Impact de morbi-mortalité (1) Impact sur le système de soins (2) Médico-économique (1) Qualité de vie (1) Tolérance (1)	Condition de prescription ou d'utilisation (9) Impact de morbi-mortalité (7) Impact sur le système de soins (2) Médico-économique (1) Observance (1) Qualité de vie (1) Tolérance (7)	Condition de prescription ou d'utilisation (1) Impact de morbi-mortalité (1)
Aires thérapeutiques	Rhumatologie (8) Cardiovasculaire (2) Diabétologie (1) Maladies infectieuses (1) Psychiatrie (1)	Cardiovasculaire (1)	Oncologie (3) Dermatologie (1) Endocrinologie et métabolismes (1) Hématologie (1) Maladies infectieuses (1) Ophtalmologie (1) Psychiatrie (1) Radiodiagnostic et imagerie médicale (1) Rhumatologie (1)	Endocrinologie et métabolismes (1)

Tableau 2 : Objectifs et aires thérapeutiques des études associées aux modifications du SMR et de l'ASMR

- L'amélioration du **SMR** a été constatée sur une étude en **cardiologie** qui cible principalement: les conditions de prescription, impact de morbi-mortalité, l'observance, la qualité de vie, et la tolérance.
- L'amélioration de l'**ASMR** a été constatée sur une étude en **endocrinologie** qui cible principalement les conditions de prescription et l'impact de morbi-mortalité.

3/ Commentaires de la Haute Autorité de Santé

Commentaires de la HAS	Nombre d'études concernées (n = 126 ; 157 occurrences)
Besoin de données supplémentaires	19 (15%)
Problème de représentativité	18 (14%)
Méthodologie discutable (types d'analyses, critères de jugement, évaluation des biais, méthodes de validation ou de comparaison...)	16 (13%)
Commentaires positifs	9 (7%)
Suivi longitudinal des patients	8 (6%)
Problème de taille d'échantillon	8 (6%)
Biais de recrutement / de sélection	7 (5%)
Autre : Type d'étude (design) / Durée	4 (3%)
Aucun commentaire	68 (54%)

Tableau 3 : Commentaires de la HAS sur les EPI évaluées

Concernant les Etudes Post-Inscription, la HAS souligne le plus souvent :

- Un besoin de données supplémentaires (**15%**)
- Un problème de représentativité (**14%**)
- Un problème de méthodologie (**13%**)

CONCLUSION

L'impact des études de données de vie réelle sur l'évolution du SMR et de l'ASMR reste incertain. Des problèmes méthodologiques ont été relevés dans les études passées.

Le guide de la HAS sur l'évaluation en vie réelle des médicaments et des dispositifs médicaux (à paraître en 2021) pourrait permettre de mieux définir les standards attendus par les autorités de santé pour la collecte et l'analyse des données de vie réelle.