

Saint-Denis, le

Madame, Monsieur

Le décret du 24 août 2005, relatif au contrat de bon usage des médicaments, produits et prestations, spécifie que le respect des contrats signés entre les établissements de santé et les agences régionales de l'hospitalisation conditionne le remboursement intégral des médicaments, produits et prestations financés en sus des groupes homogènes de séjour (GHS).

Le contrat-type annexé au décret stipule que l'utilisation de ces produits doit être conforme, soit à l'AMM pour les médicaments, soit aux indications retenues par la LPP pour les dispositifs médicaux, soit aux protocoles thérapeutiques définis par l'agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (Afssaps), la Haute Autorité de Santé (HAS) ou l'Institut National du Cancer (INCa).

Dans ce contexte, l'Afssaps, la HAS et l'INCa sont chargés de coordonner l'élaboration de référentiels de bon usage pour les produits de la liste « hors GHS ».

Afin de prendre en compte les travaux déjà réalisés, l'Afssaps et la HAS souhaitent rassembler les référentiels existants et connaître leur méthodologie d'élaboration (cf. questionnaire ci-joint).

Nous vous serions donc gré de bien vouloir nous faire parvenir rapidement (si possible dans un délai d'un mois) les travaux dont vous avez connaissance dans ce domaine, aux adresses suivantes : [nathalie.dumarcet@afssaps.sante.fr](mailto:nathalie.dumarcet@afssaps.sante.fr) et [f.meyer@has-sante.fr](mailto:f.meyer@has-sante.fr).

Nous vous en remercions vivement par avance et ne manquerons pas de vous tenir informée de la suite donnée à ce travail.

Recevez, Madame, Monsieur, l'expression de notre considération distinguée.

**Jean MARIMBERT**

**Alain COULOMB**

## Questionnaire d'information sur la méthodologie générale utilisée pour l'élaboration des protocoles thérapeutiques ou référentiels « hors-GHS »

Vous avez participé à l'élaboration ou identifié l'existence de référentiels qui pourraient être utilisés dans le cadre du « contrat de bon usage des médicaments et des produits et prestations » défini par le décret n°2005-1023 du 24 août 2005.

Ce décret stipule que l'utilisation des médicaments et des dispositifs médicaux financés en sus des GHS doit être conforme à l'AMM ou à la LPP ou aux protocoles thérapeutiques définis par l'Afssaps, la HAS ou l'Inca.

C'est pourquoi, nous souhaitons établir un état des lieux des référentiels de bon usage déjà élaborés en France.

Le questionnaire de 3 pages qui suit a pour objectif de connaître de façon précise la méthodologie adoptée pour l'élaboration des référentiels collectés. Il est probable que vous répondiez négativement à une partie des items abordés. Ceci n'entache en aucun cas le sérieux et la validité des travaux concernés.

### 1) Composition du groupe de travail (GT) qui a élaboré le référentiel

- Le GT était-il pluridisciplinaire et multiprofessionnel ?  OUI  NON
- Le GT comprenait-il des méthodologistes ou épidémiologistes ?  OUI  NON
- Les conflits d'intérêts étaient-ils identifiés au départ ?  OUI  NON
- La composition du GT respectait-elle une représentation équilibrée des différents modes d'exercice (public [CHU/CHG], privé) ?  OUI  NON
- L'origine géographique des membres du GT était-elle variée et représentative de la prise en charge française ?  OUI  NON
- L'avis du GT a-t-il été modélisé à l'aide d'une méthode explicite de consensus formalisé (échelle numérique de cotation, méthode *Delphi*, méthode « *RAND/UCLA appropriateness method* », etc.) ?  OUI  NON
- Le travail a-t-il été réalisé de manière indépendante des firmes pharmaceutiques ?  OUI  NON
- Le travail a-t-il été réalisé de manière indépendante des financeurs (caisses d'assurance maladie, mutuelles, etc...) et des directions des établissements de santé ?  OUI  NON

### 2) Ciblage des situations à évaluer

Cette phase vise à délimiter le champ des situations hors-AMM ou hors-LPP où les professionnels ont la plus forte probabilité d'utiliser les spécialités et DM concernés.

- Avez-vous interrogé l'Afssaps ou la HAS ?  OUI  NON

- Avez-vous réalisé une recherche bibliographique systématique sur bases de données pour cibler les situations à évaluer ?  OUI  NON
- Avez-vous disposé de données observationnelles sur les prescriptions ou sur l'utilisation des produits concernés ?  OUI  NON
- Avez-vous interrogé d'autres organismes ou groupes professionnels (collégiale, sociétés savantes, etc.) sur les référentiels déjà élaborés ?  OUI  NON
- Avez-vous interrogé des firmes sur les données scientifiques hors-AMM ou hors-LPP ?  OUI  NON
- Les études et indications déjà couvertes par l'AMM et la LPP ont-elles été réévaluées ?  OUI  NON
- Les variations des modalités d'utilisation (par exemple de posologie hors AMM) des spécialités pharmaceutiques ont-elles fait l'objet d'un examen spécifique ?  OUI  NON

### **3) Analyse critique de la littérature et formulation des indications retenues**

- **Définition des situations scientifiquement acceptables :**

Pouvez-vous expliciter les critères ayant amené, pour un produit donné, à retenir ou non une situation en fonction de sa légitimité réglementaire ou scientifique ?:

.....

.....

.....

.....

- Une grille d'analyse de la littérature avec niveaux de preuve ou grade de recommandations a-t-elle été utilisée pour élaborer le référentiel ?  OUI  NON
- A-t-il été tenu compte :
  - des différents comparateurs possibles [le produit de référence ayant l'AMM ou inscrit sur la LPP, l'option thérapeutique la plus utilisée en pratique dans la situation évaluée (y compris lorsqu'il s'agit d'un acte médical)] ?  OUI  NON
  - du rapport bénéfice/risque et du type de critères pris en compte (critères directs vs. critères de substitution) ?  OUI  NON
  - de l'intérêt clinique des différences d'efficacité ou de tolérance mises en évidence entre les situations comparées ?  OUI  NON
  - de la transposabilité des résultats expérimentaux à la pratique réelle (les conditions de l'évaluation ne correspondent pas toujours à la pratique réelle, et il peut y avoir des problèmes de « repérage » des patients, d'adhésion au traitement, etc.) ?

- OUI    NON
- o de l'applicabilité de l'intervention dans la pratique française (par ex. en raison de problèmes de coûts ou d'environnement, ou de procédure de diagnostic non utilisée en France) ?
- OUI    NON
- o des aspects médico-économiques ?
- OUI    NON
- Le niveau de preuve exigé a-t-il été adapté en fonction de certaines situations particulières, par exemple dans le cas d'indications rares, etc. ?
- OUI    NON
- Les indications retenues ont-elles été explicitées, notamment lorsqu'elles comprenaient un terme de nature qualitative, par exemple « stade évolutif » ou « sévère » ou lorsqu'une procédure diagnostique particulière doit être utilisée ?
- OUI    NON
- Les situations compassionnelles (extrême recours [x<sup>ième</sup> ligne] et sans niveau de preuve) ont-elles été abordées ?
- OUI    NON

#### **4) Validation par un comité d'experts ou un groupe de lecture**

- **Un groupe de lecture a-t-il été consulté ?**
- OUI    NON
- **Composition du groupe de lecture (GL) :**
  - o Le GL était-il pluridisciplinaire et multiprofessionnel ?
  - OUI    NON
  - o Le GL comprenait-il des méthodologistes ou épidémiologistes ?
  - OUI    NON
  - o Le GL comprenait-il des représentants de patients ?
  - OUI    NON
  - o Les firmes pharmaceutiques dont les produits ont été évalués ont-elles été consultées ou ont-elles eu un droit de regard ?
  - OUI    NON
  - o Les conflits d'intérêt des membres du GL étaient-ils identifiés au départ ?
  - OUI    NON
  - o La composition du GL respectait-elle une représentation équilibrée des différents modes d'exercice (public [CHU/CHG], privé) ?
  - OUI    NON
  - o L'origine géographique des membres du GL était-elle variée et représentative de la prise en charge française ?
  - OUI    NON
  - o L'avis du GL a-t-il été modélisé à l'aide d'une méthode explicite (échelle numérique de cotation, méthode *Delphi*, méthode « *RAND/UCLA appropriateness method* », etc.) ?
  - OUI    NON

#### **5) Actualisation**

- **Avez-vous prévu une procédure d'actualisation ?**
- OUI    NON
- **Comment ?**

.....

.....

.....  
.....

**6) Format de production**

- **Le référentiel produit comprend-il une porte d'entrée par voie informatique ?**  
 OUI  NON
  
- **Les référentiels produits (informatisés ou non) précisent-ils :**
  - les situations réglementaires (AMM et LPP) ?  OUI  NON
  - les situations scientifiquement acceptables hors AMM ou hors LPP ?  
 OUI  NON
  - les situations scientifiquement non acceptables ?  OUI  NON
  - un rappel sommaire sur la méthode utilisée ?  OUI  NON
  - le détail des sources consultées ainsi que la stratégie de recherche et ses mises à jour  
 OUI  NON
  - la composition des groupes de travail et de lecture ?  OUI  NON
  - les références bibliographiques ayant servi de support à leur élaboration ?  
 OUI  NON
  - un argumentaire bibliographique comprenant une analyse critique sommaire avec niveau de preuve des études correspondantes (en permettant la critique méthodologique) ?  
 OUI  NON
  - le cas échéant, les règles de bon usage (posologie, précautions d'emploi, modalités de suivi...) ?  OUI  NON
  - des indications générales sur les modalités de suivi et le système de surveillance à prévoir ?  OUI  NON

**7) Autres commentaires que vous souhaitez apporter sur la qualité méthodologique des référentiels que vous avez identifiés ou auxquels vous avez collaboré :**

.....  
.....  
.....  
.....  
.....  
.....

**Merci beaucoup pour les renseignements que vous nous avez apportés.**