



Berne, juin 2017

Évolutions dans le domaine de la médecine axée sur les données ; enjeux et tâches pour l'OFSP

Rapport du groupe de travail « Médecine personnalisée » de l'OFSP

Le présent rapport est un document de travail évolutif, régulièrement mis à jour par le groupe de travail « Médecine personnalisée ».

Table des matières

| | | |
|----------|--|-----------|
| 1 | Médecine axée sur les données : buts, bases et concepts | 4 |
| 1.1 | Données de santé | 4 |
| 1.2 | Situation juridique en Suisse | 5 |
| 1.3 | Utilisation des données et des échantillons médicaux : concepts et approches | 6 |
| 1.3.1 | Terminologie / Définitions | 7 |
| 1.3.2 | Autres approches | 8 |
| 2 | Bénéfices et risques liés à la médecine axée sur les données | 9 |
| 2.1 | Opportunités | 9 |
| 2.2 | Risques | 10 |
| 3 | Coûts de la santé | 11 |
| 4 | Initiatives à grande échelle en Suisse | 12 |
| 4.1 | Initiatives dans le domaine de la recherche | 13 |
| 4.1.1 | Swiss personalized health network | 13 |
| 4.1.2 | Association « Données et santé » et MiData.coop | 13 |
| 4.1.3 | Phase pilote Human biomonitoring | 14 |
| 4.1.4 | Swiss Biobanking Platform | 15 |
| 4.1.5 | Biobanque institutionnelle de Lausanne | 15 |
| 4.1.6 | Health 2030 | 16 |
| 4.2 | Stratégies dans le domaine de l'utilisation primaire et de la gestion des données de santé | 16 |
| 4.2.1 | Stratégie cybersanté de la Confédération et des cantons | 16 |
| 4.3 | Initiatives parallèles | 17 |
| 4.3.1 | Consentement général de portée nationale | 17 |
| 4.3.2 | Recommandations concernant les registres | 18 |
| 5 | Interfaces entre les thèmes / projets de l'OFSP et la médecine axée sur les données | 19 |
| 5.1 | Recherche | 19 |
| 5.1.1 | Évolutions actuelles | 19 |
| 5.1.2 | Bases légales / projets de l'OFSP | 20 |
| 5.1.3 | Défis | 20 |
| 5.1.4 | Problématiques et tâches | 20 |
| 5.2 | Autorisation des médicaments et surveillance du marché | 21 |
| 5.2.1 | Évolutions actuelles | 21 |
| 5.2.2 | Bases légales / projets de l'OFSP | 21 |
| 5.2.3 | Défis | 21 |
| 5.2.4 | Problématiques et tâches | 22 |
| 5.3 | Diagnostic | 22 |
| 5.3.1 | Évolutions actuelles | 22 |
| 5.3.2 | Bases légales / projets de l'OFSP | 23 |
| 5.3.3 | Défis | 23 |
| 5.3.4 | Problématiques et tâches | 24 |
| 5.4 | Prévention et traitement | 24 |
| 5.4.1 | Évolutions actuelles | 24 |
| 5.4.2 | Bases légales / projets de l'OFSP | 24 |
| 5.4.3 | Défis | 25 |
| 5.4.4 | Problématiques et tâches | 25 |
| 5.5 | Remboursement par l'assurance obligatoire des soins | 25 |

Evolutions de la médecine axée sur les données

| | | |
|------------|--|-----------|
| 5.5.1 | Évolutions actuelles | 25 |
| 5.5.2 | Bases légales / projets de l'OFSP | 26 |
| 5.5.3 | Défis | 26 |
| 5.5.4 | Problématiques et tâches | 27 |
| 5.6 | Formation des professionnels de la santé et information de la population | 28 |
| 5.6.1 | Évolutions actuelles | 28 |
| 5.6.2 | Bases légales / projets de l'OFSP | 28 |
| 5.6.3 | Défis | 28 |
| 5.6.4 | Problématiques et tâches | 28 |
| 6 | Volume important de données générées, recueillies et utilisées par l'OFSP | 29 |
| 7 | Références internationales | 29 |
| 7.1 | Actes législatifs..... | 30 |
| 7.2 | Recommandation pour le traitement des données de santé | 30 |
| 8 | Conclusions du groupe de travail | 33 |
| | Liste des abréviations..... | 34 |
| | Références bibliographiques | 35 |

1 Médecine axée sur les données : buts, bases et concepts

Le passage au numérique atteint aussi le domaine de la santé, qu'il transforme à grande vitesse: jamais il n'a été aussi facile de recueillir et de stocker des données sur la santé, et jamais cette masse d'information n'a pu être exploitée aussi facilement, grâce à des processeurs toujours plus puissants et à de nouvelles méthodes d'appariement et de traitement des données.

Les données de santé représentent un énorme potentiel. Pour autant que ces données soient judicieusement exploitées, on peut s'attendre à des avancées déterminantes non seulement dans la recherche médicale, mais aussi dans l'optimisation des soins individuels, ainsi qu'à des progrès dans le domaine de la santé publique. Dans le même temps, cette évolution ouvre des perspectives de soins « sur mesure » pour les consommateurs et de nouveaux modèles économiques. L'utilisation optimale des données de santé devrait amener à une médecine plus prédictive et plus préventive, ainsi que davantage personnalisée, c.-à-d. plus précise et plus participative (Flores et al. 2013 ; Hood et Friend 2011). L'exploitation de données jusqu'alors inaccessibles, issues des sources les plus diverses et reliées entre elles (*data link*), ainsi que l'analyse poussée de ces données notamment rend tout cela possible. Peuvent en résulter une médecine proposant des soins taillés sur mesure en fonction de la personne et du stade de sa maladie (médecine personnalisée, médecine de précision), de même qu'une approche donnant la possibilité de détecter les prédispositions à certaines maladies (médecine prédictive) et d'intervenir précocement au moyen de mesures ciblées (médecine préventive). Enfin, on s'attend de plus en plus à une participation active d'un consommateur connecté, informé et exigeant de sa propre santé (médecine participative).

1.1 Données de santé

Par « données de santé » (ou « données liées à la santé »), on entend les données issues de sources très diverses qui, d'une quelconque manière, décrivent l'état de santé d'une personne ou sont susceptibles de l'influencer. Au sens du présent document, ce sont, par exemple, les données suivantes :

- données issues de l'anamnèse et des soins : âge, sexe, symptômes, antécédents médicaux, anamnèse familiale, allergies, troubles de la vue ou de l'ouïe, handicaps physiques, maladies infectieuses, vaccinations, maladies psychiques, thérapies médicamenteuses, etc. ;
- données issues d'examens médicaux traditionnels : poids, pression artérielle, résultats d'examens par imagerie médicale, résultats d'analyses (y c. biosurveillance), d'électrocardiogrammes, d'électroencéphalogrammes, etc. ;
- informations génétiques : résultats de tests génétiques moléculaires¹, de tests cytogénétiques² ou d'analyse du génome entier, données épigénétiques³, etc. ;
- analyses « omiques » : données détaillées relatives aux protéines (protéomique), aux métabolites (métabolomique), aux lipides (lipidomique), aux transcrits ARNm (transcriptomique)⁴, aux données relatives aux microbiotes humains (microbiomique), etc. ;
- données socio-économiques : formation, profession, revenu, situation familiale, contexte migratoire, etc. ;
- environnement : qualité de l'air et de l'eau, tabagisme passif, radon, métaux lourds, exposition professionnelle à des agents nocifs, etc. ;

¹ Les tests génétiques moléculaires visent à déterminer la structure moléculaire des acides nucléiques (ADN et ARN).

² Les tests cytogénétiques permettent de déterminer le nombre et la structure des chromosomes.

³ L'épigénétique étudie les modifications chimiques de la chaîne ADN (ou des protéines qui l'entourent) qui déterminent l'activité des gènes et par conséquent le développement d'une cellule.

⁴ Le transcriptome est l'ensemble des molécules ARN issues de la transcription de l'ADN et présentes à un moment donné dans une cellule.

Evolutions de la médecine axée sur les données

- mode de vie : tabagisme, consommation d'alcool, de drogue ou de médicaments, habitudes alimentaires, activité physique, etc. ;
- données de santé mobile (mHealth), relevées par des appareils mobiles tels que téléphones, dispositifs de surveillance des patients, assistants numériques personnels et autres dispositifs sans fil ;
- données d'applications et d'objets connectés personnels (*wearables*)⁵ (domaine de la mesure de soi [*quantified self*], cf. chap. 1.3.2) ;
- données issues de projets de recherche : recherche fondamentale dans les domaines de la biomédecine ou de la systémique biologique et médicale, recherche en sciences sociales, en santé publique, en épidémiologie, recherche clinique, en soins infirmiers ou sur les services de santé ;
- données issues des assurances privées et des assurances sociales : comportements à risque, type d'atteinte à la santé (accident, maladie), etc. ;
- données issues des réseaux sociaux ;
- données concernant les habitudes d'achat : recueillies sur internet ou de manière traditionnelle (cartes Cumulus ou Supercard).

Cette variété de données mène à une vision beaucoup plus large de la santé qui implique de nouveaux acteurs – autres que les patients, clients, fournisseurs de prestations, chercheurs et représentants de l'industrie médicale et pharmaceutique – visant une certaine performance dans le domaine de la santé. L'OMS va même jusqu'à dire qu'il se forme actuellement tout un écosystème autour des données de santé (cf. fig. 1)⁶.

1.2 Situation juridique en Suisse

En Suisse, les conditions d'utilisation et de traitement des données personnelles par des tiers sont régies par la loi fédérale sur la protection des données (LPD ; RS 235.1). Les données relatives à la santé sont qualifiées de données sensibles, dont le traitement requiert un consentement exprès. Le droit suisse stipule que les données personnelles appartiennent à la personne concernée ; elles ne peuvent être utilisées par des tiers qu'à certaines conditions. Dans le domaine médical, cela signifie qu'un médecin ne peut utiliser les données du patient que pour le but prévu – par exemple, pour le traitement médical⁷. Cette utilisation dite primaire des données personnelles n'est pas contestée. Les données patient sont aussi réglementées dans des textes législatifs tels que la loi fédérale sur le dossier électronique du patient (LDEP ; RS 816.1), la loi fédérale sur l'enregistrement des maladies oncologiques (LEMO ; RS 831.10 ; entrée en vigueur échelonnée, les 15.3.2018 et 1.1.2019), la loi fédérale sur l'analyse génétique humaine (LAGH ; RS 810.12) et la loi fédérale sur l'assurance-maladie (LAMal ; RS 832.10).

La réutilisation de données et d'échantillons de patients (utilisation dite secondaire) est régie par la loi relative à la recherche sur l'être humain (LRH ; RS 810.30). Le prélèvement de matériel biologique et la collecte de données personnelles liées à la santé en vue de leur utilisation à des fins de recherche nécessitent le consentement préalable de la personne concernée. De plus, les échantillons et les données recueillis pour un but précis – p. ex. un traitement médical ou un projet de recherche achevé – ne peuvent être réutilisés à d'autres fins de recherche qu'avec le consentement de la personne concernée, préalablement informée de son droit de s'y opposer. Les conditions liées au consentement sont plus ou moins strictes selon la nature des données (données génétiques ou non génétiques) et

⁵ Les applications sont des programmes installés sur les téléphones mobiles ou tablettes électroniques, tandis que les objets connectés personnels (*wearables*) sont des accessoires portables tels que les appareils numériques de mesure de la glycémie ou de la pression sanguine, les bracelets connectés mesurant l'activité physique ou les montres de course enregistrant les pas et les distances.

⁶ <http://www.who.int/ehealth/resources/ecosystem/en/#>

⁷ Définitions selon LDEP : on entend par traitement médical tout acte exécuté par un professionnel de la santé dans le but de guérir ou de soigner un patient ou de prévenir, dépister ou diagnostiquer une maladie ou d'en atténuer les symptômes.

Evolutions de la médecine axée sur les données

selon le potentiel d'identification de la personne concernée (données non codées/identifiantes, codées/processus réversible, anonymisées/processus irréversible). La LRH prévoit par ailleurs la possibilité d'un « consentement général » (CG) pour la réutilisation à des fins de recherche de données non génétiques non codées et de données et d'échantillons génétiques codés. Il s'agit d'un consentement unique du patient, qui permet d'éviter de devoir le solliciter à nouveau pour des projets de recherche successifs, non encore définis au moment de la demande initiale.



Fig. 1 : Écosystème des données de santé (OMS 2016)

1.3 Utilisation des données et des échantillons médicaux : concepts et approches

Les concepts et les approches en vigueur dans le domaine de la médecine axée sur les données varient tant du point de vue de l'utilisation des données et des échantillons (utilisation orientée sur la pratique médicale / sur la recherche) que du point de vue de l'état de santé des personnes dont elles proviennent (patients / population en bonne santé). Les données provenant de personnes en bonne santé sont utilisées notamment pour le développement et la mise en œuvre de mesures de prévention, tandis que les données provenant de personnes malades servent, d'une part, à établir leur traitement (utilisation primaire) et, d'autre part, à concevoir de nouveaux outils diagnostiques et thérapeutiques ou faire avancer les connaissances en la matière. La figure 2 propose une vue synthétique des concepts et des approches les plus courants en matière d'utilisation des données de santé et des échantillons en fonction des catégories mentionnées. Deux remarques à ce sujet : d'une part, ces

Evolutions de la médecine axée sur les données

concepts et approches ne sont en réalité pas toujours nettement délimités les uns par rapport aux autres ; d'autre part, dans la pratique, certains d'entre eux couvrent plusieurs catégories, ce qui ne peut pas être représenté dans un schéma à deux dimensions (exemple : les informations provenant de biobanques populationnelles peuvent aussi servir dans la pratique médicale).

1.3.1 Terminologie / Définitions

Cybersanté (« eHealth », *electronic Health*) : désigne l'utilisation intégrée des technologies de l'information et de la communication (TIC) pour l'organisation, le soutien et la mise en réseau de tous les processus et acteurs du système de santé.

Santé mobile (« mHealth », *mobile Health*) : désigne les procédures médicales et les mesures de soins de santé supportées par des appareils portables, tels que les téléphones mobiles, les dispositifs de surveillance des patients, les assistants numériques personnels et autres appareils sans fil.

Biobanques thématiques : les biobanques thématiques, c.-à-d. centrées sur des maladies données, recueillent uniquement des échantillons de patients ; certaines d'entre elles sont spécifiques à un type de maladie (p. ex. les cancers, les maladies psychiques, les affections rhumatismales). Les biobanques thématiques sont généralement des biobanques hospitalières, qui conservent à des fins de recherche des échantillons de patients avec leurs antécédents médicaux. De telles collections ressemblent aux biobanques populationnelles, mais ne contiennent généralement pas d'échantillons prélevés sur des personnes en bonne santé (NEK-CNE 2015).

Études de cohorte / cohortes de patients : les données recueillies ou générées lors d'études de cohortes – telles que l'étude suisse de cohorte VIH ou l'étude suisse de cohorte de transplantation – sont collectées dans des banques de données centrées sur des pathologies ou des interventions spécifiques ; les biobanques associées à des études de cohorte sont également fréquentes.

Cohorte basée sur la population : à l'exemple de SAPALDIA⁸ (*Swiss study on air pollution and lung disease in adults*), Co-Laus⁹ (dans le canton de Vaud) ou des projets de biosurveillance humaine, les études de cohorte basées sur la population ont pour but d'étudier l'influence de facteurs physiques, psychiques ou génétiques, ou encore celle de certaines substances (p. ex. polluants, substances chimiques, facteurs environnementaux) sur la population générale. Contrairement aux biobanques populationnelles qui sont plutôt orientées vers la recherche, les cohortes de population ont des visées plus pratiques.

Mégadonnées (big data) dans le domaine de la santé : dans le domaine de la santé, on désigne par mégadonnées les données de santé disponibles en grandes quantités, provenant de sources très diverses (cf. chap. 1.1) et sous différentes formes. L'interprétation de ces données fait appel à des technologies, des algorithmes et des méthodes d'analyse de pointe. La notion de « mégadonnées » ne fait pas seulement référence au volume des données, mais aussi à leur complexité, à l'hétérogénéité de leurs formats et de leurs structures, ainsi qu'à la vitesse à laquelle elles sont générées. La plupart des données ne sont pas structurées (p. ex. texte, images, vidéos) et comportent beaucoup de « bruit de fond » et d'incertitude¹⁰ (p. ex. données provenant des médias sociaux). La spécificité des mégadonnées tient non seulement à leur volume, mais aussi à la manière de les analyser, de les utiliser, de les recueillir, de les interpréter et de les commercialiser.

Médecine personnalisée : aussi appelée médecine individualisée ou médecine de précision, la médecine personnalisée fonde sa pratique non seulement sur le tableau clinique, mais aussi sur le bagage biologique du patient (les caractéristiques génétiques, en particulier, mais aussi d'autres données « omics »). Dans la pratique clinique, la médecine personnalisée (MP) est synonyme d'une approche thérapeutique conçue en fonction de chaque patient, du stade de la maladie, du degré de dif-

⁸ <http://www.sapaldia.ch/fr/>

⁹ http://www.colaus.ch/fr/cls_home/cls_pro_home.htm

¹⁰ Par incertitude, on entend le fait que la pertinence des données par rapport à l'état de santé réel peut fortement varier.

Evolutions de la médecine axée sur les données

férenciation et de caractéristiques bien définies, pour la plupart génétiques. La médecine personnalisée place l'accent sur le diagnostic et le traitement. Les nouveaux médicaments développés en vue de ce modèle de médecine se fondent spécifiquement sur les caractéristiques – génétiques ou autres – identifiées comme étant des facteurs de la maladie.

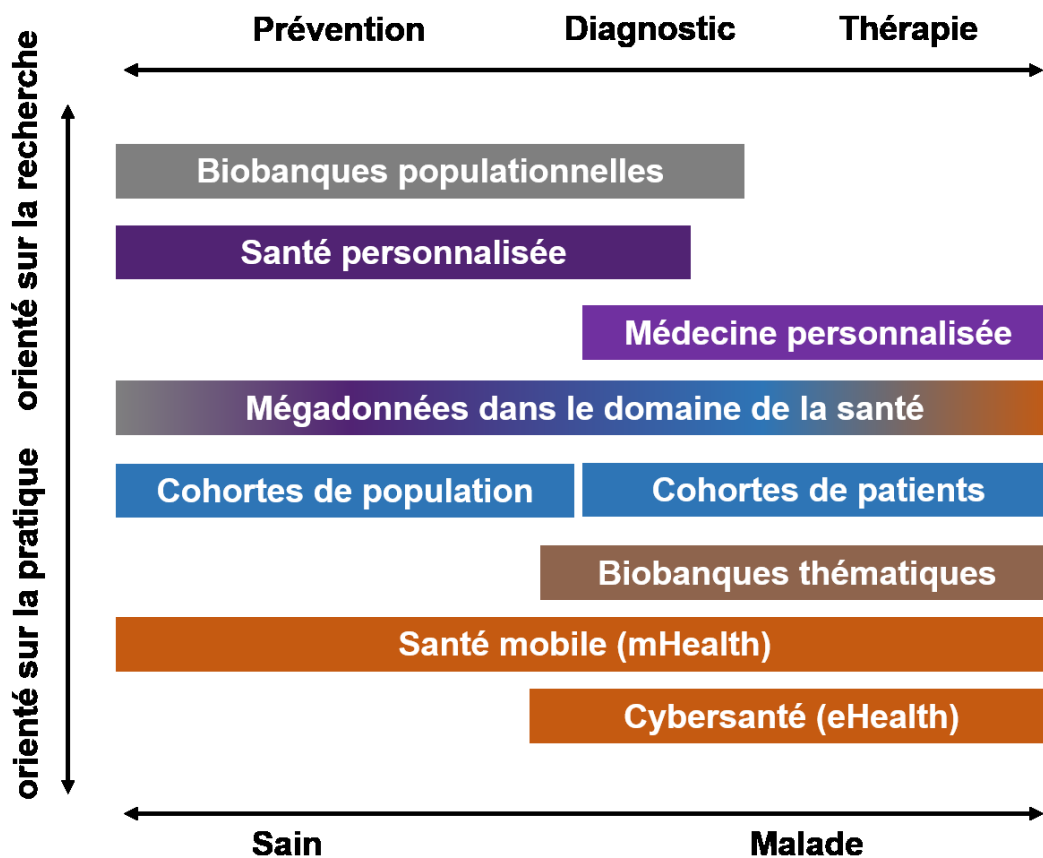


Fig 2 : Principes et approches de la médecine pilotée par les données, selon l'utilisation et la provenance des échantillons et des données de santé

Santé personnalisée : la santé personnalisée va au-delà de la médecine personnalisée, dans la mesure où elle ne se fonde pas uniquement sur le bagage biologique du patient, mais aussi sur d'autres données de santé. De plus, contrairement à la médecine personnalisée, elle prend en compte aussi bien les patients que les personnes en bonne santé, ce qui lui confère une fonction dans le domaine de la prévention et de la promotion de la santé. Les connaissances acquises ne doivent pas profiter uniquement aux patients, mais à l'ensemble de la population (santé publique), par exemple sous la forme de stratégies de santé mises en place grâce à l'identification précoce des risques de maladie.

Biobanques populationnelles : les biobanques dites populationnelles collectent des échantillons auprès de larges pans de la population et intègrent aussi bien des donneurs malades que des donneurs sains. L'analyse de grands volumes d'échantillons et l'interprétation des informations détaillées qui en résultent visent à mieux comprendre les maladies multifactorielles ainsi que les mécanismes d'interaction entre les caractéristiques génétiques et les influences extérieures.

1.3.2 Autres approches

Épidémiologie numérique : traditionnellement, la surveillance des maladies infectieuses repose sur un système de déclaration obligatoire par les médecins et les laboratoires. L'épidémiologie numérique, quant à elle, explore les nouvelles possibilités d'identifier rapidement les variations de l'incidence de maladies infectieuses grâce à l'exploitation de données numériques provenant de diverses sources (p. ex. recherches sur internet) et au moyen de modèles mathématiques.

Evolutions de la médecine axée sur les données

« **Quantified self** » : généralement traduit par « mesure de soi », le « *quantified self* » est une approche qui regroupe les utilisateurs et les fournisseurs de méthodes et d'outils informatiques (matériel et logiciels) permettant d'enregistrer, d'analyser et d'interpréter des données personnelles et des données de l'environnement. Un des buts principaux de la mesure de soi est la meilleure connaissance des caractéristiques personnelles relatives à l'état de santé, aux aptitudes sportives ou aux habitudes individuelles ainsi obtenues.

Intelligence artificielle (IA) : par intelligence artificielle, on entend des logiciels capables de réaliser des tâches complexes qui, autrement, exigeraient un niveau d'intelligence humaine extrêmement élevé. Aujourd'hui déjà, certains algorithmes d'IA dépassent le niveau de performances d'experts humains. L'apprentissage profond (*deep learning*) – une méthode particulière d'apprentissage automatique (*machine learning*) fondée sur des réseaux neuronaux artificiels – est un aspect particulièrement dynamique du domaine de l'IA. Il donne d'excellents résultats lorsqu'il peut s'appuyer sur de vastes ensembles de données fournissant la matière première pour l'entraînement du réseau neuronal. Les algorithmes d'apprentissage profond permettent notamment de modéliser des processus mentaux et intellectuels qui étaient considérés comme étant strictement humains jusqu'il y a peu. En médecine, l'IA est, par exemple, utilisée en imagerie médicale pour interpréter les résultats ou en dermatologie pour différencier des altérations de la peau.

2 Bénéfices et risques liés à la médecine axée sur les données

La médecine axée sur les données offre des opportunités et comporte des risques divers, selon les concepts et les approches appliqués. Les examiner tous dépasserait le cadre du présent rapport. Nous nous concentrons par conséquent sur les aspects généraux majeurs ainsi que sur certaines opportunités et risques liés au concept, au processus ou au système.

2.1 Opportunités

Selon la littérature internationale (OECD 2017), les bénéfices que l'on peut attendre du traitement et de l'interprétation des données de santé, de la mise en pratique des connaissances ainsi acquises et de l'évolution des concepts et des approches en matière de médecine axée sur les données sont notamment :

- des systèmes de prévention et de promotion de la santé améliorés grâce à la possibilité d'identifier plus précocement et plus complètement les facteurs de risque modifiables (stratification des risques) et grâce à de nouvelles mesures incitant les personnes à modifier leurs comportements de santé (prévention comportementale),
- des soins plus efficaces et mieux ciblés sur les patients, du fait de nouvelles approches individualisées et de la possibilité d'éviter les traitements inefficaces, voire nocifs,
- des médicaments mieux surveillés et donc plus sûrs, provoquant moins d'effets secondaires, car mieux ciblés sur les patients grâce à de nouveaux outils de diagnostic,
- une gestion des services de santé plus efficace grâce à des processus optimisés,
- un rapport coût-bénéfice dans le système de santé plus favorable, obtenu en diminuant la surconsommation de soins, en définissant des niveaux de prestations appropriés et en améliorant l'efficience.

L'intérêt accru porté à tout ce qui touche aux données de santé peut aussi se traduire par des avancées au niveau des systèmes ou des processus eux-mêmes :

Evolutions de la médecine axée sur les données

- Afin d'utiliser les données de santé conformément au résultat escompté et dans l'intérêt général, il ne suffit de loin pas d'alimenter les banques de données existantes à partir de différentes sources, de filtrer et d'analyser les données, puis de voir ce qui en résulte. Comme avec les collections traditionnelles (p. ex. les registres médicaux), la validité du résultat de l'analyse dépend de la qualité des données utilisées. C'est pourquoi une organisation technique et des normes sémantiques largement uniformisées (au moins au niveau national, mieux encore au niveau supranational) sont nécessaires afin de garantir l'interopérabilité des systèmes, ainsi que la qualité et la sécurité. Si ces conditions ne sont pas réunies, il convient de les créer. Un système uniforme (sur le plan des structures et des processus) aurait non seulement l'avantage de coordonner les données relatives au système de santé, mais permettrait également d'imposer des normes de qualité et de sécurité harmonisées à l'échelle du pays (p. ex. au moyen de certifications des collections de données et de biobanques). En outre, avec de telles prescriptions, les services compétents pourraient contrôler le respect des normes par sondage ou systématiquement, ce qui contribuerait à clarifier les responsabilités et à améliorer la transparence.
- Il est généralement admis que l'utilité des données pour la collectivité augmente lorsqu'elles sont librement disponibles en tant que ressources d'infrastructures (Auffray et al. 2016). Pour encourager les institutions et les personnes qui détiennent des données à les partager, il est nécessaire de définir les propriétaires des collections et de créer des incitations à les partager. Contribuer à de grandes banques de données (nationales) de qualité élevée et accessibles à divers acteurs peuvent constituer une telle incitation. En outre, elles représentent une chance de briser les silos de données et d'instaurer une collaboration interdisciplinaire. Avant que cela ne devienne réalité, il faudra toutefois édicter des prescriptions claires, afin que les données de santé et celles issues de la recherche utilisées par des tiers le soient dans l'intérêt général et non pour servir des intérêts particuliers.

La médecine axée sur les données offre également des opportunités aux entreprises privées. Des perspectives d'innovation existent dans le domaine du diagnostic et des médicaments, tout comme dans celui des technologies de l'information et de la communication (TIC). D'une manière plus générale, les entreprises pourront dégager de nouvelles plus-values grâce aux possibilités d'appariement et d'analyse d'informations hétérogènes et non structurées puisées dans les mégadonnées.

L'IA et les algorithmes toujours plus complexes sont des opportunités pour le domaine de la santé également. Les différentes applications de l'IA (apprentissage automatique ou apprentissage profond) promettent des progrès à tous les niveaux, qu'il s'agisse de la qualité des soins, de l'accès aux services sanitaires, du bien-être du patient ou de l'efficacité des coûts.

2.2 Risques

Les risques liés à la médecine axée sur les données les plus fréquemment mentionnés dans la littérature se rapportent à la protection des données et de la personnalité (Weber und Oertly 2015 ; Kull 2017 ; Tene und Polonetsky 2012 ; Eckhardt et al. 2014 ; Mittelstadt und Floridi 2016). Plus un ensemble de données personnelles est volumineux, plus il est difficile de l'anonymiser. Si les résultats de recherches effectuées au moyen de telles données ne permettent en général pas de remonter aux personnes concernées, il n'en reste pas moins que le risque que les données tombent en de mauvaises mains existe, que ce soit en raison de failles de sécurité ou par malveillance. De plus, avec le perfectionnement rapide des techniques d'analyse (p. ex. le séquençage à haut débit), les nouvelles technologies numériques et les possibilités de relier les sets de données entre eux, il devient relativement facile de contourner le cryptage et l'anonymisation (ré-identification). Une protection absolue de ces données est certes techniquement impossible, mais certains niveaux de sécurité peuvent tout de même être assurés. La divulgation de données de santé à l'insu de leur propriétaire met en danger l'identité et la sphère privée de la personne, menace ses droits de propriété et de personnalité et crée un risque de discrimination.

Une autre catégorie de risques se rapporte au danger de discrimination : les personnes qui ne peuvent ou ne veulent pas suivre l'évolution de la société vers le numérique ont-elles les mêmes chances

Evolutions de la médecine axée sur les données

que les autres ? Les dispositions légales protègent-elles suffisamment contre le risque de discrimination en raison des données de santé personnelles ? Qu'advient-il du principe de solidarité sur lequel repose l'assurance-maladie de base s'il peut être reproché à un patient d'avoir ignoré ou fait mauvais usage des informations prédictives à son sujet ? Selon les conclusions d'une étude de TA-SWISS réalisée en 2014 sur le thème de la médecine personnalisée, les conditions-cadres actuelles écartent en principe le danger de discrimination ou de défaut de solidarité dans le domaine de l'assurance de base. À l'avenir, il pourra en revanche être nécessaire de mener un débat public sur les enjeux de la médecine axée sur les données et sur le degré de solidarité qu'une assurance sociale peut ou doit supporter (Eckhardt et al. 2014).

Enfin, les facteurs liés à la qualité ou la justesse des connaissances acquises amènent des risques :

- La pertinence de l'analyse est considérablement réduite lorsque les données sont erronées, de qualité insuffisante ou non validée, que leur codage sémantique est déficient et qu'elles sont incompatibles entre elles (problématique de la qualité des données entrantes et sortantes, *junk in – junk out*).
- Lorsque les données prises en compte dans l'analyse ne sont pas choisies de façon rigoureuse, le traitement des données et l'interprétation des résultats risque de conduire à des conclusions non valides. Les distorsions et les erreurs systématiques (*bias*), qui posent également un grand problème dans les méthodes d'analyses traditionnelles, représentent un grand risque dans les approches utilisant les mégadonnées, car celles-ci se fondent sur des données du monde réel (*real world data*)¹¹, c.-à-d. non randomisées, ni contrôlées ni obtenues à l'aveugle.
- Un autre risque, signalé en particulier par les partisans de la médecine factuelle (*evidence-based*), tient à la tendance à voir dans toute corrélation un lien de causalité et à fonder les interventions médicales sur de telles déductions, sans les soumettre à une réflexion plus approfondie. Les méthodes modernes d'exploitation des mégadonnées permettent sans conteste de révéler des corrélations intéressantes, mais leur nature causale et les conclusions que l'on peut en tirer en termes d'intervention doivent à chaque fois être validées. Se baser de manière trop crédule sur des corrélations comporte le risque d'obtenir des résultats faux positifs et peut de surcroît conduire à un rapport coût-bénéfice très défavorable (Antes 2016).
- Les technologies d'IA et d'apprentissage automatique dans le domaine de l'analyse des données reposent sur des algorithmes et des règles décisionnelles souvent issues d'un processus évolutif, opaque à l'analyse et impossible à vérifier de l'extérieur (« *black box* »). Cela soulève de nombreuses questions encore sans réponse ; en particulier, un résultat obtenu de cette manière ne peut que très difficilement se vérifier dès son origine. Les systèmes « intelligents » peuvent aussi mal apprendre.

3 Coûts de la santé

Les avis quant aux effets de la médecine axée sur les données sur les coûts de la santé divergent fortement selon les experts consultés : les uns lui prêtent un fort potentiel de réduction des coûts, tandis que les autres craignent que ceux-ci n'explorent.

La loi fédérale sur l'assurance-maladie (LAMal) fixe le cadre dans lequel l'assurance obligatoire des soins (AOS) prend en charge le coût des prestations de santé. Or, certaines applications de la médecine axée sur les données dépassent désormais ce cadre, fixé par le Parlement dans les années 1990. Concrètement, l'AOS prend en charge les coûts des prestations qui servent à diagnostiquer ou à traiter une maladie et ses séquelles (art. 25, al. 1, LAMal), ainsi que les coûts de certains examens

¹¹ On désigne par données du monde réel les données qui ne sont pas issues d'études randomisées et contrôlées, mais – par exemple – de registres de patients, de banques de données d'assurances, de dossiers électroniques de patients, de rapports médicaux ou de la littérature, et qui sont utilisées pour la prise de décision.

Evolutions de la médecine axée sur les données

destinés à détecter à temps les maladies ainsi que des mesures préventives en faveur d'assurés particulièrement menacés (art. 26 LAMal). Les prestations doivent être efficaces, appropriées et économiques, l'efficacité devant être démontrée selon des méthodes scientifiques (art. 32, al. 1, LAMal).

Les nouvelles méthodes de diagnostic et de soins influent sur les coûts de la santé, certaines provoquant des hausses, d'autres permettant des économies.

Facteurs contribuant à l'augmentation des coûts :

- Le recours toujours plus fréquent aux analyses moléculaires, en particulier génétiques, non seulement pour déterminer un traitement, mais aussi en vue de mesures préventives.
- Les nouveaux médicaments destinés à des groupes restreints de patients sont souvent très chers (coût de développement, marché restreint) et peuvent ainsi sensiblement peser sur les coûts de la santé. En oncologie, notamment, on observe une tendance à développer, pour des indications plus larges, des médicaments ayant des effets spécifiques sur certains sous-types de pathologies.
- Les tests génétiques médicaux qui sont proposés sans conseil professionnel (*direct to consumer genetic testing*, DTC GT) et que l'on ne peut se procurer en Suisse que par le biais de distributeurs étrangers – peuvent être source de craintes pour le consommateur et l'inciter à multiplier les consultations médicales.

Facteurs contribuant à la baisse des coûts :

- Des médicaments mieux ciblés, permettant de remplacer des traitements peu ou pas efficaces, ou d'utiliser moins de substance active grâce à un dosage adapté.
- La connaissance du risque d'effets secondaires graves chez certains patients, grâce à laquelle des séquelles et leur traitement onéreux peuvent être évités.
- Des mesures préventives ciblées proposées aux personnes à risque, qui pourraient permettre d'éviter ou retarder l'apparition de la maladie et les coûts du traitement subséquent.
- La possibilité d'utiliser des substances actives connues et bon marché pour de nouvelles indications, grâce à la connaissance plus précise de leur mécanisme d'action.¹²
- La réduction des coûts secondaires – par exemple le coût de l'absence au travail – grâce à des soins plus efficaces.

À l'heure actuelle, il est difficile de dire comment ces différents facteurs agiront sur les coûts totaux de la santé.

4 Initiatives à grande échelle en Suisse

En Suisse, diverses initiatives privées et publiques ont été lancées ces dernières années dans le domaine de la médecine axée sur les données. La plupart s'inscrivent dans le cadre de la recherche, tandis qu'un petit nombre seulement concerne l'utilisation primaire des données de santé au profit des patients ou des consommateurs (p. ex. en vue d'optimiser le suivi des traitements ou pour établir des programmes individuels d'activité physique ou d'alimentation, etc.). Ces initiatives visent à examiner les aspects techniques (p. ex. la problématique de l'interopérabilité) aussi bien qu'à élaborer des directives et des prescriptions pour l'utilisation des données de santé (notamment en fonction de critères éthiques, légaux et sociaux).

¹² Le Thalidomid (autrefois Contergan®) en est un parfait exemple : retiré du marché dans les années 1960 en raison de sa toxicité sur les embryons, il peut désormais être utilisé – sous de strictes conditions – pour le traitement de la lèpre et du myélome multiple.

4.1 Initiatives dans le domaine de la recherche

4.1.1 Swiss personalized health network

L'initiative *Swiss personalized health network* (SPHN)¹³ a pour but de garantir l'interopérabilité des données de santé issues d'analyses moléculaires et cliniques pertinentes pour la recherche, de même que de permettre l'échange de ces données. L'objectif est de créer les conditions pour que la Suisse puisse se positionner sur la scène nationale et internationale de la recherche en médecine personnalisée axée sur les données.

Dans un premier temps, l'accent est mis sur la création et le développement d'infrastructures informatiques dans le but de regrouper les données de santé et les données issues de la recherche dans des entrepôts de données (*data warehouses*) régionaux. Les données qu'ils contiendront, collectées dans le cadre de traitements médicaux et à des fins de recherche, proviendront des banques de données d'hôpitaux (les cinq hôpitaux universitaires, pour commencer), de cohortes et de registres existants ainsi que des universités. Plutôt que de créer une banque de données nationale, il est prévu de conserver les données dans les banques locales. La stratégie à mettre en œuvre pour les futurs échanges de données est en cours de discussion ; un groupe ELSI (abréviation anglaise pour « implications éthiques, légales et sociales ») se penchera sur les enjeux éthiques, légaux et sociaux du projet.

Un groupe de coordination des données s'est attelé à la définition de normes techniques et sémantiques uniformes. Des fonds publics sont mis à disposition depuis 2017 pour harmoniser les données et les systèmes d'information en vue de leur interopérabilité. Un premier appel d'offres pour des projets a été lancé auprès des hôpitaux universitaires et des hautes écoles, qui peuvent déposer auprès du SPHN des demandes de financement pour des projets axés sur les infrastructures de recherche et la coordination/harmonisation des données. Le coût des projets sera pris en charge pour moitié par les institutions concernées et pour moitié par la Confédération.

Le SPHN fait partie de l'initiative nationale d'encouragement de la médecine personnalisée du Secrétariat d'État à la formation, à la recherche et à l'innovation (SEFRI). Il découle d'un mandat conjoint de l'OFSP et du SEFRI, exécuté dès l'été 2016 sous la responsabilité d'un comité national de pilotage réunissant des représentants des universités, des hôpitaux universitaires, des écoles polytechniques fédérales (EPF), des Hautes Écoles ainsi que de l'Institut suisse de bioinformatique (SIB), du Fonds national suisse (FNS) et de l'OFSP. Le SPHN est opérationnel depuis le 1^{er} janvier 2017, et son secrétariat est rattaché à l'Académie suisse des sciences médicales (ASSM).

Financement : fonds publics de la Confédération, alloués dans le cadre du message FRI. Crédits : 40 millions de francs à disposition du SIB ; 30 millions de francs à disposition de l'ASSM.

4.1.2 Association « Données et santé » et MiData.coop

L'Association «Données et santé»¹⁴ a été fondée le 13 juillet 2012 dans le but de faire avancer le débat sur la collecte et l'utilisation des données médicales personnelles en Suisse. Il s'agit notamment de creuser les enjeux scientifiques, éthiques, sociaux, légaux et politiques liés à l'utilisation de données personnelles dans le domaine de la santé et de la recherche médicale.

L'Association veut promouvoir la création en Suisse d'une banque de données organisée en coopérative (MiData.coop)¹⁵, qui permette à tout un chacun de stocker ses données médicales personnelles,

¹³ <https://www.samw.ch/fr/Projets/Swiss-Personalized-Health-Network.html>
<https://www.sphn.ch/en.html>
<https://www.sbfi.admin.ch/sbfi/fr/home/themes/la-recherche-et-linnovation-en-suisse/initiative-nationale-dencouragement-de-la-medecine-personnalisee.html>

¹⁴ <http://www.datenundgesundheit.ch/?lang=fr>

¹⁵ <https://www.midata.coop/fr.html#about>

Evolutions de la médecine axée sur les données

de les gérer et d'en contrôler l'utilisation. L'association s'engage à préserver la sphère privée des participants¹⁶. Les données personnelles seront conservées de manière sûre, protégées des abus, et leur accès sera exclusivement réservé aux participants, qui pourront les transmettre à leur médecin en cas de maladie. Par ailleurs, les participants pourront mettre une partie ou la totalité de leurs données anonymisées à la disposition de la recherche, ce qui confèrera à la collection un rôle déterminant dans les domaines de la santé publique et de la recherche scientifique en biologie et en médecine, ainsi que pour l'économie nationale.

L'initiative concerne moins les données déjà disponibles par le biais des examens médicaux que les données supplémentaires que chaque participant transmettra lui-même. Les patients sont ainsi invités, par exemple, à enregistrer dans une application spécialement créée à cet effet les données relatives à leur condition physique, à leur alimentation et à leur état de santé avant, pendant et après une intervention médicale. Ce faisant, ils en retirent un avantage direct sous la forme de programmes de mise en forme et de plans alimentaires établis spécialement pour eux, sur la base de leurs données personnelles. Les patients restent propriétaires des données qu'ils enregistrent eux-mêmes ou que l'appareil (smartphone) mesure directement (pression artérielle, fréquence cardiaque, nombre de pas, géodonnées, etc.). Ces données sont stockées sur la plateforme MiData et cryptées selon des méthodes modernes. Seul leur propriétaire peut les décrypter et les mettre à disposition pour une autre utilisation.

Actuellement, l'utilisation de MiData.coop est réservée à certains patients dans le cadre d'études cliniques. La plateforme sera à la disposition de tous les patients et citoyens en 2017.

L'association a été fondée par le professeur Ernst Hafen de l'Institut de biologie systémique moléculaire de l'EPF de Zurich. Elle est dirigée par un comité constitué de représentants universitaires (santé, éthique, sciences de la vie, technologie informatique).

Financement : membres de l'association ; la cotisation se monte à 30 francs par année.

4.1.3 Phase pilote Human biomonitoring

La phase pilote *Human biomonitoring*¹⁷ est une étude de faisabilité réalisée en vue de développer un programme national de biosurveillance humaine (2017-2020). L'étude pilote - menée par la *Swiss biobanking platform* (SBP) et soutenue par l'OFSP - a pour objectif de valider les infrastructures et procédures nécessaires à la mise sur pied d'un programme national.

Le programme de biosurveillance est un projet Santé2020 répondant à plusieurs objectifs de la stratégie du Conseil fédéral, qui a donné son aval à la phase pilote en mai 2017.

L'étude pilote est prévue sur une durée de 4 ans. Une partie se concentrera sur le développement des infrastructures et protocoles en deux langues nationales (*standard operating procedure* [SOP], questionnaires, examens cliniques) dans les centres de Bâle et Lausanne, avec 500 adultes volontaires par centre. Des échantillons biologiques (sang, urine) seront récoltés pour y analyser des substances d'intérêt. Une deuxième partie se focalisera sur les aspects sociologiques d'une participation à un programme national, soit les motivations et réserves à participer ainsi que les questions de protection des données, les questions éthiques et légales.

L'étude pilote sera menée par la SBP. Créée en 2015 par le SNF, la SBP a pour mission d'assurer la coordination des activités de biobanques en Suisse et d'en harmoniser les procédures. Une étude de faisabilité pour mettre en application ces procédures et pour récolter des données de santé au niveau

¹⁶ Il existe en Suisse également d'autres banques de données de santé destinées aux patients (p. ex. Healthbank.coop). La plupart d'entre elles appliquent des principes analogues en matière de stockage et d'accès aux données, mais ce sont des organisations lucratives qui offrent une contribution financière aux propriétaires des données.

¹⁷ http://www.aefu.ch/fileadmin/user_upload/aefu-data/b_documents/forum-medizin-umwelt/1605_Morand_Bourqui_Human_Biomonitoring_in_der_Schweiz%E2%80%93Aktuelle_Situation_u_Ausblick.pdf

Evolutions de la médecine axée sur les données

national est planifiée. L'OFSP a choisi de soutenir cette étude dans le but d'y intégrer des données de biosurveillance en vue d'un programme national.

Financement : OFSP, SBP, SwissTPH et IUMSP. Le budget de la phase pilote s'inscrit dans le cadre des budgets existants de la division Produits chimiques de l'OFSP. Une partie du crédit SNF pour la mise sur pied de la SBP est destiné à la phase pilote. Les instituts mandatés pour l'étude pilote contribuent avec des ressources matérielles et humaines. Des offices fédéraux se sont d'ores et déjà manifestés pour contribuer à l'analyse de substances.

Coûts : Le SNF alloue 3,2 millions de francs pour une période de 4 ans à la SBP, dont une partie est consacrée à la phase pilote. La division Produits chimiques a mandaté la SBP pour la phase pilote à hauteur de 600 000 francs pour 4 ans.

4.1.4 Swiss Biobanking Platform

Depuis 2015, la *Swiss biobanking platform* (SBP)¹⁸ est opérationnelle en tant que plateforme de coordination des biobanques dans le domaine humain et non humain. Son objectif est de répondre aux exigences croissantes auxquelles doit satisfaire la recherche effectuée avec du matériel biologique, notamment en ce qui concerne l'assurance qualité, l'accès à l'information, la transparence et la mise en réseau des activités des biobanques.

La SBP a pour objectif de développer un catalogue des biobanques existantes, de promouvoir l'harmonisation des pratiques conformément aux normes internationales et d'informer sur les questions juridiques et éthiques liées aux activités des biobanques. Elle collabore très étroitement avec l'organisation européenne *Biobanking and biomolecular resources research infrastructure* (BBMRI), dont elle est le point de contact national.

Divers groupes de travail ont été mis en place ; ils traitent notamment de la gestion des échantillons humains (incluant le développement de protocoles standardisés), des échantillons non-humains, de l'assurance qualité et des aspects éthiques, légaux et implications sociales (ELSI). Afin de mettre en application les protocoles harmonisés, la SBP prévoit dans son cahier des charges une phase pilote précurseur d'une étude de suivi nationale.

La SBP a été créée à l'initiative du FNS et avec l'aide de l'ASSM ; les principaux participants à la plateforme sont les cinq hôpitaux universitaires et l'hôpital cantonal de St-Gall.

Financement : SNF (3,2 millions de francs pour 4 ans)

4.1.5 Biobanque institutionnelle de Lausanne

Sur le plan opérationnel, la Biobanque institutionnelle de Lausanne (BIL)¹⁹ a pour but de créer une biobanque de grande envergure reliant les données personnelles et les données de santé. Sur le plan stratégique, l'objectif est de contribuer à la percée de la médecine personnalisée en Suisse, c.-à-d. une médecine axée sur les caractéristiques génétiques personnelles des patients.

À leur admission à l'hôpital, les patients sont priés d'indiquer s'ils consentent à ce qu'un échantillon de sang soit prélevé pour une analyse génétique. Les données génétiques et génomiques ainsi obtenues, reliées aux données personnelles du patient (formation, profession, appartenance ethnique, données cliniques issues du dossier du patient hospitalisé au Centre hospitalier universitaire vaudois [CHUV]), sont destinées à être mises à disposition lors de projets de recherche futurs, non encore définis, s'inscrivant dans le domaine génétique ou autre.

La BIL est une initiative portée par le CHUV et l'Université de Lausanne (UNIL).

La biobanque a pu être alimentée grâce au consentement des patients hospitalisés au CHUV. Entre son lancement et 2015, 17 500 soit 75 % des patients du CHUV avaient consenti à la conservation de

¹⁸ <http://www.swissbiobanking.ch/>

¹⁹ http://www.chuv.ch/consentement-general/cg_home/cg-comprendre/cg-la_bil-2.htm

Evolutions de la médecine axée sur les données

leurs échantillons et données sous forme codée pour une utilisation ultérieure à des fins de recherche. 14 % des patients avaient refusé le consentement général et 10 % avaient uniquement consenti à l'utilisation des échantillons et données génétiques sous forme anonymisée. Les projets en cours portent notamment sur la maladie d'Alzheimer, les maladies du foie, la cardiomyopathie de stress et la maladie de Parkinson. Une banque mère-enfant (MOB) a également été créée dans le but de développer la recherche chez la femme enceinte et le nouveau-né, deux populations quelque peu délaissées au regard de la recherche clinique. Les échantillons et les données de la BIL sont mis à la disposition des chercheurs qui en font la demande dans le cadre d'un projet de recherche précis. La demande doit être adressée par courriel au secrétariat de la BIL, accompagnée du protocole de recherche. Elle est ensuite examinée par la direction de la BIL, avant d'être soumise à l'approbation de la Commission cantonale d'éthique de la recherche sur l'être humain. Si le projet est approuvé, les parties signent une convention de transfert et les échantillons sont mis à disposition.

4.1.6 Health 2030

Health 2030²⁰ est une initiative multicentrique et multidisciplinaire portée par les universités de Genève, Lausanne et Berne, l'EPFL et les hôpitaux universitaires CHUV, HUG et Hôpital de l'Île. Elle encourage la recherche, la formation et les services dans le domaine de la santé personnalisée et numérique. Le but est de faire avancer l'utilisation des nouvelles technologies biomédicales et des technologies de l'information en mobilisant toutes les ressources possibles, notamment les médecins de famille. En outre, l'initiative entend promouvoir le dialogue et les débats entre les mondes académique, clinique, financier, industriel et politique. L'initiative Health 2030 est placée sous la direction du *Lemanic center for personalized health* installé sur le Campus Biotech de Genève. Elle rassemble plus d'une douzaine de groupes concernés par divers domaines, allant de la médecine génomique aux questions éthiques et juridiques soulevées par la santé personnalisée.

Les projets de recherche sont axés sur les aspects de la biomédecine et des mégadonnées (p. ex. épidémiologie numérique, bioinformatique, mégadonnées, biobanques, génomique, dossier électronique du patient, etc.) et réalisés de façon multidisciplinaire dans les laboratoires des cinq institutions fondatrices. Les groupes suivants ont été constitués dans le domaine des sciences humaines et sociales : *ethics and policy-making*, économie, droit, sociologie, psychologie, anthropologie, *citizen science*, environnement, communication et formation.

Financement : universités de Genève, Lausanne et Berne, EPFL, ainsi que les hôpitaux universitaires CHUV, HUG et Hôpital de l'Île. La fondation Leenaards, à Lausanne, cofinance certains projets, notamment dans le domaine des sciences humaines et sociales.

4.2 Stratégies dans le domaine de l'utilisation primaire et de la gestion des données de santé

4.2.1 Stratégie cybersanté de la Confédération et des cantons

La « Stratégie Cybersanté (eHealth) Suisse »²¹ mise en place en 2007 par la Confédération et les cantons a pour but d'offrir la possibilité à toutes les personnes en Suisse d'autoriser les prestataires de soin de leur choix à accéder aux données pertinentes pour le traitement en cours, enregistrées dans leur dossier électronique. Un accès aisé et sécurisé à des données et documents importants, tels que les radiographies, les lettres de sortie de l'hôpital, les résultats d'analyses, la liste des médi-

²⁰ <http://health-2030.ch>. Les informations données par le site internet sont trop superficielles pour évaluer les atouts et les risques liés à ce projet. Une demande d'information supplémentaire de l'OFSP n'a pas permis de combler les lacunes.

²¹ <https://www.e-health-suisse.ch>

Evolutions de la médecine axée sur les données

caments ou les plans de soins, contribue à la bonne collaboration entre les médecins, les pharmaciens et les hôpitaux ou établissements de soins, et garantit une qualité de soins optimale tout au long du traitement.

Adoptée par le Parlement en juin 2015, la loi fédérale sur le dossier électronique du patient (LDEP) est entrée en vigueur le 15 avril 2017. À compter de cette date, les hôpitaux disposent de trois ans et les établissements de soins de cinq ans pour s'affilier à un réseau électronique. Pour les professionnels de la santé en milieu ambulatoire, l'affiliation est facultative. Les patients sont eux aussi libres de décider s'ils consentent ou non à la tenue d'un dossier électronique.

La stratégie cybersanté de 2007 est formellement arrivée à échéance avec l'entrée en vigueur de la LDEP. La Confédération et les cantons élaborent actuellement la stratégie appelée à lui succéder. Celle-ci visera, d'une part, à promouvoir activement le dossier électronique du patient et, d'autre part, à faire progresser la numérisation dans d'autres secteurs du système de santé. Parmi les actions concrètes, on peut relever la promotion de la santé mobile (mHealth) et la promotion du partage électronique des données du patient à différentes fins (p. ex. pour le suivi du patient, pour la facturation, à des fins d'assurance de la qualité ou de recherche, pour les déclarations obligatoires au niveau fédéral ou pour les registres).

4.3 Initiatives parallèles

4.3.1 Consentement général de portée nationale

La LRH permet à certaines conditions (art. 29 de l'ordonnance relative à la recherche sur l'être humain [ORH]) d'établir un consentement général (CG), par lequel les personnes acceptent l'utilisation de leurs données et échantillons lors de projets de recherche futurs, non encore définis. Cela permet d'éviter de devoir solliciter un consentement à plusieurs reprises auprès d'une même personne. Les hôpitaux qui mènent des projets de recherche s'efforcent d'introduire et d'appliquer le CG à l'échelle de leur institution, mais ils le font chacun à leur manière. Les différents concepts et la mise en œuvre non systématique dans certains hôpitaux constituent un obstacle à la recherche, notamment en entravant la mise en commun des données et des échantillons dans le cadre d'études multicentriques. Dans ce contexte, l'ASSM a pris l'initiative d'élaborer un consentement général utilisable à l'échelle nationale (modèle de CG) pour recueillir l'accord des patients dans des domaines déterminés de la recherche scientifique basée sur les données et les échantillons.

Le but de l'initiative est d'introduire à l'échelle nationale un consentement général harmonisé, par lequel une personne autorise la réutilisation des échantillons et des données qui la concernent pour des projets de recherche futurs, non encore définis au moment du prélèvement ou du relevé. Un tel consentement général faciliterait la réalisation de projets multicentriques ou dans le cadre du SPHN²². Les petits hôpitaux qui n'ont pas encore élaboré de formulaire de consentement pour leurs patients profiteraient aussi de cette initiative.

Les documents préparés par l'ASSM et la communauté de travail des commissions d'éthique suisses (swissethics) en vue de l'adoption d'un modèle de CG (information succincte et consentement, brochure d'information exhaustive et liste de contrôle) ont été soumis aux représentants de la recherche scientifique, des hôpitaux et des patients fin octobre 2016 dans le cadre d'une procédure d'audition. Le principe d'un modèle uniforme pour toute la Suisse est généralement bien accueilli, car il contribue à la transparence et à la sécurité du droit. Les participants ont souligné l'importance de tenir compte des recommandations internationales, dans la mesure où elles sont compatibles avec les dispositions de la LRH. En outre, les conditions-cadres – p. ex. en matière de gouvernance des banques de don-

²² https://www.samw.ch/dam/jcr:4b995a56-cd85-4ce2-a977-23df759c4f2a/bulletin_assm_16_3.pdf, accédé le 6.4.2018.

Evolutions de la médecine axée sur les données

nées et des biobanques – seront décisives pour obtenir la confiance et l'adhésion des personnes sollicitées. Après discussion des résultats de l'audition avec des experts externes, le projet a été mis en consultation publique début 2017. La version finale est en cours d'élaboration (publication prévue en juillet 2017). Le modèle proposé n'a pas de force contraignante pour les hôpitaux, mais valeur de recommandation officielle de swissethics.

La SBP s'attelle actuellement à définir des lignes directrices pour la mise en œuvre du consentement général concernant la réutilisation de données et de matériel biologique à des fins de recherche²³. Ces directives de « bonnes pratiques » sont destinées au personnel des hôpitaux (professionnels de la santé et personnel administratif), aux membres des commissions d'éthique et aux organisations de patients.

Responsabilité : ASSM, faîtière des commissions d'éthique suisses relatives à la recherche sur l'être humain (swissethics), *Swiss clinical trial organisation* (SCTO), SBP, Association médecine universitaire suisse (Unimeduisse), préposé à la protection des données du canton de Bâle-Ville.

Financement : les coûts du projet sont pris en charge par l'ASSM et les partenaires, les coûts de mise en œuvre par les hôpitaux.

4.3.2 Recommandations concernant les registres

L'importance des registres contenant des données fiables ne cesse de croître dans le domaine de la santé, et leur nombre va grandissant compte tenu de la multiplication des données. Soucieuses de garantir la qualité de ces registres, les organisations ANQ (Association nationale pour le développement de la qualité dans les hôpitaux et les cliniques), ASSM, FMH, H+ et unimeduisse ont publié des recommandations communes²⁴, qui définissent des normes minimales notamment en matière de protection et de qualité des données.

Les registres concernant le domaine de la santé diffèrent quant à leurs buts et à leurs champs d'application. Ils doivent en outre satisfaire de nombreuses exigences légales, professionnelles et techniques. Leur conception et leur exploitation exigent souvent un personnel qualifié et des moyens financiers conséquents. Le manque de ressources, un défaut de compétences ou des méthodes de saisie ne répondant pas aux exigences d'uniformité, de pertinence et d'exhaustivité peuvent compromettre la validité des données laborieusement collectées. C'est pourquoi les recommandations s'adressent en premier lieu aux responsables de registres, en leur fournissant des aides pour la mise en place et la gestion. En second lieu, elles s'adressent aux fournisseurs de prestations, aux établissements de soins, aux assureurs-maladie et assureurs-accidents, à la Confédération, aux cantons et aux institutions politiques en proposant, par exemple, une liste des points à vérifier lors du contrôle de ces registres.

Les recommandations fixent des standards minimaux pour le contrôle de la qualité des registres dans le domaine de la santé. Ce faisant, elles visent également à harmoniser les critères de saisie et d'utilisation des données, ainsi qu'à garantir la qualité de ces dernières. Les recommandations traitent également des compétences nécessaires pour gérer de tels registres et des garanties à fournir en matière de protection des droits de la personnalité. L'application des standards minimaux facilite la collecte des données et augmente leur utilité. Elle permet d'éviter les doublons, d'exploiter au mieux les synergies entre les services qui recueillent des données et d'améliorer leur qualité et leur validité.

²³ Notamment sur la base de la « Déclaration sur les considérations éthiques concernant les bases de données de santé et les biobanques » (déclaration de Taipei) de l'Association médicale mondiale ; <https://www.wma.net/fr/polices-post/declaration-de-lamm-sur-les-considerations-ethiques-concernant-les-bases-de-donnees-de-sante-et-les-biobanques/>

²⁴ https://www.fmh.ch/files/pdf18/SAEZ_42_Registerempfehlungen_F.pdf

5 Interfaces entre les thèmes / projets de l'OFSP et la médecine axée sur les données

La médecine axée sur les données a des répercussions sur divers thématiques et domaines d'activités de l'OFSP. Ces interfaces ont été identifiées auprès des divisions de l'Office et ont été subdivisées en six catégories : recherche, autorisation des médicaments et surveillance du marché, diagnostic, prévention et traitement, remboursement par l'assurance sociale ainsi que formation des professionnels de la santé et information de la population. Pour chaque catégorie, nous indiquerons les évolutions significatives pour l'OFSP, les bases légales pertinentes et les projets (ou groupes de travail) concernés de l'OFSP. Nous mentionnerons également les défis ainsi que les problématiques et tâches qui en découlent pour l'Office. À cet égard, notons que nombre de défis ne sont pas nouveaux mais sont exacerbés par l'essor du numérique et les nouvelles possibilités des technologies modernes.

5.1 Recherche

5.1.1 Évolutions actuelles

- Les données de santé et les échantillons occupent une place toujours plus importante dans la recherche et le développement de thérapies : en Suisse, plusieurs initiatives de recherche privées et publiques ont été lancées ces dernières années dans le domaine de la médecine axée sur les données (cf. chap. 4). Les biobanques sont elles aussi en plein essor.
- La collecte d'échantillons et de données n'est désormais plus l'apanage des hôpitaux, mais peut également être effectuée hors du cadre institutionnel, voire hors du domaine médical, par la personne elle-même (tests DTC GT, applications mobiles, etc. ; concept de « mesure de soi ») ou par des entreprises privées (Google, Amazon, Facebook, La Poste, Swisscom, etc.).
- La LDEP ne prévoit pas d'utilisation secondaire des données. On peut toutefois supposer que les dispositions de la LDEP concernant la structure et la codification sémantiques des informations médicales auront, à moyen et long termes, également un effet positif sur la recherche (notion d'« interopérabilité »).
- Mégadonnées (*big data*) : les techniques de traitement des données et de leur appariement connaissent une évolution rapide. Compte tenu de ces progrès et des caractéristiques des nouvelles technologies, les mesures et les mécanismes de protection prévus par le droit actuel de la protection des données ne suffiront sans doute pas à relever les défis à venir. Le concept d'« anonymisation » doit notamment être rediscuté.
- L'initiative SPHN a posé les jalons d'une organisation coordonnée des données au niveau suisse. En mai 2017, l'OFSP a signé, en tant que co-mandant de l'initiative, la convention de prestations entre le SEFRI / l'OFSP (pour la Confédération) et l'ASSM (en tant qu'organisation responsable du SPHN).
- L'introduction d'un modèle de CG est prévue à l'échelle suisse.
- Les efforts consentis au niveau international pour améliorer la transparence et encourager l'échange de données dans la recherche sur l'être humain soumettent la Suisse à une pression grandissante pour qu'elle adopte à son tour des mesures en ce sens²⁵.
- Tendance à la médecine de précision : le nombre restreint de cas incite à repenser la conception des études en la matière.

²⁵ Cf. à ce propos les revendications de Public Eye, par exemple : <https://www.publiceye.ch/fr/themes-et-contexte/sante/essais-cliniques/nos-revendications/>.

5.1.2 Bases légales / projets de l'OFSP

- Loi relative à la recherche sur l'être humain (LRH ; RS 810.30)
- Loi sur l'enregistrement des maladies oncologiques* (LEMO ; la consultation sur les ordonnances d'exécution a pris fin le 12 juillet 2017)
- Loi sur les produits thérapeutiques (LPTh ; RS 812.21)
- Loi fédérale sur le dossier électronique du patient (LDEP ; RS 816.1)
- Plan directeur afin de renforcer la recherche et la technologie biomédicales
- Initiative SPHN (l'OFSP est l'un des deux mandants)

5.1.3 Défis

- L'anonymisation ou la pseudonymisation constituent deux conditions essentielles à l'utilisation secondaire de données à caractère personnel, car elles permettent d'éliminer le rattachement à une personne. Or, ces mesures sont compromises aussitôt qu'il existe, pour une seule personne, un volume plus important de données de sources différentes et que ces données peuvent être apparées. Les progrès techniques recèlent ainsi un risque de désanonymisation. Pour certaines données, même une anonymisation ou une pseudonymisation temporaires est une affaire complexe, car les données en elles-mêmes sont hautement individuelles et permettent clairement d'identifier la personne concernée (données génomiques, par exemple).
- Clarifier et protéger les droits de la personne d'un point de vue éthique par rapport à ses données.
- Encourager le travail interprofessionnel entre cliniciens, biologistes, informaticiens et éthiciens, afin de favoriser les interfaces entre recherche et clinique au profit du patient.
- De larges pans de la population, voire certains experts, ne seront (plus) en mesure de comprendre les principes et les effets potentiels (la portée) de ces méthodes complexes et parfois entièrement inédites. Il sera alors très difficile de prendre des décisions (individuelles, sociales, politiques) en toute connaissance de cause.
- Afin d'améliorer la transparence des études cliniques visant le développement de médicaments à usage humain, le Parlement a créé une nouvelle base légale pour la publication des résultats de ces études (compétence du Conseil fédéral, art. 67b LPTh). Un principe analogue avait déjà été inscrit le 1^{er} janvier 2014 dans la LRH (art. 56, al. 3, let. b). En outre, le 1^{er} août 2016, il a été décidé, dans le cadre des ordonnances d'exécution de la LPTh, de contraindre l'industrie pharmaceutique à publier les résultats des études cliniques sur les médicaments. Par cette mesure, la Suisse fait un petit pas en se pliant à la tendance croissante en faveur d'une transparence complète. Or, compte tenu des évolutions dans d'autres pays, il est probable que Swissmedic ou l'OFSP n'aient d'autre choix que d'exiger la publication in extenso des documents transmis aux fins d'autorisation²⁶.

5.1.4 Problématiques et tâches

- À l'occasion de l'évaluation de la LRH, le caractère actuel des bases légales relatives à l'utilisation des échantillons et des données sera examiné à l'aune des évolutions en cours. Concernant les biobanques, il faut assurer la protection des participants, la liberté de la science et les intérêts de la santé publique.
- L'OFSP doit clarifier sa position sur l'utilisation des données de santé à des fins de recherche (mégadonnées en particulier). Il doit collaborer avec d'autres services fédéraux (notamment en

²⁶ À l'étranger, plusieurs approches sont appliquées. Elles sont en constante évolution. La FDA, en tant qu'autorité notamment responsable de la surveillance de la recherche humaine, publie un récapitulatif des résultats. L'EMA alimente une banque de données contenant des informations détaillées sur les essais cliniques et a engagé 11 équivalents plein temps (EPT) pour ce nouveau projet. Les premières données ont été mises en ligne le 20 octobre 2016. Elles concernaient deux produits autorisés de façon centralisée (Kyprolis et Zurampic).

Evolutions de la médecine axée sur les données

lien avec la Stratégie Suisse numérique) de sorte que les évolutions en cours permettent de garantir au mieux les droits des citoyens en matière de sphère privée et de souveraineté des données. Ils doivent être à même de se prononcer sur l'utilisation de leurs données en tout état de cause.

- Dans l'optique d'une politique de santé basée sur les preuves scientifiques, il faut s'assurer que les intérêts à court, moyen et long termes de l'OFSP soient inscrits dans l'initiative SPHN en étant axés sur les objectifs et les résultats (notamment lorsqu'il s'agit d'améliorer les bases de données disponibles pour la recherche sur les services de santé).

5.2 Autorisation des médicaments et surveillance du marché

5.2.1 Évolutions actuelles

- Le domaine du développement de médicaments est en proie à des changements drastiques : les *adaptive pathways* (procédure d'admission plus flexibles) qui accélèrent la mise sur le marché de nouveaux médicaments (*adaptive / flexible licensing, conditional marketing authorization, conditional approval, etc.*) gagnent en importance à l'échelle internationale et, quelques années après leur apparition, font globalement l'objet de critiques.
- Les traitements soumis en vue de leur mise sur le marché sont toujours plus ciblés (c.-à-d. plus précis). En oncologie, plus de 95 % des nouvelles autorisations relèvent de la médecine de précision. Parmi les nouvelles autorisations délivrées par Swissmedic, plus de 40 % concernent des médicaments en oncologie et des modulateurs immunologiques.
- L'industrie, les fournisseurs de prestations (oncologues par exemple) et les organisations d'entraide exercent une pression croissante sur les autorités de contrôle des médicaments afin qu'elles délivrent leurs autorisations à un stade toujours plus précoce du processus. De plus en plus de médicaments sont déjà autorisés – sous certaines conditions – à l'issue de la phase II des essais cliniques : par exemple avec une prescription limitée à certaines indications ou avec l'obligation de livrer des données a posteriori. Dès lors, il existe de moins en moins d'études de phase III pertinentes, ce qui complique l'évaluation de la qualité, de la sécurité et de l'efficacité des produits.

5.2.2 Bases légales / projets de l'OFSP

- Loi sur les produits thérapeutiques (LPT_h ; RS 812.21)
- Plan directeur afin de renforcer la recherche et la technologie biomédicales

5.2.3 Défis

- Les processus d'autorisation des médicaments, en place depuis des décennies, évaluent l'efficacité, la qualité et la sécurité des médicaments sur la base d'études cliniques complètes. Or, ces processus sont de plus en plus soumis à des conditions divergentes oscillant entre la nécessité de fournir à la population des médicaments sûrs, de qualité et efficaces, le besoin des citoyens de pouvoir demander sans délai un accès à des thérapies potentiellement efficaces et les exigences de l'industrie, qui souhaite un processus d'admission aussi rapide et peu bureaucratique que possible (notion d'« avantage compétitif »). À cela viennent s'ajouter des exigences élevées en matière de prix (cf. chap. 5.5).
- Les *adaptive pathways* nécessitent une infrastructure informatique radicalement différente et des effectifs de personnel bien plus importants que les ressources actuellement à disposition de Swissmedic.

5.2.4 Problématiques et tâches

- De concert avec Swissmedic, l'OFSP (dans sa fonction d'entité responsable pour la LPT, la LAM et le Plan directeur afin de renforcer la recherche et la technologie biomédicales) doit identifier les approches d'avenir offrant la réponse la plus adéquate face au rôle grandissant de la médecine de précision dans le développement de médicaments.

5.3 Diagnostic

5.3.1 Évolutions actuelles

- Biomarqueurs : les nouvelles technologies permettent d'intégrer dans la planification thérapeutique des caractéristiques individuelles d'une tumeur maligne (profil de biomarqueurs), ce qui permet d'utiliser des anti-cancéreux ciblés (*targeted therapies*). Ces techniques pourraient permettre un traitement plus efficace des pathologies avec des effets secondaires moins importants qu'une chimiothérapie classique et, donc, une meilleure probabilité de survie. Fin mai 2017, la FDA a autorisé la mise sur le marché du Keytruda (pembrolizumab), le premier anti-cancéreux pouvant être utilisé pour tout cancer présentant une caractéristique génétique spécifique. En 2015, la FDA a autorisé la mise sur le marché de 126 médicaments qui requièrent préalablement la réalisation d'un test de biomarqueurs.
- Pharmacogénétique et tests compagnons : un test génétique préalable permet d'obtenir des informations sur l'efficacité, les éventuels effets secondaires et le dosage approprié d'un médicament. Dans plusieurs pays, un nombre croissant de produits nouvellement autorisés nécessitent en amont un test génétique spécifique (« tests compagnons »²⁷, surtout en oncologie). Il est aussi possible d'estimer, grâce au patrimoine génétique, la vitesse de métabolisation d'un médicament et de déterminer ainsi le dosage optimal. Les tests pharmacogénétiques sont utilisés depuis quelques années et sont partiellement remboursés par l'AOS. À l'échelle mondiale, plus de 200 médicaments utilisant des informations pharmacogénétiques ont été mis sur le marché.
- La génération d'un grand volume de données informatisées inhérentes à la pharmacogénétique et à la détermination du profil des biomarqueurs tumoraux.
- L'accès à toutes les informations pertinentes doit être garantie et gratuite pour tout fournisseurs de prestations qui en a besoin pour la prise en charge du patient (certains laboratoires et banques de données commercialisent des données ou les gardent confidentielles pour des raisons commerciales).
- *Direct to consumer genetic testing (DTC GT)*²⁸:
Ces tests génétiques directement destinés au consommateur (DTC GT) sont disponibles aussi bien sur Internet que dans les pharmacies, les clubs de sport et les hôtels spécialisés dans le bien-être. L'offre s'étend d'exams médicaux pertinents à des tests au caractère scientifique discutables, voire dénués de fondement scientifique.
L'accès libre au DTC-GT peut surcharger les soins de santé. Étant donné que ces tests peuvent fournir des informations inquiétantes, cela peut entraîner une incertitude chez les personnes testées et en conséquence conduire à une augmentation des consultations médicales.
En avril 2017, la FDA a délivré à l'entreprise américaine 23andme l'autorisation de commercialiser un test DTC GT servant au dépistage présymptomatique de dix pathologies (dont Alzheimer, Parkinson, la maladie cœliaque ou l'hémochromatose).

²⁷ Un test compagnon est un dispositif médical (souvent in vitro) qui fournit des informations indispensables à l'utilisation sûre et efficace d'un certain produit pharmaceutique ou biologique. C'est un outil qui aide les professionnels de la santé à déterminer si les bienfaits d'un produit thérapeutique l'emportent sur les éventuels risques ou effets secondaires ([source : FDA](#)).

²⁸ Les tests DTC ne sont désormais plus réservés au domaine de l'analyse génétique (GT) mais sont également utilisés pour l'analyse du microbiome ou pour la réalisation de tests PCR pour le dépistage d'une borréliose (tiques).

Evolutions de la médecine axée sur les données

- L'UE a publié deux nouveaux règlements, l'un sur les dispositifs médicaux classiques (MDR), l'autre sur les dispositifs médicaux de diagnostic in vitro (IVDR). En raison de l'accord conclu entre la Suisse et l'UE en matière de reconnaissance mutuelle (ARM), ces deux règlements seront contraignants pour notre pays également.

5.3.2 Bases légales / projets de l'OFSP

- Loi fédérale sur l'analyse génétique humaine (LAGH ; RS 810.12)
- Loi sur les produits thérapeutiques (LPTh ; RS 812.21)
- Ordonnance sur les dispositifs médicaux (ODim ; RS 812.213)
- Loi fédérale sur l'assurance-maladie (LAMal ; RS 832.10)
- Loi sur la procréation médicalement assistée (LPMA ; RS 810.11)
- Loi fédérale sur le dossier électronique du patient (LDEP ; RS 816.1)
- Plan directeur afin de renforcer la recherche et la technologie biomédicales

5.3.3 Défis

- L'évaluation de l'efficacité, de l'adéquation et de l'économicité (critères EAE) s'appuie sur des études couvrant un petit nombre de cas : il est plus difficile de se prononcer avec certitude sur l'efficacité et sur l'étendue de l'utilité.
- Il existe une forte pression (du public) pour raccourcir les délais requis pour les contrôles ; simultanément, les requêtes liées à la médecine de précision se multiplient.
- Pour ces nouvelles possibilités de diagnostic, la réalisation d'une analyse selon l'approche HTA (évaluation des technologies de la santé) est délicate à maints égards : une difficulté fréquente des HTA appliqués aux outils de diagnostic réside dans le fait qu'il existe insuffisamment d'études examinant l'utilité pour la santé du résultat de tels diagnostics (ne serait-ce qu'une modification dans la gestion des patients). Lorsque les nouveaux outils de diagnostic ont pour effet le traitement ciblé d'un nombre restreint de patients, il est d'autant plus difficile de prouver leur utilité. Cette problématique va probablement s'exacerber : avec l'essor de la médecine personnalisée, le nombre de tests diagnostiques est appelé à croître.
- Le renseignement et l'enregistrement des données informatisées inhérentes à la pharmacogénétique et au profil des biomarqueurs tumoraux doit être harmonisé dans toute la Suisse en référence aux normes internationales.
- L'accès aux données informatisées de pharmacogénétique et des profils des biomarqueurs tumoraux doit être stocké dans l'ePD de manière à ce que, dans les cas où cela est médicalement indiqué, les fournisseurs de services non médicaux peuvent aussi accéder à ces données.
- Les tests compagnons et l'utilisation, au cas par cas, de biomarqueurs pour la prise de décision exigent une collaboration efficace entre différents spécialistes et, idéalement, une coordination par un gestionnaire de cas. Sur le plan structurel, ces conditions ne sont aujourd'hui pas toujours réunies. Par ailleurs, il convient d'assurer le financement de ces nouvelles prestations annexes.
- Les spécialistes des différentes disciplines doivent collaborer (par exemple les généticiens et les cliniciens afin de parvenir à une indication judicieuse dans le diagnostic génétique). Ce n'est actuellement pas le cas en Suisse.
- Une médecine personnalisée efficace, en particulier dans les thérapies anti-cancéreuses, exige l'établissement de conditions appropriées pour surmonter les obstacles techniques et logistiques les plus banals. Ainsi, dans ce cas de figure également, une équipe interdisciplinaire est primordiale, car elle permet d'obtenir et d'analyser en temps utile le matériel de biopsie (*biopsy team* ; Chantrill et al. 2015).

5.3.4 Problématiques et tâches

- La LAGH couvre aujourd'hui déjà de nombreux aspects du traitement des échantillons et des données génétiques. La législation est en cours de révision²⁹ afin de tenir compte des évolutions techniques extrêmement rapides que connaît le domaine du diagnostic génétique. Il s'agit notamment de renforcer le droit à l'autodétermination en matière d'information (utilisation d'échantillons et de données génétiques).
- La LAGH actuellement en vigueur ne vise pas l'analyse génétique des caractéristiques non héréditaires, telle que notamment pratiquée en oncologie (caractérisation des tissus tumoraux, tests compagnons, etc.). Le projet de loi révisée prévoit de réglementer également ces examens. Les exigences devraient être précisées par voie d'ordonnance.
- Par ailleurs, le projet de LAGH révisée prévoit que le Conseil fédéral puisse autoriser des professionnels non médecins à réaliser des analyses génétiques dans le domaine médical. Des pharmaciens pourraient par exemple procéder à des analyses pharmacogénétiques. À l'occasion de l'adaptation des ordonnances d'exécution, il y a lieu de déterminer quelles analyses peuvent être exemptées de la réserve du médecin et quels professionnels sont habilités à réaliser ces analyses.
- Les tests génétiques sont des dispositifs médicaux de diagnostic in vitro (IVD) dans la mesure où ils sont employés à des fins médicales. En raison de l'entrée en vigueur de nouveaux règlements dans l'UE, la Suisse révisera le cadre réglementaire relatif aux dispositifs médicaux.

5.4 Prévention et traitement

5.4.1 Évolutions actuelles

- En Suisse, le dossier électronique du patient pourrait être un outil pertinent pour mettre à disposition et échanger des données médicales toujours plus structurées.
- La transmission électronique de données et le carnet de vaccination électronique seront introduits.
- Le recours à des solutions de santé mobile (mHealth) ouvre la voie à de nouvelles modalités, notamment dans la prévention et la promotion de la santé. La santé mobile favorise également une offre de prise en charge moderne, par exemple dans les soins des patients atteints d'une maladie chronique et dans les soins de longue durée aux personnes âgées. Ce type de solutions innovantes peut aussi contribuer à asseoir durablement, voire à renforcer, la qualité des prestations et de la prise en charge. Enfin, ces applications incitent à adopter une attitude responsable dans la gestion de sa propre santé et par là à améliorer ses compétences en la matière.

5.4.2 Bases légales / projets de l'OFSP

- Loi fédérale sur le dossier électronique du patient (LDEP ; RS 816.1)
- Stratégie Cybersanté Suisse (2.0)
- Stratégie nationale « Prévention des maladies non transmissibles » (stratégie MNT)
- mobile Health (mHealth), eHealth Suisse mobile Health (mHealth) Recommandations I
- Biosurveillance humaine (lancement de la phase pilote en 2017)

²⁹ Le Conseil fédéral a adopté le message sur la LAGH le 5 juillet 2017 et l'a transmis au Parlement.

5.4.3 Défis

- Il convient de créer des modèles assurant la protection des données sensibles des patients tout en permettant l'utilisation desdites données à des fins de recherche, de prévention et de traitement. Les personnes qui mettent leurs données à disposition doivent pouvoir en tirer un bénéfice.
- La médecine axée sur les données se caractérise par une solide dynamique et constitue indéniablement un puissant attrait pour diverses parties prenantes (dans le secteur privé principalement). Il est donc à craindre que les chances qu'elle recèle pour la politique de santé soient insuffisamment exploitées et que les risques pour la société et l'individu soient insuffisamment contenus (ou surtout, trop tardivement). Or, lorsqu'il est question de données ou de résultats sensibles, il est particulièrement difficile de limiter ou de compenser un dommage a posteriori.
- Les applications de santé mobile (et les données saisies) doivent être intégrées dans le dossier électronique du patient (DEP).
- Biosurveillance humaine : les défis concernent le recrutement efficace des participants et la poursuite du financement du projet, puisque jusqu'à présent seules les ressources de la phase pilote sont assurées.
- Faire prendre conscience aux patients que les dispositifs connectés et mobiles servant à mesurer certains paramètres biologiques ne sont pas uniquement des gadgets, mais aussi des outils indispensables dans la construction de son propre profil de santé et de son suivi à long terme.

5.4.4 Problématiques et tâches

- Il y a lieu de clarifier dans quelle mesure les systèmes informatiques (notamment dans les hôpitaux) sont des outils médicaux. Le cas échéant, il faut définir les critères minimaux applicables à la sécurité, à la protection et au stockage des données ainsi qu'à la gestion de la qualité par exemple.
- Participation à l'élaboration de la Stratégie Cybersanté Suisse 2.0.
- De manière analogue aux interventions requises dans le domaine de la recherche, l'OFSP doit clarifier sa position concernant l'utilisation des données de santé à des fins de prévention et de traitement. Pour les mégadonnées en particulier, il doit collaborer avec les autres services de la Confédération de façon à favoriser des évolutions servant l'intérêt des personnes.

5.5 Remboursement par l'assurance obligatoire des soins

5.5.1 Évolutions actuelles

- Le nombre d'autorisations de médicaments relevant de la médecine personnalisée et les demandes de remboursement correspondantes ne cessent d'augmenter.
- Le champ d'application de ce type de produits est plus restreint que celui d'autres médicaments. Les entreprises pharmaceutiques exigent donc un prix généralement plus élevé pour ces produits.
- Il est de plus en plus fréquent qu'un médicament soit autorisé à la vente avant que des études de phase III, utiles à l'évaluation des critères d'efficacité, d'adéquation et d'économicité (critères EAE, art. 32, LAMal), soient disponibles. C'est également le cas pour les médicaments de la médecine personnalisée.
- Les *managed entry agreements*, respectivement les modèles de partage du risque, sont très peu répandus en Suisse.
- Les oncologues prévoient que les médicaments non autorisés en Suisse ou dont l'autorisation est retardée seront de plus en plus remboursés sur la base des art. 71a ss de l'ordonnance sur l'assurance-maladie (OAMal) et admis dans la liste des spécialités (LS).

Evolutions de la médecine axée sur les données

- Pour qu’une analyse de laboratoire soit prise en charge par l’AOS, elle doit servir à diagnostiquer ou à traiter une maladie et ses séquelles (art. 25, al. 1, LAMal). Elle doit répondre aux critères légaux EAE (art. 32, LAMal) et être figurée sur la liste d’analyse (LA) (cela s’applique également aux analyses de laboratoire du type *companion diagnostics*). De plus, le fournisseur de prestations doit limiter ses prestations à la mesure exigée par l’intérêt de l’assuré et le but du traitement (art. 56, al. 1, LAMal). Les analyses préventives au sens de l’art. 26, LAMal, ne sont considérées comme prestations obligatoires, que si elles figurent comme telles dans la liste des analyses (LA) et comme mesures de prévention aux arts. 12d à 12e de l’ordonnance sur les prestations de l’assurance des soins (OPAS).
- Les analyses de pathologie effectuées sur du matériel tumoral (profil de biomarqueurs) sont considérées comme des prestations médicales et sont facturées via Tarmed. Elles sont soumises au « principe de confiance » et leur remboursement n’est pas réglementé de manière définitive. En cas de controverse, la prise en charge par l’AOS est définie dans l’annexe 1 OPAS.
- Les données scientifiques concernant l’utilité clinique des médicaments sont, dans la grande majorité des cas, disponibles, et le processus d’inscription d’un médicament sur la liste des spécialités est relativement rapide, aisé et basé sur l’évaluation préalable par Swissmedic de l’utilité clinique des médicaments. Pour leur part, les informations concernant les caractéristiques techniques, la validité analytique et la validité clinique des analyses de type tests compagnons sont souvent minimales, voire absentes, rendant l’évaluation des critères EAE ardue, ce qui ne permet pas de traiter rapidement et aisément la requête.

5.5.2 Bases légales / projets de l’OFSP

- Loi fédérale sur l’assurance-maladie (LAMal ; RS 832.10) et ordonnances d’exécution
- Loi sur les produits thérapeutiques (LPTTh ; RS 812.21) et stratégie nationale sur les maladies rares

5.5.3 Défis

- Les critères EAE sont évalués, soit à l’aide d’études cliniques contrôlées basées sur un nombre restreint de cas, soit sans études contrôlées (études de phase II).
- Prix des médicaments relevant de la médecine personnalisée : en raison du groupe restreint de patients concernés par un tel traitement, les entreprises pharmaceutiques titulaires d’une autorisation de mise sur le marché exigent en général un prix plus élevé pour ces produits. Il en résulte un renchérissement des traitements, notamment en oncologie.
- Il faut établir une distinction entre les médicaments relevant de la médecine personnalisée, employés pour des pathologies par ailleurs courantes (en oncologie notamment), et les médicaments orphelins classiques, utilisés dans le traitement des maladies rares.
- Le dépistage précoce (c.-à-d. le diagnostic avant l’apparition des symptômes ou sans soupçon concret de maladie) est considéré comme une mesure de prévention au sens de l’art. 26 LAMal, qui est à interpréter au sens strict. Appartiennent également à cette catégorie les examens visant à détecter la présence d’une prédisposition familiale et destinés à la parenté au premier degré de patients atteints de l’une des quatre formes sévères de cancer (art. 12d OPAS). Les possibilités de réaliser de tels examens présymptomatiques se multiplient, il faut donc s’attendre à des requêtes exigeant un élargissement du champ d’application de la LAMal.
- Pour qu’un médicament qui nécessite une analyse pharmacogénétique de type test compagnon non inscrite dans la LA ou qui nécessite un profil de marqueurs tumoraux controversé ne figurant pas encore dans l’annexe 1 OPAS puisse être autorisé parallèlement au test de laboratoire mentionné, il est important de disposer, simultanément aux données scientifiques nécessaires à l’autorisation du médicament, de données scientifiques concernant la performance du test et les critères EAE qu’il doit remplir. Il est aussi important de s’assurer de la coordination entre commissions fédérales.

5.5.4 Problématiques et tâches

- Quelle approche adopter à l'avenir face à la mise sur le marché de médicaments très onéreux et au renchérissement des traitements médicamenteux ?
- L'OAMal prévoit la possibilité d'imposer certaines conditions ou exigences pour l'admission des médicaments éligibles au remboursement obligatoire. Ainsi, l'OFSP peut fixer le montant du remboursement de certains médicaments afin d'assurer que le traitement concerné respecte le critère économique pour une indication spécifique. Le montant de ce remboursement est mentionné dans la LS. L'OFSP peut également déterminer un volume limite à partir duquel le caractère économique doit être réévalué. Des expériences faites à l'étranger montrent que les traitements médicamenteux sont moins onéreux lorsque la possibilité est offerte à un titulaire d'autorisation de mise sur le marché de réaliser des remboursements qui ne sont pas rendus publics. L'établissement de tels accords en Suisse exige l'introduction d'une base en ce sens dans la LAMal.
- Les analyses de laboratoire à la charge de l'AOS sont réglées de manière définitive dans la LA.
 - Avec la multiplication des analyses génétiques destinées à des groupes restreints de patients et au vu de la rapidité des évolutions, il y a lieu de faire le point sur la nécessité d'une liste définitive.
 - De plus, il convient de s'interroger sur l'ampleur des ressources nécessaires à la gestion de la LA. Une augmentation est-elle envisageable au sein de l'OFSP ?
 - L'admission des tests compagnons, qui sont en plein essor, exige de coordonner et de faire correspondre différents processus, niveaux de décision et listes. Les expériences montrent que de telles mesures sont possibles, mais requièrent beaucoup de ressources.
 - Il convient de définir quelles données scientifiques doivent être soumises à l'OFSP concernant les caractéristiques techniques, la performance du test et les critères EAE que doivent remplir les analyses de laboratoire de type *companion diagnostic* de médicaments.
- Les tests de biologie moléculaire réalisés en lien avec des prestations concernant la pathologie (examen des tissus tumoraux par exemple) ne relèvent pas de la LA et sont facturés via le Tarmed. Ils ne sont soumis à une évaluation EAE et au processus de désignation des prestations que s'ils sont sujets à controverse.
 - Il y a lieu de déterminer si un élargissement de la réglementation est nécessaire (tenue d'une liste positive). De plus, une harmonisation des règlements relatifs aux laboratoires (LA définitives) et de ceux des médecins spécialistes pour les pathologies (liste ouverte / principe de confiance) pourrait être judicieuse.
 - Il convient de définir quelles données scientifiques doivent être soumises à l'OFSP concernant les caractéristiques techniques, la performance du test et les critères EAE que doivent remplir les analyses de pathologie controversées de type profils de biomarqueurs.
- Il convient de s'interroger sur la nécessité de deux réglementations distinguant les analyses effectuées dans un laboratoire conformément à l'OPAS de celles réalisées dans un institut de pathologie ; du point de vue des critères de qualité et d'EAE, il pourrait être indiqué d'uniformiser la réglementation des analyses de façon générale.
- Comment parvenir à un établissement plus équitable des tarifs pour les tests diagnostiques en cas de monopoles (temporaires) ?

5.6 Formation des professionnels de la santé et information de la population

5.6.1 Évolutions actuelles

- Les nouvelles méthodes de la médecine axée sur les données et les possibilités ainsi offertes pour améliorer le diagnostic et la précision des traitements constituent un défi aussi bien pour la formation de base, le perfectionnement et la formation continue des médecins et des autres professionnels de la santé que pour l'information de la population dans son ensemble.
- Il est indispensable de transmettre des informations à la population sur les tests DTC GT en vente libre et, plus généralement, sur les possibilités toujours plus nombreuses offertes par la médecine préventive et prédictive.
- Un nombre croissant de patients utilise Internet pour s'informer sur diverses questions de santé, sur les pathologies ou sur les offres de prise en charge et de traitement. Ils expriment donc des attentes correspondantes en consultation ou lors d'un traitement.

5.6.2 Bases légales / projets de l'OFSP

- Loi sur les professions médicales (LPMéd ; RS 811.11)
- Loi sur les professions de la santé (LPSan, adoptée par le Parlement le 30 septembre 2016)
- Loi fédérale sur l'analyse génétique humaine (LAGH ; RS 810.12)
- Plate-forme « Avenir de la formation médicale »
- Projet « Interprofessionnalité »

5.6.3 Défis

- Il est nécessaire de transmettre à la population des informations nuancées concernant les tests DTC GT, qui vont bien au-delà de la démonstration scientifique et qui soulèvent des questions sociales, juridiques, psychologiques et éthiques.
- Ce ne sont plus uniquement des connaissances biomédicales solides qui sont exigées des professionnels mais également des compétences annexes, notamment en épidémiologie, en statistiques, en pharmacogénétique et en communication. La génétique médicale gagne continuellement en importance et en pertinence au fur et à mesure que l'on découvre la composante génétique de nombreuses maladies. Les spécialistes de toutes les disciplines sont donc confrontés à cette thématique.
- La population recourt de plus en plus aux tests génétiques sur Internet. De même, les analyses génétiques, d'abord limitées à la stricte indication médicale, sont aujourd'hui utilisées de façon plus large, comme un bien de consommation (*consumer genomics*). Ces phénomènes sont sources de changements profonds, dans le monde médical et dans la société. Les médecins et autres professionnels de la santé doivent donc être à même de répondre aux questions des patients concernant l'offre et l'argumentaire des tests DTC GT commerciaux.
- Formation pour les professionnels de la santé (interprofessionnalité).

5.6.4 Problématiques et tâches

- Il convient de vérifier régulièrement si des adaptations sont nécessaires concernant l'application de la LPMéd aux catalogues suisses des objectifs d'apprentissage pour la médecine humaine (SCLO, désormais PROFILES) et pour les autres professions médicales universitaires, ces catalogues servant également de base aux examens fédéraux. Le catalogue PROFILES tient déjà compte de l'importance de l'épidémiologie et de la cybersanté (eHealth). Il aborde également

l'approche à adopter face aux exigences dépassant le cadre de la relation classique entre médecin et patient.

6 Volume important de données générées, recueillies et utilisées par l'OFSP

L'OFSP génère, recueille et utilise lui-même un grand volume de données dans plusieurs domaines : en lien avec le projet sur les Données individuelles anonymisées de l'assurance-maladie obligatoire (BAGSAN), dans le cadre du projet pilote de biosurveillance humaine de l'Unité de direction Protection des consommateurs ou en rapport avec la loi fédérale sur l'enregistrement des maladies oncologiques. Vers le milieu de 2013, un aperçu à ce propos a été publié. Au début de l'année 2017, les archives fédérales ont lancé un projet similaire, de même qu'un inventaire des statistiques au sein de l'administration fédérale. En outre, une « Topographie des données de la santé » a été élaborée fin 2016. Cette vue d'ensemble répertorie les principales sources de données dans le domaine de la santé. Elle a été établie en collaboration avec les équipes concernées de l'Office fédéral de la statistique.

L'appariement de données (ou l'utilisation de données appariées) par l'OFSP est soumis à d'importantes restrictions, en particulier parce qu'un tel appariement dépasse souvent l'objectif premier de la collecte et remet en question la légalité d'une telle pratique. En raison de cette limitation, il n'est pas possible d'exploiter pleinement le potentiel que peuvent receler ces données pour la santé publique ; par ailleurs, cette restriction contredit le principe d'efficacité selon lequel la charge administrative des entreprises et des particuliers doit être réduite au minimum. Plus concrètement, il s'agit d'éviter les doublons au moment de la collecte des données. Jusqu'à présent, très peu d'expériences ont été réalisées concernant l'application des directives pour la concordance des données et les répercussions sur la protection de la sphère privée. L'utilisation de certaines données pour des problématiques secondaires permettrait d'adapter les processus en conséquence et de les redéfinir en vue d'une utilisation optimale desdites données.

En avril 2016, l'initiative Eder 16.411, « Surveillance de l'assurance-maladie. Garantir la protection de la personnalité », a été soumise au Parlement. Elle demande à ce que les assureurs livrent à l'OFSP les données des assurés sous forme groupée et non pas individuelle (exception faite des données pour la compensation des risques). Les deux chambres fédérales ont donné suite à l'initiative, et des discussions sur une révision de l'art. 35 LAMal sont en cours. L'OFSP accompagne la consultation au sein de la sous-commission.

7 Références internationales

En Suisse comme à l'étranger, il existe plusieurs initiatives et divers rapports³⁰ en lien avec la médecine personnalisée et les mégadonnées. Nous nous sommes concentrés ici sur des références aussi pertinentes que possible pour les aspects opérationnels : les actes législatifs de l'UE et du Conseil de l'Europe relatifs à la protection des données de santé, d'une part, et les recommandations (*soft law*) de l'OCDE et du Conseil de l'Europe dans ces domaines, d'autre part.

³⁰ Ainsi, la Commission européenne a publié en décembre 2016 une étude sur les mégadonnées dans le contexte de la santé publique, de la télémédecine et des soins :

7.1 Actes législatifs

Le Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil sur la protection des données à caractère personnel est l'un des textes applicables en la matière. Il renforce les droits individuels et offre aux citoyens de l'UE un meilleur contrôle sur leurs données personnelles sur Internet. Les données personnelles de santé y sont considérées comme des informations sensibles et bénéficient d'une protection particulière. Il existe par ailleurs depuis 1981 une convention du Conseil de l'Europe pour la protection des personnes à l'égard du traitement automatisé des données à caractère personnel. Elle est en cours de révision afin de tenir compte des défis liés aux nouvelles technologies. La Suisse a ratifié cette convention en 1998.

7.2 Recommandation pour le traitement des données de santé

En matière de prestations de santé, le potentiel d'amélioration est considérable. Les expériences concrètes sont toutefois assez limitées, d'où un besoin substantiel d'échanges et de discussions sur les mégadonnées et le traitement des données de santé au niveau international également. Les discussions au sein de l'OCDE concernant les réformes à venir se concentrent sur la question des *people-centre health systems* (dispositifs de santé axés sur la personne) et sur celle des *knowledge-based health systems* (dispositifs de santé basés sur le savoir). Les mégadonnées et la médecine personnalisée relèvent également de cette thématique.

Il y a lieu de mentionner ici deux rapports de l'OCDE : *Health data governance – Privacy, monitoring and research* (2015)³¹ et *New health technologies – Managing access, value and sustainability* (2017)³². Ils analysent les opportunités et les risques liés à l'utilisation des données de santé.

Actuellement, l'OCDE prévoit principalement quatre domaines d'application pour les mégadonnées : l'amélioration de la pratique clinique, l'amélioration de la gestion des systèmes de santé, la surveillance des pathologies et la recherche. Les défis majeurs concernent l'interopérabilité et l'appariement des données, la protection des données et de la sphère privée, les aspects juridiques ainsi que l'adaptation de l'infrastructure et du personnel aux nouvelles technologies. Afin d'optimiser l'utilité et de réduire les risques au minimum, l'OCDE prévoit l'application dans chaque État d'un cadre réglementaire sur la gouvernance des données de santé (*health data governance framework*) (cf. fig. 4). La recommandation concernant l'élaboration de ce cadre réglementaire est exposée en détail ci-dessous. Les conditions générales sont à adapter en cas de besoin afin de refléter l'évolution constante des valeurs de la société et les progrès réalisés en matière de technologie de la santé.

³¹ <http://www.oecd.org/publications/health-data-governance-9789264244566-en.htm>

³² <http://www.oecd.org/health/managing-new-technologies-in-health-care-9789264266438-en.htm>

Evolutions de la médecine axée sur les données

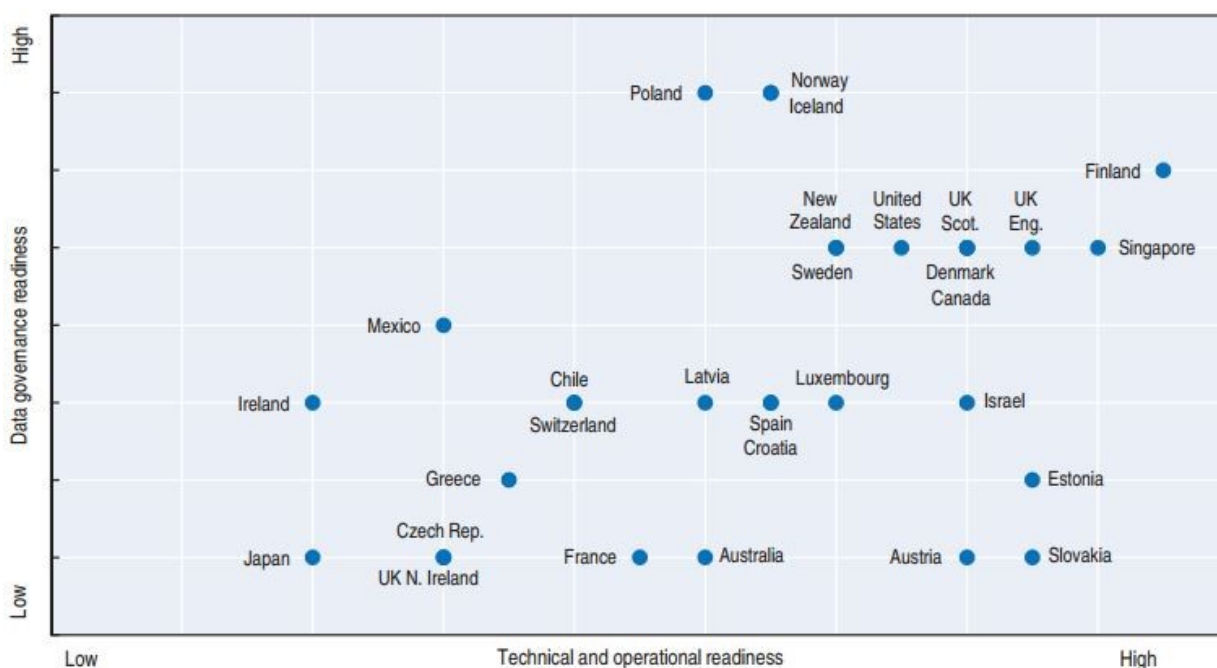


Figure 3 : compatibilité du système de dossier électronique du patient (DEP) avec l'utilisation secondaire des données de santé

Le rapport *New health technologies – Managing access, value and sustainability* contient également les résultats d'une enquête menée en 2016 sur l'apparition et l'utilisation des DEP (*Electronic health record system development and use*). Elle compare les systèmes DEP de divers pays ainsi que leur compatibilité avec une utilisation secondaire des données de santé (cf. fig. 3).

En décembre 2016, le Conseil de l'OCDE a publié une recommandation relative à la gouvernance des données de santé³³. Les États membres sont ainsi incités à élaborer et à appliquer un cadre réglementaire pour la gouvernance de la santé. L'objectif est d'encourager la mise à disposition et l'utilisation des données personnelles de santé dans l'intérêt public. Simultanément, la protection de la sphère privée et des données personnelles de même que la sécurité des données doivent être défendues.

De tels cadres réglementaires devraient encourager les douze pratiques ou principes suivants :

- implication des parties prenantes (y c. via une consultation publique) afin de garantir que les données sont utilisées dans le respect de l'intérêt général, selon les valeurs de la société et en tenant compte des attentes individuelles en matière de protection des données ;
- coordination au sein des gouvernements et incitation à la collaboration entre les entités traitant les données. Il s'agit de promouvoir des formats communs de données, la qualité des données et l'interopérabilité tout en atténuant les obstacles à l'échange de données (toujours dans le respect de la protection des données) ;
- vérification de la capacité des systèmes de santé publique à traiter les données personnelles de santé (y c. disponibilité, qualité et accessibilité des données). Ce contrôle portera également sur les mesures de protection et de traitement des données (transfert et appariement) ;
- transmission d'informations claires au public sur les sources de collecte des données personnelles de santé et sur le traitement des données (accès par des tiers, objectif et utilité, bases légales) et en cas d'utilisation abusive ;

³³ En tant qu'organe suprême de l'OCDE, le Conseil est habilité à publier des décisions et des recommandations. Les décisions ont un effet contraignant pour tous les États membres : leur application est donc obligatoire. Les recommandations n'ont pas d'effet contraignant, mais une importante obligation morale leur est associée dans la mesure où elles traduisent la volonté politique des États membres. Dans certains cas, les recommandations sont intégrées dans les stratégies nationales et les révisions de lois en Suisse. Le processus de surveillance joue un rôle essentiel pour les recommandations en particulier car il peut influencer la mise en application d'un document.

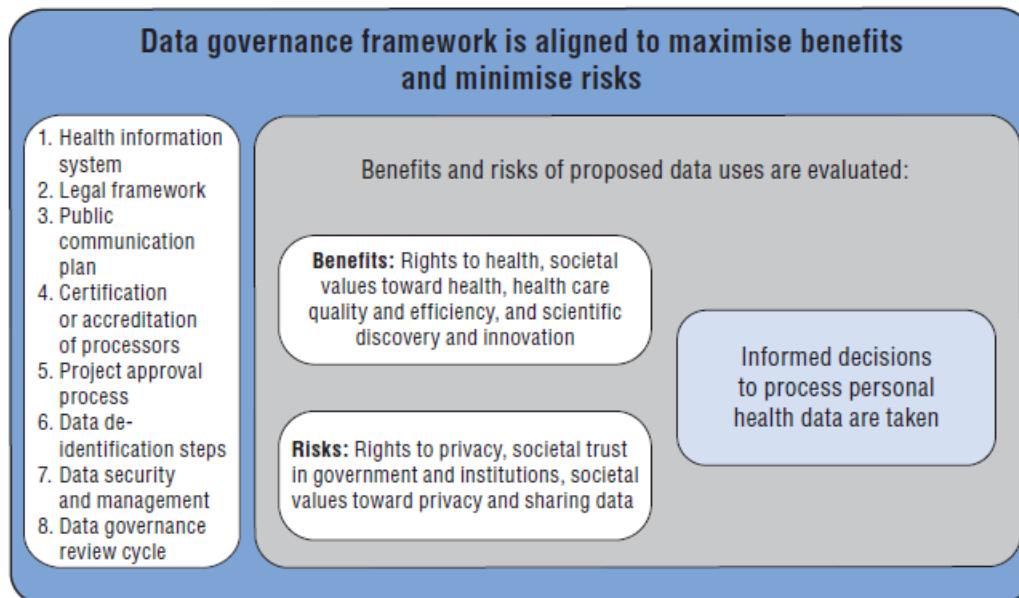


Figure 4: recommandation de l'OCDE concernant un cadre réglementaire sur la gouvernance des données de la santé

- spécification des mécanismes de consentement (*consent mechanisms*) ou, à défaut, des mécanismes permettant l'expression des préférences du patient (y c. possibilité de s'opposer au traitement des données ou de le solliciter explicitement). Si le souhait du patient ne peut être respecté, il y a lieu de fournir une justification (y c. son fondement juridique) ;
- procédures de vérification et de validation pour l'utilisation des données personnelles de santé ;
- transparence par la publication d'informations sur le traitement de données personnelles de santé (y c. objectifs, processus et critères de validation) ;
- promotion des évolutions technologiques en vue d'assurer la disponibilité, la réutilisation et l'analyse des données de santé ;
- suivi et mécanismes d'évaluation (préservation de l'intérêt public, utilité et conséquences négatives de l'utilisation des données, etc.) ;
- formation des personnes traitant les données sur les mesures utiles à la sécurité des données et à la protection de la sphère privée ;
- introduction des mesures de contrôle (clarification des responsabilités eu égard au traitement des données, y c. notamment audit, formation adéquate sur la protection des données, évaluation des risques ainsi que mesures technologiques, physiques et organisationnelles pour la protection des données) ;
- obligation pour les entités traitant ces données de respecter ces principes (par exemple certification ou accréditation, mais sans obligation).

L'OCDE recommande également que, dans certaines circonstances, les États membres encouragent la collaboration transfrontalière dans ce domaine. Ils peuvent notamment favoriser la compatibilité des différents cadres nationaux sur la gouvernance des données, partager leurs expériences et créer, avec l'aide de divers experts et organismes, des mécanismes pour l'échange de données.

L'application de cette recommandation au sein des États membres fait l'objet d'un contrôle cinq ans après son adoption. Il en résulte ainsi une incitation à appliquer cette recommandation, bien que cette dernière ne soit pas juridiquement contraignante. À titre d'aide, l'OCDE prépare actuellement un guide de mise en œuvre (*implementation guide*).

Evolutions de la médecine axée sur les données

Le Conseil de l'Europe travaille actuellement à l'élaboration d'une recommandation pour la protection des données de santé avec des catégories similaires. Elle devrait par ailleurs traiter plus en profondeur la thématique des données génétiques, des objectifs de la recherche et des applications mobiles. L'OFSP a fourni des commentaires détaillés à ce sujet.

8 Conclusions du groupe de travail

Comme d'autres domaines, la médecine évolue sous l'influence des technologies modernes. Contrairement à ce que pourrait nous faire croire le vocabulaire en vogue dans les médias, les revues scientifiques ou encore les intitulés de manifestations, les concepts et approches de la médecine axée sur les données relèvent moins d'une « révolution » que de l'évolution de la situation en place. Les outils d'analyse dans le domaine de la biologie moléculaire (disciplines « omiques »), la puissance de calcul des nouveaux ordinateurs et les méthodes d'appariement et de traitement des données (intelligence artificielle, apprentissage automatique, exploration des données / *data mining*) ouvrent la voie à des possibilités remarquables. Simultanément, la complexité des technologies et des procédures engendre de nombreux défis et incertitudes. Il est donc d'autant plus important d'appliquer ici aussi les exigences de la médecine fondée sur des preuves scientifiques. Il a fallu plusieurs décennies dans ce domaine pour mettre au point les critères de référence permettant d'évaluer l'efficacité et l'utilité. Certaines méthodes liées aux mégadonnées (notamment le *data mining* ou exploration de données, sans hypothèse initiale) peuvent incontestablement révéler des interconnexions intéressantes, mais leur nature causale (qui permettrait d'identifier les mesures possibles) reste à prouver (concept de « validation »).

Ces dernières années, plusieurs autorités étrangères ont introduit de nouvelles procédures d'autorisation pour les médicaments novateurs de la médecine de précision. Ces produits peuvent être mis sur le marché plus tôt et pour un champ d'application d'abord limité, qui est ensuite élargi (principe de l'*adaptive licensing*). Quelques années après leur introduction, ces procédures accélérées d'autorisation font déjà l'objet de critiques parfois vives. Diverses études récentes montrent que dans de nombreux cas, ces procédures comportent des risques pour la sécurité (Downing et al. 2017). Par ailleurs, on constate a posteriori que seul un nombre restreint de ces médicaments permet de prolonger la durée de vie des patients ou d'améliorer leur qualité de vie (Rupp und Zuckerman 2017) ; pour autant, quasiment aucune autorisation n'a été retirée. Différentes analyses chiffrées ont mis en évidence les milliards d'économies que permet une certaine retenue dans les processus d'autorisation (Sacks et al. 2017). On remarque une fois de plus combien il est vital de disposer de données scientifiques fiables et de faire preuve de modération au moment d'adapter les systèmes aux nouvelles évolutions.

Concernant la médecine axée sur les données, l'OFSP se trouve face à un dilemme. D'une part, il a lui-même pour mission de veiller à la protection de la personnalité et au droit des citoyens à l'autodétermination. D'autre part, dans ses priorités de santé publique, le Conseil fédéral entend renforcer la qualité des soins et préserver la viabilité financière du système de santé grâce à des gains d'efficacité. La numérisation et la médecine axée sur les données sont porteuses de grandes opportunités mais aussi de risques, tous aspects confondus. L'OFSP est conscient du fait qu'une amélioration générale de la qualité des données (protection, standardisation et accessibilité) renforcerait la recherche à partir de données personnelles de santé. Une telle démarche accroîtrait l'utilité de ces données pour les soins et la politique de santé. L'OFSP soutient en ce sens les activités déployées au sein du SPHN.

Liste des abréviations

| | |
|------------------|--|
| AOS | assurance obligatoire des soins |
| App | application ou programme pour les téléphones mobiles et les tablettes |
| ASSM | Académie suisse des sciences médicales |
| BHD | <i>big health data</i> ou mégadonnées dans le domaine de la santé |
| CG | consentement général |
| CoLaus | Cohorte Lausannoise |
| DEP | dossier électronique du patient |
| DTC GT | <i>direct to consumer genetic testing</i> ou tests génétiques directement destinés au consommateur |
| EAE | efficacité, adéquation et caractère économique |
| eHealth | cybersanté |
| ELSI | <i>ethical, legal, and social implications</i> (implications éthiques, légales et sociales) |
| EMA | <i>European medicines agency</i> (Agence européenne des médicaments) |
| EPFL | École polytechnique fédérale de Lausanne |
| EPT | équivalent plein temps |
| ETH | École polytechnique fédérale de Zurich |
| HTA | <i>health technology assessment</i> (évaluation des technologies de la santé) |
| FDA | <i>Food and drug administration</i> (autorité américaine de contrôle des médicaments) |
| FNS | Fonds national suisse de la recherche scientifique |
| IA | intelligence artificielle |
| ISB | Institut suisse de bioinformatique |
| IVD | diagnostic in vitro |
| LA | liste des analyses |
| LAGH | loi fédérale sur l'analyse génétique humaine |
| LAMal | loi sur l'assurance-maladie |
| LDEP | loi sur le dossier électronique du patient |
| LEMO | loi sur l'enregistrement des maladies oncologiques |
| LPD | loi sur la protection des données |
| LPMA | loi sur la procréation médicalement assistée |
| LPMéd | loi sur les professions médicales |
| LPSan | loi sur les professions de la santé |
| LPT _h | loi sur les produits thérapeutiques |
| LRH | loi relative à la recherche sur l'être humain |
| LS | liste des spécialités |
| mHealth | santé mobile |
| ML | <i>machine learning</i> ou apprentissage automatique |
| MP | médecine personnalisée |
| OAMal | ordonnance sur l'assurance-maladie |
| ODim | ordonnance sur les dispositifs médicaux |
| OPAS | ordonnance sur les prestations de l'assurance des soins |
| ORH | ordonnance relative à la recherche sur l'être humain |
| SAPALDIA | <i>Swiss study on air pollution and lung disease in adults</i> |
| SBP | <i>Swiss biobanking platform</i> |
| SCLO | catalogue des objectifs d'apprentissage pour la médecine humaine |
| SCTO | <i>Swiss clinical trial organisation</i> |
| SEFRI | Secrétariat d'État à la formation, à la recherche et à l'innovation |
| SPHN | <i>Swiss personalized health network</i> |
| swissethics | Commissions d'éthique suisses relative à la recherche sur l'être humain |
| TA-SWISS | Fondation d'évaluation des choix technologiques |
| TIC | technologies de l'information et de la communication |
| unimeduisse | association de la médecine universitaire (anciennement « groupe de quinze ») |

Références bibliographiques

- Antes, Gerd (2016): Ist das Zeitalter der Kausalität vorbei? In: *Zeitschrift für Evidenz, Fortbildung und Qualität im Gesundheitswesen* 112 Suppl 1, S16-22. DOI: 10.1016/j.zefq.2016.04.007.
- Auffray, Charles; Balling, Rudi; Barroso, Inês; Bencze, László; Benson, Mikael; Bergeron, Jay et al. (2016): Making sense of big data in health research: Towards an EU action plan. In: *Genome medicine* 8 (1), S. 71. DOI: 10.1186/s13073-016-0323-y.
- Chantrill, Lorraine A.; Nagrial, Adnan M.; Watson, Clare; Johns, Amber L.; Martyn-Smith, Mona; Simpson, Skye et al. (2015): Precision medicine for advanced pancreas cancer: the individualized molecular pancreatic cancer therapy (IMPACT) trial. In: *Clinical Cancer Research* 21 (9), S. 2029–2037.
- Downing, Nicholas S.; Shah, Nilay D.; Aminawung, Jenerius A.; Pease, Alison M.; Zeitoun, Jean-David; Krumholz, Harlan M.; Ross, Joseph S. (2017): Postmarket Safety Events Among Novel Therapeutics Approved by the US Food and Drug Administration Between 2001 and 2010. In: *Jama* 317 (18), S. 1854–1863.
- Eckhardt, Anne; Navarini, Alexander; Recher, Alecs; Rippe, Klaus Peter; Rüttsche, Bernhard; Telser, Harry; Marti, Michèle (2014): Personalisierte Medizin: vdf Hochschulverlag AG.
- Flores, Mauricio; Glusman, Gustavo; Brogaard, Kristin; Price, Nathan D.; Hood, Leroy (2013): P4 medicine: how systems medicine will transform the healthcare sector and society. In: *Personalized medicine* 10 (6), S. 565–576.
- Hood, Leroy; Friend, Stephen H. (2011): Predictive, personalized, preventive, participatory (P4) cancer medicine. In: *Nature Reviews Clinical Oncology* 8 (3), S. 184–187.
- Kull, Viviane (2017): Personalisierte Medizin und Datenschutz. Aktuelle Herausforderungen bei der Entwicklung der Personalisierten Medizin aus datenschutzrechtlicher Sicht. Hg. v. Datenschutzbeauftragter Kanton Zürich. Online verfügbar unter https://dsb.zh.ch/internet/datenschutzbeauftragter/de/themen/gesundheitswesen/_jcr_content/contentPar/downloadlist/downloaditems/personalisierte_medi.spooler.download.1488207136248.pdf/Personalisierte-Medizin-und-Datenschutz.pdf.
- Mittelstadt, Brent Daniel; Floridi, Luciano (Hg.) (2016): The Ethics of Biomedical Big Data. Cham: Springer International Publishing (Law, Governance and Technology Series).
- NEK-CNE (2015): Biobanken für die Forschung. Stellungnahme Nr. 24/2015. Online verfügbar unter http://www.nek-cne.ch/fileadmin/nek-cne-dateien/D_Broschure_NEK_Biobank.pdf.
- OECD (2017): New Health Technologies: Managing Access, Value and Sustainability. Hg. v. Paris OECD Publishing. Online verfügbar unter <http://dx.doi.org/10.1787/9789264266438-en>.
- Rupp, Tracy; Zuckerman, Diana (2017): Quality of life, overall survival, and costs of cancer drugs approved based on surrogate endpoints. In: *JAMA internal medicine* 177 (2), S. 276–277.
- Sacks, Chana A.; Avorn, Jerry; Kesselheim, Aaron S. (2017): The Failure of Solanezumab-How the Fda Saved Taxpayers Billions. In: *The New England journal of medicine* 376 (18), S. 1706–1708.
- Tene, Omer; Polonetsky, Jules (2012): Big data for all: Privacy and user control in the age of analytics. In: *Nw. J. Tech. & Intell. Prop.* 11, xxvii.
- Weber, Rolf H.; Oertly, Dominic (2015): Aushöhlung des Datenschutzes durch De-Anonymisierung bei Big Data Analytics? In: *Jusletter IT*.
- WHO (2016): siehe <http://www.who.int/ehealth/resources/ecosystem/en/>