

► La médecine personnalisée est en plein essor. Elle tend à proposer une prise en charge médicale « sur mesure » pour des groupes de patients, voire des patients uniques, mais également à identifier des groupes à risques, permettant de mettre en place des stratégies de santé publique. Dans ce contexte, des phénomènes de radicalisation se font jour, conduisant à une médecine non plus personnalisée mais privatisée, pouvant entraîner une certaine captation de la ressource publique. Si la « privatisation » de la médecine ne se limite pas à produire des effets négatifs, reste que plusieurs écueils potentiellement déstabilisants pour les patients se font jour. D'une part, des éléments objectifs d'ajustement des prérequis scientifiques émergent des pratiques de la médecine personnalisée (essais cliniques, politiques de santé publique), ce qui bouleverse la relation médecins/patients ; d'autre part, de nouveaux risques émergent pour les patients concomitamment à leur demande de maîtrise de leur propre santé, sans que ces risques ne soient ni clairement identifiés, ni effectivement communiqués. Que les pratiques liées à la médecine privatisée se développent au sein du système de santé ou en dehors, les pouvoirs publics auront à prendre en compte ces nouvelles dimensions dans leur régulation. ◀

S'il est un malaise qui devrait être dissipé pour les juristes, et probablement pour d'autres, c'est bien celui de la définition de la médecine personnalisée. On comprend bien que la médecine personnalisée a quelque chose à voir avec la prise en charge « sur mesure »

Ce texte fait partie du numéro hors série n° 2/2014 de *médecine/sciences* (m/s hs2 novembre 2014, vol. 30,) relatant les interventions faites lors du 2^e colloque de l'ITMO Santé publique - *Médecine « personnalisée » et innovations biomédicales : enjeux de santé publique, économiques, éthiques et sociaux* (5 décembre 2013).

Médecine personnalisée, médecine privatisée ?

Enjeux juridiques et de santé publique

Emmanuelle Rial-Sebbag



UMR 1027 Inserm,
Université de Toulouse
Paul Sabatier, Toulouse,
France.
emmanuelle.rial@univ-tlse3.fr

des patients (un patient ou un groupe de patients), en fonction des caractéristiques de leur profil biologique personnel (incluant leur profil génétique). De ces caractéristiques, peut-on en déduire que la médecine personnalisée est une nouvelle pratique nécessitant un encadrement particulier [1] ? En effet, pour le droit, la caractérisation d'un objet nouveau est déterminante pour en envisager la régulation. En d'autres mots, avant de proposer un nouvel encadrement pour une pratique, cette dernière doit démontrer, d'une part, son caractère innovant (cette pratique est-elle totalement nouvelle ?) et, d'autre part, l'impossibilité de réglementer cette nouvelle pratique par les instruments du droit déjà existants. Des chercheurs ont tenté de répondre à la question de la définition de la médecine personnalisée, notamment dans le champ des sciences humaines et sociales ; nous nous rallierons à leurs propositions pour les besoins de notre étude. La médecine personnalisée vise à améliorer la stratification et le déroulé des soins de santé, en utilisant des informations et des biomarqueurs biologiques de la maladie sur les plans moléculaire, génétique, protéomique et métabolomique [2]. Ainsi, elle tend à identifier des groupes de patients, voire des individus (par exemple dans le cas de thérapies cellulaires pour la médecine régénérative), afin de leur délivrer une prise en charge, notamment médicamenteuse, correspondant à leur profil biologique tout en minimisant les risques d'effets secondaires. Cette approche personnalisée, donc individuelle, doit être complétée par les bénéfices que pourraient prodiguer les résultats de ces études en termes de santé publique, puisque l'identification de groupes à



risque devrait conduire, à terme, à la possible mise en œuvre de stratégies de prévention. Pour autant, l'application individuelle et celle de santé publique ne soulèvent pas les mêmes enjeux juridiques et éthiques.

Sans appeler fermement à l'établissement de nouvelles règles, un certain nombre d'institutions internationales [3-5] et nationales [6-8] se sont penchées sur les enjeux de gouvernance posés par la médecine personnalisée en soulignant, notamment, le caractère sensible des données traitées pour les besoins de ces études et leur nécessaire protection [9]. Il nous sera permis de remarquer à ce propos que la médecine personnalisée soulève un paradoxe de principe puisque, pour permettre une individualisation des thérapies, il est nécessaire de recourir à un grand nombre d'échantillons et de données associées. Le collectif servant alors l'individu, la protection des données personnelles de santé, les risques pour la confidentialité engendrés par la création de grandes bases de données et/ou leur rapprochement, ainsi que la communication des informations incidentes aux participants, sont autant de questions qui devront être résolues rapidement [9].

La médecine personnalisée tend, dans ce contexte, à permettre la meilleure prise en charge d'un groupe de patients au sein du système de santé, tout en évitant deux écueils principaux : ne pas conduire à des phénomènes de discrimination ou de stigmatisation, et s'inscrire dans l'égalité d'accès aux soins [10]. Or, sur ce dernier point, la question doit être posée de la capacité à pousser la médecine personnalisée dans ses derniers retranchements et, notamment, celui de l'appropriation privée. Dans la mouvance de la maîtrise personnalisée de la santé, on peut finalement s'interroger sur les effets produits par cette idée d'une médecine personnalisée en ce qu'elle pourrait conduire à des phénomènes de radicalisation, entraînant des phénomènes de captation de la ressource publique. En effet, parler de médecine personnalisée pourrait conduire à une privatisation de la médecine, une médecine pour soi, une médecine totalement maîtrisée par les individus. La privatisation dont il s'agit ici ne sous-entend pas obligatoirement la production d'effets négatifs, mais revient simplement à s'interroger sur les conséquences d'une offre privée de médecine personnalisée, ainsi que sur la demande des personnes privées qui pourraient y revendiquer un certain accès.

L'offre « privatisée » de la médecine personnalisée

La contribution du secteur privé à l'offre de médecine personnalisée est essentielle. Les laboratoires pharmaceutiques l'envisagent comme une stratégie à court terme de prise en charge des patients [11] (notamment dans le domaine du cancer), permettant par la même d'optimiser l'accès du médicament (et de son test compagnon) au marché.

Les effets positifs

La participation du secteur privé est essentielle au développement de la connaissance dans le champ de la médecine personnalisée, grâce à la mise en œuvre de partenariats public/privé et de métho-

dologies innovantes pour le développement de futurs médicaments et tests compagnons [1]. La nécessité de sortir du modèle du *blockbuster* n'a pas été considérée comme un frein, bien au contraire, les laboratoires s'employant désormais à déployer ce modèle à large échelle dans le futur¹ « dans la perspective d'un essor de la prescription des tests compagnons et des thérapies ciblées onéreuses et dans le contexte de maîtrise de la croissance des dépenses de santé » [11]. Bien que cette nouvelle orientation doive être accompagnée sur le plan structurel (relations avec les autorités de santé, relation entre les laboratoires) [1], les pouvoirs publics soutiennent fortement les partenariats public/privé qui s'inscrivent dans le développement de médicaments au sein de notre système de santé. Ces coopérations, déjà présentes dans le champ du médicament classique, tendront à se renforcer dans le futur du fait du besoin de l'accès aux données qui sont principalement détenues par le secteur public de la santé. En effet, les patients à partir desquels seront collectées les données cliniques, biologiques, voire d'imagerie, se trouvent principalement dans le secteur hospitalier. Ces données, recueillies essentiellement à l'occasion des soins prodigués aux individus, pourront, si les conditions juridiques sont remplies [12], être réutilisées pour permettre la stratification des patients à inclure dans les études financées, notamment par les laboratoires pharmaceutiques. Ces développements nécessiteront la mise en œuvre de partenariats équilibrés entre les secteurs publics et privés, et devront être pensés afin de permettre une juste rétribution des deux secteurs, tout en optimisant la trajectoire de mise sur le marché.

Les effets négatifs

Le possible développement d'une offre en dehors du système de santé peut être considéré comme constituant le risque principal d'une offre privatisée. En effet, deux pratiques sont d'ores et déjà offertes à la marge du circuit public traditionnel : les tests génétiques proposés sur internet et les thérapies cellulaires non éprouvées. Dans le premier cas, les tests génétiques sont directement proposés au consommateur [13], la plupart du temps sans avis médical, ni conseil génétique, via un site internet. Cette offre s'est largement développée aux États-Unis, mais également en Europe [14]. Elle permet de recueillir, moyennant finance, des informations génétiques (non validées) servant de base

¹ Rappelons que le premier médicament/test compagnon considéré comme relevant de la démarche de la médecine personnalisée est l'Herceptin®/Herceptest (1998 aux États-Unis et 1999 en Europe) pour le cancer du sein-HER2 (*human epidermal growth factor receptor 2*) développé par les laboratoires Roche.

à une prédiction de risques de développer une maladie à composante génétique. Dans le second cas, des techniques (notamment des thérapies cellulaires) sont développées empiriquement par des chercheurs/médecins et proposées directement aux patients potentiels², la plupart du temps *via* des sites web. C'est le cas, par exemple, des offres privées concernant la conservation du sang de cordon pour une utilisation autologue ou encore pour la conservation à titre privé de cellules IPS (*induced pluripotent stem cell*)³. Dans ces deux cas, l'absence de garantie de la fiabilité et de l'utilité des techniques engendre un accroissement des risques pour les personnes/patients. Ces derniers ont l'impression d'avoir recours à des techniques de pointe tout en ignorant qu'elles ne sont pas validées et que les risques pour la santé n'ont pas été correctement évalués. Les individus s'exposent alors, volontairement et moyennant finance, au mieux à une technique inefficace, au pire à des effets secondaires ou complications graves (dans le cas des thérapies cellulaires non éprouvées) ou à des changements radicaux de style de vie (tests génétiques en accès libres). De plus, cette situation entraîne, au-delà des seuls risques individuels, des risques élevés pour la santé publique dès lors que cette pratique se développe en dehors des systèmes de santé traditionnels. Le risque dont il s'agit ici est celui du développement d'une médecine à deux vitesses, dans laquelle le système de santé serait perçu comme proposant des soins « classiques », alors que les soins innovants seraient prodigués à l'extérieur, par des fournisseurs privés. En outre, c'est bien pour répondre à une demande croissante de maîtrise des individus sur leur propre santé [14] que ces pratiques s'organisent, tout en creusant des inégalités de santé, puisque seuls ceux disposant des moyens financiers nécessaires pourraient recourir à ces pratiques qui restent à la charge des individus.

La demande privatisée

Les nouvelles revendications

Les relations qui se nouent dans le champ de la santé s'analysent aujourd'hui bien plus comme un partenariat revendiqué par les patients que comme une relation paternaliste [15]. Toutefois, on peut remarquer que ce mouvement « contractuel » est aujourd'hui entraîné de déplacer son centre de gravité vers les patients. Supposant à l'origine une égalité dans « le contrat de soins », la relation médecin/patient tendrait dorénavant à rompre cet équilibre en faveur d'une totale maîtrise par le patient. Dans ce contexte, la demande de contrôle des patients sur les décisions concernant leur santé est croissante et peut s'analyser comme l'expression pleine et entière de leur autonomie. Ce faisant, il devient légitime pour l'ensemble de la population de pouvoir bénéficier des dernières technologies et innovations disponibles, au nom d'un probable « droit à l'innovation » [16]. Si les innovations, telles que celles que propose la médecine personnalisée, ne sont pas,

ou pas encore, accessibles dans nos systèmes de santé, les individus se sentent alors en capacité (lorsque leurs moyens financiers le permettent !) d'y accéder directement ou du moins d'en revendiquer l'accès.

Liberté individuelle et santé publique

Cet accès direct peut s'entendre comme l'expression de la liberté individuelle. Chacun a la capacité d'exprimer cette liberté à partir du moment où elle ne crée pas de dommage pour autrui. Une deuxième limite peut être posée à la liberté individuelle quand son exercice peut porter atteinte à l'ordre public et, notamment, à la santé publique (ce que l'on nomme l'argument dit « de santé publique »). Ainsi, la santé publique joue un rôle restrictif dans l'exercice des droits individuels, permettant de doter les pouvoirs publics de pouvoirs coercitifs à l'échelle de la santé individuelle, d'exercer des pouvoirs de police sanitaire ou d'interdire des pratiques portant atteinte à l'ordre sanitaire [17]. Ainsi, il revient aux pouvoirs publics d'arbitrer entre la disponibilité de techniques et produits innovants et leur mise à disposition pour le plus grand nombre dans le système de santé. Rappelons que l'État est le garant d'un niveau élevé de santé, ainsi que de la qualité et de la sécurité des soins et des produits de santé (code de la santé publique, article L. 1441-1). En outre, il revient aux pouvoirs publics, au nom de la santé publique, de garantir un égal accès à l'innovation. Il faut toutefois admettre que les thérapies personnalisées remettent en question un certain nombre de cadres préexistants, que ce soit en matière scientifique ou en matière économique. En effet, le marché représenté par la médecine personnalisée est spécifique [11] et nécessite dès lors que les industriels et les académiques adaptent leurs stratégies de développement face à ce marché d'un genre nouveau. Sur le plan scientifique, plusieurs questions se posent : tout d'abord, concernant la ressource, cette dernière peut, dans certains cas, être limitée, posant dès lors la question de son éventuelle « privatisation »⁴ [18] ; deuxièmement, la démonstration de l'efficacité de la médecine personnalisée implique un nouveau *design* d'études, et donc d'essais cliniques, reposant sur une médecine essentiellement basée sur les données. Les enjeux de protection des participants à la recherche reposent donc moins sur la protection de l'intégrité physique des participants que sur la

² Un exemple de description de ces activités peut être trouvé à http://blogs.nature.com/the-niche/2009/07/hungary_detains_four_for_illeg.html, Monya Baker Hungary detains four for illegal stem-cell treatments in private clinic, 29 Jul 2009.

³ Une partie de ces enjeux sera explorée dans le cadre du projet européen EUcellEX (FP7 program, grant agreement number 601806), <https://www.eucellx.eu/>, P I. E. Rial-Sebbag.

⁴ Cette question est notamment posée par l'offre privée de conservation du sang de cordon. Dans ce cas, la quantité de sang disponible généralement pour une greffe est limitée et, *de facto*, sa conservation à titre privé (interdite en France, mais autorisée légalement dans de nombreux pays européens) soustrait cette ressource du circuit de la transplantation pour la réserver à une utilisation autologue ultérieure.



protection de leur vie privée. Des moyens appropriés pour assurer la confidentialité des données, leur bon usage et un juste retour vers les participants, sont autant de préalables nécessaires à la création de grandes bases de données, seuls outils permettant de mettre en œuvre les méthodologies développées pour la médecine personnalisée [9]. Cependant, quels que soient le degré d'innovation et les aménagements administratifs nécessaires, le niveau des obligations à la charge de l'État n'est pas à remettre en question, il se doit de garantir l'égalité d'accès aux soins.

Conclusion

La médecine personnalisée peut être considérée comme une innovation médicale des années à venir en ce qu'elle proposera une prise en charge sur mesure aux patients. À ce jour, il est légitime que le plus grand nombre revendiquent d'y avoir accès, cette possibilité relevant à titre principal de la mission de santé publique attribuée à l'État. Ces revendications devront toutefois rester dans les limites du système de santé sous peine de voir se développer des pratiques parallèles pouvant porter atteinte à l'égalité d'accès aux soins, et créant également des conséquences négatives pour les individus eux-mêmes. En effet, la possibilité d'acquiescer de nouveaux droits, comme le droit à l'innovation, s'accompagne la plupart du temps de nouvelles obligations. Maîtriser sa santé pourrait parfaitement s'accompagner d'un transfert de responsabilité, faisant ainsi reposer sur les patients eux-mêmes les devoirs auparavant dévolus au corps médical. En outre, la maîtrise privatisée de la santé comporte la création de nouveaux risques pour les patients puisque la plupart des actes se font sans respecter les règles de sécurité offertes par le droit, notamment en matière de droits des patients et de respect des règles des essais cliniques. Les pratiques se développant dans le cadre du système de santé ne nécessitent pas de régulation particulière, mais de simples ajustements administratifs et réglementaires. En revanche, les pratiques se développant en dehors du système de santé devront probablement faire l'objet d'un encadrement rigoureux par les pouvoirs publics. L'argument dit de santé publique pourrait alors être mobilisé et, à minima, les pouvoirs publics se trouveraient débiteurs d'une obligation d'information de la population à propos des risques engendrés par ces pratiques⁵. Cet argument pourrait être également le socle de dispositions juridiques contraignantes interdisant leur développement afin d'en maîtriser les risques pour la santé publique. Ces actions ne devront pas mettre en péril l'innovation, y compris celle développée par le secteur privé. C'est là un difficile équilibre qui devra être trouvé par les pouvoirs publics au regard du développement de la médecine personnalisée. Dans le même sens, l'accès du plus grand nombre aux innovations produites par la médecine personnalisée est un principe fondamental devant respecter l'équité. Cet accès équitable aux soins est d'ailleurs un des principes garanti par la Convention d'Oviedo dans son article 3 qui stipule « Les

Parties prennent, compte tenu des besoins de santé et des ressources disponibles, les mesures appropriées en vue d'assurer, dans leur sphère de juridiction, un accès équitable à des soins de santé de qualité appropriée »⁶. Il reviendra donc à l'État et aux structures de recherche privées de trouver les moyens de rendre cette égalité d'accès effective, permettant de s'assurer que le progrès puisse être partagé par tous. Les règles de droit et les standards de qualité sont des remparts contre les discriminations et, ainsi, contrairement aux idées reçues, plus le champ est régulé, plus il garantit cette équité. ♦

SUMMARY

Personalized medicine, privatized medicine? Legal and public health stakes

Personalized medicine is booming. It tends to provide a medical management "tailored" for groups of patients, or for one unique patient, but also to identify risk groups to develop public health strategies. In this context, some radicalization phenomenon can emerge, leading to not only personalized medicine but also privatized medicine, which can lead to a capture of the medical public resource. If the "privatization" of medicine is not limited to producing adverse effects, several potentially destabilizing phenomena for patients still remain. First, some objective factors, like the adjustment of scientific prerequisites, are emerging from personalized medicine practices (clinical trial, public health policy) and are interfering with the medical doctor/patient relationship. Another risk emerges for patients concomitantly to their demand for controlling their own health, in terms of patients' security although these risks are not clearly identified and not effectively communicated. These practices, related to a privatized medicine, develop within the healthcare system but also outside, and the government and legislators will have to take into account these new dimensions in drafting their future regulations and policies. ♦

REMERCIEMENTS

Une partie des résultats présentés ont été financés par le European union seventh framework program (EUCeLLEX, n° 601806).

LIENS D'INTÉRÊT

L'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.

⁵ Cette option a été choisie concernant les tests génétiques en accès libre pour lesquels la loi exige que l'Agence de la biomédecine réalise une information générale de la population, voir code de la santé publique article L 1418-1 al.9.

⁶ Convention pour la protection des droits de l'homme et de la dignité de l'être humain à l'égard des applications de la biologie et de la médecine : convention sur les droits de l'homme et la biomédecine, Conseil de l'Europe, 1997.

RÉFÉRENCES

1. Taboulet F, Juillard-Condat B. *Médecine personnalisée et produits de santé*. Documents de travail. Paris : Librairie du Sénat, 2014 (sous presse).
2. Schleidgen S, Klingler C, Bertram T, et al. What is personalized medicine: sharpening a vague term based on a systematic literature review. *BMC Med Ethics* 2013 ; 14 :55.
3. Commission staff working document. *Use of '-omics' technologies in the development of personalised medicine*. SWD, 2013, n° 436, accessible à http://ec.europa.eu/health/files/latest_news/2013-10_personalised_medicine_en.pdf.
4. FDA. *Paving the way for personalized medicine, FDA's role in a new era of medical product development*. FDA, 2013, accessible à <http://www.fda.gov/downloads/scienceresearch/specialtopics/personalizedmedicine/ucm372421.pdf>.
5. European alliance for personalised medicine. *Innovation and patient access to personalised medicine*. European alliance for personalised medicine, 2013, accessible à <http://euapm.eu/wp-content/uploads/2012/07/EAPM-REPORT-on-Innovation-and-Patient-Access-to-Personalised-Medicine.pdf>.
6. Claeys A, Vialatte JS, Office parlementaire des choix scientifiques et techniques. *Les progrès de la génétique : vers une médecine de précision ? Les enjeux scientifiques, technologiques, sociaux et éthiques de la médecine personnalisée*. Office parlementaire des choix scientifiques et techniques, 2014, rapport accessible à <http://www.senat.fr/rap/r13-306/r13-306.html>.
7. Académie des sciences et Académie nationale de médecine. *Génome personnel et exercice de la médecine*. Colloque, 12 novembre 2013.
8. Inserm. Dossier médecine personnalisée. *Magazine Sciences et Santé*, mai 2013.
9. Rial-Sebbag E. *La gestion des données de santé dans le cadre de la médecine personnalisée*. Documents de travail. PARIS : Librairie du Sénat (sous presse).
10. Ruth Chadwick. Ethical issues in personalized medicine. *Drug Discov Today Ther Strat* 2013 ; doi : 10.1016/j.ddstr.2013.05.001.
11. Marty R, Roze S, Groupe de travail biomarqueurs du LEEM. *Valorisation et modélisation médico-économique du couple Test diagnostique compagnon et thérapie ciblée. Contribution à la réflexion méthodologique*. Rapport, HEVA, LEEM, 2013, disponible à http://www.leem.org/sites/default/files/Reflexions-%20methodologiques-%20MedicoEco-October-2013_0.pdf.
12. Riou C, Fresson J, Serre JL, et al. Recommendations guide to good practices to ensure privacy protection in secondary use of medical records. *Rev Epidemiol Sante Pub* 2014 ; 62 : 207-14.
13. Anastasova V, Rial-Sebbag E. Les tests génétiques en accès libre: quelle protection pour le consommateur européen ? *Revue Droit Sanitaire et Social* 2012 ; 5 : 817-27.
14. Ducournau P, Gourraud P-A, Rial-Sebbag E, et al. Tests génétiques en accès libre sur Internet. Stratégies commerciales et enjeux éthiques et sociétaux. *Med Sci (Paris)* 2011 ; 27 : 95-102.
15. José Miola. *Medical ethics and medical law: a symbiotic relationship*. Oxford : Hart, 2007.
16. Rial-Sebbag E, Chassang G, Taboulet F. Quelle gouvernance pour les droits des patients en Europe ? *Revue des Affaires Européennes* 2001 ; 3 : 549-61.
17. Noiville C, Bellivier F. Santé publique et nouveaux rôles du médecin en France. *McGill Health Law Publication/Publication en Droit de la Santé de McGill* 2007 : 45-52.
18. Bioy X, Rial-Sebbag E. Les ressources biologiques devant le Conseil constitutionnel. *Constitutions* 2012 : 474-9.

TIRÉS À PART

E. Rial-Sebbag