

Portée et répercussions de l'arrêt «Myozyme»*

Valérie Junod^a, Jean-Blaise Wasserfallen^b

a Professeur de droit aux Universités de Genève et de Lausanne

b Professeur à l'Université de Lausanne, directeur médical du Centre Hospitalier Universitaire vaudois (CHUV)

L'arrêt «Myozyme[®]» publié aux ATF 136 V 395 a eu un important retentissement, que ce soit dans les médias, la doctrine juridique ou sur la scène politique. Quels sont les enseignements à en tirer? Quelle appréciation critique faut-il y porter? De manière forcément synthétique, la présente contribution met en exergue sept des plus importantes difficultés que pose cet arrêt.

1. L'arrêt du Tribunal fédéral n'impose pas de plafond à 100 000 francs

Bien que de nombreux commentateurs aient brandi le spectre d'un plafond de dépenses à 100 000 francs par an, le Tribunal fédéral n'est pas allé aussi loin. Certes, il considère que des dépenses disproportionnées au vu du bénéfice thérapeutique obtenu ne doivent pas être mises à charge des caisses-maladie. Cependant, il ne fixe pas de seuil absolu. Tout au plus écrit-il que de nombreux pays se réfèrent à une limite oscillant autour des 100 000 francs par année de vie gagnée. Il ajoute que cette limite étrangère «stimmt in der Grössenordnung überein mit den für Therapien in der Schweiz üblicherweise maximal aufgewendeten Kosten»¹. Nulle part est-il question d'imposer à l'avenir un plafond systématique de dépenses. Au demeurant, cette partie de l'arrêt est peu fouillée et on ignore quels sont ces pays, à combien exactement s'élèvent leurs seuils et quelles prestations ils visent. On voit dès lors mal que de ce bref passage soit inférée une règle aussi drastique que le refus de prise en charge une fois ce montant dépassé. Le Conseil fédéral l'a d'ailleurs confirmé dans sa réponse à diverses interpellations parlementaires². Néanmoins, une importante incertitude continue de planer lorsque doit être décidé le remboursement de traitements particulièrement chers: s'il n'y a pas de limite précisément chiffrée, comment décider alors ce qui doit être payé par les caisses?

2. Le seuil fait référence à un calcul de coût par QALY qui n'est pas effectué

Dans le passage susmentionné, le Tribunal fédéral évoque ce seuil de 100 000 francs en liaison avec le gain d'une année de vie supplémentaire («pro geret-

tetes Menschenlebensjahr»). En effet, un seuil chiffré qui serait indépendant du bénéfice thérapeutique escompté ne ferait aucun sens. Qui voudrait dépenser 100 000 francs pour un bénéfice minime? Un seuil implique forcément de quantifier en parallèle le gain espéré. La méthode des coûts par *quality-adjusted life year* (abrégée QALY) est la plus couramment utilisée; elle présente de nombreux avantages, mais fait également l'objet de critiques virulentes. Elle est délicate à mettre en œuvre, car elle nécessite la prise en considération d'une multitude de données sur l'effet de la maladie et du traitement. Or, dans son arrêt «Myozyme», le Tribunal fédéral ne met pas en œuvre un calcul de coût par QALY. On voit d'ailleurs mal qu'un quelconque tribunal soit capable de mener à bien une telle analyse. Les pays qui se fondent sur ce type de calcul pour décider de la prise en charge de traitements délèguent cette expertise pharmaco-économique à des agences spécialisées (par ex. le National Institute for Health and Clinical Excellence [NICE] au Royaume-Uni). La Suisse ne dispose pas d'une telle agence et sa création n'est pas prévue à court terme. Par conséquent, un seuil de 100 000 francs par QALY ne pourrait de toute façon pas être mis en œuvre correctement par les caisses-maladie et par les tribunaux. Même l'application d'une version extrêmement simplifiée de la méthode de coût par QALY n'irait pas sans difficultés, tant les données cliniques nécessaires pour effectuer le calcul sont rares ou difficiles d'accès.

3. Un seuil impliquerait de toute façon une application personnalisée au cas individuel

Dans son arrêt «Myozyme», le Tribunal fédéral explique que le bénéfice doit être apprécié à la fois de manière *abstraite* (c'est-à-dire pour l'ensemble des patients concernés en se fondant sur les essais cliniques) et de manière *concrète* (c'est-à-dire en tenant compte de l'amélioration mesurée chez le patient réclamant la prise en charge du traitement). Ce bénéfice à double facette doit ensuite être mis en rapport avec le coût, étant rappelé que ce dernier doit rester proportionné au vu des bénéfices. Même si le Tribunal ne s'étend guère sur ce point, tant le bénéfice concret que le coût est fonction du patient individuel. Par exemple, au vu du stade de sa maladie ou de son génotype, tel patient tirera (ou a tiré) un bénéfice notable; de même, le coût pour l'assuré peut varier, car la posologie de nombreux traitements est calculée en fonction du poids du patient. Dans ces circonstances, il est très difficile, sinon impos-

* Cette contribution est dérivée d'un article plus détaillé paru dans la Revue suisse de droit de la santé 2011.

1 Consid. 7.6.3.

2 Cf. par ex. la réponse du Conseil fédéral du 6 juin 2011 à l'interpellation du parlementaire Felix Gutzwiller 11.3306 («La limite indicative mentionnée par le Tribunal fédéral ne constitue pas une valeur limite.»).

sible, pour les caisses-maladie d'appliquer systématiquement un seuil chiffré à leurs assurés. Même sur recours, les tribunaux auront la plus grande peine à comparer bénéfices et coûts individuels. De surcroît, cette appréciation au cas par cas entraîne une surcharge des tribunaux puisque chaque patient individuel doit entamer une procédure pour faire trancher son droit à un traitement. L'OFSP a dernièrement confirmé que les caisses-maladie ne peuvent se dispenser de cette appréciation «au cas par cas»³.

4. Le fardeau de la preuve pose des problèmes pratiques importants

L'arrêt «Myozyme» ne désigne pas explicitement qui supporte le fardeau de la preuve. Cependant, comme il s'agit d'un médicament hors Liste des spécialités (LS), la prise en charge n'est qu'exceptionnelle et c'est donc normalement au patient de prouver les faits en sa faveur. L'adoption dans l'OAMal des articles 71a et 71b, avec effet au 1^{er} mars 2011, ne clarifie pas suffisamment la situation⁴, ces deux dispositions n'indiquant pas davantage sur qui repose le fardeau de la preuve. En pratique, les tribunaux imposeront vraisemblablement à la caisse un ample devoir de collaborer. Cependant, ni le patient ni la caisse n'ont généralement accès aux données chiffrées qui permettent de jauger le bénéfice d'un traitement et encore moins à celles susceptibles de fonder un calcul de coût par QALY. Même quantifier le bénéfice concret du traitement pour le patient reste difficile car, comme le Tribunal fédéral le souligne, il s'agit d'imputer une amélioration ou une dégradation de l'état de santé au médicament lui-même, et non pas à l'évolution naturelle de la maladie. Enfin, les données sont souvent lacunaires au moment de l'entrée sur le marché du médicament, tout particulièrement lorsqu'il s'agit d'un médicament destiné à une maladie orpheline. En pratique, seuls les patients ayant le privilège de disposer d'une équipe médicale particulièrement bien préparée, hautement compétente et immensément dévouée seront à même d'apporter un début de preuve. Leurs chances de succès dans le cadre d'un procès restent bien faibles.

5. Un seuil aurait des répercussions néfastes sur certains groupes de patients

Le Tribunal fédéral fait brièvement allusion à l'éthique, mais insiste avant tout sur l'impossibilité financière de consacrer un montant aussi élevé – ici plus de 500 000 francs – à chacun des patients se trouvant dans une

situation analogue. Il fait référence également au total élevé de maladies rares, même si chacune n'affecte qu'un faible nombre de patients en Suisse. Cependant, il ne discute pas directement des difficultés uniques que rencontrent les patients atteints de maladies orphelines ou rares. Pour ces patients, le coût d'un médicament sera toujours élevé, car le coût de la recherche et du développement préalable est à répartir sur un très petit nombre de clients. Il s'ensuit que le coût par QALY sera forcément plus élevé – et nettement plus élevé – que pour un médicament destiné à un grand collectif de patients. Si l'on voulait à l'avenir imposer un plafond identique, quelle que soit la rareté de la maladie, ces personnes souffrant de maladies rares se verraient très souvent refuser la prise en charge de leur traitement. Elles souffriraient alors d'une discrimination à de multiples niveaux, puisque déjà au départ leur état de santé est mauvais, les soins des médecins difficiles à coordonner et les traitements médicamenteux peu nombreux.

6. Un seuil aurait des répercussions sur les investissements dans la recherche

En soumettant le remboursement des médicaments à un plafond, on prend le risque de décourager la recherche axée sur les maladies rares. Si les sociétés pharmaceutiques savent qu'au-delà d'un certain coût leurs médicaments ne seront plus remboursés, elles renonceront à investir dans des traitements destinés aux petites populations de patients. En effet, comme déjà mentionné sous 5), lorsque la population de patients est réduite, le coût de la recherche et du développement doit forcément être rentabilisé via des prix unitaires élevés. De surcroît, si le médicament n'est pas pris en charge par l'assurance, il est bien peu probable que les patients puissent le payer de leur poche. En bonne logique commerciale, l'industrie préférera donc renoncer à découvrir et commercialiser ce type de médicaments. L'arsenal thérapeutique déjà restreint dont disposent les personnes atteintes de maladies rares se réduira encore davantage.

7. Des répercussions peu claires sur la prise en charge d'autres traitements

L'arrêt «Myozyme» intervient dans le contexte de la prise en charge d'un médicament hors liste. Cependant, les motifs avancés par le Tribunal fédéral pour refuser la prise en charge se fondent sur le principe d'économicité des soins en liaison avec le principe de proportionnalité. Le premier principe figure directement dans la LAMal et dans ses ordonnances⁵. Le second est un principe général qui gouverne toute l'activité étatique. La question se pose donc de savoir si une limite chiffrée pourrait n'être appliquée qu'aux seuls médicaments hors liste. En effet, il serait assez peu lo-

3 Cf. lettre de l'OFSP aux assureurs-maladie du 30 mars 2011.

4 L'art 71a OAMal régit la prise en charge des coûts d'un médicament qui figure dans la LS mais qui est prescrit hors indication (c'est-à-dire sans respecter les conditions de son autorisation de mise sur le marché) ou hors limitation (c'est-à-dire sans respecter les conditions de son inscription à la LS). L'art. 71b OAMal vise la prise en charge d'un médicament qui ne figure pas du tout dans la LS. Les deux dispositions exigent que le «rapport entre la somme à rembourser et le bénéfice thérapeutique du médicament [soit] adéquat».

5 Cf. par ex. art. 32 al. 1 LAMal; art. 65 al. 3 OAMal; art. 30 al. 1 let. a OPAS.

gique de refuser la prise en charge d'un médicament hors liste qui présenterait le même rapport coût-bénéfice qu'un autre médicament qui, lui, figure sur la LS. Or, la LS contient déjà plusieurs médicaments dont le coût par QALY excède 100 000 francs⁶. Si un seuil doit être imposé pour des motifs d'économicité, il semble raisonnable de l'appliquer à l'ensemble des prestations de soins. Cela impliquerait une refonte significative de la loi. Aujourd'hui, l'inclusion des médicaments dans la LS ne repose pas sur un calcul de coût par QALY ni sur un seuil⁷. Il en va de même – et a fortiori – de la prise en charge des autres prestations de soins.

Conclusion

En guise de conclusion, on saluera l'arrêt du Tribunal fédéral pour avoir mis le doigt sur le problème bien réel et largement inéluctable du rationnement des soins. Depuis longtemps, ce thème brûlant appelle une prise de conscience et des réponses nuancées de la part des autorités parlementaire et exécutive. Le Tribunal laisse entendre que l'équité, en particulier l'égalité de traitement, exigerait que les réponses soient apportées par le biais de procédures démocratiques⁸.

Cependant, cet arrêt maintient ouvertes de bien trop nombreuses questions. Vu l'importance des enjeux pratiques, il serait urgent de préciser sa portée. Il faut éviter que les caisses-maladie se précipitent dans la brèche pour refuser des soins jugés trop coûteux; il faut éviter que les sociétés pharmaceutiques délaissent la recherche axée sur des maladies rares; il faut éviter de contraindre les patients les plus malades à lancer des procédures judiciaires longues et empreintes d'incertitude; il faut éviter de confier aux seuls juges le calcul du

rapport coût-efficacité. Une solution serait d'attribuer à une autorité administrative la responsabilité de valider des calculs de coût par QALY, qu'il s'agisse d'études produites par le fabricant commercialisant le traitement ou par des agences étrangères. Cette validation devrait se faire au terme d'une procédure transparente accordant un large droit d'être entendu à l'ensemble des parties concernées (industrie, médecins, caisses-maladie et associations de patient). Avec encore passablement de réticences, la Suisse a décidé de s'engager sur la voie des *Health Technology Assessments*⁹. Le chemin risque cependant d'être long et truffé d'embûches. Dans l'intervalle, la position du médecin à l'intersection entre la défense de l'intérêt particulier de son patient et la prise en compte de l'intérêt collectif afférent au système de soins sera plus que jamais délicate.

Correspondance

Pr. Valérie Junod
Faculté des HEC-Unil
Interef – bureau 615
CH-1015 Lausanne

E-mail: Valérie.Junod@unige.ch

6 On citera le Fabrazyme, le Cerezyme, l'Aldurazyme, le Zavesca, tous sur la LS.

7 L'économicité des médicaments figurant sur la LS est appréciée sur la base d'une comparaison avec le prix du même médicament dans sept pays étrangers et d'une comparaison avec le prix en Suisse d'un médicament similaire déjà admis dans la LS. Cf. art. 65b OAMa; art. 34 et 35 OPAS.

8 «Sodann ist allgemein- und gerichtsnotorisch, dass in der alltäglichen medizinischen Praxis die Kostenfrage eine erhebliche Rolle spielt und verbreitet eine Art implizite oder verdeckte Rationierung stattfindet [...]. Zugleich fehlen aber allgemein anerkannte Kriterien für diese Beurteilung. Diese Situation ist unbefriedigend, weil sie für alle Beteiligten grosse Rechtsunsicherheit und zugleich Rechtsungleichheit schafft, indem bestimmte Behandlungen je nach dem Entscheid einzelner Ärzte oder Krankenkassen vorgenommen bzw. vergütet werden oder nicht.» Consid. 7.5.

9 Voir la réponse du Conseil fédéral du 17 septembre 2010 à la motion du parlementaire Ignazio Cassis 10.3451.