

# Maladies rares et financement des traitements médicamenteux innovants en Suisse entre rationalisation et rationnement

Stéphanie Dagon<sup>a</sup>

a Institut d'éthique biomédicale de l'Université de Zurich, titulaire d'une bourse Ambizione du FNS

La question du financement par l'assurance-maladie obligatoire des traitements médicamenteux nouveaux et innovants se pose dans la majorité des Etats ayant accès aux nouvelles technologies. Les progrès scientifiques et médicaux incessants offrent des possibilités thérapeutiques nouvelles et engendrent des coûts qui pèsent lourdement sur les budgets attribués à la santé publique<sup>1</sup>. Parmi ces technologies coûteuses se trouvent les médicaments destinés au traitement des maladies rares. Le Parlement et le Conseil européen ont adopté en 1999 la définition suivante des maladies rares: «maladies entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique, dont la prévalence est si faible que leur approche nécessite des efforts combinés particuliers»<sup>2</sup>. La gravité de ces maladies et la rareté de la recherche et des développements scientifiques les concernant<sup>3</sup> sont à l'origine de l'adoption en France et en Allemagne de solutions particulières pour la prise en charge par l'assurance-maladie de ces traitements particuliers ne répondant pas à la définition légale du «médicament remboursable»<sup>4</sup>.

La solution adoptée en Suisse en la matière est encore incomplète et doit faire l'objet de discussions. Le législateur a adopté au début de l'année 2011 deux nouvelles dispositions afin de préciser les conditions de la prise en charge des médicaments utilisés «hors étiquette» et des médicaments ne figurant pas sur la Liste des spécialités et utilisés plus spécialement dans le cas des maladies rares<sup>5</sup>. Cependant, par ces dispositions, le législateur n'a fait qu'entériner la jurisprudence antérieure du Tribunal fédéral, ignorant les éléments nouveaux et controversés<sup>6</sup> de l'arrêt rendu par ce même tribunal le 23 novembre 2010<sup>7</sup>. Dans cet arrêt, le Tribunal fédéral apporte des précisions importantes sur la

façon dont doit être démontré le «bénéfice élevé» d'un médicament ne figurant pas sur la Liste des spécialités en tant que critère conditionnant son remboursement [1]. Au-delà, le Tribunal fédéral définit une limite financière applicable aux coûts supportables par l'assurance-maladie obligatoire et préconise l'adoption d'une méthode particulière pour procéder à un rationnement des prestations médicales et assurer l'équilibre financier du système d'assurance-maladie d'une manière plus générale [2].

## 1. La mesure du niveau de l'efficacité thérapeutique

A l'origine de l'arrêt du 23 novembre 2010 se trouvait le recours formulé par une caisse d'assurance-maladie (la Publisana) contre la décision du tribunal cantonal d'Argovie qui lui imposait la prise en charge du traitement par le Myozyme<sup>®</sup> d'une patiente souffrant de la maladie de Pompe. Le Myozyme est le seul médicament disponible actuellement sur le marché pour le traitement (symptomatique et non curatif) des formes tardives de cette maladie rare. Ce médicament, qui a reçu une autorisation de mise sur le marché délivrée par l'Institut Suisse des produits thérapeutiques conformément à la procédure simplifiée réservée aux médicaments importants pour le traitement des maladies rares<sup>8</sup>, n'est pas inscrit sur la liste des spécialités remboursables.

La jurisprudence constante du Tribunal fédéral, telle que reprise par les dispositions 71a et 71b OAMal, autorise la prise en charge exceptionnelle de médicaments ne figurant pas sur la Liste des spécialités dans le cas des maladies rares, à la condition que l'usage de ce médicament permette d'escompter un «bénéfice élevé». Selon la précision apportée par le Tribunal fédéral dans l'arrêt du 23 novembre 2010, l'existence du bénéfice élevé doit être démontrée par référence à deux groupes d'informations. Le premier groupe est constitué des informations issues des essais cliniques. Ainsi, alors que dans le cas de l'usage «hors étiquette» d'un médicament, les juges n'exigent pas l'existence de don-

1 L'explosion des dépenses de santé dans les pays industrialisés est principalement engendrée selon certains auteurs par le progrès scientifique. Voir notamment Dormont B. [1, 123].

2 Décision n° 1295/1999/CE du 29.4.1999.

3 Conformément au règlement (CE) n° 141/2000 du 16.12.1999 (§1) «certaines affections sont si peu fréquentes que le coût du développement et de la mise sur le marché d'un médicament destiné [aux maladies rares] ne serait pas amorti par les ventes escomptées du produit».

4 Pour la France, voir l'art. L 162-17-2-1 Code de la sécurité sociale. Sur l'Allemagne, voir notre article [2].

5 Art. 71a et 71b OAMal, RO 2011.653.

6 Voir les questions posées au Conseil national par F. Gutzwiller, R. Humbel et I. Cassis.

7 Arrêt du TF, 9 C\_334/2010.

8 Art. 14 al. 1 let. f, Loi fédérale sur les médicaments et les dispositifs médicaux (LPTH).

nées scientifiques de nature clinique démontrant le bénéfice thérapeutique d'un médicament – alors que ces informations existent dans la réalité –, ils exigent la prise en compte de telles données dans le cas de médicaments ne figurant pas sur la Liste des spécialités – alors que dans ce cas de telles données sont pratiquement introuvables. Le deuxième groupe d'informations est constitué des données relatives aux effets du traitement dans un cas particulier. En l'espèce, le Tribunal fédéral procède lui-même à l'analyse de l'ensemble des informations. Il conclut à l'absence de bénéfice élevé en faisant reposer sa décision sur une argumentation peu convaincante. D'une part, il relève l'absence d'efficacité clinique du médicament – une telle conclusion reposant normalement dans d'autres pays sur une analyse conduite par des commissions d'experts<sup>9</sup>. D'autre part, il constate l'impossibilité de démontrer dans le cas d'espèce le lien entre le traitement médicamenteux et l'évolution positive de l'état de santé de la patiente. Or, une telle preuve ne peut être apportée que dans les conditions d'un essai clinique ou au moins dans le cadre d'un traitement prolongé avec ce même médicament. Selon le Tribunal fédéral cependant, un tel prolongement ne peut être réalisé aux frais de l'assurance-maladie, la recherche de l'efficacité thérapeutique relevant de la responsabilité de l'industrie pharmaceutique – qui n'a pourtant a priori aucun intérêt financier à faire ce type de recherche – et non de l'assurance-maladie<sup>10</sup>. D'autres Etats voisins de la Suisse ont fait des choix différents impliquant les autorités publiques, à travers notamment le système d'assurance-maladie, dans le financement de la recherche<sup>11</sup>.

## 2. Les effets de la prise en compte du critère d'économicité

Le bénéfice élevé d'une thérapie médicamenteuse ne reste pas cependant le seul critère déterminant pour la prise en charge d'un médicament ne figurant pas sur la Liste des spécialités. Rappelant que l'art. 32 al. 1 de la Loi fédérale sur l'assurance-maladie exige que les médicaments remboursables remplissent les critères d'efficacité, d'adéquation et d'économicité, le Tribunal fédéral considère que la décision de prise en charge des médicaments ne figurant pas sur cette liste doit reposer sur les mêmes critères. Constatant la réalité d'un rationnement même implicite des prestations médicales prises en charge par l'assurance-maladie obligatoire, mais aussi l'absence d'une méthode particulière per-

mettant d'assurer aux patients l'attribution égalitaire de ces prestations<sup>12</sup>, le Tribunal fédéral plaide, au nom du principe d'égalité notamment, pour l'utilisation de méthodes économiques permettant une comparaison entre les coûts de tous les traitements médicaux. L'utilisation du QALY (quality-adjusted life years) est notamment évoquée par le tribunal comme présentant une solution adéquate. En l'espèce, le tribunal en déduit que même un bénéfice élevé ne pourrait justifier les coûts trop élevés du traitement par le Myozyme.

Cette conclusion est lourde de conséquences pour les patients atteints d'une maladie rare. Le coût de la plupart des médicaments orphelins dépasse largement la limite des 100 000 francs suisses par an et par assuré que le tribunal semble considérer comme étant la norme pour les traitements en général. Pour autant – et malgré le caractère discutable du refus du Tribunal fédéral de considérer la situation des patients atteints d'une maladie rare comme particulière – cet arrêt a le mérite de poser clairement les termes du défi auquel est confrontée la société dans son entier: assurer une répartition égalitaire des prestations médicales financées sur la base d'un budget limité. Pour le tribunal, la solution ne peut en effet résider dans l'augmentation indéfinie des dépenses. Ce faisant, il s'inscrit dans la ligne des études réalisées en droit international relatives au contenu du droit de la santé, selon lesquelles l'attribution de ressources disproportionnées aux soins médicaux aux dépens des déterminants fondamentaux de la santé est «profondément regrettable» et ne favorise pas en définitive la réalisation d'un niveau toujours plus élevé de santé<sup>13</sup>. Des critères de répartition doivent être définis et ce, peu importe la complexité des questions éthiques, sociologiques, politiques et juridiques posées.

---

### Correspondance

Dr Stéphanie Dagron  
Universität Zürich  
Institut für Biomedizinische Ethik  
Pestalozzistrasse 24  
CH-8032 Zürich

E-mail: dagron@ethik.uzh.ch

---

### Références

1. Dormont B. Vieillesse et dépenses de santé. Dans: PL Bras et al. (éd.). *Traité d'économie et de gestion de la santé*. Paris: Presses de sciences politiques; 2009.
2. Dagron S. Droit à la santé et jurisprudence constitutionnelle, les enseignements de l'expérience allemande. Dans: *Les voyages du droit, Mélanges en l'honneur de D. Breillat*, Paris: LGDJ; 2011: 155–169.

---

9 Voir par ex. l'avis du 16 juin 2010 de la Commission de transparence de la Haute autorité de santé (HAS) sur l'efficacité du Myozyme.

10 Arrêt du TF, point 6.9.

11 En France, la décision de prise en charge relève des ministres de la santé et de la sécurité sociale, après avis favorable de la HAS. Un avis favorable a ainsi été rendu dans le cas du Myozyme malgré le constat d'une amélioration mineure du service médical rendu. Pour l'Allemagne, voir notre article cité supra.

12 La création du *Medical Board* sur initiative de la direction de la santé du Canton de Zurich repose sur le même constat.

13 Voir notamment le Rapport de Paul Hunt (rapporteur spécial sur le droit à la santé) du 8 août 2007, A/62/214, points 16 et 17.