

Maladies rares

On notera que, dans l'UE, l'assurance de base prend en charge les coûts des médicaments prescrits dans le traitement de la maladie de Pompe et de la maladie de Niemann-Pick, type C.

Un arrêt du Tribunal fédéral lourd de conséquences

En novembre 2010, le Tribunal fédéral a rendu, à propos du remboursement d'un médicament, un arrêt de principe qui a des conséquences immédiates pour de nombreux patients et patients souffrant de maladies rares. Dans ce cas concret, une patiente, âgée de 70 ans à l'époque et qui était atteinte de la maladie de Pompe, s'est vu refuser la poursuite du remboursement d'un médicament, le Myozyme, pour des questions de coûts. Ce médicament ne figure pas sur la liste des spécialités. Il est utilisé dans 40 pays pour traiter une pathologie très rare, la maladie de Pompe. Cette maladie métabolique chronique incurable touche essentiellement la musculature et constitue un lourd handicap pour les intéressés.

Le Tribunal fédéral a décidé que la caisse-maladie ne devait pas prendre en charge le traitement par le Myozyme – déjà effectué pendant six mois – pour une durée supplémentaire de deux ans.

Position de l'industrie

Après l'arrêt du Tribunal fédéral relatif au remboursement des médicaments dans la maladie de Pompe, qui va dans le sens d'un rationnement, l'industrie pharmaceutique attend un pilotage politique au bénéfice de la solidarité et de la protection des minorités.

L'industrie pharmaceutique se prononce catégoriquement contre un rationnement et considère que l'arrêt du Tribunal fédéral constitue une décision prise dans un cas d'espèce et que la portée du jugement est limitée au remboursement de médicaments qui ne figurent pas sur la liste des spécialités. L'industrie pharmaceutique s'emploie à ce que la Suisse élabore une stratégie nationale en faveur des maladies rares, garantisse une bonne prise en charge médicale des patientes et des patients atteints de maladies rares dans toute la Suisse et leur assure l'accès aux médicaments revêtant une importance vitale. Il importe également que soient instituées des incitations réglementaires – s'agissant de la recherche et du développement de diagnostics ainsi que de médicaments destinés à traiter les maladies rares –, comme il en existe aux Etats-Unis et dans l'UE.



Il faut des incitations réglementaires portant sur la recherche et le développement de diagnostics ainsi que de médicaments destinés à traiter les maladies rares.

Les coûts se montent pour cette patiente à quelque 500 000 francs par an. Le Tribunal a fondé sa décision sur le fait que le bénéfice thérapeutique élevé requis devait être refusé, raison pour laquelle la caisse-maladie n'avait aucune obligation de prise en charge. Une évaluation de la proportionnalité ou de l'efficacité des coûts à partir de critères généralisables s'imposait en particulier pour des raisons d'égalité devant la loi. Dans l'application équitable du principe de proportionnalité, il s'ensuivait que tout assuré individuel ne pouvait bénéficier de prestations qu'à hauteur de ce que – dans une optique généralisable – toute autre personne pourrait aussi recevoir dans la même situation. Fournir des prestations qui ne peuvent être étendues à tous contrevient par conséquent à l'égalité devant la loi. Le Tribunal fédéral mentionnait la somme de 100 000 francs comme limite supérieure pour un traitement dans le cadre de l'assurance de base.

Chez la patiente concernée, le traitement avait stabilisé les résultats et eu des effets déterminants dans l'amélioration de sa qualité de vie. Sa capacité ambulatoire avait été augmentée et sa respiration sans assistance artificielle avait pu être améliorée. De

plus, la patiente supportait le traitement sans effets indésirables notables. Depuis l'arrêt du traitement, la patiente doit être mise la nuit sous respiration artificielle. Elle marche plus difficilement. La maladie progresse plus rapidement et l'on peut craindre qu'à court ou moyen terme la patiente doive recourir à un fauteuil roulant. Sa fonction pulmonaire s'est en outre détériorée dans des conditions mettant en jeu le pronostic vital.

Dans notre pays, la prise de conscience de la problématique que constituent les maladies rares est plus faible qu'à l'étranger. Il n'existe aucune incitation en matière de recherche et de développement de médicaments.

Le jugement du Tribunal fédéral n'a pas seulement alarmé les patientes et les patients concernés, mais il a aussi alerté les médias. Ainsi différents journaux ont-ils publié des articles sur les conséquences que cela pourrait avoir pour d'autres malades atteints de maladies rares. La «Neue Zürcher Zeitung» a évoqué la situation douloureuse de la famille Poincilit mentionnée au début. L'«Aargauer Zeitung» a décrit le destin d'un étudiant en

langue et en informatique de 26 ans, qui n'avait la force de poursuivre sa formation que grâce à un nouveau médicament. La caisse-maladie a rejeté une nouvelle prise en charge des coûts en s'appuyant sur l'arrêt du Tribunal fédéral.

Une attention supérieure à l'étranger

Aux Etats-Unis, une loi relative à l'encouragement et au développement de médicaments contre les maladies rares a été édictée dès 1983. Elle apportait différents allègements à l'industrie, par exemple un soutien technique et financier, une procédure accélérée d'autorisation de mise sur le marché, une protection du brevet prolongée de sept ans ainsi que des avantages fiscaux. En Europe, l'UE a créé en 1999 une base juridique similaire via une ordonnance sur les médicaments destinés au traitement des maladies rares. Ces maladies étaient en outre l'une des priorités du sixième programme-cadre européen de recherche et de développement technologique et figurent également dans le nouveau – et septième – programme-cadre.

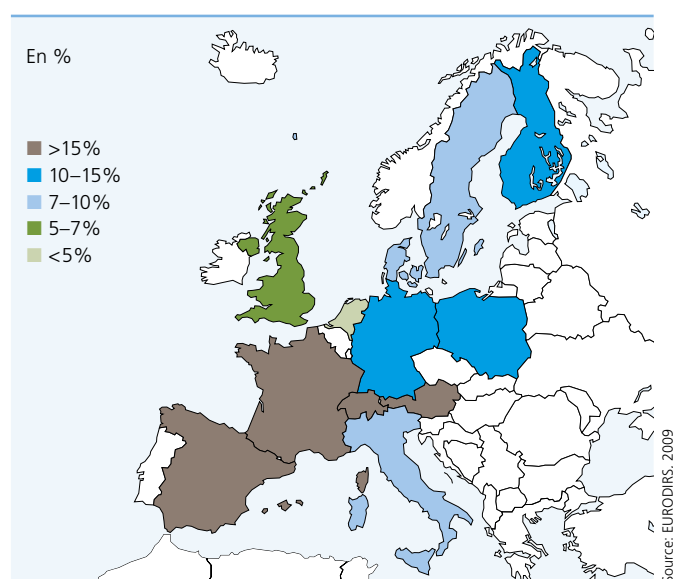
Parmi les mesures d'encouragement concrètes au sein de l'UE figurent une meilleure reconnaissance et une meilleure visibilité des maladies rares, le soutien des plans nationaux conçus pour les maladies rares, le renforcement de la coopération et de la coordination à l'échelle de l'UE, l'instauration de réseaux européens de référence qui relient entre eux les centres spécialisés

Qu'est-ce que les maladies rares?

■ Les maladies rares sont des maladies – le plus souvent héréditaires – mettant en jeu le pronostic vital ou conduisant à l'invalidité chronique, dont est atteinte moins d'une personne sur 2000. Actuellement, il existe plus de 7000 maladies rares dans le monde. On dispose de médicaments pour traiter un très petit nombre de maladies rares. Jusqu'à ce que l'on pose enfin le diagnostic exact, les patientes et les patients souffrant d'une maladie rare vivent généralement une véritable odyssee. Dans le cadre d'une étude européenne, un quart des personnes interrogées ont déclaré qu'elles avaient dû attendre de 5 à 30 ans entre le moment de l'apparition des premiers symptômes et la pose du diagnostic correct¹. Chez les patientes et les patients suisses, des diagnostics erronés ont abouti à la prescription d'un médicament inadéquat dans 44 pour cent, et même à une opération inappropriée dans 16 pour cent des cas.

1 «The Voice of 12 000 Patients», European Organisation for Rare Diseases, EURODIRS, 2009.

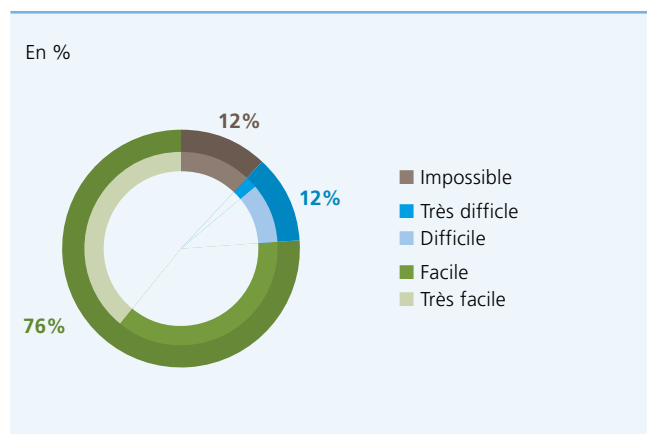
I Proportion de patientes et de patients qui ont été opérés sur la base d'un diagnostic erroné



Des conséquences financières importantes

■ Les maladies rares entraînent généralement des coûts indirects élevés parce qu'environ la moitié des personnes concernées sont des enfants. Les médicaments contre les maladies rares – appelés orphan drugs ou médicaments orphelins – ne sont remboursés en Suisse que si le médicament prescrit pour traiter la pathologie concernée présente une utilité importante et qu'il n'existe par ailleurs aucune autre possibilité de traitement. Les médecins-conseils des différentes assurances-maladie jouent de ce fait un rôle déterminant dans la question des remboursements. Lors de l'enquête citée plus haut, 12 pour cent des personnes interrogées indiquèrent que leur accès à la prise en charge médicale avait été difficile, voire très difficile. Pour 12 pour cent, il avait même été impossible. Pour 30 pour cent des personnes interrogées, les coûts assumés personnellement constituaient le problème.

II Accès à la prise en charge médicale en Suisse pour les maladies rares



et les experts des différents pays ainsi que la création de mesures incitatives pour intensifier la recherche dans les domaines des maladies rares.

Nécessité urgente d'agir en Suisse

Dans notre pays, la prise de conscience de la problématique que constituent les maladies rares est plus faible qu'à l'étranger. Il n'existe par ailleurs aucune incitation en matière de recherche et de développement de médicaments. Dans le cadre de deux interventions parlementaires, le Conseil fédéral a déclaré qu'il allait examiner les critères d'admission des médicaments destinés aux maladies rares dans la liste des spécialités ainsi que l'utilisation de médicaments en dehors du domaine d'indications approuvé dans la LS.

En décembre 2010, la conseillère nationale Ruth Humbel a présenté une motion en faveur d'une stratégie nationale visant à améliorer la situation des personnes atteintes de maladies rares. Un plan d'action national et la création d'un groupement d'intérêts ont pour objet d'attirer davantage l'attention sur la question, de proposer des solutions et de suivre les travaux de la Confédération et du Parlement. Doté d'une assise très large, le groupement d'intérêts «IG Rare Diseases» entend sensibiliser les milieux politiques, l'administration et l'opinion publique, et lancer un débat de société. Objectifs: une prise en charge médicale de haute qualité pour les patientes et les patients, une re-

cherche innovante, une sécurité juridique et une égalité devant la loi pour toutes les personnes concernées ainsi qu'une réglementation uniforme et claire de l'accès aux traitements.

Recherche sur les maladies rares

Avec l'introduction de nouvelles conditions-cadres législatives en faveur des médicaments contre les maladies rares aux Etats-Unis et dans l'UE, le nombre des médicaments autorisés a augmenté. Si l'on n'en comptait que 133 au stade du développement en 1989, 460 médicaments sont aujourd'hui en phase clinique ou déjà au stade du processus d'autorisation de mise sur le marché².

Aujourd'hui, dans l'UE, 350 médicaments sont homologués pour traiter 200 maladies rares. Par rapport aux 7000 maladies rares existantes, on ne peut toutefois pas encore parler de franc succès³.

On place de grands espoirs dans la thérapie génique, car une grande partie des maladies rares sont d'origine génétique. La recherche sur les cellules souches pourrait, elle aussi, contribuer au traitement des maladies rares. De grands progrès peuvent en particulier être attendus en matière de diagnostic. ■

2 Orphan drugs in Development for Rare Diseases, 2011 Report, PhRMA.

3 Nature Magazine 17 (3), mars 2011.



Entretien

Appréciation de l'arrêt du Tribunal fédéral dans le cas de la maladie de Pompe

Dr. Thomas Eichenberger,
Kellerhals Anwälte

Dans le cas de la patiente souffrant de la maladie de Pompe, le Tribunal fédéral dénie un bénéfice thérapeutique élevé. Quelle appréciation peut-on porter?

Eichenberger: La question se pose de savoir si le Tribunal fédéral a suffisamment évalué la situation sous l'angle du bénéfice thérapeutique pouvant être attendu. Dans les pays européens, à la différence du Tribunal fédéral, on ne met manifestement pas l'accent – pour établir l'existence d'un bénéfice thérapeutique élevé – sur la mise en évidence d'une action entraînant la prolongation de la vie, mais on réclame simplement une stabilisation du cours de la maladie. On peut certes concéder au Tribunal fédéral que le critère de bénéfice thérapeutique élevé et le critère d'économicité ne peuvent être totalement analysés séparément l'un de l'autre. Parler

«La répartition présumée équitable des moyens aboutit tendanciellement à une discrimination des personnes qui souffrent d'une maladie rare.»

d'un déséquilibre entre la dépense et le succès du traitement pourrait tout au plus se justifier si le prix du médicament était nettement plus élevé en Suisse qu'à l'étranger. Un coup d'œil par-dessus la frontière n'est pas inhabituel en Suisse lorsqu'il s'agit de la fixation du prix des médicaments. Or, en ce qui concerne le médicament en question, selon les indications du fabricant, le prix n'était pas supérieur à celui pratiqué dans les pays de comparaison ou était même pour partie moins élevé.

Le Tribunal fédéral ne semble pas faire de différence entre maladies rares et maladies fréquentes. Quelles en sont les conséquences?

Eichenberger: Considéré sur le plan des droits fondamentaux, l'arrêt du Tribunal fédéral doit être mis en cause, s'agissant de la «possibilité de généralisation» des coûts requise dans l'appréciation de l'efficacité des médicaments au regard des coûts pour les maladies rares. Même s'il n'existe pas de droit fondamental à un traitement global et à la protection de la santé, une prise en charge médicale exempte de discrimination doit tout au moins être assurée. Dans la mesure où le Tribunal fédéral – pour ce qui concerne la possibilité de généralisation des coûts – ne fait aucune différenciation entre maladies fréquentes et maladies rares, la répartition présumée équitable des moyens aboutit tendanciellement à une discrimination des personnes qui souffrent d'une maladie rare. Le fait que les coûts des médicaments destinés à traiter des maladies rares soient supérieurs, du fait des dépenses élevées de recherche et de développement engagées pour un petit nombre de personnes concernées, mais que, d'un autre côté, considéré globalement, ils entraînent des coûts moins élevés que si le même médicament était consommé par un grand nombre de personnes pour une maladie fréquente, montre qu'il ne s'agit pas ici de «situations comparables». Le critère de la «possibilité de généralisation» aboutit tendanciellement pour les maladies rares à un examen discriminatoire sous l'angle de la proportionnalité; une telle évaluation de l'efficacité des coûts risque de discriminer indirectement les patientes et les patients souffrant d'une maladie rare, mortelle ou invalidante.

Maladies rares

Suite de la page 5

Par son jugement, le Tribunal fédéral fixe des valeurs seuils. De telles valeurs sont-elles juridiquement et socialement fondées?

Eichenberger: Lorsque le Tribunal fédéral déclare que la proportionnalité doit être évaluée en tenant compte de la dépense par année de vie sauvée, après ajustement éventuel sur la qualité (Quality-Adjusted Life Years, QALYs), et que des montants d'un maximum d'environ 100 000 francs par année de vie sauvée doivent encore être considérés comme

«Ce n'est pas l'affaire du Tribunal fédéral de prendre des décisions concrètes de rationnement.»

raisonnables, une valeur seuil est ainsi introduite, pour laquelle il n'existe aucune base légale. Il n'existe en outre aucun consensus législatif, et encore moins sociétal, à cet égard, disant que les coûts du traitement de l'ostéoporose peuvent être de l'ordre de 60 000 à 70 000 francs ou qu'un traitement anticancéreux ne peut en aucun cas dépasser 84 000 francs par an.

Le Tribunal fédéral aurait dû voir qu'il n'a pas besoin – et à vrai dire pas le droit – de s'exprimer sur une limite concrète. Il revient aux responsables politiques ou au législateur, et non pas au Tribunal fédéral, de répondre à la question de savoir si des valeurs seuils constituent un instrument adéquat et à quel niveau, si nécessaire, il conviendrait de fixer ces limites et/ou de prendre des décisions de rationnement très concrètes.

Qu'en est-il de la portée de l'arrêt du Tribunal fédéral?

Eichenberger: L'applicabilité de l'arrêt du Tribunal fédéral est limitée au remboursement des coûts engagés pour des médicaments qui ne figurent pas sur la liste des spécialités. L'importance et la portée effectives du jugement doivent donc être relativisées. Dans le cas d'une autorisation ordinaire, autrement dit lorsqu'une comparaison avec des préparations équivalentes sur le plan thérapeutique et une comparaison avec les prix pratiqués à l'étranger sont possibles, l'arrêt du Tribunal fédéral n'a aucun effet ou n'influe pas sur la pratique en vigueur de la procédure d'admission des médicaments dans la LS.

Impressum

Editeur: Interpharma, VIPS, SGCI
Rédaction: Interpharma, Petersgraben 35, 4003 Bâle
Tél. 061 264 34 00 / fax 061 264 34 01
www.interpharma.ch

Faits relatifs à des questions de politique de santé et position de l'industrie pharmaceutique

MALADIES RARES

Nécessité d'agir après jugement sur le rationnement

Pour les patientes et les patients souffrant de maladies rares, la situation est difficile. Les possibilités de diagnostic et de traitement manquent souvent. En Suisse vient s'ajouter un obstacle supplémentaire. Lorsqu'un médicament est disponible, la question du remboursement n'est souvent pas réglée. Cette situation difficile est encore aggravée par un arrêt du Tribunal fédéral dans le cas de la maladie de Pompe, qui soulève la question du rationnement. C'est pourquoi il est urgent de définir une stratégie visant à assurer une prise en charge médicale efficace des personnes atteintes de maladies rares. Il est également nécessaire d'établir des bases juridiques tenant un compte équitable du destin de chacun.

Christoph Poincilit a trois enfants, dont l'âge s'échelonne entre 22 et 31 ans, et vit avec sa famille en Suisse centrale. Ses trois enfants sont nés porteurs de la maladie de Niemann-Pick, type C (NP-C), une maladie métabolique héréditaire rare, et ont développé la maladie au cours de leur enfance ou de leur adolescence.

En Suisse, on compte vraisemblablement moins de 20 patients atteints de cette pathologie. En ce qui concerne la NP-C, il s'agit d'une maladie du système nerveux; les symptômes conduisent généralement à la mort dans les trois premières décennies de la vie. Les enfants Poincilit souffrent selon toute vraisemblance d'une «forme adulte» de la maladie. La NP-C peut s'exprimer par des troubles cognitifs, une lourdeur dans les mouvements, des problèmes d'équilibre, une élocution ralentie et peu compréhensible, des troubles de la déglutition, des problèmes dans les mouvements oculaires et des crises convulsives. On observe généralement une diminution des capacités intellectuelles.

Depuis 2009, il existe dans l'UE un médicament homologué qui ralentit, voire stoppe, la progression des symptômes neurologiques cliniquement significatifs chez les patients souffrant de NP-C. Ce médicament est autorisé en Suisse par Swissmedic, mais ne figure pas encore dans la liste des médicaments remboursés par l'assurance-maladie obligatoire (liste des spécialités, LS). De ce fait, le remboursement par les caisses-maladie n'est pas réglé sur le fond. Cinq patients suisses atteints de la maladie



Chez les enfants, les maladies rares sont particulièrement fréquentes.

reçoivent le médicament hors indication, autrement dit pour une indication qui n'est en fait pas homologuée pour cette molécule. Or, un arrêt du Tribunal fédéral rendu dans le cas de la maladie de Pompe, une autre maladie métabolique héréditaire, vient d'aggraver la problématique: la caisse-maladie est en effet intervenue dans le cas de Christoph Poincilit et a arrêté le remboursement du médicament en dépit des efforts des médecins.