

Maladies rares et médicaments orphelins en Suisse: du point de vue de l'économie de la santé, il est nécessaire d'agir

Plus de 7000 maladies rares dont souffrent quelque 30 millions de personnes en Europe sont aujourd'hui connues. De nombreux facteurs plaident au moins a priori en faveur de la prise en charge des médicaments contre les maladies rares par l'assurance maladie de base.

Willy Oggier

Docteur en économie
de la Haute école de Saint-Gall,
Gesundheitsökonomische
Beratungen AG

Conformément à la définition prévalant en Europe, sont considérées comme rares les maladies touchant moins d'une personne sur 2000. Ces pathologies sont en général associées à des handicaps graves ainsi que, pour certaines, à une diminution de l'espérance de vie, et elles nécessitent un traitement complexe et extrêmement spécialisé. Plus de 7000 maladies rares dont souffrent quelque 30 millions de personnes en Europe sont aujourd'hui connues. Environ 80 pour cent de ces maladies sont dues à des facteurs génétiques, les autres étant imputables à des infections, des influences environnementales, des réactions auto-immunes, des processus dégénératifs et des tumeurs [1].

De nombreux facteurs plaident au moins a priori en faveur de la prise en charge des médicaments contre les maladies rares par l'assurance maladie de base

Conformément à la législation suisse, des médicaments importants pour les maladies rares peuvent faire l'objet d'une procédure d'autorisation simplifiée. Les dispositions correspondantes font une différence entre reconnaissance du statut de «médicament orphelin» (médicament important pour les maladies rares) et autorisation d'un remède disposant déjà du statut de médicament orphelin.

Le requérant peut étayer sa demande en faisant état d'une reconnaissance comme médicament orphelin dans un autre pays contrôlant les médicaments de manière comparable à celle de la Suisse. Dans ce cas, Swissmedic délivre la reconnaissance comme médicament orphelin sans évaluation préalable des données prouvant la gravité et la rareté de la maladie. Si le requérant n'étaye pas sa requête en faisant état d'une reconnaissance comme médicament orphelin dans un autre pays contrôlant les médicaments de manière comparable à celle de la Suisse, Swissmedic vérifie les

documents scientifiques et s'appuie sur cette expertise pour prendre une décision, décision qui peut cependant être contestée.

Problèmes actuels

De nombreux problèmes se posent en relation avec les maladies rares. Pour le patientw existe entre autres le risque de diagnostic erroné ou tardif de la maladie en raison d'un manque d'informations disponibles. Du côté de l'industrie, les coûts de développement des médicaments correspondants peuvent être difficiles à couvrir. Une exception à cette règle est lorsqu'un effet du médicament non connu auparavant se manifeste au cours de son utilisation. Mais même dans ce cas, les chances d'enregistrement du médicament à Swissmedic par le fabricant sont faibles. Toutefois, en l'absence d'enregistrement, une inscription sur la liste des spécialités et donc aussi la prise en charge des frais par l'assurance de base ne sont en fait pas possibles. Aujourd'hui, en Suisse, la réalité est que les médecins-conseils jouent un rôle-clé dans les différentes caisses d'assurance maladie [2]. Cela devrait encore augmenter le risque d'interprétations variables des prestations de l'assurance de base, poussé par des incitations à sélectionner les bons risques dans le système actuel [3].

Développements à l'étranger

En 1983, afin d'améliorer les traitements, les Etats-Unis ont adopté une loi destinée à encourager le développement des médicaments orphelins. Des années plus tard, le succès de cette réglementation a incité d'autres Etats, notamment en Europe, à élaborer des lois analogues. Ce sont surtout la France et l'Allemagne qui sont en pointe dans ce domaine, la France ayant fait du traitement des maladies rares une des cinq grandes priorités de la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004. Dix priorités et un budget de 100 millions d'euros environ ont été présentés dans le cadre du «Plan National Maladies Rares 2005–2008» devant permettre aux patients souffrant de maladies

Correspondance:
Dr oec. Willy Oggier
Gesundheitsökonomische
Beratungen AG
Weinhaldenstrasse 22
CH-8700 Küsnacht

gesundheitsoekonom.
willyoggier@bluewin.ch

rare d'avoir les mêmes droits d'accès au diagnostic, au traitement et aux soins.

Dans le cadre d'une étude réalisée pour le compte du ministère fédéral allemand de la santé, ont été proposées les importantes mesures suivantes: augmentation de l'attention prêtée aux maladies rares; amélioration de l'accès, de la prise en compte, de la qualité et des soins; développement et mise en place de nouveaux instruments de remboursement; renforcement de la création de services ambulatoires spéciaux et de centres de référence; modèles de traitements communs à différents prestataires; accélération de l'établissement du diagnostic et développement de lignes directrices thérapeutiques et de parcours de patients; encouragement à créer des réseaux; création et extension de bases de données d'information de qualité garantie basées sur Internet pour toutes les maladies et échange complet d'expériences; promotion de la recherche coordonnée au niveau européen dans les domaines des registres, de la recherche clinique, des médicaments orphelins et de l'utilisation hors label; création d'un forum d'action national pour les maladies rares et développement d'un plan national d'action en Allemagne [4].

Les caisses devraient être plutôt incitées à privilégier les bons traitements qu'à rechercher les bons risques

Il est nécessaire d'agir en Suisse

La révision partielle avortée de la loi sur l'assurance-maladie visant à une régulation plus complète des prix des médicaments contenait deux dispositions largement incontestées visant à inclure les médicaments pour les maladies rares dans la liste des spécialités et à utiliser des médicaments en dehors du domaine de prescription autorisé dans la liste des spécialités. En réponse à l'interpellation du Conseiller national

Maladies rares en Suisse: meilleurs réseaux et attention accrue nécessaires

Fin février, des acteurs du monde administratif, associatif, politique et économique se sont réunis pour la première fois à Berne pour un échange d'idées ouvert sur le thème des maladies rares et des médicaments orphelins. De meilleurs réseaux à la disposition des patients concernés par les maladies rares et des échanges actifs entre eux doivent rendre plus supportable la vie avec des maladies rares et améliorer les possibilités de traitement. C'est la conclusion de cette première table ronde. Une deuxième rencontre doit suivre en mai.

(ah)

Meinrado Robbiani du 19 décembre 2008, le Conseil fédéral s'est déclaré prêt à jouer de toute la marge de manœuvre dont il dispose déjà aujourd'hui au niveau des ordonnances et en particulier à préparer une réglementation ayant pour objet le rythme de contrôle des médicaments quant à leur efficacité, à leur adéquation et à leur caractère économique. Après cette réponse, aucune action tangible n'a été entreprise au cours du mandat du conseiller fédéral Couchepin.

Du point de vue de l'économie de la santé, il est nécessaire d'agir dans ce domaine. En effet, pour les maladies rares, de nombreux facteurs devraient, au moins a priori, plaider en faveur de la prise en charge des médicaments contre les maladies rares par l'assurance maladie de base. Pour ce type de maladies, il s'agit en général de risques majeurs classiques. Si l'on considère les choses du point de vue de l'économie de la santé, la prise en charge des risques majeurs est justement l'une des idées de base d'une assurance maladie sociale. En l'état actuel des connaissances tout au moins, les assurés ne peuvent pas éviter ces maladies, qui sont fréquemment héréditaires. Il n'existe souvent aucune alternative à ce type de traitement. Les maladies concernées engendrent aussi, en général, des coûts indirects très élevés pour chaque cas, car de nombreux enfants sont touchés et il faut compter avec des durées de vie abrégées (et donc avec des pertes en termes de création de valeur ajoutée pour l'économie). Il y a peu ou carrément pas de couvertures proposées par les assurances complémentaires pour les maladies rares. Afin de rendre le système et les innovations accessibles, la seule solution serait donc de faire jouer l'assurance maladie sociale. Pour ce faire, il convient d'exercer une pression publique accrue (par ex. par le biais d'un forum d'action suisse), mais aussi, justement, de mobiliser davantage le corps médical pour une amélioration axée sur la morbidité de la compensation des risques de la part des caisses d'assurance maladie. En effet, les caisses devraient également être plutôt incitées à privilégier les bons traitements qu'à rechercher les bons risques.

Références

- 1 Lazor R, D'Amato Sizonenko L. Les maladies rares affectent 30 millions de personnes en Europe. *Bulletin Méd Suisses*. 2008;89(15):636-8.
- 2 Guetg R. Traitement des maladies rares: flexibilité garantie. *infosantesuisse*. 2005;11:18-9.
- 3 Oggier W. Risikoausgleich oder Risikoselektion? (*Compensation ou sélection des risques?*). *Bull Méd Suisses*. 2004;85(31):1626-9.
- 4 Eidt D, Frank M, Reimann A et al. Massnahmen zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen in Deutschland (*Mesures pour l'amélioration de l'état de santé des personnes souffrant de maladies rares en Allemagne*). Etude réalisée pour le compte du ministère fédéral de la santé. Hanovre: 9 juin 2009.