



abteilung-leistungen@bag.admin.ch

Office fédéral de la santé publique
Service prestations
Schwarzenburgstrasse 157
3003 Berne

Berne, le 28 septembre 2016

Prise de position de ProRaris : Modification de l'ordonnance sur l'assurance-maladie (OAMal) et de l'ordonnance sur les prestations de l'assurance de soins (OPAS) concernant la fixation de prix de médicaments selon l'arrêt du Tribunal fédéral du 14 décembre 2015 et concernant la prise en charge de médicaments au cas par cas

Mesdames, Messieurs,

ProRaris vous remercie de l'avoir invitée à vous soumettre sa prise de position relative aux modifications proposées concernant l'OAMal et l'OPAS.

PREAMBULE

Points et objectifs de la modification des ordonnances

La modification publiée relative aux dispositions des ordonnances comprend les trois points suivants :

1. Adaptation de la fixation des prix des médicaments à l'arrêt du Tribunal fédéral de décembre 2015 : Le caractère économique d'un médicament est évalué sur la base d'une comparaison thérapeutique transversale ainsi que d'une comparaison avec les prix pratiqués à l'étranger. Les critères d'efficacité et d'adéquation doivent être vérifiés régulièrement.
2. Adaptation de la fixation des prix des médicaments génériques dans le but de réduire les dépenses de l'assurance-maladie obligatoire des soins.
3. Adaptation de la prise en charge de médicaments au cas par cas ; il convient d'améliorer la situation des personnes concernées.

La prise de position de ProRaris se concentre sur le 3^{ème} point qui concerne la prise en charge de médicaments au cas par cas. Ce point concerne les patient(e)s atteint(e)s de maladies rares. Il touche également aux objectifs de la mesure 13 du concept national maladies rares.

L'objectif du 3^{ème} point est de contribuer à une amélioration de la situation des personnes concernées. C'est un vrai mandat, soutenu mais également revendiqué par ProRaris qui évalue dans cet esprit les modifications de l'ordonnance sur l'assurance-maladie (OAMal) art. 71 ss.



OBSERVATIONS GENERALES

L'égalité des chances pour tous les patients

Depuis sa fondation en 2010, ProRaris dénonce les situations discriminatoires induites par l'application de l'article 71 a et b de l'OAMal. De manière générale, la marge d'appréciation laissée à l'assureur, après avoir consulté le médecin-conseil, pour décider de la prise en charge ou non du médicament est source d'inégalité de traitement pour les patients concernés. Dans « modification et commentaire » des ordonnances, page 5 in fine, le DFI précise : « les adaptations apportées en lien avec l'article 71 a et b permettent de réaliser une part importante du concept ».

La question essentielle pour ProRaris est de savoir si ces modifications réalisent pleinement la mesure 13 du plan de mise en œuvre.

La nécessité d'une prise en charge adaptée pour les patients atteints de maladies rares

- a) La promulgation d'un concept national maladies rares, la validation par le Conseil fédéral d'un plan de mise en œuvre et son projet no 2 (mesure 13) entièrement dédié à la prise en charge constituent la reconnaissance d'un besoin spécifique maladies rares. Le Conseil fédéral a par ailleurs reconnu que l'article 71 a et b OAMal était susceptible d'engendrer des situations d'inégalité. Le patient atteint de maladie rare a droit au respect du principe fondamental de l'égalité de traitement. Encore faut-il comprendre que cette égalité n'est pas mécanique mais proportionnelle, c'est-à-dire qu'elle doit tenir compte des différences qui existent, particulièrement entre les maladies fréquentes et les maladies rares.

À titre d'exemple, on peut rappeler l'ATF Morbus Pompe, 2010, où, dans l'un des considérants, le TF avait réussi à comparer l'essoufflement ressenti par des milliers de gens en Suisse après un trajet de quelques centaines de mètres avec celui dont souffrait la patiente qui avait fait recours. Le TF avait notamment dit que si l'on devait prendre en charge un traitement de CHF 650'000 pour chaque patient essoufflé, le système de santé suisse serait en perte. Ce considérant est le reflet d'une totale ignorance de la maladie de Pompe pour laquelle pouvoir marcher sur un petit parcours sans essoufflement constitue un immense bénéfice thérapeutique, et qu'il ne s'agit là que d'un symptôme parmi les nombreux autres provoqués par cette maladie.

- b) Le manque d'information et de connaissances caractérise les maladies rares et affecte tous ceux qui, d'une manière ou d'une autre, vont s'occuper de la problématique. Le plan de mise en œuvre prévoit la désignation de centres de référence : parce que seuls la concentration, l'exposition, un volume suffisant permettront de traiter des pathologies qui requièrent une expertise particulière pour poser un diagnostic ou définir une prise en charge. Ce raisonnement est valable également pour la prise en charge : seul un expert en maladies rares peut porter un jugement sur la pertinence d'un médicament orphelin. Il reste à espérer que la mesure 13 du projet 2 du plan de mise en œuvre : « pour permettre une mise en œuvre meilleure et plus rapide... » saura placer le patient au centre des préoccupations.

Adaptation de l'OAMal concernant la prise en charge de médicaments au cas par cas

Il est clairement dit que l'objectif de la modification de l'OAMal dans le domaine de la prise en charge au cas par cas est d'améliorer la situation des personnes concernées. Ceci est un mandat clair, et c'est dans cet esprit que nous évaluons les modifications de la manière suivante :

Art. 28 al. 3, let. g

3 Les assureurs transmettent à l'OFSP, chaque année et par assuré, notamment les données suivantes :

- g. en cas de prise en charge en vertu des art. 71a à 71c, la date de réception de la demande de garantie de prise en charge, l'indication, le nom du médicament, le nom du titulaire de l'autorisation, la date de la décision relative aux prestations et le montant de la prise en charge.

La collecte de ces données par l'OFSP constitue une nouveauté qui trouve notre entière approbation. Nous espérons que cette collecte des données saura contribuer à augmenter la transparence entre les assureurs (ou à limiter les inégalités) et motiver les titulaires de l'autorisation à déposer des demandes d'extension de l'indication. Reste malheureusement à constater que beaucoup de patients atteints de maladies rares se voient encore confrontés à la problématique qui veut que les appréciations de la prise en charge varient selon les assureurs pour des cas particuliers qui sont pourtant similaires. Nous sommes d'avis que l'OFSP doit réfléchir à la question de l'utilisation de ces données. Des conséquences sont à prévoir selon les résultats qui ressortiront de l'évaluation des données. Cette suite à donner à la collecte des données devrait être fixée et communiquée par l'OFSP.

Titre précédent à l'art. 71a

Section 4a Prise en charge de médicaments au cas par cas

Art. 71a, al. 2 et 3

2 L'assureur prend en charge 90 % au maximum du prix de fabrique inscrit dans la liste des spécialités. Il détermine le montant de la prise en charge après avoir consulté le titulaire de l'autorisation.

3 Abrogé

Art. 71b Prise en charge des coûts d'un médicament autorisé par l'institut mais ne figurant pas dans la liste des spécialités

1 L'assurance obligatoire des soins prend en charge les coûts d'un médicament prêt à l'emploi autorisé par l'institut lorsque celui-ci ne figure pas sur la liste des spécialités et qu'il est utilisé pour les indications mentionnées sur la notice ou en dehors de celles-ci, si les conditions mentionnées à l'art. 71a, al. 1, let. a ou b, sont remplies.

2 Le caractère économique du médicament est évalué sur la base d'une comparaison avec les prix pratiqués à l'étranger au sens de l'art. 65b, al. 2, let. a. L'art. 65b, al. 3 et 4, est déterminant pour le calcul du prix de fabrique moyen dans les pays de référence.

3 Le titulaire de l'autorisation communique sur demande à l'assureur le prix de fabrique en vigueur dans les pays de référence au moment du dépôt de la demande de garantie de prise en charge.

4 L'assureur prend en charge 90 % au maximum du prix de fabrique moyen dans les pays de référence. Il détermine le montant de la prise en charge après avoir consulté le titulaire de l'autorisation.

Il faut souligner que les modifications des règles de la prise en charge au cas par cas sont surtout inspirées par l'idée de la limitation des coûts (prise en charge de 90 % au maximum des prix de fabrique). Ceci est recevable du point de vue de la Confédération, si ces modifications sont comprises en tant que mesures de limitation des coûts de la santé. Mais du point de vue des patient(e)s,



contraint(e)s à se battre pour la prise en charge des thérapies qui sont, pour eux, d'un intérêt vital, cette adaptation va les affaiblir dans les négociations car elle risque d'être interprétée de manière négative par l'assureur lorsqu'il s'agit de la prise en charge. Aussi, cette adaptation va augmenter les obligations administratives des assureurs autant que des titulaires de l'autorisation pour le traitement des cas particuliers (p.ex. information sur la comparaison des prix pratiqués à l'étranger). Il faut craindre en conséquence que l'attente d'une décision concernant la prise en charge des frais thérapeutiques ne s'accroisse encore pour les patients :

- Si la demande de prise en charge des coûts est incomplète, l'assureur a le droit de ne pas la prendre en considération ou peut attendre plus de 15 jours avant de remettre sa décision (voir Dispositions art. 71d, al. 3, page suivante). Sur ce point, nous attendons que le formulaire de garantie de prise en charge des coûts soit rédigé en intégrant tous les points essentiels, mais aussi qu'il prenne en considération le fait que pour beaucoup de maladies rares, il n'existe aucune base de données claire, reposant sur l'évidence. Il s'agit d'une tâche complexe et d'un grand défi, qui doit néanmoins être relevé. On ne peut tenir le fournisseur de prestations pour seul responsable de l'absence de données due à la rareté d'une maladie.
- L'entreprise rencontre des problèmes pour obtenir la documentation relative à la comparaison des prix et prend beaucoup de temps pour le faire (p.ex. parce que les filiales à l'étranger ne sont pas facilement joignables ou ne comprennent pas le caractère urgent de la demande).

Prise en charge des coûts de médicaments importés

Art. 71c Prise en charge des coûts d'un médicament importé non autorisé par l'institut

¹ L'assurance obligatoire des soins prend en charge les coûts d'un médicament prêt à l'emploi, non autorisé par l'institut, si celui-ci peut être importé en vertu de la loi sur les produits thérapeutiques, pour autant que les conditions de l'art. 71a, al. 1, let. a ou b, soient remplies et que le médicament soit autorisé pour l'indication correspondante par un État ayant institué un système équivalent d'autorisation de mise sur le marché reconnu par l'institut.

² L'assureur prend en charge les coûts auxquels le médicament est importé. Le fournisseur de prestations veille aux coûts lors du choix du pays duquel il importera le médicament. Si le médicament est distribué dans d'autres pays où il est proposé à un prix plus avantageux, l'assureur peut exiger du fournisseur de prestations que celui-ci l'importe d'un de ces pays.

L'introduction de cet article est, selon nous, une modification positive, car il règle la question des thérapies nécessitant des médicaments uniquement disponibles à l'étranger. Les patients atteints de maladies rares ont souvent besoin de ce type de médicaments.

Rapport raisonnable des coûts et du bénéfice thérapeutique

Art. 71d Dispositions communes

¹ L'assurance obligatoire des soins prend en charge les coûts du médicament seulement si l'assureur a donné une garantie spéciale après avoir consulté le médecin-conseil.

² L'assureur examine si les coûts pris en charge par l'assurance obligatoire des soins sont en rapport raisonnable avec le bénéfice thérapeutique.

³ Si la demande de prise en charge des coûts est complète, l'assureur rend sa décision dans les deux semaines.

Une évaluation du rapport entre les coûts et le bénéfice est particulièrement difficile dans le cas des maladies rares, ce qui laisse la porte grande ouverte aux inégalités liées à des évaluations différentes. **Seul un spécialiste du domaine des maladies rares est en mesure d'évaluer le potentiel bénéfique d'une thérapie**, ceci n'étant pas possible pour un médecin-conseil. En disant cela, nous ne mettons absolument pas en doute les compétences des médecins-conseils, mais nous savons qu'une des plus



grandes problématiques dans le domaine des maladies rares est le manque de spécialistes. Il est tout simplement impossible pour un médecin-conseil de délivrer un avis d'expert dans ce domaine.

À l'avenir - après la désignation des centres dits de référence - les garanties de prise en charge des coûts incomberont à un/une spécialiste exerçant dans un de ces centres ou y étant affilié/e. Avant que n'existent ces centres de référence, on pourrait demander au fournisseur de prestations de soumettre un CV qui renseignerait sur ses compétences dans le domaine des maladies rares. Pour ceci, et comme nous l'avons évoqué ci-dessus, la création d'un formulaire de garantie de prise en charge des coûts spécifique pour les maladies rares est nécessaire. Les modèles économiques habituellement utilisés pour les évaluations du rapport entre coûts et bénéfices ne sont pas adaptés aux maladies rares. Il est impératif de trouver une solution réglementée par la loi.

Nous proposons le complément suivant :

2 L'assureur examine si les coûts pris en charge par l'assurance obligatoire des soins sont en rapport raisonnable avec le bénéfice thérapeutique. **Dans le cas de maladies sans données d'évidence suffisantes pour cet examen en début de thérapie, l'évaluation des coûts par rapport au bénéfice thérapeutique n'a lieu qu'après un essai thérapeutique de 12 semaines.**

Une approche possible pour trouver une solution pour la procédure de mise en œuvre serait d'envisager la démarche suivante :

Le fournisseur de prestations rédige la demande de garantie de prise en charge des coûts et estime cette thérapie hors liste des spécialités comme étant nécessaire pour son patient (avec une documentation complète). Si rien ne s'oppose à la thérapie du point de vue de la sécurité du patient (p.ex. pas d'effets indésirables graves), thérapie en adéquation avec les facteurs de risque du patient), l'assureur et le titulaire de l'autorisation se partagent les coûts pour l'essai thérapeutique de 12 semaines à moitié (45% du prix de fabrication chacun). Au bout de ces 12 semaines, le fournisseur de prestation évalue l'effet thérapeutique avec une documentation à l'attention de l'assureur. Le médecin-conseil soumet à son tour ses recommandations à l'assureur. En cas d'évaluation négative de la thérapie, elle est arrêtée et n'engendrera pas davantage de coûts. Si elle est évaluée de manière positive, c'est à l'assureur de prendre en charge jusqu'à nouvel ordre les 90% du prix de fabrication. Afin de justifier les coûts, cette thérapie doit ensuite être documentée et évaluée une fois par an par le fournisseur de prestations à l'attention de l'assureur.

Bien entendu, cette proposition doit être débattue en amont avec les fédérations des titulaires d'autorisation ainsi qu'avec celles des assureurs.

Essai thérapeutique individuel

4 Si, en cas d'usage d'un médicament dans le cadre d'un essai thérapeutique individuel, un bénéfice élevé ne peut être constaté qu'après la décision de prise en charge des coûts, l'assureur détermine avant le début du traitement, sur proposition du fournisseur de prestations et du titulaire de l'autorisation, le moment auquel il sera vérifié s'il y a un bénéfice élevé. La durée de prise en charge du médicament dans le cadre de l'essai thérapeutique est en règle générale de douze semaines au maximum. Si, à titre exceptionnel, une durée d'essai plus longue est nécessaire pour déterminer l'existence d'un bénéfice important, le fournisseur de prestations doit le motiver dans la demande de prise en charge des coûts.

Concernant cet alinéa, nous proposons la modification suivante :

4 Si, en cas d'usage d'un médicament dans le cadre d'un essai thérapeutique individuel, un bénéfice élevé ne peut être **déterminé seulement** après **la date de l'examen de** la décision de prise en charge des coûts, l'assureur détermine avant le début du traitement, sur proposition du fournisseur de prestations et du titulaire de l'autorisation, le moment auquel il sera vérifié s'il y a un bénéfice élevé. La durée de prise en charge du médicament dans le cadre de l'essai thérapeutique est en règle générale de douze semaines au maximum. Si, à titre exceptionnel, une durée d'essai plus longue est nécessaire pour



déterminer l'existence d'un bénéfice important, le fournisseur de prestations doit le motiver dans la demande de prise en charge des coûts.

OBSERVATIONS FINALES

Mesure 13 du plan de mise en œuvre du concept national maladies rares

Citation : « La mesure 13 prévoit d'une part que des procédures standardisées soient mises en place pour améliorer la collaboration entre médecins, médecins-conseils et assurances pour le remboursement de médicaments selon les articles 71a et 71b OAMal. Il sera défini, dans le cadre d'un groupe de travail, dans quelle mesure les processus devront être standardisés. Pour permettre une mise en œuvre meilleure et plus rapide, il s'agit en particulier de définir des formulaires homogènes relatifs à la prise en charge, de recourir systématiquement aux nouveaux instruments d'évaluation de l'utilité et de documenter les évaluations au cas par cas.

La liste des analyses génétiques contient d'ores et déjà des analyses dans le domaine des maladies rares. Cependant, l'OFSP va prendre des mesures en vue de promouvoir une prise en charge plus homogène. »

En ce qui concerne la réalisation de la mesure 13 du concept national maladies rares, il faut constater que les modifications de l'art. 71 proposées ne sont pas suffisantes pour considérer la mesure comme accomplie. Il faudrait d'abord

- 1) disposer de bases d'évaluation standardisées supplémentaires pour pouvoir évaluer une thérapie pour maladies rares. ProRaris devrait être impliquée dans la mise en place d'une telle base d'évaluation.
- 2) harmoniser la procédure des assureurs lors du traitement des cas dans le cadre d'un essai thérapeutique individuel.
- 3) Aussi, il conviendrait d'analyser les modifications actuelles de l'OAMal (p.ex. un an après leur entrée en vigueur).
- 4) évaluer les données des assureurs pour les cas individuels.

La mesure 13 ne peut être considérée comme accomplie avant que la mise en œuvre de la totalité de toutes ces activités ait démontré une amélioration de la situation des patient(e)s atteint(e)s de maladies rares concernant la prise en charge de leurs thérapies.

PRORARIS



Alliance Maladies Rares – Suisse
Allianz Seltener Krankheiten – Schweiz
Alleanza Malattie Rare – Svizzera

Nous espérons que notre prise de position et ses propositions trouveront écho dans la modification des ordonnances. Les personnes confrontées à une maladie rare et leurs proches attendent et espèrent une amélioration de leur situation qui devrait mener à l'égalité de traitement pour tout(e)s les patient(e)s.

Nous vous prions de croire, Mesdames, Messieurs, à l'expression de nos sentiments respectueux.

Anne-Françoise Auberson
Présidente ProRaris