



Chapitre de livre

2015

Published version

Open Access

This is the published version of the publication, made available in accordance with the publisher's policy.

"Usage compassionnel" de médicaments : remboursé par l'assurance
maladie obligatoire?

Baud, Carole-Anne

How to cite

BAUD, Carole-Anne. 'Usage compassionnel' de médicaments : remboursé par l'assurance maladie obligatoire? In: Les difficultés économiques en droit. Heckendorn Urscheler, Lukas ... [et al.] (Ed.). Genève : Schulthess, 2015. p. 171–192.

This publication URL: <https://archive-ouverte.unige.ch/unige:84913>

« USAGE COMPASSIONNEL » DE MÉDICAMENTS : REMBOURSÉ PAR L'ASSURANCE MALADIE OBLIGATOIRE ?

Par

CAROLE-ANNE BAUD

MLaw, assistante à l'Université de Genève

Introduction	171
I. Usage compassionnel de médicaments et autorisations	173
1. Usage compassionnel avec AMM à durée limitée	173
2. Usage compassionnel sans AMM	178
II. Usage compassionnel de médicaments et remboursement	179
1. Conditions du remboursement exceptionnel selon l'article 71b OAMal	180
2. Conséquences pour l'usage compassionnel de médicaments	185
Conclusion et recommandations	188
Bibliographie	191

Introduction*

La situation économique d'un patient peut se dégrader rapidement si certains frais médicaux ne sont pas pris en charge par une assurance. Elle peut aussi se détériorer si le patient doit engager des frais juridiques pour obtenir le remboursement de ses dépenses de santé. Garantir aux patients une prise en charge financière équitable des soins de santé par un cadre réglementaire clair est indispensable. Cette nécessité est d'autant plus forte dans un contexte de crise économique car le patient, faute de moyens, risque de renoncer aux soins s'ils ne sont pas remboursés.

En principe, pour être remboursé par l'assurance maladie obligatoire, un médicament doit figurer sur la Liste des spécialités (LS) établie par l'Office

* L'auteur remercie Mmes la Prof. Valérie Junod et la Dr. Catherine Baud pour leurs remarques et conseils. La présente contribution prend en compte les sources publiées jusqu'à fin février 2014.

fédéral de la santé publique (OFSP)¹. Pour entrer dans cette liste, un médicament doit avoir obtenu une autorisation de mise sur le marché (AMM)² de Swissmedic. Il arrive cependant que des patients atteints de maladies graves soient soignés avec des médicaments qui n'ont pas obtenu cette AMM – on parle alors d'*usage compassionnel* de médicaments. En principe, ces traitements ne sont pas remboursés par l'assurance maladie obligatoire puisque un médicament sans AMM ne peut pas figurer dans la LS. Des exceptions existent mais leur mise en œuvre actuelle risque de créer des inégalités de traitement entre les assurés.

La présente étude examinera dans quelles conditions l'usage compassionnel de médicaments est remboursé par l'assurance maladie obligatoire c'est-à-dire comment la situation économique du patient suisse est protégée lorsqu'un tel traitement est prescrit par un médecin. Nous identifierons les situations sources d'insécurité juridique et d'inégalités de traitement et proposerons des améliorations du droit suisse. La première partie de notre contribution expose les deux possibilités d'usage compassionnel de médicaments en Suisse, tandis que la deuxième analyse les conditions du remboursement exceptionnel de cette pratique par l'assurance maladie obligatoire. A la fin de chaque partie, un tableau récapitulatif permet de visualiser les conclusions apportées.

Notre analyse se limitera aux médicaments à usage humain prêts à l'emploi³, soumis à l'AMM⁴, prescrits en ambulatoire⁵ et hors essais cliniques par un médecin⁶ en Suisse.

¹ Article 25 al. 2 let. b et 52 al. 1 let. b de la loi fédérale du 18 mars 1994 sur l'assurance-maladie (LAMal ; RS 832.10).

² Art. 65 al. 1 de l'ordonnance du 27 juin 1995 sur l'assurance-maladie (OAMal ; RS 832.102) ; art. 30 de l'ordonnance du DFI du 29 septembre 1995 sur les prestations dans l'assurance obligatoire des soins en cas de maladie (OPAS ; RS 832.112.31).

³ En Suisse, un médicament est « prêt à l'emploi » lorsqu'il est dans la forme sous laquelle il peut être remis à l'utilisateur, au consommateur et au patient (Message du Conseil fédéral du 1^{er} mars 1999 concernant une loi fédérale sur les médicaments et les dispositifs médicaux (Message LPT ; FF 1999 3151), p. 3191). Il s'agit d'un produit fini avec son emballage et sa notice d'information (Message LPT, p. 3185 ; BSK HMG – EGGENBERGER STÖCKLI HMG 4 N 2).

⁴ Les préparations décrites à l'art. 9 al. 2 de la loi fédérale du 15 décembre 2000 sur les médicaments et les dispositifs médicaux (LPTh ; RS 812.21) sont donc exclues du champ de cette contribution.

⁵ Les médicaments prescrits lors d'un traitement en milieu hospitalier stationnaire sont bien remboursés dans le cadre d'un forfait, même s'ils n'ont pas d'AMM (art. 49 al. 1 et al. 4 LAMal).

⁶ Il s'agit des médicaments autorisés de catégorie de remise A et B (art. 23, 24 LPTh et 22 ss de l'ordonnance sur les médicaments du 17 octobre 2001 (OMéd ; RS 812.212.21)).

I. Usage compassionnel de médicaments et autorisations

En principe, pour être distribués et remis aux patients, les médicaments doivent avoir obtenu une AMM ordinaire telle que décrite à l'article 9 al. 1 de la loi fédérale du 15 décembre 2000 sur les médicaments et les dispositifs médicaux (LPTh)⁷.

Des exceptions – dites *d'usage compassionnel*⁸ – permettent à des patients gravement malades d'avoir accès à des médicaments prometteurs n'ayant pas obtenu d'AMM ordinaire en Suisse.

Trois raisons pour lesquelles un médicament n'a pas d'AMM ordinaire en Suisse peuvent être avancées : soit son fabricant n'a pas jugé utile de déposer une demande d'AMM ordinaire car le médicament n'a pas été jugé rentable sur le marché suisse, soit le médicament est en cours d'évaluation chez Swissmedic, soit le fabricant n'a pas encore fini de monter son dossier de demande d'AMM car le médicament est encore en cours de test. Si l'usage compassionnel permet d'accéder aux médicaments sans AMM ordinaire en Suisse, dont certains peuvent être en cours de test, cette pratique se distingue toutefois de la recherche médicale et des essais cliniques⁹ par son but. L'usage compassionnel vise à soigner un ou des patients, tandis que la recherche clinique sert à faire progresser la science¹⁰.

L'usage compassionnel de médicaments peut avoir lieu grâce à une AMM spéciale à durée limitée (sous-chapitre 1.) ou sans AMM (sous-chapitre 2.).

1. Usage compassionnel avec AMM à durée limitée

L'article 9 al. 4 LPTh prévoit une autorisation pour usage compassionnel sous la forme d'une AMM à durée limitée. Celle-ci vise les médicaments contre des maladies mortelles qui n'ont pas d'AMM ordinaire en Suisse. La procédure

⁷ RS 812.21.

⁸ L'usage compassionnel n'est pas un statut légal mais est cité par la doctrine comme une pratique faisant exception au principe de l'AMM ordinaire pour permettre l'accès de patients à des médicaments vitaux. Cf. par exemple GÄCHTER/RÜTSCHKE, N 875 et BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 49.

⁹ Les essais cliniques sont aussi un moyen d'accéder à des médicaments sans AMM mais certains patients ne remplissent pas les critères d'inclusion dans de tels essais ou ne veulent pas y participer (notamment en raison du risque de prise d'un placebo au lieu de la substance active). Dans ces cas, l'usage compassionnel est la seule possibilité d'accès au médicament.

¹⁰ Pour cette raison, la nouvelle loi sur la recherche sur l'être humain n'est pas applicable à l'usage compassionnel de médicaments : art. 2 al. 1 et 3 let. a de la loi fédérale du 30 septembre 2011 relative à la recherche sur l'être humain (LRH ; RS 810.30).

d'évaluation du dossier de l'AMM à durée limitée est effectuée plus rapidement que la procédure d'AMM ordinaire¹¹ et les exigences quant au contenu du dossier d'AMM sont réduites¹².

a) But de l'AMM à durée limitée

Comme la préparation du dossier d'AMM et la procédure d'AMM ordinaire prennent du temps¹³, l'accès à certains médicaments de patients qui en ont un besoin vital risque d'être retardé. Le but de l'article 9 al. 4 LPT^h est de protéger la vie et la santé¹⁴ de ces patients en créant une autorisation pour usage compassionnel plus rapide et moins stricte que l'AMM ordinaire. Cette autorisation ne doit toutefois pas affaiblir le principe de l'AMM ordinaire¹⁵ ou détourner les patients des essais cliniques¹⁶.

b) Conditions pour l'octroi d'une AMM à durée limitée

Les conditions suivantes doivent être remplies pour obtenir une AMM à durée limitée.

Premièrement, le médicament doit permettre de lutter contre une maladie mortelle, c'est-à-dire une maladie qui entraîne la mort à court terme du patient¹⁷. Curieusement, l'ordonnance étend l'AMM à durée limitée aux maladies entraînant une invalidité chronique grave¹⁸, ce qui ne figure pas dans la loi¹⁹.

Deuxièmement, l'autorisation d'un tel médicament doit être compatible avec la protection de la santé²⁰. Le fabricant doit fournir les résultats des études

¹¹ Point 2.3 des Commentaires de Swissmedic du 20 septembre 2006 sur l'autorisation simplifiée de médicaments contre des maladies mortelles ; JUNOD/MEROZ, p. 95.

¹² Cf. *infra* chap. I, 1. b) : « Conditions pour l'octroi d'une AMM à durée limitée ».

¹³ Même en procédure rapide (art. 5 OMéd) la procédure d'AMM ordinaire prend plusieurs mois. BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 49.

¹⁴ BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 49.

¹⁵ Arrêt du Tribunal fédéral 2A.469/2003 du 6 septembre 2004, consid. 3.3 ; BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 52 ; LACHENMEIER, N 69.

¹⁶ BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 51. Voir également la note 9.

¹⁷ Art. 9 al. 4 LPT^h ; art. 18 let. a de l'ordonnance de l'Institut suisse des produits thérapeutiques du 22 juin 2006 sur l'autorisation simplifiée de médicaments et l'autorisation de médicaments sur annonce (OASMéd ; RS 812.212.23).

¹⁸ Art. 18 let. a OASMéd.

¹⁹ Comparer l'article 18 let. a OASMéd et l'article 9 al. 4 LPT^h.

²⁰ Art. 9 al. 4 LPT^h.

précliniques pour le prouver²¹. Cette condition permet de s'assurer que le niveau de sécurité du médicament est acceptable²².

Troisièmement, le fabricant doit montrer que l'on peut attendre de l'utilisation du médicament qu'il procurera un bénéfice thérapeutique élevé (« *grosser therapeutischen Nutzen* »)²³. Le bénéfice thérapeutique élevé s'estime en évaluant les risques et les bénéfices potentiels du traitement, ces derniers devant primer²⁴. Par ailleurs, « plus la maladie dont le traitement dépend d'un seul médicament est grave, plus le bénéfice sera considéré comme prépondérant par rapport aux risques »²⁵. La condition du bénéfice thérapeutique élevé peut paraître stricte mais l'AMM à durée limitée s'obtient par une procédure d'AMM simplifiée : si le médicament est en cours de test, le fabricant ne doit fournir que les résultats intermédiaires des études cliniques²⁶ pour prouver le bénéfice élevé de son médicament. Dans ce cas, en accordant l'AMM à durée limitée sur la base d'une documentation restreinte²⁷, Swissmedic n'exige donc qu'un bénéfice thérapeutique élevé *probable*, les documents attestant la sécurité et l'efficacité n'étant pas tous disponibles. En revanche, si le médicament est déjà autorisé à l'étranger (dans un pays ayant institué un contrôle de médicaments équivalent à la Suisse²⁸), Swissmedic se fie aux documents complets de l'AMM étrangère pour délivrer l'AMM à durée limitée²⁹. Cette dernière possibilité (*cf.* Table 1, cellule 3)

²¹ Art. 19 al. 1 let. b OASMéd, qui renvoie aux articles 3 et 4 de l'ordonnance du 9 novembre 2001 de l'Institut suisse des produits thérapeutiques sur les exigences relatives à l'autorisation de mise sur le marché des médicaments (OEMéd ; RS 812.212.22).

²² Les résultats des essais précliniques contiennent les données sur le procédé de fabrication, la composition, la forme galénique, la stabilité du médicament ainsi que les données sur les effets désirables et indésirables et des analyses toxicologiques, c'est-à-dire des données sur la « nocivité » du médicament. *Cf.* art. 11 al. 1 let. g LPT, art. 3 et 4 OEMéd, Message LPT p. 3194, JUNOD/MÉROZ, p. 95.

²³ La terminologie liée à cette condition est différente dans la loi (art. 9 al 4 LPT : « grande utilité thérapeutique ») et dans l'ordonnance (art. 18 OASMéd « bénéfice thérapeutique important », art. 19 al. 1 let. c OASMéd « bénéfice thérapeutique notable »). Dans la version allemande « *grosser therapeutischer Nutzen* » est systématiquement utilisé. Nous avons donc choisi la formule « bénéfice thérapeutique élevé », plus cohérente. La version française de l'art. 9 al. 4 et des articles 18 et 19 OASMéd mérite d'être revue.

²⁴ Arrêt du Tribunal fédéral 6B_397/2010 du 26 octobre 2010, consid. 3.5.3.

²⁵ Message du Conseil fédéral du 7 novembre 2012 concernant la modification de la loi sur les produits thérapeutiques, p. 62 (Message modif. LPT ; FF 2013 1).

²⁶ Art. 19 al. 1 let. c OASMéd. Ces résultats doivent être significatifs et convaincants et devraient en principe provenir d'une étude de phase III : JUNOD/MÉROZ, p. 95.

²⁷ BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 49 et N 53.

²⁸ Art. 20 OASMéd, qui renvoie à l'art. 13 LPT. Selon l'art. 13 LPT, l'art. 5a, al. 4 OMéd et les instructions de Swissmedic du 22 juin 2010 sur l'autorisation de médicaments déjà autorisés à l'étranger, les pays ayant institué un contrôle de médicaments équivalent sont l'Australie le Canada, les Etats-Unis, le Japon, la Nouvelle-Zélande, les pays de l'AELE et de l'UE et Singapour.

²⁹ Art. 20 al. 1 OASMéd, qui renvoie à l'art. 13 LPT. Selon le rapport explicatif de Swissmedic sur l'OASMéd de juin 2005, p. 13 : « L'institut peut délivrer l'autorisation sans examen préalable de la documentation scientifique » et se fie donc entièrement à la décision

n'est que théorique puisque dans cette situation, le fabricant a tout intérêt à demander une AMM ordinaire, qu'il obtiendra facilement³⁰, plutôt qu'une AMM à durée limitée.

Quatrièmement, il ne doit pas exister de médicament équivalent autorisé en Suisse contre cette maladie³¹. Un médicament est équivalent à un autre s'il agit contre la même maladie et a un rapport bénéfice-risque (« *Nutzen-Risiko Verhältnis* ») semblable. L'AMM à durée limitée est donc refusée si des préparations identiques sont autorisées, mais aussi si le même résultat thérapeutique (« *therapeutischer Erfolg* ») peut être atteint avec un autre médicament autorisé³².

Finalement, le fabricant doit prouver que la préparation du dossier d'AMM standard et son évaluation vont durer « si longtemps que des dommages irréversibles apparaissent ou s'aggravent »³³. Selon Swissmedic, ces dommages irréversibles sont par exemple, pour les patients, « la perte d'une fonction vitale ou d'un sens (cécité, p. ex.), ou le décès pendant la durée de ladite procédure »³⁴.

c) Portée de l'AMM à durée limitée

La possibilité de demander une AMM selon l'article 9 al. 4 LPT^h concerne tous les médicaments sans AMM ordinaire, qu'ils soient en cours de test ou pas³⁵. Une AMM à durée limitée peut être prolongée tant que les conditions sont remplies³⁶, mais expire automatiquement à l'octroi d'une AMM ordinaire³⁷.

Une AMM à durée limitée produit les mêmes effets qu'une AMM standard³⁸ de sorte qu'un médicament ayant une AMM à durée limitée peut entrer dans la LS (la liste des médicaments remboursés)³⁹.

de l'autorité étrangère. Le fabricant doit toutefois prouver que mon médicament est bien identique à celui autorisé à l'étranger (art. 20 al. 1 OASMéd).

³⁰ Art. 13 LPT^h.

³¹ Art. 9 al. 4 LPT^h et art. 18 let. b OASMéd.

³² Arrêt du Tribunal fédéral 2A.469/2003 du 6 septembre 2004, consid. 3.3.

³³ Art. 18 let. d et 19 al. 1 let. d OASMéd.

³⁴ Rapport explicatif OASMéd de juin 2005, p. 12.

³⁵ KUHN/POLEDNA, p. 407 ; cf. Table 1, cellules (1), (2) et (3).

³⁶ Art. 21 al. 2 et 3 OASMéd et point 2.5 des Commentaires de Swissmedic du 20 septembre 2006 sur l'autorisation simplifiée de médicaments contre des maladies mortelles (art. 18-22 OASMéd).

³⁷ Art. 21 al. 4 OASMéd et point 2.5 des Commentaires de Swissmedic du 20 septembre 2006 sur l'autorisation simplifiée de médicaments contre des maladies mortelles.

³⁸ BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 56 et LACHENMEIER, N 48.

³⁹ Information fournie par e-mail par Madame Muriel Grasso-Ogi, Collaboratrice scientifique à l'OFSP le 10 décembre 2013 et par Madame Umut Wyttenbach, Avocate à l'OFSP le 13 décembre 2013. Par exemple, le médicament antituberculeux *Isoniazid* figure dans la liste des médicaments autorisés selon l'art. 9 al. 4 LPT^h et dans la LS.

d) **Projet de modification de la LPT**

Un projet de modification de la LPT⁴⁰ a été transmis au Parlement à la fin de l'année 2012. Dans ce projet, l'alinéa 4 de l'article 9 LPT est supprimé et son principe est scindé en deux articles (9a et 9b pLPT).

L'article 9a pLPT permettra, au terme d'une procédure d'AMM simplifiée, d'obtenir une autorisation dite provisoire pour les médicaments agissant contre les maladies susceptibles d'entraîner la mort ou une invalidité grave. Cette autorisation bénéficie un nombre indéterminé de personnes⁴¹. A part un changement de vocabulaire (bénéfice thérapeutique au lieu d'utilité thérapeutique) et l'élargissement, dans la loi⁴², de l'AMM à durée limitée – renommée autorisation provisoire – aux maladies entraînant une invalidité grave, les autres conditions sont reprises de l'art. 9 al. 4 LPT.

L'article 9b al. 1 pLPT permettra d'obtenir une autorisation provisoire pour l'administration en Suisse de médicaments en cours de test mais en dehors du cadre de ces tests, à des patients ou des groupes de patients déterminés. Les conditions sont moins strictes que l'actuel article 9 al. 4 LPT et que l'article 9a du projet, puisqu'il suffit que le médicament fasse l'objet d'essais cliniques en Suisse. Les critères de maladie mortelle ou invalidante, grand bénéfice thérapeutique et absence d'alternative thérapeutique ont disparu. Toutefois, selon le message du Conseil fédéral, « une évaluation précise du bénéfice et du risque est ici possible étant donné que le dossier à présenter est personnalisé »⁴³ et l'autorisation sera accordée « lorsque selon toute probabilité, le bénéfice sera supérieur aux risques encourus ». Le bénéfice ne doit donc pas être particulièrement élevé, mais simplement supérieur aux risques, de sorte que l'article 9b al. 1 du projet de modification de la LPT rend moins strictes les conditions d'accès aux médicaments en cours de test que l'actuel article 9 al. 4 LPT. Toutefois, la portée de l'article 9b al. 1 pLPT n'est actuellement pas clairement définie⁴⁴.

⁴⁰ Projet de modification de la loi fédérale sur les médicaments et les dispositifs médicaux (LPT), FF 2013 131.

⁴¹ Message modif. LPT, p. 63.

⁴² Actuellement, l'extension de l'AMM à durée limitée aux maladies entraînant une invalidité chronique grave ne figure que dans une ordonnance (art. 18 let. a OASméd) ; Message modif. LPT, p. 62.

⁴³ Message modif. LPT, p. 63.

⁴⁴ La formulation du Message concernant la modification de la LPT laisse supposer que cette nouvelle autorisation provisoire pour les médicaments en cours de test n'a pas les mêmes effets qu'une AMM limitée ou une AMM ordinaire. La justification de cette différence n'est, à notre sens, pas convaincante : « Il convient de faire une distinction entre une autorisation de mise sur le marché à durée limitée selon l'art. 9a et les autorisations provisoires de remise de médicaments à des personnes ou à des cercles de personnes déterminés (al. 1). Dans ce deuxième cas, *il ne s'agit pas d'une autorisation au sens propre, car l'examen de la*

2. Usage compassionnel sans AMM

L'article 20 al. 2 LPTh permet à un médecin d'importer, en petites quantités et pour un patient précis, des médicaments prêts à l'emploi et sans AMM en Suisse⁴⁵. Pour une telle importation, un médecin n'a pas besoin d'autorisation de Swissmedic si le médicament qu'il prescrit est autorisé à l'étranger, dans un pays ayant institué un système équivalent d'autorisation de mise sur le marché et qu'aucun médicament autorisé en Suisse ne constitue un traitement adéquat⁴⁶. *A contrario*, un médecin a besoin d'une autorisation spéciale de Swissmedic pour pouvoir importer des médicaments sans AMM à l'étranger ou autorisés dans un pays n'ayant pas institué un système équivalent d'autorisation de mise sur le marché⁴⁷ ; cette autorisation spéciale de Swissmedic est délivrée au cas par cas⁴⁸.

Le patient lui-même a aussi la possibilité d'importer, en petites quantités et pour sa consommation personnelle⁴⁹, des médicaments non autorisés en Suisse⁵⁰, peu importe la catégorie du médicament (sans ou sur ordonnance)⁵¹ ou son statut réglementaire à l'étranger⁵². Un patient suisse peut donc importer ou commander à l'étranger des médicaments non autorisés qui lui ont été prescrits par son médecin.

demande et la décision correspondante ne portent pas sur la question de savoir si un produit a sa place sur le marché.», Message modif. LPTh, p. 63.

⁴⁵ Art. 20 al. 2 let. b LPTh et art. 36 al. 2 et 3 ; BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 57 ss.

⁴⁶ Art. 20 al. 2 let. b LPTh ; art. 36 al. 3 OAMed. SWISSMEDIC, Aide-mémoire, pt. 6. Le médecin doit toutefois être au bénéfice d'une autorisation de faire le commerce de détail octroyée par le canton compétent. Cf. Table 1, cellule (6).

⁴⁷ Art. 20 al. 2 let. b LPTh ; art. 36 al. 2 de l'ordonnance du 17 octobre 2001 sur les autorisations dans le domaine des médicaments (OAMéd ; RS 812.212.1) ; SWISSMEDIC, aide-mémoire, pt. 7.

⁴⁸ BSK HMG – MOSIMANN/SCHOTT HMG 9 N 57 ss ; cf. Table 1, cellules (4) et (5).

⁴⁹ La jurisprudence, qui traite régulièrement de ce sujet, admet l'importation de l'équivalent d'un mois de traitement maximum (récemment : Arrêt du Tribunal administratif fédéral C-3182/2011 du 4 juillet 2013, consid. 4.1.2).

⁵⁰ Art. 20 al. 2 let. a LPTh ; art. 36 al. 1 OAMéd.

⁵¹ JUNOD/MEROZ, p. 105. Toutefois, une ordonnance est indispensable si le patient n'importe pas lui-même le médicament mais l'achète par correspondance (art. 27 LPTh).

⁵² Cf. Table 1, cellules (7), (8) et (9).

Table 1 : Ce tableau récapitule les possibilités d'usage compassionnel (PC) selon la situation réglementaire d'un médicament (SR)

SR \ PC	AMM limitée	Importation par médecin	Importation par patient
Aucune AMM dans le monde	oui(1)	oui, avec autorisation (4)	oui (7)
AMM dans un pays non équivalent	oui(2)	oui, avec autorisation (5)	oui (8)
AMM dans un pays équivalent	oui(3)	oui, sans autorisation (6)	oui (9)

II. Usage compassionnel de médicaments et remboursement

Comme vu plus haut⁵³, l'AMM à durée limitée a les mêmes effets qu'une AMM ordinaire et ouvre la possibilité d'inscription dans la LS (la liste des médicaments remboursés), si les autres conditions d'entrée dans LS sont remplies. Un médicament ayant obtenu une AMM à durée limitée puis inscrit dans la LS est remboursé. Par contre, un médicament ayant obtenu une AMM à durée limitée mais non inscrit dans la LS ou un médicament sans AMM importé n'est en principe pas remboursé. L'exigence d'inscription dans la LS pour accéder au remboursement peut donc représenter un obstacle à la prise en charge de médicaments utilisés de manière compassionnelle et nécessaires pour certains patients.

Des exceptions au principe de la LS existent toutefois. Pour la prise en charge de médicaments prescrits dans le cadre d'un usage compassionnel, l'article 71b OAMal va s'avérer pertinent⁵⁴. Cet article concerne les médicaments autorisés mais ne figurant pas sur la LS (médicaments hors liste : al. 1) et les médicaments non autorisés en Suisse mais pouvant être importés (médicaments sans AMM al. 2). Dans ces deux situations, les mêmes conditions doivent être remplies pour la prise en charge par l'assurance obligatoire. Mais, dans le cas d'un médicament

⁵³ Cf. *supra* chap. I, 1, c) : « Portée de l'AMM à durée limitée ».

⁵⁴ Cet article codifie et élargit le champ d'application de principes développés dans la jurisprudence, par exemple dans l'ATF 131 V 349 consid. 2.3, l'ATF 130 V 532 consid. 6.1 et l'ATF 136 V 395 consid. 5.2. La mise en œuvre des articles 71a et 71b a très récemment fait l'objet d'une évaluation par un bureau indépendant sur mandat de l'OFSP (cf. RÜEFLI/BOLLIGER).

non autorisé en Suisse (al. 2), l'ordonnance énonce une condition supplémentaire⁵⁵.

Le présent chapitre analyse et critique les conditions du remboursement exceptionnel prévu à l'article 71b OAMal, puis se concentre sur leur application aux possibilités d'usage compassionnel présentées dans le chapitre précédent.

1. Conditions du remboursement exceptionnel selon l'article 71b OAMal

a) Nécessité thérapeutique

L'article 71b OAMal⁵⁶ prévoit qu'un médicament ne figurant pas sur la LS peut quand même être remboursé si son usage permet d'escompter un bénéfice élevé contre une maladie susceptible d'être mortelle pour l'assuré ou de lui causer des problèmes de santé graves et chroniques et que, faute d'alternative thérapeutique, il n'existe pas d'autre traitement efficace autorisé.

aa) Bénéfice élevé (*grosser therapeutischer Nutzen*)

L'art. 71b OAMal exige que le médicament apporte un bénéfice thérapeutique élevé.

Déterminer l'existence d'un bénéfice thérapeutique est une question de fait, mais l'évaluation du caractère élevé du bénéfice thérapeutique est une question de droit⁵⁷. Selon la jurisprudence, le caractère élevé du bénéfice thérapeutique s'apprécie dans l'abstrait et dans le cas particulier⁵⁸. Dans l'abstrait, le bénéfice thérapeutique élevé doit être évalué de la même manière que dans le cadre de l'AMM à durée limitée de l'article 9 al. 4 LPT^h et 19 OASMéd⁵⁹. Comme vu plus haut⁶⁰, pour obtenir une telle AMM, le fabricant doit fournir les essais cliniques intermédiaires qui prouvent que l'on peut attendre un grand bénéfice thérapeutique (« *grosser therapeutischer Nutzen* »). Le caractère élevé du bénéfice thérapeutique

⁵⁵ Cf. *infra* chap. II, 1, d) : « Conditions supplémentaires pour la prise en charge de médicaments non autorisée en Suisse ».

⁵⁶ Par renvoi à l'art 71a al.1 let a.

⁵⁷ ATF 136 V 395, consid. 6.3.

⁵⁸ ATF 139 V 375, consid. 4.4. Evaluation du bénéfice thérapeutique dans l'abstrait : Arrêt du Tribunal fédéral 9C_550/2011 du 23 mars 2012, consid. 6.2 ; ATF 136 V 395, consid. 6.5 et 6.7. Evaluation du bénéfice thérapeutique dans le cas concret : Arrêt du Tribunal fédéral 9C_550/2011 du 23 mars 2012, consid. 6.3 ; ATF 136 V 395, consid. 6.8 et 6.9.

⁵⁹ Arrêt du Tribunal fédéral 9C_785/2011 du 25 avril 2012, consid. 2.1.2.1 ; Arrêt du Tribunal fédéral 9C_550/2011 du 23 mars 2012, consid. 3.2 ; ATF 136 V 395, consid. 6.5 ; ATF 130 V 532 consid. 6.1 ; OFSP, Teneur des modifications et commentaires de l'OAMal et l'OPAS du 2 février 2011, p. 5. WIDMER, N 64 ss.

⁶⁰ Cf. *supra* chap. I, 1, b) : « Conditions pour l'octroi d'une AMM à durée limitée ».

d'un médicament dans le cas particulier est déterminé par le résultat des expertises médicales qui concernent le patient⁶¹.

bb) Maladie mortelle ou causant des problèmes graves ou chroniques

L'article 71b OAMal exige que le médicament lutte contre une maladie mortelle ou qui cause des problèmes graves ou chroniques. Cette condition a été interprétée de manière plutôt large par le TF⁶². A notre avis, il manque toutefois une définition claire et des critères permettant d'admettre une atteinte grave ou chronique.

cc) Pas d'alternative thérapeutique efficace autorisée

L'art 71b OAMal exige que le médicament n'ait pas d'alternative thérapeutique efficace autorisée. Ce critère est, à notre sens, peu pertinent puisque son but devrait être d'éviter qu'un médicament hors liste ou non autorisé soit remboursé s'il existe une alternative remboursée. Or le terme utilisé est « alternative efficace autorisée » et pas alternative remboursée. Par ailleurs, l'efficacité d'un traitement autorisé a déjà été prouvée lors de l'examen de la demande d'AMM, de sorte que le terme « efficace autorisé » est redondant. Ce critère réduit également les possibilités de remboursement puisque l'existence d'une alternative efficace autorisée mais non remboursée pourrait bloquer la possibilité d'un remboursement exceptionnel sans toutefois être accessible au patient. Finalement, il est possible que l'alternative thérapeutique efficace autorisée soit moins efficace que le médicament dont on souhaite obtenir le remboursement exceptionnel mais qu'elle empêche ce dernier d'être pris en charge. A notre sens, il faudrait donc remplacer « pas d'alternative efficace autorisée » par « pas d'alternative plus efficace remboursée ».

Le critère actuel a toutefois le mérite de préciser qu'un médicament figurant dans la LS mais prescrit pour une indication non autorisée, n'est pas une alternative thérapeutique valable⁶³.

⁶¹ ATF 136 V 395, consid. 6.8 et 6.9.

⁶² La maladie de Pompe (ATF 136 V 395), un cancer du sein (Arrêt du Tribunal fédéral 9C_56/2008 du 6 octobre 2008) et un cancer de l'œsophage (ATF 130 V 532) ont été considérés comme des maladies mortelles. L'hémoglobininurie paroxystique nocturne, (une cause rare d'anémie ; ATF 139 V 375) et une colite ulcéreuse (Arrêt du Tribunal fédéral 9C_550/2011 du 23 mars 2012) ont été considérées comme des problèmes graves ou chroniques. Par contre, des troubles de l'attention chez l'adulte (Arrêt du Tribunal fédéral 9C_785/2011 du 25 avril 2012, consid. 5.3.2) et des troubles de la fertilité (Arrêt du Tribunal fédéral 9C_835/2011 du 1^{er} octobre 2012, consid. 7.4) n'ont pas été considérés comme étant des problèmes graves ou chroniques par le TF.

⁶³ MAGISTRINI, N 58.

b) Garantie spéciale de l'assureur

L'article 71b al. 3 OAMal prévoit que l'assurance obligatoire des soins ne prend en charge un médicament non inscrit dans la LS que si l'assureur a donné une garantie spéciale de prise en charge de frais après avoir consulté un de ses médecins-conseils⁶⁴. Le médecin-conseil doit prendre position (au cas par cas) et décider si le critère de la nécessité thérapeutique est rempli. C'est donc l'assureur qui décide du remboursement et qui en fixe le montant⁶⁵. Un remboursement partiel des frais de traitement est possible⁶⁶, l'assuré devant en principe payer la différence. Même si une très grande liberté est laissée aux assureurs quant aux décisions de remboursement et à leur montant, l'assuré peut recourir contre ces décisions.

Lors de l'analyse du critère de la nécessité thérapeutique⁶⁷, l'évaluation du bénéfice thérapeutique d'un médicament est la partie la plus délicate. Certains médecins-conseils utilisent un système d'évaluation systématique du bénéfice thérapeutique⁶⁸ et de calcul du montant adéquat du remboursement. Par exemple, un de ces modèles, utilisé par la caisse Helsana, classe les médicaments en quatre catégories de bénéfice thérapeutique selon les résultats des études cliniques publiées. Ce classement permet de fixer le montant du remboursement de manière graduelle⁶⁹. Selon ce modèle, dans les cas où le bénéfice thérapeutique d'un médicament paraît douteux, un « essai thérapeutique » non remboursé par la caisse est effectué sur le patient concerné. Si cet essai est concluant, la suite du traitement est remboursée par la caisse⁷⁰.

La loi ne fixe pas d'obligation d'utiliser de tels modèles systématiques. Cette situation risque d'entraîner des inégalités de traitement entre des patients souffrant de la même maladie et prenant le même traitement car ils peuvent être remboursés différemment selon le modèle de calcul de leur assurance, ou l'absence d'un tel modèle si leur dossier est traité par un médecin-conseil différent. Si l'idée d'un modèle systématique obligatoire est intéressante, sa concrétisation ne doit pas être laissée aux seuls assureurs. Par ailleurs, même avec un modèle systématique, on peut douter de la compétence d'un médecin-conseil pour évaluer le bénéfice thérapeutique d'un médicament car cela demande des recherches poussées dans la littérature médicale publiée, et qu'il n'a en principe pas accès aux données d'essais cliniques non publiées par le fabricant. Les méthodes d'évaluation du bénéfice et du montant du remboursement devraient être contrôlées par l'OFSP ou

⁶⁴ Un médecin-conseil « donne son avis à l'assureur sur des questions médicales ainsi que sur des questions relatives à la rémunération et à l'application des tarifs. Il examine en particulier si les conditions de prise en charge d'une prestation sont remplies. », art. 57 LAMal.

⁶⁵ WIDMER, N 69 ss.

⁶⁶ RÜEFLI/BOLLIGER, p. 47.

⁶⁷ Cf. *supra* chap. II, 1, a) : « Nécessité thérapeutique ».

⁶⁸ GIGER/KRÄHENBÜHL/SEILER/ZOLLIKOFER, p. 325 ; SEILER/FRIES/HONEGGER, p. 1680.

⁶⁹ GIGER/KRÄHENBÜHL/SEILER/ZOLLIKOFER, p. 326 ; SEILER/FRIES/HONEGGER, p. 1680.

⁷⁰ GIGER/KRÄHENBÜHL/SEILER/ZOLLIKOFER, p. 326 ; SEILER/FRIES/HONEGGER, p. 1681.

effectuées par un organisme indépendant, être publiées et appliquées à tous les assurés. A défaut, l'OFSP devrait publier des directives pour en permettre l'application uniforme. Reste la question des critères qui seront utilisés pour évaluer le bénéfice thérapeutique dans les études cliniques⁷¹, qui est centrale et devrait faire l'objet d'un large débat public⁷².

c) Rapport coûts-bénéfice adéquat

En plus du critère de la nécessité thérapeutique, le rapport coût-bénéfice d'un médicament doit être *adéquat* pour qu'il soit remboursé dans le cadre de l'exception de l'art. 71b OAMal⁷³. Un rapport coûts-bénéfice adéquat signifie que les coûts d'un médicament ne doivent pas être disproportionnés par rapport à son bénéfice thérapeutique⁷⁴.

Ce critère rappelle celui de l'économicité, qui doit être rempli pour qu'un médicament puisse entrer dans la LS⁷⁵, mais ses conditions sont en fait différentes. L'économicité d'un médicament s'évalue en comparant, d'une part, son prix en Suisse avec son prix à l'étranger et, d'autre part, son prix en Suisse avec le prix d'un autre médicament contre la même maladie autorisé en Suisse⁷⁶. Le but est de choisir le médicament le moins cher parmi les alternatives thérapeutiques existantes et de le rembourser⁷⁷. Dans le cas du remboursement exceptionnel d'un médicament hors LS, on ne compare pas les alternatives existantes ou le prix du médicament à l'étranger, mais on calcule juste la relation coûts-bénéfice du médicament lui-même⁷⁸. Ces manières différentes d'évaluer l'économicité d'un médicament risquent de créer des inégalités de traitement entre des patients ayant la même maladie et le même traitement, mais soignés à des périodes différentes. En effet, il est possible que le remboursement exceptionnel d'un médicament hors

⁷¹ Cf. WIDRIG/TAG, *Rechtliche Aspekte* N 24 ss ; JUNOD/WASSERFALLEN, *Rationnement*, 23 ss ; GUTZWILLER *et al.*, et les différents documents du site www.fr.swisshta.ch créée par interpharma (associations faitière des entreprises pharmaceutiques suisses) et santésuisse (association faitière des caisses-maladie suisses) dont le but est d'émettre des recommandations sur l'évaluation systématique des technologies et des processus médicaux (appelée HTA : Health Technology Assessment), en particulier : SCHLANDER *et al.*, *Nutzenbewertung* et SCHLANDER *et al.*, *Projet de consensus Swiss HTA*. La présente contribution ne peut malheureusement pas traiter le sujet en détail.

⁷² Ce débat a tout de même commencé, par exemple avec le publifocus mené par l'Académie suisse des sciences médicales (ASSM) et l'Académie suisse des sciences humaines (ASSH) : TA-SWISS, *Quelle valeur pour notre santé ?*.

⁷³ Art. 71b al. 4 OAMal.

⁷⁴ OFSP, *Teneur des modifications et commentaires de l'OAMal et l'OPAS*, p. 6.

⁷⁵ Art. 32 al. 1 LAMal.

⁷⁶ Art. 65b al. 2 OAMal, art. 34 et 35 OPAS ; OFSP, *Instructions concernant la liste des spécialités (LS) du 1^{er} septembre 2011 (version du 1^{er} mars 2013)*, C. 1, C. 2 et C. 3.

⁷⁷ Art. 65 al. 1 OAMal, *Instructions LS (note 76)*, C.1.1.3.

⁷⁸ ATF 139 V 375 consid. 7.3 ; ATF 136 V 395, consid. 7.1 et 7.4. ; GÄCHTER/MEIENBERGER, p. 169 ; JUNOD/WASSERFALLEN, *Rationnement*, N 15, N 73 et N 74.

LS soit refusé à cause d'un rapport coût-bénéfice non adéquat, et qu'ensuite, le même médicament entre dans la LS et soit remboursé⁷⁹, même si son prix et son efficacité n'ont pas varié. Dans ce cas, seule la méthode d'évaluation de l'économicité a changé. Dans un arrêt, le TF a décidé que cette situation était inéquitable et a remboursé *a posteriori* un médicament pour la période qui précédait son entrée dans la LS⁸⁰, apportant une solution à un cas particulier mais ne résolvant pas le problème d'incohérence soulevé.

Avant l'entrée en vigueur de l'article 71b OAMal, dans l'arrêt « Myozyme », le critère du rapport coûts-bénéfice adéquat avait déjà été énoncé⁸¹. Cet arrêt concernait un médicament non inscrit dans la LS auquel les juges ont attribué un rapport coûts-bénéfice disproportionné (prix disproportionné) et dont le remboursement a été refusé. Le TF a souligné l'importance de la création de critères généralisables pour l'appréciation du rapport coût-efficacité, pour éviter des inégalités de traitement⁸². Le TF a également soulevé la question de la nécessité de fixer un montant maximum de remboursement par l'assurance maladie pour un seul patient. Les moyens financiers à disposition de la société pour remplir ses devoirs sociaux n'étant pas illimités⁸³, si un médicament très cher est remboursé à un patient, cette dépense risque de ne pas être généralisable, ce qui violerait l'égalité de traitement⁸⁴. Les arguments avancés par le TF ont fait l'objet de nombreux débats⁸⁵ mais des solutions règlementaires satisfaisantes n'ont pas encore été énoncées. En effet, l'article 71b codifie la jurisprudence mais n'en clarifie pas les termes et n'apporte pas vraiment de réponses aux interrogations qu'elle a soulevées.

⁷⁹ C'était le cas dans l'ATF 139 V 375 et l'arrêt du Tribunal fédéral 9C_56/2008 du 6 octobre 2008.

⁸⁰ Le TF conclut que même si le haut bénéfice thérapeutique est discutable, le médicament en question est entré dans la LS peu de temps après le traitement de la patiente. Si elle avait été malade un peu plus tard elle aurait donc été remboursée sans problème. Il est donc inéquitable de ne pas prendre en charge le traitement avant son entrée dans la LS. Arrêt du Tribunal fédéral 9C_56/2008 du 6 octobre 2008, consid. 3.10.

⁸¹ ATF 136 V 395 consid. 7.4. En 2008 déjà, ce critère était apparu dans la jurisprudence (arrêt « Herceptin », Arrêt du Tribunal fédéral 9C_56/2008 du 6 octobre 2008, consid. 3.8 ; JUNOD, p. 121 ss).

⁸² ATF 136 V 395, consid. 7.7. Dans cet arrêt, le TF esquisse une analyse économique en utilisant le coût du médicament par QALY (Quality Adjusted Life Year, un indicateur de l'utilité d'un traitement qui combine espérance de vie et qualité de vie). Pour plus de détails à ce sujet : DRUMMOND *et al.*, p. 173 ss (notion de QALY et analyse économique en général) ; GUTZWILLER *et al.*, p. 19 ss (droit) ; WIDRIG/TAG, Rechtliche Aspekte, N 29 ss (droit) ; JUNOD/WASSERFALLEN, N 22 ss (droit) ; KESSELRING, p. 575 (droit) ; MARCKMANN, p. 167 (droit) ; BRÜGGER, p. 45 ss ; WIDRIG/TAG, nachhaltige Versorgungsentscheide (éthique).

⁸³ ATF 136 V 395 consid. 7.5, 7.7.

⁸⁴ ATF 136 V 396 consid. 7.8.

⁸⁵ Par ex. : interventions parlementaires Humbel (« Un arrêt du Tribunal fédéral marquant le coup d'envoi du rationnement médical » ; 11.3154 du 16 mars 2011) et Gutzwiller (« Une limite de coûts à 100'000 francs pour les thérapies médicales » ; 11.3306 du 18 mars 2011).

d) Conditions supplémentaires pour la prise en charge de médicaments non autorisés en Suisse

Dans la jurisprudence, l'exception de la nécessité thérapeutique avait été appliquée presque uniquement à des médicaments autorisés⁸⁶ (admis dans la LS mais prescrits hors indication autorisée⁸⁷ ou non-inscrits dans la LS⁸⁸). L'article 71b al. 2 OAMal élargit le champ d'application de l'exception jurisprudentielle aux médicaments non autorisés⁸⁹ en ajoutant deux conditions pour leur remboursement : le médicament doit pouvoir être importé⁹⁰ et être autorisé pour l'indication correspondante par un Etat ayant institué un système équivalent d'autorisation de mise sur le marché reconnu par Swissmedic⁹¹. Les médicaments autorisés uniquement dans un pays n'ayant *pas* institué un système équivalent d'AMM ou les médicaments sans autorisation dans le monde ne sont donc jamais remboursés par l'assurance obligatoire des soins en Suisse, selon l'art. 71b OAMal.

2. Conséquences pour l'usage compassionnel de médicaments

a) Remboursement de l'usage compassionnel avec AMM à durée limitée

Un médicament prescrit dans le cadre d'un usage compassionnel avec une AMM limitée peut figurer dans la LS s'il en remplit les conditions⁹². Dans ce cas le médicament est automatiquement remboursé aux patients.

Pour les médicaments prescrits dans le cadre d'un usage compassionnel avec une AMM limitée mais non inscrits dans la LS, un remboursement exceptionnel selon les conditions de l'art. 71b al. 1 OAMal est possible⁹³. Le critère de la nécessité thérapeutique est rempli puisque qu'il renvoie justement aux conditions de

⁸⁶ Seul l'arrêt K 83/04 concernait un médicament sans AMM. Le TF a renvoyé la cause à l'instance cantonale pour une décision sur le fond. JUNOD, p. 116.

⁸⁷ ATF 136 V 395 ; Arrêt du Tribunal fédéral 9C_56/2008 du 6 octobre 2008 ; ATF 131 V 349 ; ATF 130 V 532.

⁸⁸ ATF 136 V 395 ; Arrêt du Tribunal fédéral 9C_649/2009 du 26 mars 2010.

⁸⁹ Arrêt du Tribunal fédéral 9C_278/2012 du 19 juin 2013.

⁹⁰ Cf. *supra* chap. I, 2 : « Usage compassionnel sans AMM à durée limitée ».

⁹¹ Cf. *supra* note 28.

⁹² Information fournie par e-mail par Madame Muriel Grasso-Ogi, Collaboratrice scientifique à l'OFSP le 10 décembre 2013 et par Madame Umut Wyttenbach, Avocate à l'OFSP le 13 décembre 2013. A titre d'exemple, l'Isoniazid, un antituberculeux, est au bénéfice d'une AMM à durée limitée selon l'art. 9 al. 4 LPTh et figure dans la LS.

⁹³ Information fournie par e-mail par Madame Muriel Grasso-Ogi, Collaboratrice scientifique à l'OFSP le 10 décembre 2013 et par Madame Umut Wyttenbach, Avocate à l'OFSP le 13 décembre 2013.

l'AMM à durée limitée. Il restera donc à prouver que le rapport coût-bénéfice est adéquat et à obtenir la garantie de l'assureur. Mais, comme vu dans le chapitre précédent, les critères de remboursement de l'art. 71b OAMal doivent être précisés⁹⁴.

Dans la première partie de cette contribution, nous avons montré que l'AMM à durée limitée concerne des médicaments autorisés à l'étranger mais également des médicaments en cours de test (en Suisse ou à l'étranger)⁹⁵. Ainsi, des médicaments en cours de test, à condition qu'ils aient obtenu une AMM à durée limitée, peuvent être remboursés par l'assurance maladie obligatoire⁹⁶. Le Commentaire de l'OFSP sur l'article 71b OAMal, qui exclut cette possibilité⁹⁷, devrait être modifié.

Si le projet de modification de la LPTh⁹⁸ (art. 9a et 9b pLPTh) entre en vigueur, cette ambiguïté subsistera et pourra même s'accroître. En effet, un médicament en cours de test pourra obtenir l'autorisation prévue par l'art. 9a pLPTh aux mêmes conditions que l'actuelle AMM à durée limitée de l'art. 9 al. 4 LPTh : il sera donc remboursé s'il remplit les conditions de la nécessité thérapeutique et du rapport coût-bénéfice adéquat. Par contre, le Message du projet de modification de la LPTh laisse supposer que l'autorisation provisoire de l'article 9b al. 1 pLPTh n'a pas les mêmes effets que l'AMM limitée de l'art. 9 al. 4⁹⁹. Il faut que le législateur éclaircisse la question de la portée de l'autorisation provisoire de l'art. 9b al. 1 pLPTh afin de déterminer s'il s'agit d'une autorisation au sens de l'art. 71b OAMal. Si oui, le remboursement des médicaments en cours de test ne différera pas de ce qui prévaut actuellement. Si non, certains médicaments en cours de test seront remboursés (ceux qui ont obtenus l'AMM de l'art. 9a pLPTh) d'autres ne le seront pas (ceux qui n'ont pu obtenir que l'autorisation de l'art. 9b al. 1 car ils ne remplissent pas les critères plus stricts de l'art. 9a pLPTh). On peut alors se demander à quoi sert un accès élargi à des médicaments expérimentaux si la question de leur financement n'est pas réglée.

b) Remboursement de l'usage compassionnel sans AMM

Un médicament prescrit dans le cadre d'un usage compassionnel sans AMM limitée peut être remboursé aux conditions de l'article 71b al. 2 OAMal. Cette possibilité s'applique aux médicaments sans AMM importés par un médecin ou par un patient (s'ils lui ont été prescrits par un médecin).

⁹⁴ Cf. *supra* chap. II, 1, a) : « Nécessité thérapeutique » et c) : « Rapport coûts-bénéfice adéquat ».

⁹⁵ Cf. *supra* chap. I, 1, c) : « Portée de l'AMM à durée limitée » et Table 1.

⁹⁶ KUHN/POLEDNA, p. 408.

⁹⁷ « Ce n'est pas à cette dernière de prendre en charge des médicaments qui en sont encore au stade des tests et de la recherche », OFSP, Teneur des modifications et commentaire de l'OAMal et l'OPAS du 2 février 2011, p. 6.

⁹⁸ Cf. *supra* chap. I, 2 : « Usage compassionnel sans AMM à durée limitée ».

⁹⁹ Cf. *supra* chap. I, 2 : « Usage compassionnel sans AMM à durée limitée » et note 44.

Un médicament sans AMM en Suisse est remboursé s'il est autorisé dans un pays ayant institué un système équivalent d'AMM reconnu par Swissmedic et s'il remplit les critères de la nécessité thérapeutique et du coût-bénéfice adéquat. Par contre, un médicament sans AMM en Suisse n'est pas remboursé s'il est autorisé uniquement dans un pays n'ayant pas institué un système équivalent d'AMM reconnu par Swissmedic. La situation est identique si le médicament n'est autorisé ni en Suisse, ni à l'étranger. Dans ces situations, le fabricant doit demander une AMM à durée limitée pour que le remboursement soit possible en Suisse. Ici encore le risque d'inégalité de traitement est grand car il manque des encouragements à déposer des demandes d'AMM limitée pour les fabricants. En effet, les possibilités de remboursement, et donc de rentabilisation d'un médicament ayant une AMM limitée en Suisse, ne sont pas assez claires pour les entreprises pharmaceutiques. Un fabricant n'a pas d'intérêt à déposer une telle AMM et préfère attendre l'octroi d'une AMM ordinaire. D'ailleurs, actuellement, seuls neuf médicaments sont au bénéfice d'une AMM limitée en Suisse.

Le critère de l'AMM dans un pays reconnu rajoute, à notre sens, une condition supplémentaire inutile liée au statut du médicament. Si un médicament remplit les critères de la nécessité thérapeutique et du coût-bénéfice adéquat, le remboursement devrait être accordé car, indépendamment de l'AMM, ces conditions strictes suffisent pour prouver l'efficacité et la sécurité du médicament. Ce critère supplémentaire ne sert donc à rien au niveau de la sécurité sanitaire, qui ne doit d'ailleurs pas être réglée dans les conditions de remboursement mais dans les conditions des possibilités d'accès aux médicaments. La véritable question qu'il faut se poser à propos des décisions de remboursement est combien la société est-elle prête à payer pour ses malades. On retombe alors sur le débat de l'estimation du bénéfice thérapeutique et du rapport coût-bénéfice¹⁰⁰.

Dans tous les cas, les décisions de remboursement exceptionnel sont prises par les caisses-maladie et un patient se voyant refuser le remboursement de son traitement devra établir un dossier solide et s'entourer de médecins le soutenant pour attaquer cette décision. Le temps et l'énergie nécessaires à une telle procédure manquent souvent aux patients gravement malades. Les cas traités par la jurisprudence ne sont probablement qu'une petite partie des cas de remboursements refusés¹⁰¹.

¹⁰⁰ Cf. *supra* chap. II, 1, a), aa) : « Bénéfice élevé (grosser therapeutischer Nutzen) » et c) : « Rapport coûts-bénéfice adéquat ».

¹⁰¹ En 2012, uniquement chez Helsana, 418 cas concernaient une demande de remboursement exceptionnel selon l'art. 71b OAMal : SEILER/FRIES/HONEGGER, p. 1682 (tableau 3). Ce chiffre suggère que le nombre de demandes de remboursement exceptionnel pour toutes les caisses-maladie est élevé par rapport aux recours, et donc que soit les patients sont satisfaits par la décision de leur caisse, soit ils ne font pas souvent recours contre cette dernière, ce qui est plus probable.

Table 2 : Ce tableau récapitule les possibilités de remboursement de l'usage compassionnel (PC) selon la situation réglementaire d'un médicament (SR)

SR \ PC	AMM limitée	Importation par médecin	Importation par patient
Aucune AMM dans le monde	Remboursé aux conditions de 71b al.1 OAMal	Non remboursé	Non remboursé
AMM dans un pays non équivalent	Remboursé aux conditions de 71b al.1 OAMal	Non remboursé	Non remboursé
AMM dans un pays équivalent	Remboursé aux conditions de 71b al.1 OAMal	Remboursé aux conditions de 71b al.2 OAMal	Remboursé aux conditions de 71b al. 2 OAMal si prescrit par un médecin

Conclusion et recommandations

L'égalité de traitement est un principe constitutionnel rappelé dans la LAMal¹⁰². Pourtant, les médicaments prescrits dans le cadre d'un usage compassionnel sont remboursés à des conditions qui peuvent poser des problèmes d'inégalité de traitement. Ces médicaments risquent en effet d'être remboursés différemment selon l'assureur du patient, selon son médecin-conseil, selon la date de sa maladie, ou selon le statut réglementaire du médicament. A l'issue de notre analyse, force est donc de reconnaître que les intérêts économiques de patients gravement malades risquent d'être menacés par l'insécurité juridique entourant le remboursement de leurs médicaments¹⁰³. Même si, en Suisse, les patients sont relativement épargnés par la crise économique actuelle, la situation législative doit être améliorée pour éviter les barrières financières à l'accès aux médicaments.

Des inégalités de traitement selon l'assureur ou le médecin-conseil sont dues aux conditions du remboursement exceptionnel des médicaments selon l'art. 71b OAMal, qui ne sont pas bien définies¹⁰⁴. Il appartient au législateur de les préciser

¹⁰² Art. 8 de la Constitution fédérale du 18 avril 1999 (RS 101) ; art. 13 al. 2 let. a LAMal.

¹⁰³ Notre analyse aboutit donc à une évaluation moins positive de la mise en œuvre de l'art. 71b OAMal que les auteurs du récent rapport sur la mise en œuvre des articles 71a et 71b OAMal effectué sur mandat de l'OFSP (cf. RÜEFLI/BOLLIGER).

¹⁰⁴ Une caisse maladie unique supprimerait les inégalités de traitement qui existent actuellement entre des patients affiliés à différentes caisses maladie.

et de permettre leur application uniforme. Une possibilité serait la création d'un institut indépendant chargé de réaliser, sur demande, des études sur l'économicité et l'efficacité des médicaments non-inscrits dans la LS, ou de confier cette tâche à l'OFSP. Un projet allant dans ce sens est en cours d'élaboration¹⁰⁵. A défaut, il faudrait créer une méthode uniformisée d'évaluation du bénéfice thérapeutique et du rapport coût-bénéfice à l'usage des assureurs. Dans tous les cas, les données du fabricant sur le médicament devraient être à disposition de l'évaluateur.

Des inégalités de traitement selon la date à laquelle un patient tombe malade sont dues au fait que les critères du remboursement exceptionnel selon l'article 71b sont différents des critères d'inclusion dans la LS. Il faudrait uniformiser ou au moins justifier ces différences.

Des inégalités de traitement selon le statut réglementaire du médicament sont dues à la complexe imbrication du droit des produits thérapeutiques, qui décrit les différentes exceptions au principe de l'AMM, et du droit de l'assurance maladie, qui décrit les critères de remboursement des médicaments. La question du remboursement des médicaments en cours de test doit être débattue, le lien entre la LPT^h et la LAMal optimisé, le vocabulaire unifié et les situations ambiguës réglées.

Finalement, il est indispensable d'améliorer la transparence en rendant les décisions de remboursement exceptionnelles publiques. La création d'un fond spécial financé par les différents acteurs du système de santé pour la prise en charge des médicaments jugés trop chers est également envisageable.

¹⁰⁵ Une motion parlementaire « Pour une véritable agence nationale de Health Technology Assessment » (Ignazio Cassis, motion 10.3451, 16 juin 2010) a été déposée en 2010 et acceptée par les deux chambres. Interpharma et santésuisse ont un projet dans ce sens (consultable sur le site www.fr.swisshta.ch).

Bibliographie

- BRÜGGER URS, Lebensqualitätsmessungen als eine Grundlage für Entscheidungen im Gesundheitswesen, *in* : Bioethica Forum 2013, 6(2), p. 44-51
- CONSEIL FÉDÉRAL, Message du 1^{er} mars 1999 concernant une Loi fédérale sur les médicaments et les dispositifs médicaux (loi sur les produits thérapeutiques, LPT), FF 1999 3151 (cité : Message LPT)
- CONSEIL FÉDÉRAL, Message du du 7 novembre 2012 concernant la modification de la loi sur les produits thérapeutiques, FF 2013 1 (cité : Message modif. LPT)
- DRUMMOND MICHAEL/SCULPHER MARK/TORRANCE GEORGE/O'BRIEN BERNIE/STODDART GREG, *Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes*, Oxford (Oxford University Press), 3^{ème} éd., 2004
- EGGENBERGER STÖCKLI URSULA, *ad art. 4 HMG*, *in* : EICHENBERGER THOMAS/JAISLI URS/RICHLI PAUL (édit.), *Basler Kommentar, Heilmittelgesetz, Bâle/Genève/Munich (Helbing) 2006*
- GÄCHTER THOMAS/MEIENBERGER ARLETTE, BGE 136 V 395 (Morbus Pompe/Myozyme) : Was der Entscheid bedeutet – und was nicht, *in* : *Responsabilité et Assurances (REAS) 2013*, p. 168-170
- GÄCHTER THOMAS/RÜTSCHÉ BERNHARD, *Gesundheitsrecht, ein Grundniss für Studium und Praxis*, Bâle (Helbing Lichtenhahn) 2013
- GIGER MAX/KRÄHENBÜHL ARTHUR/SEILER BEAT/ZOLLIKOFER JÜRIG, *Kostenübernahme nichtgelisteter Arzneimittel*, *in* *Bulletin des medecins suisses 2013*, p. 324-326
- GUTZWILLER FLORIAN/BILLER-ANDORNO NIKOLA/HARNACKÉ CAROLINE/BOLLHALDER LEA/SZUCS THOMAS/GUTZWILLER FELIX/SCHWENKGLÉNKS MATTHIAS, *Methoden zur bestimmung von Nutzen bzw. Wert medizinischer Leistungen und deren Anwendung in der Schweiz und ausgewählten europäischen Ländern*, Berne 2012
- JUNOD VALÉRIE/MÉROZ JEAN-CHRISTOPHE, *Les procédures d'accès anticipé aux médicaments en droit suisse et communautaire*, *in* : *Revue de droit administratif et de droit fiscal (RDAF) 2008*, p. 73-109.
- JUNOD VALÉRIE/WASSERFALLEN JEAN BLAISE, *Rationnement des soins, le TF joue enfin cartes sur table, commentaire de l'ATF 136 V395*, *in* : *Jusletter*, 29 août 2011
- JUNOD VALÉRIE, *Accès aux médicaments, les conditions du remboursement dans l'assurance maladie obligatoire*, *in* : GUILLOD/WESSNER (édit.), *Le droit de la santé : aspects nouveaux*, Neuchâtel (Unine) 2010, p. 83-139
- KESSELRING FELIX, *Bundesgericht, II. Sozialrechtliche Abteilung, Urteil 9C_334/2010 vom 23. November 2010 i.S. Publisana Krankenversicherung gegen F. betreffend Krankenversicherung*, *in* : *Pratique juridique actuelle (PJA) 2011*, p. 573-577
- KUHN MORITZ/POLEDNA TOMAS (édit.), *Arztrecht in der Praxis*, 2^e éd., Zurich (Schulthess) 2007
- LACHENMEIER PASCAL, *Die Anwendung „nicht zugelassener“ Arzneimittel in der Krebstherapie nach schweizerischem Recht*, *in* : *Jusletter*, 11 mai 2009
- MAGISTRINI LORIS, *Remboursement de médicaments par l'assurance obligatoire des soins : commentaire des nouveaux arts. 71 a et 72b OAMal*, *in* : *Jusletter*, 30 janvier 2012

- MARCKMANN GEORG, Kosten-Nutzen-Bewertung auf Abwegen..., *in* : Responsabilité et Assurances (REAS) 2013, p. 166-167
- MOSIMANN PETER/SCHOTT MARKUS, *ad* art. 9 HMG, *in* : EICHENBERGER THOMAS/JAISLI URS/RICHLI PAUL (édit.), Basler Kommentar, Heilmittelgesetz, Bâle/Genève/Munich (Helbing) 2006
- OFSP, Teneur des modifications et commentaire des modifications pour le 1^{er} mars 2011 de l'Ordonnance du 27 juin 1995 sur l'assurance-maladie (OAMal) et de l'Ordonnance du DFI du 29 septembre 1995 sur les prestations dans l'assurance obligatoire des soins en cas de maladie (ordonnance sur les prestations de l'assurance des soins, OPAS), 2 février 2011
- OFSP, Instructions concernant la liste des spécialités du 1^{er} septembre 2011 (version du 1^{er} mars 2013)
- RÜEFLI CHRISTIAN/BOLLIGER CHRISTIAN, Off-Label-Use in der obligatorischen Krankenpflegeversicherung. Evaluation der Umsetzung von Artikel 71a und 71b KVV (Im Auftrag des Bundesamts für Gesundheit), Berne, 28 janvier 2014
- SCHLANDER MICHAEL *et al.*, Projet de consensus Swiss HTA : Points essentiels pour la poursuite du développement en Suisse, Bâle/Berne/Soleure/Wiesbaden, 19 octobre 2011
- SEILER BEAT/FRIES ROBERT/HONEGGER HANSPETER, Médicaments off-label use, Expériences d'une assurance-maladie avec l'art. 71 a/b OAMal et Mediscore, *in* : Bulletin des médecins suisses 2013, p. 1680-1683
- SWISSMEDIC, Aide-mémoire sur l'autorisation d'utilisation et d'importation d'une préparation non autorisée en Suisse (« autorisation spéciale ») du 6 novembre 2013
- SWISSMEDIC, Commentaires sur l'autorisation simplifiée de médicaments contre les maladies mortelles (art. 18 à 22 OASMed) du 20 septembre 2006
- SWISSMEDIC, Instructions sur les autorisations de médicaments déjà autorisés à l'étranger (art. 13 LPT) du 22 juin 2010
- SWISSMEDIC, Rapport explicatif sur l'ordonnance de l'Institut suisse des produits thérapeutiques sur l'autorisation spéciale de médicaments (OASMed) de juin 2005
- TA-SWISS (édit.), Quelle valeur pour notre santé, publifocus « utilité et coûts des traitements médicaux », Berne 2012
- WIDMER STEPHANIE, Off-label-use in der Schweiz : heilmittelrechtliche Zulässigkeit und Kostenübernahme, *in* : Health Insurance Liability Law (HILL) 2013, Nr. 132
- WIDRIG DANIEL/TAG BRIGITTE, Kosten-Wirksamkeits-Analysen als Grundlage für nachhaltige Versorgungsentscheide ?, *in* : Bioethica Forum 2013, 6(2), p. 52-59 (cité : WIDRIG/TAG, Rechtliche Aspekte)
- WIDRIG DANIEL/TAG BRIGITTE, Rechtliche Aspekte des Kosten-/Nutzenbewertung in der Medizin, *in* : Health Insurance Liability Law (HILL) 2012, Nr.65 (cité : WIDRIG/TAG, nachhaltige Versorgungsentscheide)