

Le prix des médicaments

Considérations sur l'accès équitable aux nouveaux médicaments onéreux

Sommaire

1. Introduction	3
2. Problématique et contexte	4
3. Cadre juridique	7
3.1 Autorisation et prise en charge des médicaments	7
3.2 Critères EAE et prix des médicaments	7
3.3 Limitations	8
3.4 Prise en charge de médicaments dans des cas particuliers	9
3.5 Limites absolues à la prise en charge des coûts dans la LAMal ?	10
4. Un prix juste ? Une tension entre plusieurs justifications	12
5. Considérations éthiques : réponses aux questions de l'OFSP	14
6. Considérations finales	28
7. Recommandations	29
8. Bibliographie	31
9. Liste des abréviations	36

1. Introduction

La présente prise de position concerne l'accès équitable aux nouveaux médicaments, parfois extrêmement onéreux, qui ont été introduits sur le marché ces dernières années ou dont le développement est prévu pour les prochaines années. Elle trouve son origine dans un courrier que l'Office fédéral de la santé publique (OFSP) a adressé à la Commission nationale d'éthique dans le domaine de la médecine humaine (CNE), dans lequel il l'invite à se prononcer, du point de vue éthique, sur certaines questions complexes encore souvent éludées. Étant donné la hausse continue des primes d'assurance-maladie et la demande justifiée des patients de pouvoir accéder aussi rapidement que possible aux nouveaux médicaments, la pression politique quant à cette problématique est aujourd'hui considérable.

Comment peut-on et doit-on assurer un accès aussi équitable que possible aux médicaments très coûteux dans un contexte de ressources limitées ? Pour répondre à cette question, la CNE a procédé à une série d'auditions d'experts et de représentants de diverses organisations (Antonia Müller, chef de clinique avec responsabilité élargie en hématologie à l'Hôpital universitaire de Zurich ; Verena Nold, diplômée d'économie de l'Université de Saint-Gall (Mag. Oec. HSG), directrice de Santésuisse ; Jörg Indermitte, Dr en phil II, responsable de la section Admission des médicaments de l'OFSP ; Heiner Sandmeier, Dr en phil II, MPH, directeur adjoint d'Interpharma ; Daniel Widrig, expert en accès au marché pour Vifor Pharma) et a consulté la littérature pertinente. Bien entendu, cette question ne se pose pas uniquement en Suisse, mais dans tous les pays à salaires élevés. Les discussions se concentrent en général sur les bénéfices ou le rapport coût-efficacité des nouveaux médicaments, un aspect qui est notamment abordé dans les études d'évaluation des technologies de la santé (ETS, voir encadré p. 20). Si elle juge essentiel d'examiner de la façon la plus complète possible la valeur ajoutée des nouveaux médicaments et de tenir compte de cet aspect dans la

façon d'assurer un accès équitable à ces produits, la CNE souligne l'importance et la priorité d'autres principes éthiques, notamment le respect de la dignité humaine, ainsi que des principes du besoin médical, de l'efficacité et de la solidarité au sein de la société.

Après une présentation de la problématique et du contexte actuel (chap. 2), la prise de position expose diverses considérations sur le cadre juridique existant (chap. 3) et sur la possibilité de justifier, du point de vue éthique, le prix parfois extrêmement élevé des médicaments (chap. 4). Suivent des arguments et des évaluations concernant la façon de garantir un accès équitable aux nouveaux médicaments à prix élevé pour toutes les personnes ayant besoin d'un traitement en Suisse (chap. 5). La prise de position se conclut par des considérations finales (chap. 6) et par un certain nombre de recommandations à l'intention des instances et des décideurs politiques (chap. 7).

2. Problématique et contexte

Les considérations qui suivent cherchent à répondre, dans une perspective éthique, à un certain nombre de questions que l'OFSP a soumises à la CNE. Ces questions portent sur l'accès équitable aux médicaments parfois extrêmement onéreux qui sont disponibles depuis quelques années et qui remettent en cause les modes établis de fixation des prix et de financement. Dans ses considérations, la CNE fait principalement référence aux *nouveaux* médicaments *très onéreux*. Parmi les exemples, qui alimentent la controverse jusque dans les médias généralistes, l'on trouve des produits de thérapie génique comme le Zolgensma[®], utilisé contre l'amyotrophie spinale ; des thérapies cellulaires comme le médicament¹ Kymriah[®], utilisé contre la leucémie aiguë lymphoblastique ; des anticorps monoclonaux tels que l'Ocrevus[®], utilisé dans le traitement de la sclérose en plaques ; ou des médicaments comme le Sovaldi[®], le Harvoni[®] et l'Epclusa[®], administrés depuis plusieurs années comme inhibiteurs de la polymérase du virus de l'hépatite C (VHC).²

Des médicaments comme ceux qui viennent d'être mentionnés ne sont disponibles que depuis peu de temps, et leur prix élevé soulève des questions de justice portant notamment sur leur financement et leur accessibilité. S'il existe de bonnes raisons d'étendre les présentes considérations à l'ensemble du marché des médicaments et à la problématique de l'accessibilité et de l'utilité de *toutes* les substances actives à prix élevé – selon l'édition 2019 du rapport d'Helsana sur les médicaments, le médicament ayant entraîné les coûts les plus élevés en Suisse en 2018 était le

Humira[®], un antirhumatismal autorisé depuis 2003, dont la substance active est l'adalimumab (Schneider et al. 2019, 19), et qui est le médicament générant le chiffre d'affaires le plus important au monde (Feldges 2018) –, une telle perspective globale dépasserait le cadre de la présente prise de position. Le problème est identique en ce qui concerne le financement et l'accessibilité des génériques. Certes, le fait que certaines thérapies et certains médicaments soient établis depuis plusieurs années et que leur prix parfois élevé soit socialement accepté ne dit rien en soi de la façon dont nous devons évaluer éthiquement le mode de détermination du prix des médicaments et l'accès à ces derniers par le biais de la liste des spécialités (LS). Tenir compte de cette diversité de médicaments à prix élevé reviendrait toutefois à ne pas accorder suffisamment d'attention à la pression spécifique qui s'exerce aujourd'hui sur les responsables politiques et qui a conduit l'OFSP à poser ces questions. Les analyses de l'édition 2019 du rapport d'Helsana sur les médicaments viennent conforter ce choix. Malgré une baisse générale du prix des médicaments en Suisse en 2018 par rapport à l'année précédente, les dépenses totales en médicaments ont de nouveau augmenté au cours de l'année considérée. Selon les auteurs du rapport, cette évolution est principalement due au développement de nouveaux médicaments, en particulier des immunosuppresseurs et des anticancéreux (Ludwig et Schildmann 2015) : 22 nouvelles substances actives ont ainsi été lancées sur le marché suisse en 2018, surtout des anticancéreux et des immunosuppresseurs.³

1 Il ne s'agit pas, à proprement parler, d'un médicament, mais plutôt d'un procédé de thérapie génique qui a été breveté en tant que médicament et qui est traité comme tel.

2 Le texte cite les noms commerciaux courants plutôt que les substances actives, car celles-ci sont toujours plus compliquées et, par conséquent, de moins en moins utilisées dans les discussions publiques. Ces substances actives prennent, par exemple, le nom d'onasemnogene abeparvovec pour le Zolgensma[®], de tisagenlecleucel pour le Kymriah[®], d'ocrelizumab pour l'Ocrevus[®] ou de sofosbuvir pour le Sovaldi[®]. Les deux substances actives du Harvoni[®] sont le lédirasvir et le sofosbuvir, tandis que celles de l'Epclusa[®] sont le sofosbuvir et le velpatasvir.

3 Une part substantielle de l'augmentation des dépenses pour les immunosuppresseurs est imputable à *un seul* nouveau médicament, à savoir l'ocrelizumab, un principe actif utilisé dans le traitement de la sclérose en plaques (Schneider et al. 2019, 19 et 114). Le rapport tient compte de l'ensemble des prestations remboursées par Helsana dans le cadre de l'assurance obligatoire des soins pour les années 2015 à 2018. Les prestations stationnaires étant facturées de manière forfaitaire, les informations utilisées pour le rapport concernent en grande partie des prestations ambulatoires (achats de médicaments, interventions chirurgicales et examens diagnostiques).

Un autre phénomène qui exerce une influence toujours plus décisive sur l'évolution du marché des médicaments est la tendance vers la médecine personnalisée (voir encadré). Celle dernière accroît souvent la demande soit pour des médicaments *entièrement nouveaux*, pour lesquels il n'existe pas encore suffisamment de données probantes, soit pour des combinaisons de médicaments dans le cadre d'une utilisation ne correspondant pas à l'indication autorisée (*off-label use*).

Dans ce dernier cas, les assureurs-maladie n'acceptent de couvrir le coût des médicaments que sur la base d'une garantie individuelle de prise en charge. La CNE considère que ce dispositif des garanties *individuelles* de prise en charge, qui prend toujours plus d'importance dans la pratique clinique quotidienne et qui ne sera pas discuté en détail ici, n'est pas satisfaisant : d'une part, les efforts des médecins pour obtenir des garanties de prise en charge dans des cas particuliers absorbent un temps précieux qui pourrait être consacré au traitement des patients ; d'autre part, les critères de décision appliqués par les médecins-conseils manquent de transparence et s'avèrent souvent insatisfaisants ; vu de l'extérieur, ces critères ne sont

pas ou ne sont que partiellement compréhensibles. Malgré l'importance qu'ils ont prise, en particulier en oncologie, il existe à ce jour peu de connaissances fiables en Suisse sur l'accessibilité réelle des thérapies et des médicaments, pour la plupart très chers, utilisés pour une autre indication que celle prévue par l'autorisation de mise sur le marché. Cette réalité devrait pourtant encore gagner en importance à moyen et à long terme, et remettre en cause une grande partie des procédures mises en place depuis des années en Suisse pour l'évaluation, la reconnaissance et le financement public des nouveaux médicaments. La prise en compte de cette évolution supposera d'adapter les procédures et les méthodes de fixation des prix ou d'en développer de totalement nouvelles. La forme que pourraient prendre de telles procédures n'entre pas dans le cadre des considérations de la CNE dans la présente prise de position. Un élément incontestable sur le plan éthique est toutefois que, quelle que soit la forme prise par les procédures d'évaluation pour la reconnaissance de nouveaux médicaments ou combinaisons de médicaments, l'accès aux nouvelles thérapies et aux nouveaux médicaments doit être aussi équitable que possible, même lorsque leur utilisation ne correspond pas à l'indication prévue.

Médecine personnalisée ou médecine de précision

Lorsqu'une personne tombe malade, elle présente souvent certains symptômes qui, comme la fièvre ou des douleurs, sont similaires à ceux de nombreux autres malades. Dans le même temps, elle a aussi un tableau clinique qui lui est propre et qui est défini par des profils cliniques et moléculaires (valeurs de laboratoire, séquence génétique, p. ex.). La médecine personnalisée ou de précision considère que les mesures médicales, y compris les médicaments, sont plus efficaces lorsqu'elles ne s'appliquent pas de manière identique à tous les patients, mais sont adaptées au profil individuel de chaque malade. Des données génétiques, mais aussi une multitude d'autres données concernant le patient sont prises en compte de façon à déterminer ce profil individuel et à y répondre en utilisant des médicaments ou des combinaisons de médicaments spécifiques. Un objectif important est d'individualiser les traitements médicamenteux et de les adapter aux besoins de chaque patient ou petit groupe de patients. Le succès de cette démarche conduira à une stratification croissante des groupes de patients. En d'autres termes, une même thérapie ne sera plus conçue pour une grande catégorie de patients (l'ensemble des personnes atteintes d'une tumeur au cerveau, p. ex.) ; à l'inverse, chaque personne bénéficiera d'une thérapie adaptée au mieux à sa situation spécifique (ASSM 2019).

Il s'agit, en d'autres termes, d'éviter l'arbitraire : les décisions doivent s'appuyer sur des connaissances spécialisées et être aussi transparentes, cohérentes et égales que possible pour l'ensemble des personnes ayant besoin d'un traitement. Ces dernières devraient en outre avoir la possibilité de faire appel des décisions les concernant.

À la différence des problèmes d'approvisionnement provoqués par la pandémie de coronavirus, où l'on constate une pénurie aiguë de ventilateurs et de personnel spécialisé dans les unités de soins intensifs, ce qui, dans des cas extrêmes, peut conduire à un triage⁴ (Gerny 2020 ; Lübke 2006) tel qu'on le connaît dans la médecine de catastrophe (Emanuel et al. 2020 ; ASSM 2020a), les questions que pose l'accès équitable aux nouveaux médicaments coûteux sont traitées dans le contexte d'un approvisionnement en soins de haute qualité et accessibles à chacun. Ce qui est en jeu dans ce contexte n'est souvent pas une question de vie ou de mort, mais plutôt l'amélioration de la qualité de vie des personnes concernées. En outre, la rareté des ressources disponibles est généralement relative, car elle est due à des décisions politiques et non à une pénurie absolue, comme c'est le cas dans une situation de catastrophe ou dans le contexte de la médecine de transplantation (Ubel 2000).

L'accès aux soins de santé en Suisse est actuellement de haut niveau et fondamentalement garanti : la prospérité, la législation sociale, l'assurance-maladie obligatoire, l'importance de l'industrie pharmaceutique pour l'économie suisse, le niveau de développement de la science et de la recherche médicales et la stabilité politique ont rendu possible ces dernières années une offre de soins de haute qualité. Il n'en demeure pas moins que tout système de santé développé se caractérise, en pratique, par une coexistence de sura-

bondance et de pénurie (Bisig et Gutzwiller 2004). Le système de santé en Suisse ne fait pas exception à la règle et connaît, lui aussi, son lot de gaspillage et de rationnement de prestations utiles.⁵

Selon la CNE, deux thématiques doivent retenir particulièrement l'attention dans les discussions éthiques sur la justice distributive et l'accès équitable aux nouveaux médicaments à prix élevé. La première concerne les *questions de procédure* qui sont censées assurer la légitimation éthique des décisions relatives à l'accès aux nouveaux médicaments et qui doivent tenir compte de la diversité des intérêts, parfois contradictoires, en présence. La seconde concerne les efforts visant à donner un contenu adéquat et objectif aux *critères d'efficacité, d'adéquation et d'économicité* (EAE) des mesures médicales, des critères qui sont bien établis sur le plan juridique et peu controversés du point de vue éthique, mais dont l'interprétation et la concrétisation dans les situations individuelles sont souvent matière à débat (art. 32 LAMal).

4 La signification du terme « triage » dans les situations de catastrophe vient de la répartition des personnes nécessitant un traitement en trois groupes, les ressources limitées n'étant utilisées à court terme que pour traiter les personnes attribuées au groupe intermédiaire. Le premier groupe est celui des personnes dont on pense qu'elles vont mourir, même si on utilise tous les moyens médicaux disponibles, et qui ne sont pas traitées. Le deuxième groupe est celui des personnes dont la vie ne peut être sauvée qu'en utilisant les ressources disponibles et qui bénéficient d'un traitement prioritaire. Le troisième groupe est celui des personnes qui survivront à court terme, même en l'absence d'intervention médicale, et qui ne sont pas traitées dans l'immédiat.

5 L'association *Smarter Medicine - Choosing Wisely Switzerland* a été créée en 2017. Elle a pour but de sensibiliser les médecins, les membres d'autres professions de la santé, la population ainsi que tous les autres acteurs du système de santé et de la politique, à la thématique des soins excessifs ou insuffisants ainsi que des traitements inadéquats et contreproductifs, et de leur présenter des solutions pour y remédier.

3. Cadre juridique

3.1 Autorisation et prise en charge des médicaments

Pour pouvoir être mis sur le marché en Suisse, un médicament fabriqué par l'industrie pharmaceutique doit obtenir une *autorisation de mise sur le marché de la part de l'Institut suisse des produits thérapeutiques (Swissmedic)*. Les conditions de cette autorisation sanitaire sont réglées dans la loi sur les produits thérapeutiques (LPTh)⁶. Celle-ci prévoit notamment qu'un médicament doit être de qualité, sûr et efficace (art. 10, al. 1, let. a, LPTh). L'autorisation d'un médicament porte uniquement sur certaines indications, qui sont énumérées dans les informations destinées aux professionnels telles qu'elles sont approuvées par Swissmedic dans sa décision.

La procédure d'autorisation de mise sur le marché de médicaments sert à protéger la santé de l'être humain. La Confédération remplit ainsi, dans le domaine des médicaments, son devoir de prendre les mesures nécessaires pour réaliser les droits fondamentaux à la vie et à la protection de l'intégrité (art. 10 Cst.⁷). L'autorisation de mise sur le marché doit être distinguée de la *prise en charge des médicaments* par l'assurance obligatoire des soins (AOS). Cette prise en charge répond à l'objectif constitutionnel de garantir à chacun l'accès à des soins médicaux de base suffisants et de qualité (art. 117a, al. 1, Cst.). Elle correspond à une tâche de politique sociale.

En principe, un médicament ne peut être pris en charge par l'AOS que s'il a été préalablement admis dans la LS⁸. C'est l'OFSP qui, sur demande du titulaire

de l'autorisation de mise sur le marché et après avoir obtenu l'expertise de la Commission fédérale des médicaments, décide de cette admission (art. 52, al. 1, let. b, LAMal⁹ et art. 37e OAMal¹⁰). Un médicament ne peut être admis dans la LS que pour l'indication autorisée par Swissmedic (art. 65, al. 1, et 71a OAMal). Lors de l'admission, l'OFSP fixe également le prix maximal du médicament qui sera pris en charge par l'AOS. Il ne s'agit donc pas de prix du marché, mais de prix administrés par l'État.

Tous les trois ans, l'OFSP examine si les médicaments figurant dans la LS remplissent encore les conditions d'admission (art. 65d, al. 1, OAMal).

3.2 Critères EAE et prix des médicaments

Les *critères d'efficacité, d'adéquation et d'économie* (critères EAE), qui s'appliquent à l'ensemble de la législation sur les prestations de l'AOS, sont déterminants pour l'admission d'un médicament dans la LS (art. 32 LAMal et art. 65, al. 3, OAMal). Selon la jurisprudence du Tribunal fédéral, une prestation médicale est considérée comme *efficace* lorsqu'on peut objectivement en attendre le bénéfice recherché du point de vue du diagnostic, du traitement ou des soins¹¹. Alors que l'*efficacité* correspond à la capacité à atteindre l'objectif thérapeutique (succès médical), l'*adéquation* désigne le rapport bénéfice-risque d'un médicament. Autrement dit, l'adéquation d'un traitement médical s'apprécie en fonction des bénéfices diagnostiques ou thérapeutiques de l'application dans le cas particulier, en tenant compte des risques qui

6 Loi fédérale du 15.12.2000 sur les produits thérapeutiques (LPTh ; RS 812.21)

7 Constitution fédérale de la Confédération suisse du 18.4.1999 (Cst. ; RS 101)

8 La liste des spécialités est publiée sur Internet : www.listedesspecialites.ch.

9 Loi fédérale du 18.3.1994 sur l'assurance-maladie (LAMal ; RS 832.10)

10 Ordonnance du 27.6.1995 sur l'assurance-maladie (OAMal ; RS 832.102)

11 ATF 133 V 115 consid. 3.1

y sont associés¹². Outre les effets secondaires liés à un médicament, le danger d'un usage abusif est également important (art. 33, al. 1, OPAS¹³). L'admission d'un médicament dans la liste des spécialités doit être refusée en cas de déséquilibre entre les bénéfices et les risques. Les critères d'efficacité et d'adéquation correspondent donc à l'indication médicale, qui doit être démontrée selon des méthodes scientifiques (*evidence-based*). À l'inverse, le critère d'*economicité* concerne le rapport coût-bénéfice d'un médicament. De manière générale, un médicament « est réputé économique lorsqu'il produit l'effet thérapeutique recherché à un coût aussi réduit que possible » (art. 65b, al. 1, OAMal).

Le caractère économique d'un médicament dépend ainsi du rapport entre son bénéfice médical et son prix. Le Conseil fédéral a opérationnalisé l'évaluation du caractère économique des médicaments dans l'OAMal sous la forme d'une double comparaison : la comparaison avec les prix pratiqués à l'étranger et la comparaison thérapeutique (art. 65b, al. 2, OAMal). La *comparaison avec les prix pratiqués à l'étranger* repose sur une comparaison avec les prix de fabrication du médicament en question dans les pays de référence désignés par le DFI.¹⁴ La *comparaison thérapeutique* examine, quant à elle, l'efficacité et le coût du médicament par rapport à d'autres médicaments utilisés pour traiter la même maladie (art. 65b, al. 4^{bis}, OA-Mal). L'OFSP tient compte, chacun pour moitié, du prix moyen pratiqué dans les pays de référence tel que déterminé par la comparaison avec les prix pratiqués à l'étranger et du prix moyen d'autres médicaments tel que déterminé par la comparaison thérapeutique (art. 65b, al. 5, OAMal).

Pour évaluer le caractère économique des préparations originales, l'OFSP tient compte non seulement de la comparaison avec les prix pratiqués à l'étranger et de la comparaison thérapeutique, mais aussi des

coûts de recherche et de développement, pour autant que la préparation apporte un progrès thérapeutique (art. 65b, al. 6, OAMal). Si tel est le cas, une *prime à l'innovation* est prise en compte pendant quinze ans au plus dans le cadre de la comparaison thérapeutique (art. 65b, al. 7, OAMal).

3.3 Limitations

L'OFSP peut assortir de limitations l'admission d'un médicament dans la LS (art. 73 OAMal). L'AOS prendra alors en charge le médicament uniquement dans les limites fixées. Les limitations peuvent porter sur le champ d'application du médicament (indications médicales), sur la quantité maximale ou la posologie, sur la durée de la thérapie, sur l'ordre dans lequel le médicament doit être remis, sur les titres de spécialiste requis pour la remise ou sur le contrôle préalable des critères EAE par le médecin-conseil. De telles limitations sont des instruments qui visent à garantir l'efficacité et l'adéquation d'une thérapie ou à favoriser une utilisation au meilleur coût du médicament. Elles sont donc directement *liées aux critères EAE*.

Ces dernières années, l'OFSP a aussi utilisé l'instrument des limitations pour éviter, dans le cas des médicaments onéreux, des *effets trop pesants sur les coûts globaux de l'AOS*. Or, le fait d'imposer ainsi des limitations dans un objectif économique de maîtrise des coûts peut conduire de facto au rationnement d'une prestation médicale. C'est le cas, par exemple, lorsque des limitations restreignent, pour des raisons de coût, la prise en charge d'un médicament au traitement d'une maladie à un niveau de gravité élevé, quand bien même le médicament serait efficace et approprié pour des degrés de gravité moindres. De telles limitations ont notamment été imposées dans un premier temps aux médicaments très efficaces contre le virus de l'hépatite C (Blach et al. 2019 ; Hépatite Suisse 2019).

12 ATF 127 V 138 consid. 5 ; 130 V 299 consid. 6.1

13 Ordonnance du 29.9.1995 sur les prestations de l'assurance des soins (OPAS ; RS 832.112.31)

14 Il s'agit de l'Allemagne, du Danemark, de la Grande-Bretagne, des Pays-Bas, de la France, de l'Autriche, de la Belgique, de la Finlande et de la Suède (art. 34^a^{bis}, al. 1, OPAS). Si cette réglementation est importante et doit être saluée, il est en pratique toujours plus difficile, faute de transparence suffisante, d'obtenir les données pertinentes concernant ces procédures.

Pour déterminer si les limitations qui interdisent à certains groupes de patients de bénéficier de thérapies efficaces et appropriées sont juridiquement défendables, il convient de les évaluer au regard des principes constitutionnels d'*égalité devant la loi* et de *proportionnalité* (art. 5, al. 1 et 2, Cst.). Du point de vue de la proportionnalité, la question est notamment de savoir si les limitations définies en fonction du degré de gravité d'une maladie contribuent effectivement à l'objectif de maîtrise des coûts à long terme ou si elles produisent l'effet contraire, surtout si l'on tient compte du coût d'une absence de traitement (Rütsche et Wildi 2016, 210). Du point de vue de l'*égalité devant la loi* et de l'*interdiction de discrimination* (art. 8 Cst.), il faut vérifier que les distinctions entre groupes de patients qu'instaure une limitation sont objectivement justifiées et qu'elles ne revêtent pas un caractère discriminatoire, par exemple lié à l'origine, au sexe, à l'âge ou à la position sociale des patients.

3.4 Prise en charge de médicaments dans des cas particuliers

La LS a un caractère exhaustif et contraignant. Les médicaments qui n'y figurent pas ne peuvent en principe pas être pris en charge par l'AOS.¹⁵ Dans certaines situations, ce refus de prise en charge peut néanmoins s'avérer d'une *rigueur excessive* vis-à-vis des patients. On pensera en particulier à l'usage de médicaments pour des maladies si rares qu'il n'est pas intéressant pour les fabricants de soumettre les indications correspondantes à la procédure d'autorisation de mise sur le marché (maladies orphelines).¹⁶ Afin de tenir compte de tels cas de rigueur, le Conseil fédéral, conformément à la jurisprudence du Tribunal fédéral, a fixé des critères permettant de prendre exceptionnellement en charge des médicaments ne figurant pas sur la LS. Depuis une modification de l'ordonnance du 2 février 2011, les règles relatives à la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers sont prévues aux art. 71a à 71d OAMal. Elles concernent les catégories suivantes :

- prise en charge des coûts d'un médicament admis dans la LS et utilisé pour d'autres indications que celles autorisées dans l'information professionnelle (*off-label use*) ;
- prise en charge des coûts d'un médicament admis dans la LS et utilisé pour d'autres indications que celles prévues par la limitation (*off-limitation use*) ;
- prise en charge des coûts d'un médicament prêt à l'emploi autorisé par Swissmedic qui ne figure pas sur la liste des spécialités, qu'il soit utilisé pour les indications mentionnées sur la notice ou en dehors de celles-ci (hors liste) ;
- prise en charge des coûts d'un médicament prêt à l'emploi non autorisé par Swissmedic, mais qui peut être importé en vertu de la loi sur les produits thérapeutiques et qui est autorisé pour l'indication correspondante par un État ayant institué un système équivalent d'autorisation de mise sur le marché reconnu par Swissmedic (*unlicensed use*).

Au moins l'une des conditions suivantes doit être remplie pour qu'un médicament soit pris en charge dans un cas particulier (art. 71a, al. 1, OAMal) : l'usage du médicament constitue un préalable indispensable à la réalisation d'une autre prestation prise en charge par l'AOS et largement prédominante (ce que l'on appelle un *complexe thérapeutique*), ou l'usage du médicament 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, faute d'alternative thérapeutique, il n'existe pas d'autre traitement efficace autorisé.

La prise en charge d'un médicament dans un cas particulier n'est possible que si l'assureur a donné une *garantie* spéciale après avoir consulté le médecin-conseil (art. 71d, al. 1, OAMal). Le rapport entre le montant pris en charge et le bénéfice thérapeutique doit être approprié (art. 71d, al. 2, OAMal). Ce montant doit être déterminé par l'assureur après avoir consulté le titulaire de l'autorisation, c'est-à-dire l'entreprise pharmaceutique (art. 71a, al. 2, et 71b, al. 2, OAMal),

15 ATF 131 V 349 consid. 2.2 ; 139 V 375 consid. 4.2

16 ATF 136 V 395 consid. 5.2

et il doit être inférieur au prix maximum figurant dans la LS (art. 71a, al. 2, OAMal).

3.5 Limites absolues à la prise en charge des coûts dans la LAMal ?

Une question pertinente dans la perspective de l'accèsibilité des médicaments à prix élevé est de savoir si des limites absolues à la prise en charge de certaines prestations, qu'elles soient exprimées en termes de coût total ou de coût pour le traitement d'un même patient, sont compatibles avec la législation actuelle sur l'assurance-maladie. Le Tribunal fédéral s'est penché à plusieurs reprises sur cette question. Trois arrêts rendus en 2010, 2016 et 2019 sont particulièrement importants à cet égard.

Dans l'arrêt « *Myozyme I* »¹⁷ de 2010, le Tribunal fédéral était amené à évaluer si le refus de prendre en charge dans un cas particulier une thérapie très coûteuse pour une maladie rare ne correspondant pas à l'indication prévue était licite. L'affaire concernait la maladie de Pompe, un trouble métabolique d'origine génétique qui se caractérise par une dégénérescence musculaire et une détérioration de la fonction pulmonaire potentiellement fatale. Le médicament contesté, le Myozyme®, ne figurait pas dans la LS à cette époque, et aucun autre médicament ne permettait de traiter cette maladie. La poursuite du traitement par Myozyme® aurait entraîné des coûts de l'ordre de 500 000 francs par an. Le Tribunal fédéral a fondé son évaluation de la prise en charge de ces coûts sur le principe constitutionnel de proportionnalité. Il a estimé que l'obligation de prise en charge par l'AOS devait être refusée en cas de déséquilibre flagrant entre les coûts et les bénéfices d'un médicament dans un

cas concret.¹⁸ Le principe de proportionnalité doit s'appliquer de la même manière à tous les assurés, de sorte que des prestations ne peuvent être fournies à un assuré particulier que dans la mesure où elles pourraient être généralisées à l'ensemble des autres personnes dans une situation comparable. Fournir des prestations qui ne peuvent pas être généralisées serait contraire au principe d'égalité devant la loi.¹⁹ Sur la base de ces principes, le Tribunal fédéral a jugé que, quand bien même le bénéfice thérapeutique élevé du Myozyme® aurait été prouvé dans le cas d'espèce, l'obligation de prise en charge devait être niée pour des raisons d'économie, c'est-à-dire faute de rapport approprié entre les coûts et les bénéfices.²⁰

La prise en charge du même médicament a à nouveau été discutée dans l'arrêt « *Myozyme II* »²¹ de 2016. Le coût du traitement par Myozyme® était alors estimé à environ 370 000 francs pour une durée de onze mois. La situation juridique avait changé de manière décisive depuis l'arrêt « *Myozyme I* » de 2010, car l'OFSP avait admis le médicament dans la LS à partir du 1^{er} novembre 2011²², avec des limitations restrictives et une forte réduction du prix. Le Tribunal fédéral a considéré que l'admission d'un médicament dans la LS atteste non seulement de son efficacité et de son adéquation, mais aussi de son caractère économique.²³ Il a jugé qu'il n'a, dans ces conditions, pas la compétence de procéder à l'examen du caractère économique dans un cas particulier.²⁴ Il en découle que l'examen du caractère économique effectué par l'OFSP en vertu de la loi est déterminant, même lorsque les limites de coût mentionnées par le Tribunal fédéral dans l'arrêt « *Myozyme I* » sont dépassées, et que l'OFSP n'est donc pas tenu de respecter ces limites.

17 ATF 136 V 395

18 ATF 136 V 395 consid. 7.4

19 ATF 136 V 395 consid. 7.7

20 ATF 136 V 395 consid. 7.8

21 ATF 142 V 478

22 ATF 142 V 478 consid. 6.3

23 ATF 142 V 478 consid. 6.2

24 ATF 142 V 478 consid. 6.4

L'arrêt « *opération du genou* »²⁵ de 2019 portait sur les faits suivants : la pose d'une prothèse partielle de genou chez un patient de 71 ans avait provoqué de graves complications, dont le traitement avait entraîné des séjours hospitaliers pour un total de 421 jours et une facture de 2 410 744,45 francs. L'assureur-maladie refusait de prendre en charge la totalité de sa part des coûts. Le Tribunal fédéral a souligné que l'évaluation du caractère économique des thérapies revêt un caractère comparatif. Lorsque plusieurs options diagnostiques ou thérapeutiques appropriées sont disponibles dans un cas individuel, le rapport entre les coûts et les bénéfices de chacune de ces options doit être pris en compte. À l'inverse, lorsqu'il n'existe qu'une seule possibilité de traitement et qu'aucune autre option n'est disponible, la question du caractère économique ne se pose pas.²⁶ Le Tribunal fédéral a affirmé n'avoir jamais fixé de limite absolue à la prise en charge des coûts par l'AOS et n'avoir jamais considéré la méthode QALY comme déterminante à cet égard²⁷ (pour des explications sur la méthode QALY, voir l'encadré p. 15). L'un des objectifs principaux de la LAMal était « la suppression de toute limite de la durée de prise en charge des prestations en cas d'hospitalisation »²⁸. Aucune base légale ne permet de justifier, au nom du principe de proportionnalité, un rationnement des soins au sens d'un refus par l'AOS, dans un souci de maîtrise des coûts, de prendre en charge certaines prestations médicales nécessaires.²⁹ Cela revient aussi à souligner qu'il appartient au législateur de décider si une limite maximale à la prise en charge des coûts doit s'appliquer dans l'AOS (Gächter 2019, 212 s.). Ce constat ne dispense toutefois pas l'OFSP d'examiner, lors de l'admission des médicaments dans la LS, si ceux-ci sont économiques, c'est-à-dire s'ils produisent l'effet thérapeutique recherché à un coût aussi réduit que possible. L'OFSP doit évaluer le caractère économique des médicaments en procédant à la comparaison avec les prix pratiqués à l'étranger

et à la comparaison thérapeutique (art. 65b OAMal). Cet examen peut conduire à ce qu'un médicament dont le prix est comparativement élevé ne soit pas admis dans la LS, ou seulement assorti de limitations, quand bien même son efficacité et son adéquation ont par ailleurs été établies. Étant donné l'importance primordiale de la LS pour garantir un accès équitable aux médicaments, il serait toutefois souhaitable, du point de vue constitutionnel, de renforcer la légitimité démocratique des critères qui jouent un rôle essentiel dans l'admission dans cette liste en les inscrivant dans la loi.

25 ATF 145 V 116

26 ATF 145 V 116 consid. 3.2.3

27 ATF 145 V 116 consid. 5.4

28 ATF 145 V 116 consid. 6.

29 ATF 145 V 116 consid. 6.3. Sur la nécessité d'une base légale pour des mesures de rationnement, voir Rüttsche 2018, 126 ss.

4. Un prix juste ? Une tension entre plusieurs justifications

Les discussions concernant l'allocation des ressources dans la santé partent souvent du principe que le prix des médicaments, des dispositifs médicaux et des interventions fait simplement partie des éléments de départ de la situation. En réalité, pourtant, la justification des prix fait l'objet de discussions politiques parfois tendues et de récits rivaux quant à la genèse de ces prix. La question de ce qui rend un prix juste, équitable, est une question à la fois éthique et politique, sous-tendue par des questions concernant la justice elle-même et ce qui fait qu'un prix est, en tant que tel, juste.

La justification du prix des biens et des services a une longue histoire qui précède de beaucoup l'existence du marché des médicaments. On trouve plusieurs justifications des prix dans la littérature.

La première est fondée sur la valeur du travail. Nous créons de la valeur par notre travail et justifions une rémunération pour cette valeur ajoutée. Les coûts de production (qui doivent inclure les coûts de recherche, de développement et de mise sur le marché) constituent une première justification du prix d'un médicament. Des discussions intenses ont donc lieu pour déterminer ces coûts (Light et Warburton 2011).

La deuxième est fondée sur le marché. Ici, l'attente est qu'un prix ajusté par l'offre et la demande dans un marché compétitif permette d'optimiser la quantité du produit sur le marché, et donc les effets bénéfiques résultant de ce produit. Sous l'angle éthique, faire le plus de bien possible est une des bases possibles d'une distribution juste. On doit cependant s'attendre à ce qu'elle soit en tension avec d'autres principes de justice tels qu'une distribution égale, la priorité aux moins bien lotis ou un seuil décent pour tous (Daniels 1994). De plus, le marché des médicaments ne remplit que rarement les conditions d'un marché suffisamment

idéal pour garantir une telle optimisation. Un nombre important de médicaments font l'objet de monopoles. Les malades n'ont souvent pas le choix d'acheter ou non le produit, et ne le choisissent de toute manière pas eux-mêmes. Le nombre de défaillances du marché est important dans ce domaine.

Ce modèle suppose également que le prix reflète dans ce système la valeur du produit, qui correspond au prix que le client est disposé à payer. La valeur du produit, cependant, n'est que très imparfaitement représentée par la propension à payer (*willingness to pay*). La valeur du produit peut évidemment aussi être mesurée de diverses autres manières, et constitue la troisième justification du prix. On trouve ici l'idée que la valeur ajoutée d'un médicament en termes de santé, ses effets, est la justification principale de son prix (ICER 2020).

Dans la mesure où certains médicaments répondent à un besoin vital, on trouve aussi dans la littérature des justifications des prix fondées sur leur capacité à rendre le médicament accessible aux patients qui en ont besoin.

Un prix juste est nécessaire pour éviter que la transaction ne soit une source d'exploitation. Matt Zwolinski et Alan Wertheimer (2017) rappellent que le problème de l'exploitation n'est pas qu'elle est dommageable. Elle peut l'être, mais elle ne l'est pas nécessairement : une transaction qui exploite l'un des partenaires peut aussi améliorer son sort. Elle peut même être consentie, de sorte que l'absence de coercition ne signale pas non plus une absence d'exploitation. L'exploitation est fondamentalement une question de justice distributive. Une personne en exploite une autre si leur échange lui octroie une part injuste des bénéfices par rapport aux fardeaux de l'échange, si elle profite de la position de faiblesse de son partenaire pour

obtenir un échange inéquitable à son avantage. Par conséquent, le fait que les clients acceptent le prix d'un médicament n'est clairement pas une garantie contre l'exploitation. Le fait que les utilisateurs soient aidés par ce médicament ne l'est pas non plus. La justification du prix par le consentement des clients est donc insuffisante pour montrer l'absence d'exploitation. En revanche, cette compréhension de l'exploitation permet de proposer une justification différente du prix. Dans les faits, une transaction fondée sur l'exploitation sera acceptée si les partenaires n'ont pas le même pouvoir de négociation, si l'un des partenaires est dans une position telle qu'il lui est possible de profiter de la faiblesse de l'autre. En théorie, donc, une transaction consentie entre des partenaires dont le pouvoir serait égal ne pourrait pas être source d'exploitation. On peut dès lors affirmer qu'un prix est justifié s'il est celui qui *aurait résulté* d'un consentement mutuel dans une situation fictive où les partenaires auraient eu le même pouvoir de négociation (Wertheimer 1996).

Sur la base de ce qui précède, nous ne devons pas nous attendre à ce qu'un prix juste émerge des processus du marché. Les prix négociés par des partenaires au pouvoir inégal ne peuvent pas non plus constituer un paramètre suffisant sur lequel fonder une idée de ce que devrait être un prix juste. En revanche, définir comment justifier un prix juste demeure un exercice difficile. Qu'est-on en droit d'attendre d'un prix ? Il doit permettre l'accès aux médicaments, tout du moins aux médicaments essentiels. Il doit couvrir les coûts de développement, de production et de mise sur le marché. Il doit récompenser l'innovation, la valeur ajoutée par le producteur et lui fournir un motif de prendre un risque. Il doit refléter la valeur attachée au produit. Il doit être le résultat d'un processus intelligible et raisonnable, fondé sur des justifications acceptables pour des personnes « disposées à trouver des arrangements coopératifs mutuellement justifiables » (Daniels 2000, 1301). Les tensions entre ces différents paramètres constituent une partie de la difficulté du débat.³⁰

30 Pour illustrer cette difficulté, on peut mentionner le cas du Remdesivir®, qui fait l'objet d'essais cliniques depuis février 2020 pour le traitement du *Covid-19* et qui est le premier médicament autorisé pour lutter contre cette maladie. Un coût total de 2340 dollars par patient a déjà été fixé pour les assurances publiques sur le marché américain, sans que l'on sache clairement sur quelle base il l'a été (<https://www.aerzteblatt.de/nachrichten/114280/Hersteller-nennt-Preise-fuer-Remdesivir-in-den-USA> (consulté le 9.7.2020)).

5. Considérations éthiques : réponses aux questions de l'OFSP

Questions de l'OFSP à la CNE (extrait d'une lettre de Pascal Strupler du 23 décembre 2019)

« En ce qui concerne les médicaments, les questions concrètes suivantes se posent :

1. Est-il légitime du point de vue éthique de fixer des limites concernant les médicaments (p. ex. des limites financières ou fondées sur certains groupes de patients, sur l'âge, le pronostic, le bénéfice thérapeutique) ?
2. Qui fixe ces limites et quels sont les aspects éthiques particulièrement importants pour la discussion concernant leur définition ?
3. Est-il justifiable du point de vue éthique que le traitement d'une seule personne génère des coûts très élevés pour la société ?
4. Est-il justifiable de restreindre le droit d'un individu à une thérapie efficace au profit de la collectivité ?
5. Est-il justifiable du point de vue éthique en Suisse de décider, pour des raisons économiques, de refuser la prise en charge d'un médicament dont l'efficacité est prouvée ou de la réserver à certains groupes de patients, par exemple ceux qui en tirent le plus grand bénéfice ? L'absence d'autres options thérapeutiques raisonnables modifie-t-elle la réponse à cette question ? »

Question 1 : Est-il légitime du point de vue éthique de fixer des limites concernant les médicaments (p. ex. des limites financières ou fondées sur certains groupes de patients, sur l'âge, le pronostic, le bénéfice thérapeutique) ?

Comme l'indique clairement la formulation de la deuxième question (« Qui fixe ces limites ? »), il est indispensable de fixer des limites dans le domaine des soins. Il n'existe pas de système de santé dont les ressources soient illimitées et qui ne soit pas confronté à certaines limites. Cela vaut tant de manière générale qu'en ce qui concerne la question des médicaments. L'élément déterminant du point de vue éthique n'est donc pas de savoir si de telles limites sont (ou peuvent être) tracées, mais si elles le sont de manière équitable ou inéquitable, juste ou injuste (Daniels et Sabin

2002 ; Hurst et Danis 2007 ; Marckmann 2010 ; Zimmermann-Acklin 2011 et 2013). Le fait que l'efficacité, l'adéquation et le caractère économique des thérapies ou des médicaments jouent un rôle important lors de la définition de ces limites est inscrit dans la législation actuelle et très largement incontesté sur le plan éthique, même si l'interprétation de ces critères et les compléments qu'il convient éventuellement de leur apporter sont matière à débat. La question de savoir dans quelle mesure la définition des limites devrait ou pourrait également tenir compte de la maximisation de l'utilité collective, c'est-à-dire de l'utilité rapportée à certains groupes sociaux, fait l'objet d'appréciations divergentes selon la perspective éthique retenue. Si l'impératif de tirer des maigres ressources disponibles le plus grand bénéfice possible pour la santé représente pour certains un principe éthique à part entière

(Marckmann 2009), d'autres refusent, au nom du droit à l'égalité de traitement fondé sur la dignité humaine, toute prise en compte de la maximisation de l'utilité (Lübbe 2011 ; Klonschinski 2016).

Dès lors que l'attention ne porte non pas sur un patient individuel, avec ses droits et ses devoirs, mais, comme l'implique la question posée, sur certains groupes de patients ou certains groupes d'âge, l'idée de maximisation de l'utilité collective, c'est-à-dire la recherche de la plus grande utilité possible pour le plus grand nombre possible de personnes concernées, entre en ligne de compte. Cependant, la décision d'affecter les ressources disponibles (finances, médicaments, personnel soignant, etc.) là où elles permettent d'obtenir le plus grand bénéfice possible pour la santé du plus grand nombre peut conduire à refuser à certaines personnes le droit au meilleur traitement possible, en l'occurrence les personnes pour lesquelles, par exemple parce qu'elles sont très âgées ou en fin de vie, il n'est pas possible d'obtenir une utilité significative, du moins en comparaison avec l'utilité que les mêmes ressources permettraient d'obtenir pour d'autres groupes. L'instrument des QALY, qui est fréquemment utilisé en économie de la santé et

qui repose sur le calcul des années de vie pondérées par leur qualité, vise à pouvoir disposer d'une unité de mesure transversale permettant de comparer l'utilité entre différents domaines d'application.

Hormis la question délicate de savoir comment la qualité de la vie est précisément déterminée dans ce modèle, il est certain que le principe de maximisation de l'utilité va à l'encontre de l'idée qui veut que toute personne, en vertu de sa dignité, a droit à un traitement médical indépendamment de l'utilité qui peut en résulter. La décision d'allouer les ressources disponibles de manière à apporter le plus grand bénéfice possible à la société en matière de santé conduirait à sacrifier les intérêts de certaines personnes qui ont besoin d'un traitement, mais pour lesquelles ce dernier ne serait que d'une utilité limitée : les personnes âgées, les personnes en fin de vie ou en situation de handicap ou celles souffrant de maladies chroniques, par exemple. Une position justifiable du point de vue éthique, telle que celle formulée ci-dessous, considère la maximisation de l'utilité comme un simple critère à prendre en considération à côté d'autres principes de niveau supérieur.

QALY

Les années de vie pondérées par la qualité (quality-adjusted life years) sont une variable d'économie de la santé qui permet de quantifier l'utilité d'une mesure médicale par rapport à la fois au nombre d'années de vie qu'elle fait gagner et à la qualité de cette vie. Pour tenir compte de ce dernier aspect, chaque année de vie supplémentaire est pondérée par un nombre compris entre 0 (mort) et 1 (parfaite santé). Ainsi, guérir un jeune patient infecté par le virus de l'hépatite C et par ailleurs en parfaite santé en lui administrant du sofosbuvir rend possible le gain de nombreuses années de vie en parfaite santé, c'est-à-dire de nombreux QALY avec une valeur de 1. Même lorsque le prix du médicament est élevé, le coût par QALY peut être relativement faible lorsqu'on le compare à d'autres options, car le traitement – comparé à l'absence de traitement ou même au traitement de référence précédent – apporte un grand nombre de QALY dans le cas d'un patient jeune. Cette variable permet de comparer l'utilité associée à la remise de ce médicament et celle associée à toute autre mesure envisageable, qu'il s'agisse de l'engagement de personnel supplémentaire, de modifications architecturales dans un hôpital (rénovation), d'un procédé de ventilation pour les prématurés extrêmes ou de mesures de prévention de l'obésité ou du diabète (Breyer et al. 2013, 26-33).

La référence à deux situations extrêmes permet de faire clairement ressortir ce qu'une focalisation excessive sur la maximisation de l'utilité peut avoir de problématique du point de vue éthique. Dans une *situation de catastrophe*, l'attention se concentre sur l'utilité totale – généralement mesurée en nombre de vies sauvées – qu'il est possible d'obtenir dans un contexte de ressources extrêmement limitées. À l'inverse, lorsque seules *quelques personnes* doivent être sauvées, par exemple lors d'un accident de montagne ou d'un accident dans une mine, les secouristes font généralement tout ce qu'ils peuvent pour leur venir en aide, même si les moyens déployés peuvent paraître disproportionnés par rapport à l'utilité qu'il est possible d'en attendre. Dans des situations d'urgence individuelles, la plupart des acteurs se conforment à l'impératif qui commande de tout mettre en œuvre pour secourir les personnes dont la vie est en danger (*rule of rescue*), quitte à mobiliser des ressources irrationnellement élevées (Cohen et al. 2015 ; Hurst 2016 ; Lübke 2017 ; Zimmermann 2017). Alors que, dans le premier cas, le problème éthique vient de l'extrême inégalité de traitement entre les personnes concernées, il est dû, dans le second cas, à l'utilisation de ressources qui pourraient être consacrées à des besoins plus urgents ailleurs et qui risquent alors de faire défaut (Bohmeier et Schmitz-Luhn 2013 ; Schöne-Seifert et Friedrich 2013).

Ce qui ressort dans un premier temps de cette observation est que la confrontation directe avec des personnes dans le besoin conduit généralement à leur venir en aide, si nécessaire en mobilisant tous les moyens disponibles à ce moment-là. Cet élément, qui caractérise aussi la rencontre entre un médecin et une personne dans le besoin, au point de faire partie de l'éthos médical et dont on reconnaît à juste titre la validité du point de vue éthique, généralement en faisant appel aux droits de l'homme, est plus controversé lorsqu'il s'agit de prendre, à un niveau plus général, des décisions de politique de la santé. Selon les circonstances, de telles décisions peuvent conduire à mettre en balance l'aide à des groupes définis de patients et l'aide à des vies dites « statistiques », qui

sont, elles aussi, en danger. Dans un cas comme dans l'autre, il s'agit de sauver des vies : d'un côté, celles de personnes qui sont déjà identifiées (p. ex. les personnes atteintes d'une maladie pour laquelle un nouveau traitement très coûteux est proposé) ; de l'autre, celles de personnes qui ne le sont pas encore (p. ex. dans le cas du dépistage au sein de la population ou d'autres mesures de prévention qui peuvent également être très coûteuses). Ce que commande l'équité dans des contextes de décision de ce type est controversé (Cohen et al. 2015).

Nombre de situations quotidiennes, par exemple dans la pratique gériatrique ou oncologique, se situent probablement entre ces deux extrêmes. Cela signifie qu'il est nécessaire, chaque fois que l'on restreint l'accès à de nouveaux médicaments onéreux, de reconsidérer du point de vue éthique la manière de pondérer la maximisation de l'utilité, d'une part, et le droit à l'égalité de traitement pour tous, d'autre part. En d'autres termes, l'enjeu consiste à déterminer dans quelle mesure la maximisation de l'utilité doit être pondérée, si tant est qu'elle doive l'être, lors de la définition des limites de traitement. Outre du caractère d'urgence d'un traitement et de la gravité d'une maladie, la décision concrète peut aussi dépendre du niveau absolu des coûts associés à l'introduction d'un nouveau médicament pour *tous* ceux qui en ont besoin (nombre de personnes nécessitant un traitement) et de l'importance des bénéfices attendus par rapport à ces coûts (rapport coût-efficacité du nouveau médicament). Comme cela a été souligné, la possibilité de tenir compte du nombre de personnes concernées lors de la limitation des traitements est controversée sur le plan juridique. Cet élément semble néanmoins avoir joué un rôle dans la définition de plusieurs limitations de ce type au cours des dernières années, notamment dans les cas du sofosbuvir (Sovaldi®) et de l'α-glucosidase (Myozyme®) déjà mentionnés plus haut.

Pour ce qui est du Sovaldi® ou du sofosbuvir, le nombre de personnes concernées au moment de l'introduction du médicament était très élevé, avec

quelque 40 000 personnes atteintes du virus de l'hépatite C (VHC) en Suisse³¹ et plus de 100 millions dans le monde, tandis que seules 16 à 20 personnes en Suisse étaient concernées par la décision du Tribunal fédéral concernant l'αglucosidase alfa ou le Myozyme®. La différence dans le nombre de personnes concernées peut, à elle seule, être déterminante sur le plan économique, quels que soient les bénéfices potentiels associés à chaque médicament. C'est ce qui peut expliquer que le Myozyme®, malgré un rapport coût-efficacité très controversé, a été mis à la disposition de toutes les personnes ayant besoin d'un traitement en Suisse, alors que l'accès au Sovaldi® n'a, dans un premier temps, été ouvert qu'à une petite partie des personnes concernées. L'administration de ce médicament aurait pourtant été probablement très bénéfique pour toutes les personnes atteintes d'hépatite C, car elle aurait permis d'éliminer l'infection dans la plupart des cas, et donc d'éviter des conséquences graves. Dans une perspective éthique, ces considérations économiques pourraient de prime abord sembler très relatives dans un pays comme la Suisse, qui connaît une situation de grande prospérité et où les ressources financières sont importantes. Il n'en demeure pas moins qu'à un prix d'environ 70 000 francs par patient facturé par le fabricant en 2015, le Sovaldi® aurait coûté 2,8 milliards de francs supplémentaires aux caisses-maladie dans l'hypothèse où les 40 000 personnes infectées par le VHC avaient été traitées avec ce nouveau médicament. Certes, ce montant élevé aurait théoriquement pu être financé, d'autant que le coût des autres options de traitement du virus de l'hépatite C et celui du traitement des conséquences parfois graves de la maladie, telles que les cirrhoses et les tumeurs du foie, auraient selon toute vraisemblance été éliminés (pour autant qu'il ait été possible de le savoir sur la base des données scientifiques disponibles à l'époque, car les résultats des études longitudinales ne seront pas disponibles avant plusieurs années). Cette décision aurait néanmoins eu pour conséquence indésirable, et sensible sur le plan politique et social, une hausse significative des primes d'assurance-maladie l'année suivante.

Dans une perspective éthique et politique, il est essentiel de replacer ces considérations concernant le financement du Sovaldi® dans un contexte où une série de nouveaux médicaments très coûteux et en partie très efficaces ont déjà été autorisés par Swissmedic et où d'autres le seront probablement à court et moyen terme. Le financement de ces médicaments *pris globalement* pose un grave problème aux caisses-maladie et aux cantons, même si l'introduction de nouveaux médicaments permet aussi en général d'économiser certains autres coûts de traitement. Outre le sofosbuvir, l'ocrelizumab, une substance active autorisée en Suisse depuis 2017 pour le traitement de la sclérose en plaques, permet d'illustrer ce qui est en jeu : cette thérapie coûte 33 000 francs par an et par patient, alors que la thérapie précédemment établie avec le rituximab (commercialisé sous les noms de MabThera® et de Rituxan®), bien qu'elle ne soit pas officiellement approuvée pour le traitement de la sclérose en plaques, ne coûte que 3000 francs par an et par patient. Si l'on considère qu'environ 15 000 personnes en Suisse sont actuellement atteintes de sclérose en plaques, ce nouveau médicament – en supposant que toutes les personnes concernées passent de l'ancienne thérapie à la nouvelle – entraînerait une augmentation des coûts de 450 millions de francs par an pour les assureurs-maladie. Avec un chiffre d'affaires annuel de 35,4 millions de francs, l'ocrelizumab était le médicament le plus cher parmi les nouveaux médicaments introduits en Suisse en 2018 (Schneider et al. 2019, 58).

Il apparaît clairement à ce stade que les décisions politiques qui restreignent l'accès aux médicaments très coûteux font partie des décisions d'allocation des ressources qui concernent l'ensemble de la société. Dans une perspective éthique, il est important de rappeler que les ressources financières supplémentaires qui seraient consacrées aux soins de santé ne seraient plus disponibles pour d'autres besoins. C'est ce que l'on appelle le « problème du coût d'opportunité ». Les coûts d'opportunité sont les coûts qui résultent du fait que les possibilités existantes (oppo-

31 Informations fournies par l'association Hépatite Suisse, voir : <https://www.hepatitis-schweiz.ch/fr/hepatite-c> (consulté le 18.3.2020).

tunités) ne peuvent pas être exploitées. En prenant la décision politique de renoncer à des dépenses dans la formation ou la sécurité, par exemple, et d'affecter les ressources ainsi libérées à la santé, on peut certes s'attendre aux effets souhaités – les nouveaux médicaments deviennent accessibles à toutes les personnes qui ont besoin d'un traitement – mais aussi à des conséquences non souhaitées : certaines écoles ne pourront pas être rénovées ou une réforme prévue de l'armée ne pourra pas être mise en œuvre, par exemple. Des mécanismes similaires sont à l'œuvre au niveau des individus ou des familles : une augmentation des primes mensuelles d'assurance-maladie réduit le revenu disponible pour d'autres dépenses.

Les décisions politiques en faveur du financement de nouveaux médicaments très coûteux et qui, comme c'est le cas du sofosbuvir ou de l'ocrelizumab, répondent aux besoins de nombreuses personnes en Suisse, peuvent donc se traduire par une diminution de ressources ou des lacunes de financement dans d'autres domaines politiques. Or, si ces coûts d'opportunité ont des effets indésirables sur la situation globale d'une société, ils peuvent aussi avoir des conséquences sur la santé de la population. Il existe à l'évidence un lien entre le niveau de formation, la situation du marché du travail, les possibilités de participation politique de la population et l'espérance de vie

dans une société (Anand et al. 2004 ; Marmot 2005).³² En d'autres termes, même si l'on soutient qu'il faut accorder plus de poids à la santé qu'à d'autres biens tels que la sécurité sociale, la formation ou l'emploi, cela ne signifie pas nécessairement que le financement des médicaments coûteux doit l'emporter sur d'autres décisions d'allocation. Dès lors qu'elles s'appuient sur des connaissances en matière de santé publique, les décisions d'allocation des ressources ne doivent pas être systématiquement favorables aux soins de santé, quand bien même elles accordent une certaine priorité au bien transcendantal de la santé de la population (voir l'encadré) par rapport aux autres biens fondamentaux. Elles doivent aussi tenir compte des différentes causes – notamment sociales – de morbidité et de mortalité de la population de façon à pouvoir déterminer de manière raisonnable et équitable, au vu des conséquences, dans quels domaines les ressources disponibles doivent être affectées si l'on entend garantir ou améliorer la santé de la population.

Ces considérations font réapparaître le dilemme déjà évoqué précédemment entre la prise en compte de l'*urgence d'un traitement* au moyen d'un médicament particulier (*rule of rescue*) et la connaissance, fondée sur des données statistiques, des *conditions du maintien de la santé publique*. La réponse à la question délicate de savoir s'il faut sauver en priorité des vies

La santé, un bien particulier

La santé est comprise comme un bien transcendantal ou une condition de possibilité au sens où elle doit être donnée pour que de nombreux autres biens dans la vie puissent se réaliser (Kersting 2000, 481-490). C'est la raison pour laquelle elle devrait jouir d'un statut particulier dans la hiérarchie des biens que doit promouvoir la politique. Cela se manifeste de façon particulièrement claire en période de pandémie lorsque de temps à autre, même des restrictions à des droits fondamentaux sont politiquement acceptées au nom de la santé publique.

32 Il est pertinent de constater, même dans les pays à salaires élevés, l'existence de fortes disparités de morbidité et de mortalité entre les catégories de revenus les plus modestes et les catégories de revenus les plus élevés, ainsi que le rôle propre du niveau de formation qui, malgré une forte corrélation avec le niveau de revenus, exerce également une influence à part entière par rapport à la maladie et à la mortalité. Il existe ici un risque de renforcement de la « loi inverse des soins » (formulée initialement dans Tudor Hart (1971) : The Inverse Care Law, in : *The Lancet*, [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(71\)92410-X](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(71)92410-X) (15.7.2020), selon laquelle ceux qui ont le plus besoin de soins sont, à mesure que la maximisation des profits augmente, ceux qui en reçoivent le moins. Ce risque dépend de la distribution des revenus et de l'ampleur du phénomène de la maximisation des profits dans un système de santé marqué par un écart grandissant par rapport à l'objectif de couverture sanitaire universelle fixé par l'OMS.

identifiables ou des vies statistiques acquiert ici une pertinence inédite, en particulier dans la perspective des mesures de prévention. Et comme les positions éthiques à ce sujet divergent, les décisions politiques devraient, dans une société pluraliste, tenir compte autant que possible des deux perspectives et chercher à les concilier au moyen de règles d'exception dans les situations particulières (Cohen et al. 2015).

Les réflexions en lien avec la première question montrent clairement à quel point il restera difficile, dans un avenir proche, de prendre des décisions politiques équitables sur cette problématique si la tendance au développement de nouveaux médicaments efficaces mais extrêmement coûteux, telle qu'on l'observe en particulier dans le domaine de l'oncologie, mais aussi dans celui des immunosuppresseurs et des antiviraux, s'accroît.³³

Question 2 : Qui fixe ces limites et quels sont les aspects éthiques particulièrement importants pour la discussion concernant leur définition ?

Deux interrogations sont significatives du point de vue éthique pour déterminer la façon équitable de fixer les limites. La première est de savoir qui décide, et donc quelle est la légitimité politique et éthique des décisions. Des critères procéduraux et certains aspects de la participation politique sont des éléments importants à cet égard. La seconde porte sur les critères matériels qui doivent être pris en compte, du point de vue éthique, lors de la prise de décisions.

Commençons par quelques réflexions sur les aspects procéduraux, c'est-à-dire sur la question du « qui » : qui fixe les limites ou qui est légitimé à le faire ? La dimension problématique de la prise de décision telle qu'elle est pratiquée actuellement ne vient pas du fait que les voies et les processus démocratiques ne seraient

pas respectés. Ils le sont à l'évidence : la légitimité *politique et démocratique* de décisions jugées par le Tribunal fédéral ou prises par des institutions politiques dont la compétence est reconnue par la loi est incontestable. Le problème vient plutôt du manque d'attention et de discussions publiques concernant les pratiques décisionnelles visant à restreindre l'accès aux nouveaux médicaments à prix élevé. Du point de vue éthique, il est important d'organiser un débat de société ouvert au sujet de la restriction ou de la hiérarchisation des prestations de santé, permettant d'exposer les motifs des décisions prises et donnant à chacun la possibilité de participer aux processus de décision et, le cas échéant, de s'opposer aux restrictions (Marckmann 2010). Un tel processus devrait inclure en particulier les personnes directement touchées par une maladie ou une thérapie, mais aussi d'autres parties prenantes telles que le corps médical, les caisses-maladie, les fabricants de produits thérapeutiques et le grand public. Ce n'est que lorsque ces conditions procédurales sont réunies que l'on peut parler, à juste titre, d'une légitimation *éthique* des décisions politiques controversées.

Les décisions relatives au Myozyme[®] et au Sovaldi[®] illustrent clairement ce qui est en jeu. Dans le premier cas, le Tribunal a d'abord rendu, en 2010, un arrêt important³⁴ à la suite du recours d'une caisse-maladie. En réaction à cet arrêt, l'OFSP a décidé, quelques mois plus tard, d'admettre le Myozyme[®] dans la LS et de le mettre ainsi, dans des conditions bien définies, à la disposition des personnes ayant besoin d'un traitement. La question a également fait l'objet d'un postulat au Parlement.³⁵ Dans le second cas, celui de l'accès au Sovaldi[®], l'OFSP avait réagi pendant plusieurs années en fixant des limitations (voir ch. 3.3), qui ont par la suite été progressivement assouplies grâce à des remises de prix concédées par l'entreprise pharmaceutique concernée, mais aussi sous la pres-

33 Leonard M. Fleck a traité à plusieurs reprises de ces problèmes, qui sont la conséquence des succès par ailleurs bienvenus de la recherche médicale, et il les a expliqués et analysés à l'aide de nombreux exemples concrets ; cf. Fleck 2009.

34 ATF 136 V 395 (arrêt 9C_334/2010), cf. Wasserfallen et Junod 2011 ; voir aussi, dans une perspective éthique, le dossier de Bioethica Forum, vol. 4, no 3 (2011).

35 Postulat 11.3218 déposé le 17.3.2011 par Ignazio Cassis, alors conseiller national et aujourd'hui conseiller fédéral, et la réponse du Conseil fédéral. Alors que l'auteur du postulat affirme, en référence à l'arrêt Myozyme, que l'absence de critères de rationnement en Suisse est source d'*inégalité de traitement et d'insécurité juridique*, le Conseil fédéral indique dans sa réponse que la création d'une agence d'ETS est à l'étude, mais que la définition d'éventuels critères de rationnement ne lui paraît pas nécessaire.

sion croissante de l'opinion publique.³⁶ S'agissant des limitations apportées au Sovaldi®, le directeur de l'OFSP s'était adressé à la presse quotidienne et avait expliqué les critères sur lesquels s'était fondé son office pour prendre les décisions controversées.³⁷ Dans les deux cas, il s'agissait à l'évidence de décisions de politique sanitaire d'une certaine portée et importance pour la population suisse. L'absence quasi totale de débat public sur les critères ayant servi de base à ces décisions est problématique du point de vue éthique.

Le *Swiss Medical Board* (SMB)³⁸ défend une approche visant à impliquer le point de vue des différentes parties prenantes dans le processus décisionnel et à fournir ainsi une information utile pour la prise de décision politique. Créée dans le canton de Zurich en 2008 à la suite d'une initiative privée, cette institution portée par un large groupe d'institutions est aujourd'hui un centre de compétences pour l'évaluation des technologies de la santé (ETS). Elle s'est notamment fixé pour objectif

d'élaborer, à l'intention des décideurs politiques, des professionnels de la santé et d'autres fournisseurs de prestations, des recommandations en matière de procédures et de médicaments. Le SMB privilégie une approche multidisciplinaire : l'évaluation globale des prestations tient compte non seulement des aspects médicaux et économiques, mais aussi des aspects éthiques et juridiques, y compris une attention à la qualité de vie, aux souhaits et aux valeurs des patients et de la société. Si l'OFSP n'est pas représenté au sein du SMB, il a financé et lancé en 2015, dans le cadre de la stratégie Santé2020 adoptée en 2013, son propre programme d'ETS pour la réévaluation des prestations déjà prises en charge par l'AOS. Ce programme devrait être progressivement étendu dans les prochaines années.³⁹ L'utilisation des synergies avec le programme fédéral, comme l'avait proposée le SMB, n'a jamais vu le jour.⁴⁰ Une zone de couverture de petite taille comme la Suisse ne nécessitant pas le maintien de deux structures similaires, le comi-

Évaluation des technologies de la santé (ETS) ou *Health Technology Assessment* (HTA)

L'évaluation des technologies de la santé correspond à l'évaluation systématique des interventions médicales réalisée dans un but de soutien scientifique aux décisions politiques. Les implications médicales, sociales, économiques, juridiques et éthiques du recours à des procédures et à des produits médicaux sont évaluées de manière systématique et transparente. L'objectif est de contribuer à améliorer la qualité et l'efficacité des soins médicaux. Les caractéristiques typiques sont une approche multidisciplinaire et une évaluation systématique des bénéfices des interventions médicales. Des agences d'ETS ont été créées dans de nombreux pays, avec pour tâche d'élaborer des recommandations à l'intention des décideurs politiques (Schlander et al. 2011, 4).

36 La pression a, d'une part, été organisée par l'association Hépatite Suisse (www.hepatitis-schweiz.ch), qui est notamment parrainée par l'industrie pharmaceutique ; elle a, d'autre part, été renforcée par la couverture médiatique sur le prix du Sovaldi® dans d'autres pays, ce qui a notamment encouragé certaines personnes en Suisse à importer le médicament à moindre coût d'Australie.

37 Cf. Strupler 2014, qui écrit : « Nous bénéficions tous d'un accès illimité à la gamme complète des prestations de l'assurance-maladie et à toute l'offre de soins médicaux de pointe. La Suisse est un pays prospère et peut se permettre cette offre de soins. » Mais il affirme un peu plus loin : « Il est important d'utiliser les ressources rares là où elles apportent le plus grand bénéfice. C'est aussi la raison pour laquelle l'OFSP, soutenu par les experts de la Commission fédérale des médicaments et en accord avec d'autres autorités européennes d'autorisation des médicaments, a imposé des limitations, c'est-à-dire des restrictions d'utilisation, sur environ un quart des médicaments de la liste des spécialités. De telles limitations ont été apportées aux nouveaux médicaments contre l'hépatite C chronique, comme le Sovaldi, afin de garantir un traitement professionnel et de qualité de cette maladie par des médecins expérimentés. Les médicaments doivent être utilisés de manière efficace, appropriée et économique. Les restrictions à leur prise en charge reposent ainsi sur des critères médicaux raisonnables. »

38 www.swissmedicalboard.ch (18.3.2020).

39 <https://www.bag.admin.ch/bag/fr/home/versicherungen/krankenversicherung/krankenversicherung-bezeichnung-der-leistungen/re-evaluation-hta.html> (10.5.2020), https://www.g2020-info.admin.ch/fr/create-pdf/?project_id=53 (10.5.2020). Interpellation Nantermod https://www.parlament.ch/fr/ratsbetrieb/suche-curia-vista/geschaefte?AffairId=20204081&mc_phishing_protection_id=28632-btppgplse2iqnjueeb60 (23.09.2020).

40 Voir à ce sujet l'interpellation Humbel <https://www.parlament.ch/de/ratsbetrieb/suche-curia-vista/geschaefte?AffairId=20204188> (24.09.2020)

té du SMB a donc décidé de suspendre ses activités d'ici fin 2021.⁴¹ Du point de vue éthique, il faut se demander si une institution qui réalise ou fait réaliser des études d'ETS et élabore sur cette base, bien qu'avec la participation d'une commission extraparlamentaire, des recommandations à l'intention du législateur ne devrait pas le faire de manière plus indépendante que ce n'est le cas aujourd'hui avec la stratégie ETS de la Confédération. Tant que l'acteur qui élabore les recommandations d'ETS est aussi celui qui doit prendre les décisions, la procédure souffre d'un enchevêtrement des compétences qui n'est pas optimal (Schlander et al. 2011, 26 s.).

L'importance du débat public sur les décisions visant à limiter et à hiérarchiser les prestations de santé a notamment été soulignée et justifiée dans une perspective de théorie de la justice par les éthiciens américains Norman Daniels, James Sabin et Leonard Fleck (Daniels 2000 ; Daniels et Sabin 2002 ; Fleck 2009). Ces auteurs soutiennent que des processus raisonnables et équitables de légitimation des

décisions portant sur la définition des limites dans le système de santé constituent une condition essentielle à la construction d'une société juste et soucieuse du sort de chacun de ses membres. Ces processus démocratiques de négociation effectifs⁴² reposent sur l'idée fondamentale que les ressources limitées font face à une demande potentiellement illimitée. Même si les résultats de ces processus de décision publics ne sont peut-être pas parfaitement équitables, Leonard Fleck estime qu'ils sont toujours nettement préférables à ceux qui existent aujourd'hui aux États-Unis et qui, selon lui, sont opaques, arbitraires, subjectifs et, en fin de compte, irresponsables (Fleck 2011, 168).

La Suède, par exemple, dispose d'un modèle national pour définir, de façon ouverte, les priorités dans les soins de santé (Broqvist et al. 2011) ainsi que d'un institut chargé de cette tâche à l'Université de Linköping. L'objectif est notamment de promouvoir et de mener un débat public sur les principes éthiques servant de bases aux décisions et sur la justification des limitations (voir encadré).

Modèle national pour la définition des priorités dans les soins de santé (Suède)

« Le but du modèle national est d'aider à :

- parvenir à un consensus national sur les critères qui devraient être inclus dans le processus de définition des priorités ;
- offrir de meilleures conditions pour communiquer la définition des priorités et les principes qui la guident aux différents groupes professionnels, aux différents niveaux de soins, entre le conseil de comté et la municipalité, aux différentes régions du pays ainsi qu'aux organisations et aux autorités ;
- garantir une application plus systématique des directives gouvernementales pour la définition des priorités, créant ainsi les conditions qui permettent d'allouer proportionnellement plus de ressources à la fourniture de soins adéquats et efficaces aux personnes qui en ont le plus besoin ;
- améliorer les conditions d'une définition ouverte des priorités, de ses principes et de ses conséquences.

Notre objectif est de faire en sorte que le modèle national de définition ouverte des priorités soit compris et accepté par tous les acteurs du système de santé, c'est-à-dire les professionnels de la santé, les administrateurs et les responsables politiques, et à long terme par le grand public . »⁴³

41 https://www.swissmedicalboard.ch/index.php?id=69&L=2%27&tx_news_pi1%5Bnews%5D=132&cHash=a57c106eee87b101f9b2f275aac19874 (25.09.2020); <https://www.nzz.ch/wissenschaft/smb-der-angekueendigte-tod-einer-verdienten-institution-id.1577110?reduced=true> (21.09.2020)

42 Les discours *effectifs* sont ici compris par opposition aux discours *factifs*, tels que Norman Daniels les a également suggérés en appliquant à l'éthique de la santé l'idée de discours conduits derrière le « voile d'ignorance » de John Rawls.

43 <https://liu.se/en/article/national-model-for-open-priority-setting-within-health-care> (17.3.2020).

La CNE suggère d'étudier l'expérience suédoise et d'examiner si des initiatives similaires seraient envisageables et réalisables en Suisse. Il convient d'organiser le débat public sur les processus de décision et leurs justifications de telle sorte que des discussions puissent être menées au sein de la société et que les diverses parties prenantes puissent y participer (Hochuli 2019 ; Scheidegger 2019). Le fait que la LS soit accessible au public et que les processus décisionnels soient clairement réglementés par la loi est un élément qui doit être salué, mais qui ne saurait remplacer un débat public. Étant donné les coûts considérables engendrés par les nouveaux médicaments, la CNE juge important de sensibiliser le public au fait qu'il ne sera pas possible de financer tous les produits qui arrivent sur le marché sans générer des coûts d'opportunité ou des lacunes excessives dans les ressources disponibles pour d'autres besoins, que ce soit au niveau politique ou au niveau individuel.⁴⁴

La décision de limiter les ressources soulève non seulement la question de savoir qui devrait fixer ces limites et être impliqué dans le processus de décision, mais aussi celle des critères matériels qui sont pertinents du point de vue éthique et qui devraient donc être pris en compte. Le principe de la dignité humaine implique l'exigence de garantir à toute personne un accès égal aux traitements médicaux et de respecter les droits moraux fondamentaux. C'est le principe qui prévaut sur tous les autres. D'autres principes importants pour les décisions portant sur la limitation de l'accès aux médicaments onéreux sont les principes du besoin, de la solidarité, de l'efficacité et de l'utilité. Le respect de ces principes peut conduire à des conflits qui supposent de trouver un équilibre entre les obligations ou les biens en présence, tout en sachant que les principes du besoin et de la solidarité doivent l'emporter sur celui de l'utilité (Broqvist et al. 2011).

Dignité humaine

La dignité humaine est la caractéristique qui s'applique de manière égale à toute personne et qui constitue la base de la reconnaissance de sa liberté, mais aussi de la nécessité de protéger la vie des personnes particulièrement vulnérables telles que les enfants ou les personnes atteintes de démence. Dans le contexte de l'accès aux nouveaux médicaments onéreux, la reconnaissance du principe de la dignité humaine fonde deux exigences. La première est l'interdiction de toute inégalité de traitement injustifiée ou de toute forme de discrimination, par exemple fondée sur le sexe, l'âge, l'origine ou la religion. La deuxième est l'obligation, dans un souci d'égalité des chances, de compenser les différences dont une personne n'est pas responsable, sachant que les conséquences de la « loterie naturelle », par exemple le patrimoine génétique d'une personne, revêtent une importance particulière dans la problématique de l'accès aux médicaments. Si un enfant naît avec une amyotrophie spinale et que l'utilisation d'un médicament permet de guérir cette maladie héréditaire, la reconnaissance de la dignité de l'enfant exige de faire en sorte que cette guérison soit possible.⁴⁵

Besoin médical

L'étendue ou le niveau des besoins médicaux d'une personne joue un rôle particulièrement important pour la question de l'allocation de ressources rares. Ces besoins se mesurent à l'aune de la gravité d'une maladie et de l'urgence du traitement (Marckmann 2009). Un autre aspect dont beaucoup de personnes reconnaissent intuitivement la pertinence est de savoir si une maladie représente une restriction légère, une restriction importante ou une menace mortelle pour le patient. Le fait que ce critère du besoin ou de la priorité du plus mal loti ne soit, par exemple, pas pris en compte dans le calcul des QALY est probléma-

44 Deux documentaires diffusés à la télévision suisse en 2018 visent à réaliser ce qui est demandé ici, à savoir sensibiliser le public au caractère limité des ressources disponibles : Combien pour une année de vie de plus ? (<https://www.rts.ch/play/tv/temps-present/video/combien-pour-une-annee-de-vie-de-plus-?id=8938005&station=a9e7621504c6959e35c3ecbe7f6bed0446cdf8da>) ; Wie viel ist uns ein Menschenleben wert? (<https://www.srf.ch/sendungen/dok/wie-viel-ist-uns-ein-menschenleben-wert-2>)

45 Il serait intéressant d'examiner si le tirage au sort de 100 doses de Zolgensma® organisé à l'échelle mondiale par Novartis est compatible avec le principe de la dignité humaine. Le fait que la substance active concernée soit encore très récente, qu'elle n'ait pas été beaucoup testée et qu'elle ne soit pas encore autorisée par Swissmedic est un élément déterminant. Dès que le médicament sera autorisé en Suisse, le principe de la dignité humaine exigera que son accès soit réglementé *de manière égale pour tous*. En se référant surtout aux principes du besoin et de l'utilité, les coûts devraient être pris en charge pour tous ceux qui ont besoin du traitement.

tique du point de vue éthique. Ce calcul ne fera pas la différence entre un traitement médicamenteux qui améliore l'état subjectif d'un patient en le faisant passer d'un assez bon à un très bon niveau de bien-être et celui qui permet d'apporter un certain soulagement à une personne qui est au plus mal. Le gain d'utilité est le même dans les deux cas, mais la gravité de la maladie et l'urgence de l'aide ne le sont pas.

Solidarité

Même si la compréhension du principe de solidarité est tout sauf univoque d'un point de vue historique, culturel et éthique, sa signification fondamentale est évidente dans le cas du financement des nouveaux médicaments onéreux : il s'agit de la disposition de la population à contribuer aux traitements des personnes gravement malades. Cette disposition n'est toutefois pas illimitée et repose pour l'essentiel sur trois piliers : d'abord, l'incertitude, qui fait qu'une personne ne sait pas si elle-même, ses parents ou ses amis feront, dans un avenir proche, partie des personnes ayant besoin d'un traitement (grande symétrie des risques) ; ensuite, la tendance, intuitive et fortement enracinée, à fournir certaines prestations aux plus mal lotis dans la société, surtout lorsqu'ils ne sont pas responsables de leur situation (altruisme, humanité, sollicitude) ; enfin, la disposition à contribuer au bien commun, notamment parce que chacun préfère vivre dans une société où les personnes dans le besoin peuvent compter sur le soutien d'assurances sociales plutôt que dans une société qui les abandonne à leur sort ou les rendent tributaires de la charité, en bref, une société où, pour reprendre le libellé du préambule de la Constitution, « la force de la communauté se mesure au bien-être du plus faible de ses membres » (intérêt pour le bien commun).

Efficacité médicale

Le principe de l'efficacité des mesures implique une double exigence pour le sujet qui nous occupe : d'abord, l'exigence que la remise d'un médicament contribue effectivement à soulager une souffrance donnée ; ensuite, celle que l'utilisation d'un médicament soit appropriée ou proportionnée par rapport à la situation. L'accent porte donc à la fois sur les conséquences attendues d'un traitement, dont il doit être

prouvé qu'elles peuvent être attribuées à la remise du médicament, et sur la situation de la personne qui a besoin d'un traitement (en termes médicaux, le médicament doit être indiqué). Alors que l'évaluation de l'efficacité médicale repose sur l'expérience et les preuves, l'évaluation de la pertinence ou de l'indication se fonde sur des aspects à la fois objectifs (diagnostic) et subjectifs (appréciation du médecin, et valeurs et points de vue de la personne ayant besoin d'un traitement) ; elle est donc plus équivoque et doit être effectuée au cas par cas.

Utilité

Le principe de l'utilité fait l'objet d'une attention particulière dans le contexte du financement des nouveaux médicaments onéreux. Étant donné le niveau élevé des coûts, c'est toujours le rapport entre les bénéfices escomptés et les coûts qui est en jeu, c'est-à-dire le rapport coût-efficacité ou le caractère économique d'un médicament. Du point de vue éthique et dans l'intérêt d'une répartition équitable des ressources, il faut certes se féliciter que, lors du choix entre deux médicaments pour le traitement d'une même maladie, la préférence soit donnée à celui dont le rapport coût-efficacité est le plus favorable. Pour les raisons déjà mentionnées, il peut néanmoins être problématique de transformer la maximisation de l'utilité en principe de décision. Les droits fondamentaux tels qu'ils découlent du respect de la dignité humaine et des principes du besoin, de la solidarité et de l'efficacité doivent l'emporter sur la maximisation de l'utilité. Cela veut dire que la prise en compte du rapport coût-efficacité est subordonnée au respect de ces principes et qu'elle vise alors à éviter le gaspillage et à utiliser les ressources rares là où elles produiront la plus grande utilité possible pour le plus grand nombre possible de personnes touchées.

Question 3 : Est-il justifiable du point de vue éthique que le traitement d'une seule personne génère des coûts très élevés pour la société ?

Cette question porte sur les conditions générales qui doivent être réunies à l'échelle de la société pour que le financement solidaire de traitements parfois très coûteux dans le secteur de la santé puisse fonction-

ner (Friedrich 2018). Si la question concerne souvent, dans les faits, le niveau d'inégalité qui peut se justifier sur le plan éthique pour traiter certains individus, c'est implicitement la question de la répartition inégale des coûts des soins de santé dans leur ensemble qui est posée. De fait, une grande partie des coûts de traitement est imputable à une petite partie des patients en Suisse, les coûts les plus élevés étant, de loin, ceux occasionnés en fin de vie (Beck et al. 2016 ; Felder et al. 2000 ; von Wyl et al. 2018). Les succès enregistrés dans le domaine de la médecine personnalisée ou de la médecine faisant appel aux biomarqueurs pourraient encore multiplier, à l'avenir, le nombre de patients ayant besoin de traitements très coûteux. Ces nouvelles formes de médecine conduisent à une stratification toujours plus fine ou plus poussée des groupes de patients. En d'autres termes, une même thérapie ne sera plus conçue pour une grande catégorie de patients (les personnes atteintes d'une tumeur au cerveau, p. ex.) ; à l'inverse, chaque personne bénéficiera d'une thérapie adaptée au mieux à sa situation spécifique.

Pour ce qui est des coûts en fin de vie, on constate qu'ils diminuent avec l'âge des patients, qu'ils sont particulièrement importants dans le cas des traitements oncologiques et, enfin, que la disposition de la population suisse à les prendre en charge est très élevée (Zimmermann et al. 2019, chap. 6). En tant que tels, ces constats empiriques ne permettent toutefois pas de déterminer si ces coûts substantiels en fin de vie se justifient du point de vue éthique (Duttge et Zimmermann-Acklin 2013). Une difficulté pratique qui ne doit pas être sous-estimée lors de l'examen de cette question controversée est qu'il est rarement possible de savoir à l'avance si ou quand une personne va mourir. C'est particulièrement vrai pour les soins intensifs, comme le confirme l'expérience actuelle du traitement du Covid-19. Il est évident que si cette donnée était connue à l'avance, les soins intensifs seraient réservés aux personnes qu'ils permettent de sauver, une évidence qui s'impose aussi au regard du principe de non-malfaisance.

La recherche d'une répartition des coûts qui soit éthiquement justifiable ne saurait faire abstraction de la

disposition de la population à la solidarité, qui est le principe de base de l'assurance-maladie sociale. L'impossibilité pour chaque personne de savoir si elle aura ou non besoin d'un traitement très onéreux au cours de sa vie est la condition du financement social de l'assurance-maladie et la raison pour laquelle la loi sur l'assurance-maladie (LAMal) a été acceptée par une majorité de la population lors de la votation de 1994. Le coût de certains médicaments et traitements est aujourd'hui si élevé que seule une très petite tranche de la population pourrait les payer de sa poche. Les enquêtes publiques réalisées ces dernières années au sujet du système de santé confirment cette attitude favorable de la population suisse à l'égard de la sécurité sociale (Interpharma 2019, 32-37).

Le souci exprimé dans la question de l'OFSP porte sur la pérennité de cette cohésion sociale et de cette solidarité de la société en matière de santé. Une telle préoccupation est certainement justifiée, vu le prix élevé des médicaments. Le fait que de nombreux ménages ne paient pas leurs primes d'assurance-maladie est un signe des limites de la solidarité (ASSM 2020b). La CNE considère qu'un renforcement de la solidarité passe principalement par le travail de sensibilisation publique évoqué précédemment, c'est-à-dire par une participation accrue de la population aux processus décisionnel et à la justification des restrictions.

Question 4 : Est-il justifiable de restreindre le droit d'un individu à une thérapie efficace au profit de la collectivité ?

Du point de vue éthique, cette question appelle une réponse négative dès lors que l'efficacité médicale d'une thérapie est clairement établie, c'est-à-dire dès lors qu'un bénéfice médical peut être attendu de l'administration d'un nouveau médicament coûteux. À l'inverse, il peut s'avérer préférable de restreindre l'accès à un médicament et de préserver les ressources du système de santé si le bénéfice médical net – c'est-à-dire compte tenu d'éventuels effets secondaires (Raspe 2013 ; Schöne-Seifert et Friedrich 2013) – ou l'efficacité médicale attendue de ce médicament n'est vraisemblablement que marginale, ou si son rapport coût-bénéfice est défavorable, par exemple parce

qu'un nouveau médicament extrêmement coûteux n'est guère en mesure d'apporter de bénéfice médical additionnel (ce qui est probablement le cas aujourd'hui de nombre de préparations analogues, aussi appelées « *me-too* », de pseudo-innovations ou d'anticancéreux qui ne prolongent la vie que de façon minimale). Dans de tels cas, il est néanmoins essentiel qu'une éventuelle limitation s'applique *de manière égale à toutes les personnes ayant besoin d'un traitement* et pas uniquement à un individu en particulier, comme l'implique la formulation de la question (Buyx et al. 2011). En d'autres termes, une telle décision ne pourrait se justifier sous l'angle éthique qu'à un niveau général, et non au niveau d'un individu ou d'une organisation particulière du système de santé. Les conditions pour qu'une limitation de ce type soit envisageable dans le cas des nouveaux médicaments à prix très élevé sont qu'un médicament n'apporte qu'un bénéfice médical marginal, que son rapport coût-efficacité soit défavorable et qu'une instance politique décide, sur cette base, de refuser la prise en charge du traitement à toute personne qui en aurait besoin en Suisse.

Il est peu probable que ces conditions soient réunies dans les cas déjà évoqués de l'Ocrevus® et du Sovaldi®, car il a été prouvé que ces nouveaux médicaments très coûteux présentent des bénéfices médicaux importants et un rapport coût-efficacité favorable⁴⁶ (pour l'Ocrevus : Frasco et al. 2017 ; Graf et al. 2020 ; McCool et al. 2019 ; Zimmermann et al. 2018 ; pour le Sovaldi : Jakobsen et al. 2017 ; Pfeil et al. 2015 ; Stahmeyer et al. 2017 ; Wei et al. 2018). Cependant, il existe aussi de nouvelles thérapies coûteuses qui ont bénéficié d'une grande attention médiatique, mais qui n'ont pas encore été évaluées et dont les bénéfices ne sont, par conséquent, pas connus. C'est notamment le cas du Kymriah® et du Zolgensma®. Si les résultats des premiers essais de ces deux thérapies conduisent

de nombreuses personnes à penser qu'elles apportent un bénéfice médical, ce point reste contesté (pour le Kymriah : Malone et al. 2019 ; Shahryari et al. 2019 ; Zavras et al. 2019 ; pour le Zolgensma : Ribera Santasusana et al. 2020 ; Shahryari et al. 2019).⁴⁷

Question 5 : Est-il justifiable du point de vue éthique en Suisse de décider, pour des raisons économiques, de refuser la prise en charge d'un médicament dont l'efficacité est prouvée ou de la réserver à certains groupes de patients, par exemple ceux qui en tirent le plus grand bénéfice ? L'absence d'autres options thérapeutiques raisonnables modifie-t-elle la réponse à cette question ?

Pour répondre à ces questions, il faut commencer par préciser ce que l'on entend par « raisons économiques » : en principe, il n'est pas défendable du point de vue éthique de refuser de prendre en charge – c'est-à-dire de rationner – un médicament dont l'efficacité est prouvée et qui présente un bénéfice net évident. Dans un pays avec un niveau de prospérité élevé comme la Suisse, le refus de prendre en charge un médicament « pour des raisons économiques » peut signifier deux choses. Le premier cas de figure est celui d'un médicament certes efficace, mais dont le rapport coût-efficacité est faible ou défavorable, ce qui, les critères EAE n'étant pas remplis, conduit à mettre en question le bien-fondé de sa prise en charge par la collectivité. Cette situation correspond à l'appréciation portée par le Tribunal fédéral sur le Myozyme® en 2010. Le second cas de figure est celui d'un médicament qui répond clairement aux critères EAE, mais dont le prix est très élevé et pour lequel un grand nombre de personnes ont besoin d'un traitement. Ces caractéristiques sont celles qui ont conduit à imposer des restrictions au Sovaldi® entre 2014 et 2018.

46 L'analyse du rapport coût-efficacité se fonde, par exemple, sur le coût par QALY associé à l'administration d'un nouveau médicament : le rapport est jugé favorable s'il est inférieur à un certain seuil. Bien que les seuils retenus se situent à des niveaux différents et qu'ils ne soient généralement pas fixes, les informations fournies par le National Institute for Health and Care Excellence (NICE) au Royaume-Uni ou les travaux antérieurs du SMB, qui est passé depuis lors des QALY au système GRADE (*Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation*), peuvent servir de repères. Le fait que la valeur du seuil soit souvent indiquée sous la forme d'une fourchette devrait permettre une certaine flexibilité sur le plan politique (Marckmann 2009).

47 L'hôpital universitaire de Heidelberg a choisi une approche différente en créant son propre site de production pour les thérapies cellulaires CAR-T dans le but de garantir les soins aux patients et de réduire les coûts (<https://www.tagesanzeiger.ch/guenstig-und-selbstgemacht-342374177937> (8.7.2020)).

Les deux cas de figure ont déjà été examinés précédemment : lorsqu'un médicament est efficace, mais qu'il présente un rapport coût-efficacité clairement défavorable, le législateur est tenu, du point de vue éthique et juridique, de négocier avec le fabricant pour obtenir des conditions financières plus avantageuses afin d'en améliorer le rapport coût-efficacité. L'exemple du Myozyme® n'est pas particulièrement éclairant sur ce point, car il s'agit d'un médicament destiné au traitement d'une maladie extrêmement rare à l'échelle mondiale. Pour des raisons d'équité, le calcul du rapport coût-efficacité doit, dans un tel cas, faire appel à des normes plus généreuses que celles utilisées habituellement pour les médicaments.

L'évaluation est moins claire dans le second cas de figure. En principe, un médicament qui répond aux critères EAE doit être pris en charge. Ce point était déjà relativement peu contesté en 2014 pour ce qui est du Sovaldi®. Cependant, si la prise en charge d'un médicament génère des coûts économiques de nature à menacer la protection de la santé publique, il devient légitime du point de vue éthique de fixer une limite, voire nécessaire de le faire selon l'ampleur des coûts d'opportunité. La question de savoir si c'était le cas pour le sofosbuvir lorsque des restrictions ont été apportées à sa prise en charge est controversée. Rétrospectivement, maintenant qu'il a été décidé d'étendre cette prise en charge à tous les patients ayant besoin d'un traitement, quelle que soit la gravité de leur maladie, on observe que les 40 000 personnes atteintes d'hépatite C en Suisse ne prennent pas toutes un traitement à base de Sovaldi® ou de médicaments contenant la même substance active et que le coût additionnel pour les caisses-maladie est moins élevé que prévu ; de plus, le prix par traitement a considérablement baissé depuis 2014.

Il est nécessaire d'opérer une distinction supplémentaire pour savoir comment évaluer, du point de vue éthique, le fait de restreindre l'accès à des médicaments efficaces aux groupes de patients qui en tirent le plus grand bénéfice. Si l'on peut montrer, sur la base de données probantes, qu'un médicament est particulièrement efficace pour un groupe déterminé de patients, alors il est évident, du point de vue éthique,

que ce médicament devrait être pris en charge dès lors que son rapport coût-efficacité est favorable. Tout aussi évident est le cas de figure où l'on peut prouver qu'un médicament n'est pas ou que peu efficace pour certains patients : sa prise en charge devrait être refusée pour ce groupe de patients. Un exemple parmi les médicaments établis et très onéreux serait le Herceptin® ou trastuzumab, un anticorps utilisé pour traiter le cancer du sein avec surexpression du récepteur HER2. Le traitement par Herceptin® n'est indiqué que pour ces tumeurs dites HER2-positives (seule une patiente sur cinq présente une tumeur de ce type). Entre ces deux situations claires s'étend une zone d'ombre qui appelle des évaluations au cas par cas. Une préoccupation éthique soulevée par la décision de restreindre la prise en charge du Sovaldi® à certains groupes de patients ayant déjà développé des symptômes graves de la maladie vient précisément de cette absence de clarté, car des patients à des stades plus précoces de la maladie auraient, eux aussi, tiré un grand profit de la prise de sofosbuvir.

Enfin, il convient de déterminer si l'existence d'alternatives thérapeutiques a une influence sur l'évaluation éthique dans le scénario considéré ici. La situation semble claire : un médicament qui présente de façon univoque un bénéfice élevé et un rapport coût-efficacité favorable répond aux critères EAE et devrait être pris en charge, qu'il existe ou non une autre solution thérapeutique. Mais, là aussi, il faut tenir compte de deux conditions supplémentaires. S'il existe déjà un traitement qui, sur la base de l'ensemble des informations disponibles et fondées sur des preuves, s'avère tout aussi efficace et moins coûteux que le nouveau, alors c'est le médicament existant, et non le nouveau, qui doit être pris en charge en application des critères EAE. La situation est différente lorsque la thérapie existante est nettement moins efficace, mais tout aussi coûteuse que la nouvelle. Dans le cas du Sovaldi®, par exemple, il existait, avec l'interféron (associé à l'époque avec la ribavirine), une thérapie établie depuis les années 2000 (Rosien et al. 2017), nettement moins efficace et tout aussi coûteuse, qui n'avait un effet curatif que dans la moitié des cas et qui pouvait provoquer des effets secondaires importants, notamment des réactions auto-immunes, de l'anémie et des

dépressions. L'évaluation globale doit, dans ce cas, également tenir compte des économies attendues et de l'élimination des effets secondaires. Le manque de prise en compte de ces aspects a été critiqué à juste titre dans le cas des restrictions apportées par l'OFSP à la prise en charge du Sovaldi®.

6. Considérations finales

Les considérations qui précèdent ont mis en évidence de quelle façon l'introduction de nouveaux médicaments très onéreux a créé ces dernières années une situation délicate en Suisse. Les décisions concernant la place à accorder aux nouvelles avancées dans le secteur des médicaments revêtent à la fois une grande portée pratique pour la population et une forte pertinence éthique. Il apparaît clairement que l'application des critères EAE prévus par la loi ne suffira pas à l'avenir à contenir dans des proportions raisonnables la progression des coûts qui se traduit chaque année par une hausse des primes d'assurance-maladie. Les causes de cette évolution sont, d'un côté, le prix élevé des médicaments, qui semble au moins en partie justifié, et, de l'autre, les progrès de la recherche, notamment dans les domaines de l'oncologie et du traitement des maladies auto-immunes et virales. Si les dépenses pour de nouveaux médicaments très onéreux devaient continuer à augmenter, les ressources affectées à cette fin ne seraient plus disponibles pour répondre à d'autres besoins, que ce soit dans le secteur de la santé ou dans d'autres domaines politiques. De même, au niveau individuel, la part croissante occupée par les primes d'assurance-maladie dans le budget des ménages réduit d'autant le revenu disponible pour couvrir les autres dépenses. Le fait que les soins de santé soient considérés comme un objectif prioritaire par une grande partie de la population, comme c'est le cas en Suisse, n'implique pas directement qu'il faille leur affecter une part toujours plus importante des ressources. En effet, d'autres facteurs exercent également une influence considérable sur la santé de la population. Et, dans une perspective de santé publique, ce constat signifie que les ressources disponibles, qui sont nécessairement limitées, ne doivent pas être investies exclusivement dans les dépenses pour les soins de santé au sens strict – pour des médicaments onéreux, par exemple –, mais aussi dans d'autres domaines de la politique sociale.

Pour le dire autrement, vu le prix parfois extrêmement élevé des nouveaux médicaments, il devient aujourd'hui évident que des limites doivent être fixées en ce qui concerne les soins de santé. La CNE estime que ces limites devraient être tracées de façon aussi équitable que possible. Une condition décisive pour que cette tâche puisse être menée à bien et comprise par la population est de sensibiliser le public au caractère limité des ressources. Cela permettrait de rendre les limitations et leur justification politique transparentes, visibles et compréhensibles, mais aussi de donner aux différents groupes d'intérêt, et en fin de compte à toutes les personnes qui paient des primes d'assurance-maladie, la possibilité de participer de manière adéquate aux processus de décision.

7. Recommandations

Sur la base des considérations qui précèdent, la CNE formule les recommandations suivantes à l'intention du législateur et des autres décideurs politiques.

En ce qui concerne l'amélioration du processus décisionnel :

- Étant donné les implications pour la société des décisions relatives à l'accès aux nouveaux médicaments onéreux, il convient d'encourager et d'établir, *au sujet des processus de décision et de la justification de ces décisions, des débats publics fondés sur des faits*. C'est la seule façon de sensibiliser l'opinion publique au caractère limité des ressources, d'une part, et de créer et de faciliter au sein de la société des discussions impliquant les diverses parties prenantes (groupes d'intérêt), d'autre part.
- Vu les difficultés que pose la problématique de l'accès aux nouveaux médicaments onéreux, il est important de soutenir *la conscience et l'action solidaires au sein de la société*. Cet objectif peut notamment être atteint en associant plus étroitement la population aux processus de décision et en fournissant des justifications plausibles pour les restrictions.
- Étant donné l'importance primordiale de la LS pour garantir l'égalité d'accès aux médicaments, il convient, *en les inscrivant dans la loi, de renforcer la légitimité démocratique des critères pour l'admission dans cette liste, c'est-à-dire pour la fixation du prix des médicaments par les autorités*.
- La création d'une *institution d'ETS indépendante de l'OFSP* doit être recherchée de façon à garantir une séparation stricte entre les études d'ETS et les recommandations qui en découlent, d'une part, et les décisions politiques, d'autre part. Les études et les recommandations d'ETS ne doivent pas être élaborées par l'acteur qui est ensuite chargé de la décision.
- L'accès aux nouveaux médicaments onéreux doit également être équitable pour ce qui est des médicaments dont l'accès n'est pas (encore) réglementé

dans la LS (*off-label use*) : les décisions doivent s'appuyer sur des connaissances spécialisées et être aussi transparentes, cohérentes et égales que possible pour l'ensemble des personnes ayant besoin d'un traitement.

En ce qui concerne les critères matériels qui devraient être pris en compte lors des décisions :

- Du point de vue de *l'égalité devant la loi et de l'interdiction de la discrimination*, il faut toujours vérifier que les distinctions entre groupes de patients qu'instaure une limitation de l'accès aux nouveaux médicaments onéreux sont justifiées et qu'elles ne revêtent pas un caractère discriminatoire, par exemple fondé sur l'origine, le sexe, l'âge, la position sociale ou les dispositions génétiques des patients.
- Les critères et les repères éthiques fondamentaux lors des décisions relatives à l'accès aux nouveaux médicaments onéreux sont *l'interdiction de la discrimination, l'égalité de traitement de tous, l'urgence du traitement, la gravité de la maladie et la prise en compte appropriée du principe de maximisation de l'utilité*. Outre les considérations relatives à l'utilité (rapport coût-efficacité, bénéfices additionnels, recommandations issues des études d'ETS), les principes éthiques primordiaux de la dignité humaine ainsi que ceux du besoin, de l'efficacité et de la solidarité doivent toujours être respectés lors de la réglementation de l'accès aux nouveaux médicaments onéreux.
- La santé de la population dépend d'une pluralité de facteurs. Les soins de santé – y compris les médicaments – ne représentent que l'un d'entre eux, même s'il est important. *Si l'introduction de médicaments très onéreux devait obliger à réduire les ressources mises à la disposition d'autres champs de la politique sociale, il serait nécessaire d'examiner, dans une perspective de santé publique, l'impact que ces réductions de ressources pourraient avoir sur la santé de la population*. C'est la seule façon d'éviter

que le financement de nouveaux médicaments très onéreux ne vienne compromettre l'objectif à long terme de protection de la santé publique.

- *Définir un prix juste est un exercice difficile.* On ne peut pas s'attendre à ce qu'un prix juste émerge des processus du marché ou d'une négociation entre partenaires au pouvoir inégal. *On est en droit d'attendre d'un prix qu'il permette l'accès aux médicaments, couvre les coûts de développement, de production et de mise sur le marché, reflète l'effet bénéfique attaché au produit, récompense l'innovation ainsi que le risque que son développement requiert, et soit le résultat d'un processus intelligible et raisonnable.* Les tensions entre ces différents paramètres constituent une partie de la difficulté du débat. Ce débat de société doit être mené de manière argumentée et sérieuse pour que des solutions à ces tensions puissent être trouvées.

8. Bibliographie

Affolter, C., Cueni, T., Gyger, P., Hebborn, A., Cao, C., Herren, D., Kauffmann, S., Sandmeier, H., Schlander, M. et Suter, P. (2011). *Projet de consensus Swiss HTA : points essentiels pour la poursuite du développement en Suisse*, Bâle, Berne, Soleure et Wiesbaden, [online] www.swisshta.ch [12.5.2020].

Anand, S., Fabienne P. et Sen A. (dir.) (2004). *Public Health, Ethics, and Equity*, New York.

ASSM (2019) : *Médecine personnalisée : bases pour la formation interprofessionnelle prégraduée, post-graduée et continue des professionnels de la santé*, Bâle.

ASSM (2020a). *Pandémie Covid-19 : triage des traitements de soins intensifs en cas de pénurie des ressources*, directives du 24.3.2020, Berne.

ASSM (2020b). « *Listes noires* » : *blocages de prestations médicales pour absence de paiement des primes et de participation aux coûts. Prise de position de la Commission centrale d'éthique de l'ASSM*, Berne.

Beck, K., von Wyl, V., Telser, H. et Fischer, B. (2016). *Kosten und Nutzen von medizinischen Behandlungen am Lebensende*, in : *Polynomics*, CSS Institut.

Bisig, B. et Gutzwiller F. (2004). *Gesundheitswesen Schweiz – gibt es Unter- oder Überversorgung?*, Zurich.

Blach, S., Schaetti, C., Bruggmann, P., Negro, F. et Razavi, H. (2019). *Cost-effectiveness Analysis of Strategies to Manage the Disease Burden of Hepatitis C Virus in Switzerland*, in : *Swiss Medical Weekly* 149 ; w20026 [online] <https://smw.ch/article/doi/smw.2019.20026> [18.05.2020].

Bohmeier, A. et Schmitz-Luhn, B. (2013). *Dringlichkeit und die «Rule of Rescue» im Recht*, in : Schmitz-Luhn, B. et Bohmeier, A. (dir.), *Priorisierung in der Medizin. Kriterien im Dialog*, Berlin et Heidelberg; 125-133.

Breyer, F., Zweifel, P. et Kifmann, M. (2013), *Gesundheitsökonomik*, Berlin et Heidelberg.

Broqvist, M., Branting Elgstrand, M., Carlsson, P., Eklund, K. et Jakobsson, A. (2011). *National Model for Transparent Prioritisation in Swedish Health Care*, Revised Version, Linköping.

Buyx, A. M., Friedrich, D. F. et Schöne-Seifert, B. (2011). *Rationing by Clinical Effectiveness*, in : *British Medical Journal* 342 ; 531-533.

Cohen, I. G., Daniels, N. et Eyal, N. (dir.) (2015). *Identified versus Statistical Lives. An Interdisciplinary Perspective*, New York.

Daniels, N. (1994). *Four Unsolved Rationing Problems. A Challenge*, in : *Hastings Center Report* 24(4); 27-29.

Daniels, N. (2000). *Accountability for Reasonableness. Establishing a Fair Process for Priority Setting is Easier than Agreeing on Principles*, in: *BMJ* 321; 1300-1301.

Daniels, N. et Sabin, J. (2002). *Setting Limits Fairly. Can we Learn to Share Medical Resources?*, Oxford et New York.

Duttge, G. et Zimmermann-Acklin, M. (dir.) (2013). *Gerecht sorgen – Verständigungsprozesse über den Einsatz knapper Ressourcen bei Patienten am Lebensende*, Göttingen.

Emanuel, E. J., Persad, G., Upshur, R., Thome, B., Parker, M., Glickman, A., Zhang, C., Boyle, C., Smith, M. et Phillips, J. P. (2020). Fair Allocation of Scarce Medical Resources in the Time of Covid-19, in: *NEJM* 382(21); 2049-2955.

Felder, S., Meier, M. et Schmitt, H. (2000). Health Care Expenditure in the Last Months of Life, in: *Journal of Health Economics* 19; 679-695.

Feldges, D. (2018). Das Arthritismittel Humira ist das umsatzstärkste Medikament der Welt – und wird deshalb oft kopiert, in: *NZZ* du 31.7.2018.

Fleck, L. M. (2009). *Just Caring. Health Care Rationing and Democratic Deliberation*, New York.

Fleck, L. M. (2011). Just Caring. Health Care Rationing, Terminal Illness, and the Medically Least Well Off, in: *Journal of Law, Medicine & Ethics* 39; 156-171.

Frasco, M. A., Shih, T., Incerti, D., Diaz Espinosa, O., Vania, D. K. et Thomas, N. (2017). Incremental Net Monetary Benefit of Ocrelizumab Relative to Subcutaneous Interferon β -1a, in: *Journal of Medical Economics* 20(10); 1074-1082.

Friedrich, D. R. (2018). *Rechtfertigung solidarischer Gesundheitsversorgung. Warum Mitbestimmung gut für unsere Gesundheit ist*, Paderborn.

Gächter, T. (2019). Keine « Rationierung » im geltenden KVG. Bemerkungen zu BGE 145 V 116, in: *sui-generis* ; 206-213.

Gerny, D. (2020). Vorrangig werden diejenigen mit der grössten Überlebenschance behandelt. Interview mit Bernhard Rütsche, in: *NZZ* du 19.3.2020.

Graf, J., Albrecht, P., Goebels, N., Aktas, O. et Hartung, H.-P. (2020). Ocrelizumab zur Behandlung der Multiplen Sklerose, in: *Der Nervenarzt*. <https://doi.org/10.1007/s00115-020-00937-6>

Hépatite Suisse : Swiss Hepatitis Strategy 2014-2030. It is Time to Act Now! Process Paper - A Living Document, January 2019 / Version 4 [online] http://www.hepatitis-schweiz.ch/files/Dokumente/PDF/Process_Paper_14_02_2019.pdf [18.5.2020].

Hochuli, S. (2019). Pouvoir des patients – ou pourquoi nous avons besoin d'organisations plus puissantes, in: *Bulletin ASSM*, 4/2019; 1-3.

Hurst, S. A. (2016). Médicaments: un prix juste ?, in: *Bulletin des médecins suisses* 97; 1400.

Hurst, S. A. et Danis, M. (2007). A Framework for Rationing by Clinical Judgment, in: *Kennedy Institute of Ethics Journal* 17; 247-266.

ICER (2019). Valuing a Cure. Final White Paper and Methods Adaptations, [online] <https://icer-review.org/material/valuing-a-cure-final-white-paper-and-methods-adaptations/> [3.5.2020]

Interpharma (2019). *Santé publique en Suisse 2019*, Bâle.

Jakobsen, J. C., Nielsen, E. E., Feinberg, J., Katakam, K. K., Fobian, K., Hauser, G., Poropat, G., Djuricic, S., Weiss, K. H., Bjelakovic, M., Bjelakovic, G., Klingenberg, S. L., Liu, J. P., Nikolova, D., Koretz, R. L. et Gluud, C. (2017). Direct-acting Antivirals for Chronic Hepatitis C (Review), in: *Cochrane Database of Systematic Reviews* 9; CD012143.

Kersting, W. (2000). Gerechtigkeitsprobleme sozialstaatlicher Gesundheitsversorgung, in: Kersting, W. (dir.), *Politische Philosophie des Sozialstaats*, Weilerswist; 467-507.

Klonschinski, A. (2016). *The Economics of Resource Allocation in Health Care. Cost-utility, Social Value, and Fairness*, Londres et New York.

Light, D. W. et Warburton, R. (2011). Demythologizing the High Costs of Pharmaceutical Research, in: *Biosocieties* 6; 34-50.

Lübbe, W. (2006). Katastrophenmedizin. Übliche Rechtfertigung für Triage zweifelhaft, in: *Deutsches Ärzteblatt* 103(37); A2362-2368.

Lübbe, W. (2011). Sondervotum, in: *Deutscher Ethikrat, Nutzen und Kosten im Gesundheitswesen – Zur normativen Funktion ihrer Bewertung. Stellungnahme*, Berlin; 98-124.

Lübbe, W. (2017). Rule of Rescue vs. Rettung statistischer Leben, in: *AmosInternational* 11; 3-10.

Ludwig, W.-D. et Schildmann, J. (2015). Kostenexplosion in der medikamentösen Therapie onkologischer Erkrankungen Ursachen, Lösungsansätze und medizinethische Herausforderungen, in: *Onkologe* 21; 708-716.

Malone, D. C., Dean, R., Arjunji, R., Jensen, I., Cyr, P., Miller, B., Maru, B., Sproule, D. M., Feltner, D. E. et Dabbous, O. (2019). Cost-effectiveness Analysis of Using Onasemnogene Apeparvocec (AVXS-101) in Spinal Muscular Atrophy Type 1 Patients, in: *Journal of Market Access & Health Policy* 7; 1601484.

Marckmann, G. (2009). Nutzenmaximierung mit gerechtigkeitsethischen Einschränkungen: Perspektiven einer ethisch vertretbaren Kosten-Nutzen-Bewertung, in: *Gesundheitswesen* 71 (Suppl. 1); 2-8.

Marckmann, G. (2010). Kann Rationierung im Gesundheitswesen ethisch vertretbar sein?, in: *GGW* 10; 8-15.

Marmot, M. (2005). Social Determinants of Health Inequalities, in: *Lancet* 365; 1099-1104.

McCool, R., Wilson, K., Arber, M., Fleetwood, K., Toupin, S., Bennett, I., Edwards, S. et Thom, H. (2019). Systematic Review and Network Metaanalysis Comparing Ocrelizumab with Other Treatments for Relapsing Multiple Sclerosis, in: *Multiple Sclerosis and Related Disorders* 29; 55-61.

- Pfeil, A. M., Reich, O., Guerra, I. M., Cure, S., Negro, F., Müllhaupt, B., Lavanchy, D. et Schwenkglenks, M. (2015). Cost-Effectiveness Analysis of Sofosbuvir Compared to Current Standard Treatment in Swiss Patients with Chronic Hepatitis C, in: *PLoS ONE* 10(5); e0126984.
- Raspe, H. (2013). Wirksamkeit, Nutzenchancen und Schadensrisiken medizinischer Interventionen, in: Schmitz-Luhn, B. et Bohmeier, A. (dir.), *Priorisierung in der Medizin. Kriterien im Dialog*, Berlin et Heidelberg; 9-30.
- Ribera Santasusana, M. J., de Andrés Saldaña, A., García-Muñoz, N., Gostkorzewicz, J., Martínez Llinàs, D. et Díaz de Heredia, C. (2020). Cost-Effectiveness Analysis of Tisagenlecleucel in the Treatment of Relapsed or Refractory B-Cell Acute Lymphoblastic Leukaemia in Children and Young Adults in Spain, in: *ClinicoEconomics and Outcomes Research* 12; 253-264.
- Rosien, U., Frederking, D. et Grandt, D. (2017). Chronische Hepatitis C: Umwälzungen in der Therapie durch direkt antiviral wirkende Substanzen, in: *Arzneiverordnung in der Praxis* 44; 70-77.
- Rütsche, B. (2018). Rechtsstaatliche Grenzen von Rationierungen im Gesundheitswesen, in: Ueli Kieser et Agnes Leu (dir.), *5. St. Galler Gesundheits- und Pflegerechtstagung*, Zürich; 109-129.
- Rütsche, B. et Wildi, A. (2016). Limitierung von Arzneimitteln im Krankenversicherungsrecht: Wo wird die Grenze zur Rationierung überschritten?, in: *Recht* 4/2016; 199-212.
- Scheidegger, D. (2019). Payer 84 milliards de francs et n'avoir aucun pouvoir de décision ?, in: *Bulletin ASSM* 4/2019; 2.
- Schlander, M., C. Affolter, H. Sandmeier und U. Brügger (u.a.) (2011). Schweizer HTA-Konsensus-Projekt: Eckpunkte für die Weiterentwicklung in der Schweiz, Basel, Bern, Solothurn und Wiesbaden, [online] <http://www.swisshta.ch/index.php/Konsens.html> [12.05.2020].
- Schneider, R., Schur, N., Reinau, D., Schwenkglenks, M. et Meier, C. R. (2019). *Helsana-Arzneimittelreport für die Schweiz 2019. Auswertungsergebnisse der Helsana Arzneimitteldaten aus den Jahren 2015 bis 2018*, [online] <https://www.helsana.ch/docs/anzneimittelreport-2019.pdf> [9.4.2020].
- Schöne-Seifert, B. et Friedrich, D. R. (2013). *Priorisierung nach Dringlichkeit? Kritische Überlegungen zur Rule of Rescue*, in: Schmitz-Luhn, B. et Bohmeier, A. (dir.), *Priorisierung in der Medizin. Kriterien im Dialog*, Berlin et Heidelberg; 109-123.
- Shahryari, A., Saghaeian Jazi, M., Mohammadi, S., Razavi Nikoo, H., Nazari, Z., Sadat Hosseini, E, Burtscher, I., Mowla, S. J. et Lickert, H. (2019). Development and Clinical Translation of Approved Gene Therapy Products for Genetic Disorders, in: *Frontiers in Genetics* 10; 868.
- Stahmeyer, J. T., Rossol S., Liersch S., Guerra I. et Krauth C.(2017). Cost-Effectiveness of Treating Hepatitis C with Sofosbuvir/Ledipasvir in Germany, in: *PLoS ONE* 12(1); e0169401.
- Strupler, P. (2014). Medikamente effizient einsetzen. Zur Beschränkung in der Anwendung bestimmter Arzneimittel, in: *NZZ* du 30.10.2014.

Tudor Hart, J. (1971). The Inverse Care Law, in: *The Lancet* 297(7696); 405-412.

Ubel, P. A. (2000). *Pricing Life. Why It's Time for Health Care Rationing*, Cambridge, MA, MIT Press.

von Wyl, V., Telser, H., Weber, A., Fischer, B. et Beck, K. (2018). Cost Trajectories from the Final Life Year Reveal Intensity of End-of-Life Care and Can Help to Guide Palliative Care Interventions, in: *BMJ Supportive Palliat Care* 8(3); 325-334.

Wasserfallen, J.-B. et Junod, V. (2011). Rationnement des soins : qu'implique l'arrêt « Myozyme » ?, in: *Bulletin des médecins suisses* 92; 1751-54.

Wei, B., Ji, F., Hui Yeo, Y., Ogawa, E., Stave, C. D., Dang, S., Li, Z., Zou, B., Furusyo, N., Cheung, R. C. et Nguyen, M. H. (2018). Real-world Effectiveness of Sofosbuvir Plus Ribavirin for Chronic Hepatitis C Genotype 2 in Asia: A Systematic Review and Meta-analysis, in: *BMJ Open Gastro* 5; e000207.

Wertheimer, A. (1996). *Exploitation*, Princeton, N.J.

Zavras, P. D., Wang, Y., Gandhi, A., Lontos, K. et Delgoffe, G. M. (2019). Evaluating Tisagenlecleucel and Its Potential in the Treatment of Relapsed or Refractory Diffuse Large B Cell Lymphoma: Evidence to Date, in: *OncoTargets and Therapy* 12; 4543-4554.

Zimmermann, M. (2017). Vorrang hat die Hilfe für Menschen in Not. Kommentar zum Beitrag von Weyma Lübbe, in: *AmosInternational* 11; 10-15.

Zimmermann, M., Brouwer, E., Tice, J. A., Seidner, M., Loos, A. M., Chapman, R. H., Kumar, V., Carlson, J. J. et Liu, S. (2018). Disease-Modifying Therapies for Relapsing–Remitting and Primary Progressive Multiple Sclerosis: A Cost-Utility Analysis, in: *CNS Drugs* 32 ;1145-1157.

Zimmermann, M., Felder, S., Streckeisen, U. et Tag, B. (2019). *Das Lebensende in der Schweiz. Individuelle und gesellschaftliche Perspektiven*, Bâle.

Zimmermann-Acklin, M. (2011). Die Rationierungsdiskussion in der Schweiz. Beobachtungen aus ethischer Perspektive, in: Wild, V., Pfister, E. et Biller-Andorno, N. (dir.), *DRG und Ethik. Ethische Auswirkungen von ökonomischen Steuerungselementen im Gesundheitswesen*, Bâle; 127-139.

Zimmermann-Acklin, M. (2013). „When not all services can be offered to all patients“ – Ethische Überlegungen zur Finanzierung medizinischer Maßnahmen bei Patienten am Lebensende, in: Duttge, G. et Zimmermann-Acklin, M. (dir.), *Gerecht sorgen – Verständigungsprozesse über den Einsatz knapper Ressourcen bei Patienten am Lebensende*, Göttingen; 177-200.

Zwolinski, M. et Wertheimer, A. (2017). Exploitation, in : Zalta, E. N. (dir.), *The Stanford Encyclopedia of Philosophy (Sommer 2017)*, Metaphysics Research Lab, Stanford University, [online] [28.1.2020].

9. Liste des abréviations

AOS	Assurance obligatoire des soins
ASSM	Académie suisse des sciences médicales
ATF	Arrêt du Tribunal fédéral
Cellules CAR-T	<i>Chimeric antigen receptor T cells</i> (cellules T à récepteur antigénique chimérique)
CNE	Commission nationale d'éthique dans le domaine de la médecine humaine
COVID-19	Maladie à coronavirus 2019 (<i>Corona-Virus-Disease 2019</i>)
Cst.	Constitution fédérale
DFI	Département fédéral de l'intérieur
EAE	Efficacité, adéquation et économicité
ETS	Évaluation des technologies de la santé
HER2	<i>Human Epidermal Growth Factor Receptor 2</i> (récepteur du facteur de croissance épidermique 2)
LAMal	Loi fédérale sur l'assurance-maladie
LPTH	Loi fédérale sur les médicaments et les dispositifs médicaux (loi sur les produits thérapeutiques)
LS	Liste des spécialités
OAMal	Ordonnance sur l'assurance-maladie
OFSP	Office fédéral de la santé publique
QALY	<i>Quality Adjusted Life-Year</i> (année de vie pondérée par la qualité)
VHC	Virus de l'hépatite C

Ce document a été approuvé (à l'unanimité, avec une opposition) par la Commission nationale d'éthique dans le domaine de la médecine humaine le 2 juillet 2020.

Membres de la Commission nationale d'éthique dans le domaine de la médecine humaine :

Présidente

Prof. Dr. iur. Andrea Büchler

Vice-président

Prof. Dr. theol. Markus Zimmermann

Membres

Dr. phil. Christine Clavien, Prof. Dr. med. Samia Hurst, Prof. Dr. med. Dr. phil. Ralf Jox; Prof. Dr. iur. Valérie Junod, Prof. Dr. med. Dipl. Soz. Tanja Krones, Dr. med. Roberto Malacrida, Prof. Dr. theol. Frank Mathwig, Dr. med. Benno Röthlisberger, Prof. Dr. iur. Bernhard Rütsche, PD Maya Zumstein-Shaha RN PhD, Prof. Dr. iur. Brigitte Tag, PD Dr. med. Dorothea Wunder

Graphisme et mise en page

Terminal8 GmbH, Monbijoustrasse 99, 3007 Berne, www.terminal8.ch

Bureau

Nadine Brühwiler, Dr. phil. Simone Romagnoli, Dr. theol. Jean-Daniel Strub, Dr. iur. Tanja Trost

**Commission nationale d'éthique
dans le domaine de la médecine humaine**

CH-3003 Berne

Tél. +41 58 480 41 07

Fax +41 31 322 62 33

info@nek-cne.admin.ch

www.nek-cne.ch

Cette prise de position est publiée en français, en allemand et en anglais. La version allemande est la version originale.

© Commission nationale d'éthique dans le domaine de la médecine humaine, Berne. Reproduction autorisée avec mention de la source.