

Prof. Dr. Valérie Junod / Prof. Dr. med. Jean-Blaise Wasserfallen

Rationnement des soins : le TF joue enfin cartes sur table

Commentaire de l'ATF 136 V 395

L'arrêt Myozyme a eu un important retentissement. Le Tribunal fédéral y déclare que ce médicament est trop cher et pas assez efficace et que, dès lors, la caisse-maladie n'a pas à le rembourser. Le Tribunal non seulement aborde explicitement le thème du rationnement des soins pour des motifs économiques, mais évoque aussi une limite chiffrée. Sans pour autant fixer un seuil absolu, le Tribunal se réfère aux analyses de coût-efficacité, et plus précisément aux calculs de QALY. Cependant, cette méthode sophistiquée d'évaluation et de comparaison des traitements est à la fois scientifiquement délicate à manier et controversée sur le plan éthique.

Catégorie(s) : Droit de la santé ; Agents thérapeutiques. Dispositifs médicaux. Denrées alimentaires ; Commentaires d'arrêts

Proposition de citation : Valérie Junod / Jean-Blaise Wasserfallen, Rationnement des soins : le TF joue enfin cartes sur table, in : Jusletter 29 août 2011

There are worse things in life than death.

Have you ever spent an evening with an insurance salesman?

- Woody Allen

Table des matières

Table des matières

1. Introduction

2. L'analyse du Tribunal fédéral

2.1. Bénéfice thérapeutique élevé ? Non

2.2. Traitement économique ? Non.

3. Analyse critique de l'arrêt

3.1. Imprécisions commises dans l'utilisation du système d'évaluation pharmaco-économique

3.1.1. Quantification du bénéfice attribuable à un traitement

- a) L'amélioration de la survie
- b) L'amélioration de la qualité de vie
- c) Combinaison des deux mesures
- d) Taux d'escompte

3.1.2. Quantification du coût attribuable au traitement

3.1.3. Seuil admissible pour le rapport coût-bénéfice

3.2. Limites de la mesure coût par QALY

3.2.1. Limites scientifiques

3.2.2. Débats éthiques sur la mesure du coût par QALY

3.2.3. Conclusion intermédiaire sur les faiblesses de la mesure du coût par QALY

3.3. Portée et implications de l'arrêt

3.3.1. Implications pour les patients

- a) Problème du fardeau de la preuve
- b) Portée de l'arrêt pour d'autres patients dans des circonstances similaires
- c) Portée de l'arrêt pour les patients atteints de maladies rares
- d) Portée de l'arrêt pour les populations pédiatriques

3.3.2. Portée de l'arrêt pour le système AOS, en particulier l'inscription dans la LS

3.3.3. Portée et signal pour l'industrie pharmaceutique

4. Recommandations

4.1. Prise en charge adaptée des maladies rares

- a) Choix d'un seuil de coût par QALY plus élevé
- b) Financement par une assurance distincte
- c) Encouragement ciblé de la recherche
- d) Système individualisé de remboursement

4.2. Création d'un processus administratif s'appuyant sur une agence spécialisée et des procédures transparentes et démocratiques

4.3. Promouvoir le débat public

5. Conclusion

1. Introduction

[Rz 1] A l'âge de 67 ans, Madame F. s'est vu diagnostiquer la forme adulte de la maladie de Pompe. Cette maladie génétique rare¹ a une issue généralement fatale². Publisana, la caisse-maladie de Madame F., a accepté un premier traitement de six mois avec le Myozyme. Ce médicament de la société américaine Genzyme est autorisé en Suisse depuis mai 2008³ ; il ne guérit pas la maladie, mais en atténue certains symptômes⁴.

[Rz 2] En juin 2008, estimant le médicament bien trop cher, à plus de CHF 500'000 par an⁵, Publisana a refusé la poursuite du traitement⁶. La patiente a attaqué cette décision et obtenu gain de cause devant le Tribunal cantonal argovien. Sur recours de la caisse, le Tribunal fédéral (TF) a cependant

¹ En droit suisse, une maladie est qualifiée de rare (ou orpheline) si sa prévalence est au plus de 5 patients sur 10'000 habitants ou si une agence équivalente (par exemple « *European Medicines Agency* » abrégée EMA) lui a reconnu ce statut (art. 4 de l'Ordonnance de Swissmedic sur l'autorisation simplifiée de médicaments; RS 812.212.23). S'agissant de la forme adulte de maladie de Pompe, sa prévalence avoisinerait le 1/146'000. Cf. Patrick Deegan, Guidelines for the Investigation and Management of Late Onset Acid Maltase Deficiency (Type II Glycogen Storage Disease / Pompe Disease) (août 2007), sous http://www.specialisedservices.nhs.uk/library/23/Guidelines_for_Late_Onset_Pompe_Disease.pdf. Aucun registre médical ne répertorie les patients atteints par cette maladie en Suisse, on ne dispose d'aucune donnée sur l'ensemble de la population.

² Chez le patient adulte, la maladie de Pompe mène à un affaiblissement de la musculature et de la capacité respiratoire. Parfois, le cœur est également touché. La maladie est fortement invalidante, le patient pouvant devenir rapidement dépendant d'une chaise roulante et d'une assistance respiratoire.

³ Le Myozyme est un médicament produit par génie génétique. Il a reçu le statut de médicament « orphelin » en novembre 2006. Le 22 mai 2008, Swissmedic, l'institut suisse des produits thérapeutiques, lui a octroyé une autorisation de mise sur le marché (AMM) simplifiée basée sur l'art. 14.1.f de la Loi sur les produits thérapeutiques (LPh; RS 812.21) et l'art. 4.1.a de l'Ordonnance de Swissmedic sur l'autorisation simplifiée de médicaments (OASMed; RS 812.212.23) (médicament important contre une maladie rare). Cf. Swissmedic, communiqué de presse du 22 mai 2008, sous <http://www.swissmedic.ch/zulassungen/00171/00181/00182/index.html?lang=fr>.

⁴ A ce sujet, voir sous-chapitre 2.1. ci-dessous.

⁵ Le prix d'achat d'une ampoule de 50 mg est de CHF 1'105,70 (prix public). Le coût précis d'un traitement au Myozyme n'est pas aisé à calculer, vu que le dosage est adapté au patient. A ce sujet, voir le sous-chapitre 3.1.2.

⁶ La caisse avait d'abord donné sa garantie pour rembourser le Myozyme pendant une première période de 6 mois jusqu'en mai 2008. Elle a ensuite refusé la continuation du traitement. Le TF refuse de remettre en cause les premiers six mois payés par la caisse. Il définit l'objet litigieux à la prise en charge d'une année et demie de traitement par Myozyme à compter de juin 2008 (consid. 1). La jurisprudence admet d'ailleurs qu'une caisse puisse rembourser un traitement sur une première période, puis changer d'avis pour le futur, ne serait-ce qu'au motif qu'elle a commis une erreur d'appréciation pour la première période. Cf. arrêt du TF du 29 juin 2004, K 35/04.

nié le droit à la prise en charge par l'assurance obligatoire de soins (AOS)⁷. Il a retenu que le médicament n'apportait pas un bénéfice thérapeutique élevé et que son coût était disproportionné.

[Rz 3] La deuxième partie de l'arrêt sur la non-économique du traitement est particulièrement intéressante, car elle concerne le thème ultra-sensible du rationnement des soins⁸. Tenant compte de critères médicaux, financiers et éthiques, elle suggère une limite au remboursement d'un médicament à visée palliative utilisé pour une maladie rare pour laquelle il n'y a de surcroît pas d'alternative. Le Tribunal laisse entendre que le montant maximum se situe autour de CHF 100'000 par année de vie sauvée, étant précisé que cette année supplémentaire est vécue en bonne santé.

[Rz 4] La mention d'un seuil constitue une première en Suisse⁹. A ce titre, l'arrêt a eu un important retentissement dans les médias¹⁰, dans la littérature spécialisée¹¹ et sur la scène politique¹². Certains commentateurs ont d'ailleurs exagéré sa portée, en affirmant que ces CHF 100'000 dictaient à

l'avenir un plafond de dépenses¹³. Si pareil arrêt est souhaitable pour stimuler l'indispensable débat sur les dépenses de l'assurance maladie et la nécessité d'un rationnement des soins¹⁴, il est discutable à bien des égards. Premièrement, l'arrêt maintient le flou sur la limite des CHF 100'000 qu'il tire d'une rapide comparaison avec les pratiques suivies dans d'autres pays. Ensuite, ces CHF 100'000 sont à mettre en relation avec le gain d'une année de vie en bonne santé, ce qui sous-entend l'application stricte de la méthode dite des QALY (« *quality adjusted life year* » ou années de vie ajustées selon la qualité). Or, le TF n'applique pas correctement la méthode qu'il cite et n'en discute pas du tout les faiblesses. Enfin, l'arrêt n'examine pas les conséquences délétères sur les différents acteurs du système de santé : médecins, hôpitaux, infirmières à domicile, patients, proches, associations de patients, sociétés pharmaceutiques ou biomédicales.

[Rz 5] Le présent article expose les deux pans de l'analyse du TF, à savoir l'appréciation des bénéfices du traitement et de ses coûts (chapitre 2). La partie critique (chapitre 3) est divisée en trois sous-chapitres. Le premier revient sur l'utilisation par le TF de la méthode d'analyse économique du coût par QALY pour souligner les erreurs commises. Le second examine, de manière abstraite, les faiblesses de la méthode des QALY, sur le plan scientifique et éthique¹⁵. Le troisième envisage les conséquences de l'arrêt du TF sur la prise en charge des soins de santé en Suisse. Le chapitre 4 conclut sur trois recommandations inspirées de l'arrêt du TF. Il plaide pour l'élaboration d'un processus administratif plus fiable, plus transparent et plus participatif de calcul des coûts des soins.

2. L'analyse du Tribunal fédéral

[Rz 6] Le Myozyme ne figurant pas sur la liste des spécialités (LS) tenue par l'Office fédéral de la santé publique (OFSP), il ne pouvait être mis à charge de l'AOS que dans le cadre des *exceptions jurisprudentielles*¹⁶. A l'époque du jugement, ces exceptions n'avaient pas encore été intégrées dans l'Ordonnance sur l'assurance-maladie (OAMal)¹⁷.

⁷ Arrêt 9C_334/2010 du 23 novembre 2010, publié aux ATF 136 V 395 et disponible sur http://jumpcgi.bger.ch/cgi-bin/JumpCGI?id=23.11.2010_9C_334/2010. L'arrêt aurait été porté par la patiente devant la Cour européenne des droits de l'homme. Les chances d'un tel recours paraissent toutefois faibles vu la marge de manœuvre traditionnellement accordée par la Cour aux Etats membres dès lors qu'est en jeu le financement public des assurances.

⁸ La définition la plus communément utilisée du rationnement de soins consiste en un mécanisme (implicite ou explicite) qui, (au moins en partie) pour des raisons financières, refuse ou limite des soins pourtant jugés bénéfiques pour les patients. Cf. Groupe de travail « Rationnement », Le rationnement au sein du système de santé suisse : analyse et recommandation, 88 (35) Bulletin des médecins suisses, p. 1431 (2007); Académie des sciences médicales, Le rationnement au sein du système de santé suisse : analyse et recommandations, rapport complet (juillet 2007), sous http://www.samw.ch/dms/fr/Publications/Rapports/f_BERICHTE_Rationnement_compr.pdf; Samia Hurst et al., Prevalence and Determinants of Bedside Rationing, Data from Europe, 21 Journal Gen Intern Med p. 1139 (2006).

⁹ Le rationnement des soins n'est presque jamais abordé directement par les pouvoirs législatifs, exécutifs et judiciaires. Une exception à la règle est l'ancrage, dans la Loi fédérale sur la transplantation (RS 810.21), des critères de priorité dans l'attribution des organes à transplanter. Parmi ces critères, figurent l'efficacité médicale de la transplantation, l'âge du receveur et la rareté de sa maladie.

¹⁰ Cf. par ex. Jean-Claude Pecllet, Le prix d'une année de vie supplémentaire, Le Temps du 28 décembre 2010.

¹¹ Cf. Daniel Herren, HTA: how to assess? 92(14) Bulletin des médecins suisses p. 519 (2011); Tomas Poledna & Marianne Tschopp, Der Myozyme-Entscheid des Bundesgerichts, in: Jusletter (7 février 2011); remarques de Felix Kesselring dans PJA 2011 p. 575; Jürg Waldmeier, Ein brisantes Urteil zur Kostenübernahmepflicht in der Krankenversicherung, HAVE 2011 p. 39-40.

¹² Cf. Ruth Humbel, interpellation parlementaire 11.3154 du 16 mars 2011 intitulée « Un arrêt du Tribunal fédéral marquant le coup d'envoi du rationnement médical » ; Ignazio Cassis, postulat 11.3218 du 17 mars 2011 intitulé « Combien vaut une année de vie ? » ; Felix Gutzwiller, interpellation 11.3306 du 18 mars 2011 intitulée « Une limite de coûts à 100'000 francs pour les thérapies médicales ».

¹³ Cf. par ex. l'interpellation de Gutzwiller citée *supra* note 12 (« Il [le TF] a de plus fixé arbitrairement une limite de coûts de 100 000 francs. »).

¹⁴ Dans ce sens, voir déjà Bertrand Kiefer, Rationnement des soins : l'impossible conversion, 124 Revue médicale suisse (2007).

¹⁵ Les aspects de droit constitutionnels, notamment la question de la portée du droit à la vie ou du droit à l'égalité de traitement, ne sont pas examinés ici.

¹⁶ La LS a en principe un effet exhaustif et contraignant. Sur le système de la LS, voir V. Junod, Accès aux médicaments : les conditions du remboursement dans l'assurance-maladie obligatoire, in : Le droit de la santé : aspects nouveaux, éd. Guillod & Wessner, Unine, 2010, p.83-139.

¹⁷ Au 1er mars 2011, l'OAMal (RS 832.102) a été modifiée pour y inclure un nouvel art. 71b qui vise la « prise en charge des coûts d'un médicament ne figurant pas dans la liste des spécialités ». Cette disposition requiert que « l'usage du médicament permet[te] d'escompter un bénéfice

Aujourd'hui, elles figurent aux art. 71a et 71b, qui n'ont cependant fait que reprendre les conditions articulées par la jurisprudence¹⁸.

[Rz 7] L'exception ici pertinente est celle d'un médicament soignant une maladie grave et pour laquelle il n'existe aucune alternative thérapeutique autorisée et à charge des caisses. Ces deux premières conditions étant remplies, il restait au TF à examiner deux conditions résiduelles : d'une part, est-ce que le médicament procure un *bénéfice thérapeutique élevé* ? D'autre part, est-il *économique* ? La réponse du TF à ces deux questions est résumée ci-après.

2.1. Bénéfice thérapeutique élevé ? Non

[Rz 8] Pour éviter que ne soit éludé le système de contrôle *ex ante* qui conditionne l'inscription dans la LS¹⁹, la jurisprudence exige que le médicament à rembourser hors LS présente un bénéfice thérapeutique élevé (« *hoher therapeutischer Nutzen* »)²⁰. Un tel bénéfice ne découle pas automatiquement de l'octroi par Swissmedic d'une autorisation (ici simplifiée en application de l'art. 14 al. 1 lit. a OASMed²¹) ; pareille autorisation de mise sur le marché (« AMM ») est délivrée pour peu que le médicament présente un rapport bénéfice-risque supérieur à celui d'un placebo²². En l'occurrence, l'AMM du Myozyme a été initialement délivrée sur la base des seules données pédiatriques²³ – données de surcroît extrêmement sommaires, puisque seuls 18 sujets de recherche pédiatriques avaient été inclus dans une étude qui ne com-

portait pas de groupe de contrôle direct (collectif de sujets de recherche recrutés pour servir de point de comparaison), mais uniquement des contrôles historiques tirés d'une base de données comptant 42 patients²⁴.

portait pas de groupe de contrôle direct (collectif de sujets de recherche recrutés pour servir de point de comparaison), mais uniquement des contrôles historiques tirés d'une base de données comptant 42 patients²⁴.

[Rz 9] En l'espèce, le TF donne raison à la caisse, contre le tribunal cantonal, en niant un bénéfice thérapeutique élevé. Il débute son raisonnement avec la distinction entre faits et droit : l'existence d'un bénéfice thérapeutique est une question de fait du ressort du tribunal cantonal ; en revanche, savoir si ce bénéfice est *élevé* est une question de droit, et donc de la compétence du TF²⁵.

[Rz 10] Ce dernier prend ensuite position sur la nature *concrète ou abstraite* de ce bénéfice. Avec la caisse, il retient que le bénéfice élevé à évaluer doit l'être tant de manière abstraite (c'est-à-dire sur la base des études cliniques) que de manière concrète (c'est-à-dire par rapport à l'assurée en procès). Se dispenser d'une appréciation abstraite de l'efficacité créerait une divergence inadmissible par rapport aux critères fondamentaux (efficacité, adéquation et économie) qui président, conformément à la Loi fédérale sur l'assurance-maladie (LAMal), à l'admission dans la LS²⁶. Sous l'angle abstrait, le TF recommande de s'inspirer des critères d'efficacité minimale appliqués pour accorder une AMM limitée dans le temps selon les art. 9 al. 4 de la Loi fédérale sur les produits thérapeutiques (LPT^h) et 19 a. 1 lit. c de l'Ordonnance sur l'autorisation simplifiée de médicaments (OASMed)²⁷. Aussi, les résultats intermédiaires d'essais cliniques doivent-ils au moins être disponibles²⁸. L'ampleur des preuves cliniques requises peut toutefois être revue à la baisse lorsque le médicament est orphelin, car il est alors plus difficile d'accumuler une expérience clinique sur un nombre suffisamment grand de sujets de recherche²⁹. Il n'en demeure pas moins que l'efficacité abstraite sera niée en l'absence de toute étude clinique, et cela quand bien même le médicament a été efficace pour le patient concerné³⁰.

[Rz 11] Pour apprécier l'efficacité *abstraite* dans le cas du Myozyme, le TF examine l'étude dite LOTS, publiée dans le *New England Journal of Medicine* (NEJM)³¹. Celle-ci révèle

thérapeutique élevé » et que « le rapport entre la somme à rembourser et le bénéfice thérapeutique du médicament [soit] adéquat » (art. 71b al. 1 renvoyant à l'art. 71a al. 1 let. b et art. 71b al. 4 OAMal).

¹⁸ L'OFSP le confirme dans sa lettre-circulaire aux caisses-maladie du 30 mars 2011.

¹⁹ Cf. consid. 5.2.

²⁰ Les art. 71a et 71b OAMal n'ont pas modifié cette exigence et imposent la preuve d'un « bénéfice élevé ».

²¹ Cf. consid. 5.3.

²² Cf. consid. 5.3. La LPT^h opère une distinction entre les AMM de durée limitée de l'art. 9 al. 4 LPT^h et les AMM simplifiées de l'art. 14 al. 1 let. f LPT^h. S'agissant des premières, l'art. 19 al. 1 let. c de l'Ordonnance sur l'autorisation simplifiée de médicaments (OASMed) exige que « les résultats intermédiaires » des études cliniques indiquent que l'utilisation du médicament procurera un bénéfice thérapeutique notable. Pour les secondes (maladies rares), le requérant doit montrer un rapport bénéfice-risque acceptable par rapport au placebo ou produit de contrôle, étant précisé que Swissmedic « tiendra dûment compte de la rareté de la maladie à traiter et de la difficulté qui en découle de conduire des essais cliniques » (art. 26 al. 1 OASMed).

²³ La question de savoir si le médicament était utilisé hors indication (« *off-label* ») n'a pas ici été tranchée (cf. consid. 4.2), car elle était sans pertinence du moment que le Myozyme n'était de toute façon pas sur la LS. En toute hypothèse, la question n'aurait pas été simple à résoudre. En effet, la notice d'emploi professionnelle indique qu'« [a]ucune efficacité clinique n'a été jusqu'à présent démontrée en ce qui concerne l'effet bénéfique de MyozymeTM chez les patients atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe ». Une telle formulation ne permet guère de déterminer si l'indication autorisée inclut ou non les patients adultes.

²⁴ Cf. Swissmedic, communiqué de presse cité sous note 3 *supra*.

²⁵ Consid. 6.3.

²⁶ Cf. consid. 6.5.

²⁷ Id. On peut se demander si le Tribunal est réellement en mesure d'apprécier, dans le cas d'un médicament dont le remboursement fait débat, si ces critères médicaux sont oui ou non remplis.

²⁸ Id.

²⁹ Id.

³⁰ Id.

³¹ Cf. Ans T. Van der Ploeg et al., A Randomized Study of Alglucosidase Alfa in Late-Onset Pompe's Disease. 362 NEJM p. 1396-1406 (2010). Cette publication du NEJM du 15 avril 2010 est postérieure au jugement cantonal, mais ce dernier avait tout de même pu se référer à une version provisoire de l'étude. Pour sa part, le TF considère qu'en qualité de littérature généralement accessible, il convient d'en tenir compte, dans sa version finale (consid. 2.3).

le que les patients adultes traités par Myozyme pendant 78 semaines améliorent leur distance de marche moyenne parcourue en 6 minutes (de 332 mètres à 358 mètres), tandis que ceux recevant un placebo l'empirent (de 318 à 313 mètres)³². La différence moyenne entre les deux groupes est de 28 mètres ou 8,4%³³ ; elle se manifeste dès 26 semaines de traitement et reste ensuite stable³⁴. Toujours selon l'étude LOTS, le médicament améliore aussi la capacité respiratoire (capacité vitale pulmonaire) de 3,4% pendant les 38 premières semaines (de 53% à 55,4%)³⁵. Le TF souligne que cet effet positif se déploie sur une première phase de traitement d'environ six mois – incidemment la période pendant laquelle l'assurée avait déjà obtenu le remboursement du Myozyme³⁶. Pour le TF, ces deux paramètres sont *insuffisants* pour conclure à un bénéfice *élevé abstrait*.

[Rz 12] Pour jauger l'efficacité *concrète*, le TF récapitule les expertises médicales produites³⁷. Il note que pendant le traitement, l'assurée avait elle-même perçu une amélioration modeste de sa qualité de vie³⁸ – malheureusement non chiffrée. Depuis l'arrêt du médicament, son état de santé s'est nettement détérioré ; elle se trouve presque totalement invalide. Pour le TF, il n'est cependant pas possible d'attribuer cette aggravation à l'évolution naturelle de la maladie respectivement à l'interruption de la thérapie³⁹. Dès lors, ces observations ne permettent pas de conclure à une efficacité *notable* dans le cas individuel⁴⁰. Le TF ajoute de manière plutôt brutale : « *Die Beschwerdegegnerin kann mit Hilfe anderer Massnahmen (Beatmung, Gehstöße) – wenn auch eingeschränkt – ihr Leben weiterführen.* »⁴¹

2.2. Traitement économique ? Non.

[Rz 13] L'une des conditions de la mise en œuvre de

l'exception jurisprudentielle n'étant pas remplie, le TF aurait pu arrêter là son raisonnement. Il le poursuit cependant en se penchant sur la condition de l'économicité du traitement. C'est la partie la plus intéressante de l'arrêt.

[Rz 14] Le Myozyme n'ayant pas été soumis à l'OFSP pour examen en vue de l'inscription dans la LS, le TF rappelle que c'est au tribunal d'opérer le contrôle de l'économicité (art. 32 al. 1 LAMal)⁴². Que ce soit dans le cadre de l'exception jurisprudentielle ou des nouveaux art. 71a et 71b OAMal⁴³, cette exigence demeure incontournable⁴⁴.

[Rz 15] En premier lieu, cette condition implique de choisir, parmi plusieurs traitements possibles, celui qui présente le meilleur profil coût-efficacité⁴⁵. Toutefois, même lorsqu'il n'existe qu'un seul traitement, l'autorité doit procéder à une appréciation de l'économicité. C'est pourquoi, en second lieu, elle doit déterminer si l'unique médicament disponible n'exige pas un *sacrifice financier disproportionné* par rapport au résultat thérapeutique (« *ein grobes Missverhältnis [...] zwischen Aufwand und Heilerfolg* »)⁴⁶. Coût et efficacité doivent donc être appréciés conjointement : plus l'efficacité est notable, plus des coûts élevés se justifient⁴⁷.

[Rz 16] Selon le TF, ces exigences – certes sévères pour l'assuré – ne peuvent être écartées en invoquant *l'éthique*, en particulier un impératif de toujours préserver la vie⁴⁸. En effet, les moyens financiers à disposition ne sont pas illimités ; les consacrer à une maladie signifie en priver un autre domaine sanitaire, voir un autre secteur d'activité⁴⁹. Déjà aujourd'hui, la LAMal opère des choix, en restreignant ou excluant le remboursement de certaines prestations pourtant médicalement souhaitables⁵⁰ ; on pense par exemple aux soins dentaires, à la contraception ou la procréation médicalement assistée et plus récemment aux lunettes⁵¹. Citant une littérature médico-éthique récente⁵², le TF remarque : « *Sodann ist all-*

³² Les extrêmes vont de 77 mètres à 626 mètres de distance parcourue en 6 minutes.

³³ La différence de 28 mètres est calculée sur une base statistique, raison pour laquelle elle ne correspond pas à une simple soustraction des chiffres ci-dessus.

³⁴ Cf. consid. 6.7.

³⁵ Ce test consiste à mesurer la quantité d'air expirée par le patient, rapportée à des valeurs normales déterminées en fonction de la taille, du poids et de l'âge. Une valeur de 53% signifie que le patient a une capacité diminuée de près de moitié par rapport à une personne en bonne santé. Une assistance respiratoire est souvent proposée lorsque la capacité respiratoire descend en-dessous de 50%, ou 15-20 ml/kg ou 50% de la valeur considérée normale ou moins d'un litre en volume courant. Cf. UpToDate, page web http://www.uptodate.com/contents/respiratory-muscle-weakness-due-to-neuromuscular-disease-clinical-manifestations-and-evaluation?source=see_link&anchor=H10#H10.

³⁶ Cf. consid. 6.7.

³⁷ Consid. 6.8.

³⁸ Cf. consid. 6.8 et 6.9.

³⁹ Cf. consid. 6.9.

⁴⁰ Consid. 6.9.

⁴¹ Consid. 6.9.

⁴² Cf. consid. 7.1.

⁴³ Pour rappel, ces nouvelles dispositions exigent que « [I] e rapport entre la somme à rembourser et le bénéfice thérapeutique du médicament [soit] adéquat ».

⁴⁴ Le tribunal argovien s'était à tort dispensé de l'évaluer. Cf. consid. 7.3.

⁴⁵ Cf. consid. 7.4.

⁴⁶ Cf. consid. 7.4.

⁴⁷ Id.

⁴⁸ « *Die Kostenfrage kann auch nicht auf die Seite geschoben werden mit der blossen Behauptung, es sei ethisch oder rechtlich unzulässig, Kostenüberlegungen anzustellen, wenn es um die menschliche Gesundheit gehe.* » Consid. 7.5.

⁴⁹ Cf. consid. 7.5.

⁵⁰ Id.

⁵¹ La décision du Conseiller fédéral Burkhalter de retirer les lunettes de la liste des mesures remboursées par l'AOS a donné lieu à un vif débat. Cf. par ex. motion 10.4089 du 16 décembre 2010 de Stéphane Rossini intitulée « LAMal et AOS : Prise en charge des lunettes. Retour à la situation de 2010 » ; motion 10.3953 du 13 décembre 2010 de Thérèse Meyer-Kaelin intitulée « Pas d'économie sur les lunettes des enfants ».

⁵² Outre les nombreuses références citées par le TF au consid. 7.5, on citera

gemein- und gerichtsnotorisch, dass in der alltäglichen medizinischen Praxis die Kostenfrage eine erhebliche Rolle spielt und verbreitet eine Art implizite oder verdeckte Rationierung stattfindet »⁵³.

[Rz 17] Il enchaîne en regrettant que ce rationnement ne soit pas fondé sur des critères généralisables reconnus⁵⁴. Il en résulte insécurité juridique et inégalité de traitement, les décisions de prise en charge étant adoptées au cas par cas par les médecins et/ou les caisses. Pour le TF, une telle situation est injuste, les ressources devant être partagées équitablement⁵⁵.

[Rz 18] La Haute Cour signale toutefois que la jurisprudence, en tranchant des cas individuels, a d'ores et déjà tenté de combler la lacune laissée par les autorités politiques⁵⁶. Il récapitule brièvement sept décisions rendues entre 1983 et 2006 où le rapport coût-efficacité a été jugé encore admissible⁵⁷. La dépense la plus faible était de CHF 532,70 pour trois mois de méthadone ; la plus élevée de CHF 39'000 pour une prothèse électronique. Il fait état de trois autres cas où l'économicité a été niée⁵⁸. Dans le premier, il s'agissait d'un refus de l'assurance-accident, mais le montant en jeu n'est pas indiqué. Le second domaine fait référence aux soins à domicile, où la prise en charge est refusée à partir de CHF 100'000 par an. Enfin, le TF mentionne son arrêt récent de 2008 relatif à l'Herceptin⁵⁹, où des dépenses *globales* chiffrées entre CHF 1,85 et 3,85 millions pour sauver un seul patient ont été critiquées pour leur mauvais rapport coût-efficacité⁶⁰, mais où le médicament a en fin de compte tout de même été remboursé⁶¹.

[Rz 19] Le TF poursuit son analyse par un aperçu des pratiques des pays voisins. Il en retient qu'un seuil de CHF 100'000 par année de vie sauvée (avec ajustement pour la qualité de vie ; abréviation en anglais : « QALY ») est

généralement jugé admissible⁶². Il compare ensuite ce seuil étranger avec les sommes mises en œuvre en Suisse pour traiter des maladies connues pour être coûteuses. Citant deux études⁶³, le TF relève qu'un traitement contre le cancer coûterait jusqu'à CHF 84'000 par an⁶⁴, tandis que le coût d'un traitement contre l'ostéoporose serait de l'ordre de CHF 70'000 par QALY⁶⁵ ; dans le domaine de la prévention, des dépenses de CHF 25'000 à 500'000 par année de vie sauvée seraient encore tolérables⁶⁶. Ce seuil plus élevé s'expliquerait car la prévention vise à protéger des personnes considérées comme plus « innocentes »⁶⁷. Sur la base de ces chiffres et animé d'un souci d'égalité entre assurés, le TF conclut qu'un traitement est en tout cas non-économique si ses coûts excèdent CHF 500'000-600'000 par an⁶⁸ – peu importe alors que le bénéfice thérapeutique soit élevé.

[Rz 20] Enfin, pour le TF, la nature *orpheline* de la maladie n'y change rien. En effet, il existe quantité de patients (180'000 en Suisse selon le TF⁶⁹) souffrant de maladies similairement invalidantes à celle de Pompe et tous ont droit à l'égalité de traitement⁷⁰. Si l'on devait consentir à chacun une dépense de CHF 500'000 par an, le total s'élèverait à CHF 90 milliards⁷¹, soit nettement plus que les dépenses totales actuel-

encore l'étude de Samia Hurst et al., *supra* note 8, p. 1138-1143 (2006) (« *While one might expect that physicians in countries that spend more money per capita would report rationing less, this does not appear to be the case. Physicians in Switzerland, where the most is spend, report the most rationing.* »).

⁵³ Consid. 7.5.

⁵⁴ Id.

⁵⁵ Cf. consid. 7.7.

⁵⁶ Cf. consid. 7.6.

⁵⁷ Consid. 7.6.1. et les arrêts cités: ATF 109 V 41; 118 V 107; 119 V 446; 114 V 153; 114 V 258; 130 V 532; 132 V 215.

⁵⁸ Consid. 7.6.2. et arrêts cités: U 77/81; ATF 126 V 334; K 95/03; 9C_56/2008.

⁵⁹ Arrêt 9C_56/2008.

⁶⁰ Ce chiffre correspond au « *number needed to treat* », soit le nombre de patients qui doivent recevoir le médicament pour que, parmi eux, un seul tire parti du bénéfice thérapeutique espéré. Il ne s'agit donc pas du coût par patient, lequel est bien sûr nettement plus faible.

⁶¹ Le TF a invoqué un argument d'équité pour admettre le remboursement dans le cas de la patiente recourante, à savoir que le médicament avait été admis dans la LS peu après la date déterminante pour la décision de remboursement. Voir à ce sujet, V. Junod, *supra* note 16.

⁶² Cf. consid. 7.6.3. Les seuils ne sont pas décidés en tenant compte du coût de la vie, lequel – bien évidemment – varie selon les pays.

⁶³ Cf. Jürg Nadig, *Verdeckte Rationierung dank Wirtschaftlichkeitsverfahren?*, 89 Bulletin des médecins suisses p. 859 (2008) ; Olivier Lamy & Marc-Antoine Krieg, *De la nécessité des études coût-efficacité en ostéoporose*, 115 Revue Médicale Suisse p. 1521-1525 (2007). Consid. 7.6.3.

⁶⁴ Le coût exact d'un traitement contre le cancer est grandement tributaire du poids du patient, puisque le dosage du médicament à administrer est calculé en fonction de son poids.

⁶⁵ Le coût par QALY des traitements contre l'ostéoporose varie largement en fonction des caractéristiques des patients à traiter. Il est plus faible chez les patients qui, en raison de l'âge et des antécédents médicaux, présentent un risque plus élevé de fractures. En effet, pour ces patients, l'administration du médicament va permettre d'éviter un plus grand nombre de fractures.

⁶⁶ Il est très délicat de chiffrer les coûts par QALY d'une mesure de prévention, car ceux-ci sont hautement tributaires du risque auquel chaque membre de la population est concrètement exposé. Voir également le chapitre 3.1.3 ci-dessous.

⁶⁷ « *Dabei handelt es sich bei den höheren Werten um Bereiche, in denen es um die Prävention gegen Gefahrenquellen geht, welche von Menschen verursacht werden und völlig unbeteiligte andere Menschen bedrohen; aufgrund des generellen Verbots, andere an Leib und Leben zu schädigen, dürfte es sich rechtfertigen, in dieser Hinsicht höhere Aufwendungen zu Lasten des Verursachers zu fordern als im Bereich der von der Sozialversicherung bezahlten Behandlung gegen Krankheiten, die von niemandem verschuldet wurden.* » Consid. 7.6.3. La logique de cet argument prête à débat. On ne voit pas pourquoi un patient infecté par un virus mériterait des dépenses de santé plus élevées que s'il avait développé un cancer.

⁶⁸ Cf. consid. 7.8.

⁶⁹ Id [7.8].

⁷⁰ Id [7.8].

⁷¹ Id [7.8]. Ce raisonnement par l'absurde ne convainc pas vraiment, car à supposer qu'il existe réellement 180'000 patients aussi invalides que Madame F. (ce qui paraît déjà douteux), ils n'ont certainement pas tous

les de santé en Suisse⁷². Un tel fardeau n'est clairement pas supportable.

3. Analyse critique de l'arrêt

[Rz 21] Le TF rejette la prise en charge du Myozyme pour un double motif. Si l'arrêt mérite largement d'être approuvé dans son résultat – on discute enfin ouvertement du rationnement ! –, on émettra cependant des réserves touchant à sa motivation. Tout d'abord, l'évaluation que fait le TF du bénéfice et du coût du Myozyme s'écarte à maints égards des standards pharmaco-économiques (sous-chapitres 3.1 et 3.2 ci-dessous exposant les méthodes admises de calcul QALY). Dans ces circonstances, la mention par le TF d'un seuil de coût par QALY est de nature à induire en erreur. En outre, le TF ne fait nullement état des lourdes critiques que la méthode de QALY a suscitées ; celles-ci sont résumées au sous-chapitre 3.2. Enfin, l'arrêt laisse subsister de nombreuses interrogations sur ses conséquences à plus large échelle ; c'est pourquoi le sous-chapitre 3.3 envisage son impact sur les diverses parties concernées.

3.1. Imprecisions dans l'utilisation du système d'évaluation pharmaco-économique

[Rz 22] Au considérant 7.6 de son arrêt, le TF se réfère aux évaluations pharmaco-économiques de type coût-bénéfice, et plus particulièrement à la méthode de coût par QALY⁷³. Toutefois, il y fait recours de manière impropre, en établissant une comparaison entre des soins quantifiés selon des méthodes différentes ; ce biais affaiblit les conclusions qu'il en tire. Pour mieux comprendre ce qu'implique la méthode de coût par QALY, ce sous-chapitre expose les bases scientifiques des traditionnelles analyses coût-efficacité. Aucune véritable évaluation de coût par QALY n'ayant été à ce jour menée pour le Myozyme⁷⁴, ce sont les grandes lignes méthodologiques qui sont présentées ici. Le référentiel principalement suivi est celui du National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) anglais, aujourd'hui à la pointe de

l'évaluation technologique pour ce qui est de la rigueur et de la transparence de ses études⁷⁵.

3.1.1. Quantification du *bénéfice* attribuable à un traitement

[Rz 23] Pour apprécier l'économicité d'un traitement, le TF met, à juste titre, en parallèle bénéfices et coûts. Cette comparaison exige que les uns et les autres soient correctement quantifiés, c'est-à-dire chiffrés.

[Rz 24] En l'occurrence, on se souvient que Madame F. avait vu son état s'améliorer (cf. sous-chapitre 2.1 ci-dessus) pendant le traitement et empirer à son arrêt. Cette amélioration n'avait toutefois pas été traduite en chiffres⁷⁶ : aucune donnée n'est fournie concernant les paramètres utilisés dans l'étude LOTS (amélioration de la distance parcourue et/ou de la capacité pulmonaire) ; aucun questionnaire de qualité de vie n'a été rempli avant et après le traitement⁷⁷. Sans ces chiffres, impossible de calculer une quelconque valeur de *quality adjusted life year* (QALY). En toute hypothèse, si l'on se réfère aux paramètres recensés dans l'étude LOTS, le traitement par Myozyme ne fait que diminuer légèrement le handicap du patient ; il n'a *a priori* pas d'impact sur sa survie. L'étude LOTS n'a pas davantage prouvé une amélioration (chiffrée) de la qualité de vie⁷⁸. Par conséquent, il serait abusif d'en déduire que le Myozyme contribue à une année supplémentaire de QALY⁷⁹.

[Rz 25] Pour saisir les limites du raisonnement développé par le TF dans son arrêt, il est important de comprendre comment la méthode d'analyse par QALY doit être mise en œuvre. Pour effectuer un calcul correct des QALY, il aurait fallu commencer par quantifier les bénéfices attendus pour un collectif de patients. La perspective à adopter est généralement celle de l'agent-payeur lié à l'assuré ; autrement dit, seuls les bénéfices ressentis par l'assuré (et non ses proches ou ses employeurs) sont pris en compte⁸⁰. Ces bénéfices sont ensuite à rapporter à une année de vie ajustée pour sa qualité. Ce bénéfice présente une double dimension : l'amélioration de

besoin de produits aussi chers que celui que sollicite Madame F.

⁷² En 2008, les dépenses totales de santé en Suisse s'élevaient à CHF 58,5 milliards, dont CHF 20 milliards à charge de l'AOS. Par personne, la dépense était de CHF 7'600 par an, dont environ CHF 3'000 à charge de l'AOS. En 2009, les médicaments représentaient par personne une dépense de CHF 700.

⁷³ Cf. consid. 7.6.3 et l'importante littérature scientifique citée par le TF.

⁷⁴ On citera tout de même les évaluations de la Welsh Medicines Partnership d'octobre 2006 (sous <http://www.wales.nhs.uk/sites3/Documents/371/Enc%20%20WMP%20Myozyme%20final%20Appraisal%20report%20v1.15.pdf>) et celle du Scottish Medicines Consortium de février 2007 (sous http://www.scottishmedicines.org.uk/files/algucosidase_alfa_50mg_powder_Myozyme_352-07_.pdf). Il ne s'agit cependant pas d'études pharmaco-économiques à proprement parler.

⁷⁵ Evidemment, le NICE a aussi ses détracteurs. Voir le sous-chapitre 3.2 ci-dessous et les nombreuses références citées *infra* sous note 103.

⁷⁶ Cf. consid. 6.10.

⁷⁷ Au consid. 6.9, le TF évoque les conclusions positives d'un questionnaire basé sur la qualité de vie. Toutefois, le TF ne précise pas quel questionnaire a été utilisé ; il ne dit pas si un même questionnaire avait été administré avant le début du traitement. Enfin, aucun chiffre n'est fourni.

⁷⁸ Cf. Haute autorité de santé française (HAS), Commission de la transparence, Avis du 16 juin 2010 sur le Myozyme, p. 14.

⁷⁹ Pour gagner une année de QALY sans aucune différence dans la survie, il aurait fallu – théoriquement mais pas mathématiquement – que la qualité de vie passe d'un score de 0 à 1. Or un score de 0 signifie que le patient estime sa qualité de vie comme nulle et n'a donc aucun intérêt à vivre, tandis qu'un score de 1 implique qu'il perçoit sa qualité de vie comme optimale. Dès lors, on voit bien qu'il est impossible d'attribuer un gain d'une année QALY dans le cas de la patiente ici en cause.

⁸⁰ Sur les lacunes du système de QALY, voir le chapitre 3.2.

la survie (point a) ci-dessous) et l'amélioration de la qualité de vie (point b) ci-dessous), les deux étant combinées (point c) ci-dessous), sur un même intervalle de temps (point d) ci-dessous).

a) L'amélioration de la survie

[Rz 26] Le premier paramètre – la survie – implique de savoir de combien de jours, mois ou années le traitement prolonge la vie pour le collectif de patients. Malheureusement, cette mesure n'est pas toujours fournie par les études cliniques, car elle nécessite souvent des observations à long terme⁸¹. Par exemple, dans le cas du Myozyme, il n'était pas possible de déterminer, pour les 78 semaines (un an et demi) de l'étude LOTS, si les patients traités vivaient plus longtemps que ceux ayant reçu le placebo. Lorsque des données de survie à long terme sont manquantes, elles peuvent être extrapolées à partir de modèles mathématiques (dont le plus connu est celui de Markov⁸²) ; ces modèles utilisent les données épidémiologiques à disposition pour prédire le devenir des patients à travers les différentes étapes de l'évolution de leur maladie, jusqu'à leur décès.

[Rz 27] Il est aussi connu que certains médicaments n'ont simplement pas d'impact sur la survie. Lorsque l'on ne dispose pas de mesures de survie, le calcul usuel de coût par QALY devient simplement impossible. Certaines études contournent l'obstacle, en se basant uniquement sur une amélioration de la qualité de vie. Toutefois, cette façon de procéder prête à controverse, car le principe veut que la mesure de la qualité de vie soit conçue *pour pondérer* la mesure de la survie⁸³.

b) L'amélioration de la qualité de vie

[Rz 28] Le second paramètre – la qualité de vie – est presque

toujours mesuré à l'aide de questionnaires remplis par les patients avant et après traitement. Le questionnaire le plus répandu est l'Euroqol, établi et validé par un groupe de chercheurs internationaux⁸⁴. Il se compose de deux volets, une échelle visuelle analogique (abrégée « thermomètre ») et cinq questions ciblées sur une échelle de 1 à 3. Le thermomètre interroge le patient sur sa perception de sa qualité de vie, avec une échelle allant de 0 (nulle) à 100 (idéale). C'est la principale valeur utilisée dans les études QALY, même si elle est hautement subjective. Ensuite, les réponses aux cinq questions ciblées permettent de déterminer un code de 5 chiffres (un par question)⁸⁵, dont peut être dérivée une deuxième valeur de qualité de vie à partir d'une table représentant les valeurs obtenues en sondant un large échantillon de la population. Pour la Suisse romande, ces valeurs de référence ont été établies récemment⁸⁶ ; elles sont très proches des chiffres européens. En comparant la perception de la qualité de vie chez un patient particulier à l'aide du thermomètre à celle de la population à l'aide du code de réponses aux 5 questions, on peut évaluer la part de subjectivité du patient dans son estimation de sa qualité de vie.

c) Combinaison des deux mesures

[Rz 29] Survie et qualité de vie doivent ensuite être combinées en une seule mesure. Cette étape est accomplie par une simple multiplication. Par exemple, si, en moyenne, le traitement prolonge la vie de deux ans, mais avec un handicap qui, toujours en moyenne, est chiffré comme diminuant la qualité de vie de 50%, on retiendra un bénéfice de QALY de seulement une année.

d) Taux d'escompte

[Rz 30] Ces bénéfices en termes de survie ou de qualité de vie doivent être ramenés à une période d'une année.

⁸¹ La question du comparatif utilisé se pose également. Recourir à un placebo pour le groupe (bras) comparatif produit des résultats particulièrement fiables. En revanche, l'usage d'un bras actif, si possible le traitement standard jugé le meilleur jusqu'à présent, produit des résultats plus utiles pour la pratique clinique de même que pour l'évaluation d'économicité. Seuls les essais cliniques dits « *head-to-head* » permettent de comparer directement deux traitements et d'affirmer lequel présente un meilleur rapport coût par QALY. Regrettablement, de telles études sont rarement conduites, car elles sont coûteuses et risquées pour la société pharmaceutique qui produit l'un ou l'autre des médicaments impliqués. La loi suisse comme les réglementations équivalentes à l'étranger n'exigent pas d'essais « *head-to-head* » pour octroyer l'AMM. Au contraire, l'efficacité d'un nouveau médicament est reconnue sur la base des seules études contre placebo. Cependant, une tendance se dessine pour n'octroyer un prix ou un taux élevé de remboursement qu'aux médicaments dont le bénéfice par rapport au traitement standard est avéré ; pareille exigence est de nature à inciter les sociétés pharmaceutiques à conduire des essais « *head-to-head* ». Cf. aussi Goldberg et al., Availability of comparative drug efficacy data at the time of drug approval in the United States. 305 JAMA p. 1786-1789 (2011).

⁸² Cf. Uwe Siebert, When should decision-analytic modeling be used in the economic evaluation of health care? 4 European Journal of Health Economics p. 143-150 (2003).

⁸³ Voir aussi *supra* note 79.

⁸⁴ The EuroQol Group, EuroQol – a new facility for the measurement of health-related quality of life, 20 Health Policy p. 321-328 (1992); pour une critique, voir R. Kirkdale et al., The cost of a QALY, 103 QJM p.717.

⁸⁵ Ces cinq questions portent sur la capacité à se mouvoir, la capacité à se laver et à s'habiller, la capacité à mener à bien ses activités quotidiennes, les douleurs et l'état de santé psychique. Pour chacune de ces questions, une réponse allant de 1 à 3 peut être donnée. De ce questionnaire résultent 243 combinaisons, auxquelles on rajoute la mort et l'inconscience, pour arriver à un total de 245 états de santé. Par exemple, la personne qui ne rencontre aucun problème de santé répondra « 1 » à chacune de ces questions et se verra reconnaître un score de 11111 ; sa qualité de vie est parfaite et chiffrée à 1 pour le calcul de QALY. Une personne qui va assez mal sur ces cinq dimensions aura un score de 22222 et sa qualité de vie sera pondérée à environ 0,5. Dans certains cas, la qualité de vie peut même être jugée inférieure à 0. Par exemple, une personne qui va très mal sur toutes les dimensions physiques et est modérément déprimée et anxieuse aura un score de 33332 et une qualité de vie évaluée à -0,4. Cf. NICE, Report on NICE Citizens Council meeting, Quality Adjusted Life Years (QALY) and the severity of illness, p. 26 (2008).

⁸⁶ Thomas Perneger et al., General population reference values for the French version of the EuroQol EQ-5D health utility instrument, 13 Value Health p. 631-635 (2010).

Autrement dit, si une amélioration s'est fait ressentir seulement au bout de trois ans de traitement, ce bénéfice mesuré à trois ans sera divisé par trois, mais en tenant compte d'un taux d'escompte. Ce taux d'escompte se fonde sur l'idée que plus le bénéfice survient tard dans le futur, moins il a de valeur aujourd'hui. Le taux le plus communément utilisé est de 3,5% par an⁸⁷.

3.1.2. Quantification du coût attribuable au traitement

[Rz 31] Une fois les bénéfices correctement calculés, ceux-ci doivent être comparés aux coûts du traitement correctement quantifiés.

[Rz 32] Dans son arrêt, le TF se borne à faire état d'une fourchette de coûts du Myozyme allant de CHF 500'000 à 600'000 par an. Etonnamment, ce chiffre correspond à une patiente pesant seulement entre 43 et 52 kg. En effet, le Myozyme doit être administré à une dose de 20 mg par kilo toutes les deux semaines, soit 1'400 mg par injection pour un adulte de 70 kg. Avec un coût par ampoule de 50 mg de CHF 1'105,70 (prix public), on obtient pour cet adulte de 70 kg un coût CHF 30'960 par injection ou plus de CHF 800'000 par an. Ce chiffre n'inclut pas les autres coûts habituellement associés à un traitement intraveineux (consultation, injection, surveillance après l'injection), ni les mesures nécessaires pour traiter les éventuels effets indésirables dus au Myozyme⁸⁸. Le coût réel à charge de l'assurance-maladie apparaît comme très sous-estimé dans l'arrêt du TF.

[Rz 33] Pour effectuer un calcul correct dans une optique de coût par QALY, il aurait fallu procéder de la manière suivante : d'abord, il convient de choisir pour les coûts la même perspective que celle choisie pour les bénéfices, à savoir le plus souvent celle de l'assurance liée à l'assuré. Autrement dit, des coûts qui ne seraient pas à charge de l'assurance, mais de tiers (par exemple le patient, l'entourage, l'assurance-invalidité, l'assurance-chômage, l'employeur) ne sont pas pris en compte. De nouveau, cette perspective réduite à l'assurance peut avoir un impact notable lorsqu'une perte importante de productivité du salarié est associée à sa maladie et à son traitement ou lorsque cette perte touche un proche impliqué activement dans la prise en charge de la maladie (« proche aidant »).

[Rz 34] Dans un deuxième temps, on additionne les coûts d'achat du médicament et les coûts des soins associés. Les

coûts liés aux effets indésirables du médicament devraient aussi être inclus, même si cela n'est souvent pas possible, faute d'études chiffrées.

[Rz 35] Troisièmement, les économies engendrées par le traitement sont à déduire. En effet, certains médicaments permettent de réduire le nombre, la durée ou la sévérité d'hospitalisations ou de soins à domicile ; certains permettent de se passer d'appareils ou de moyens plus ou moins coûteux. Par exemple, dans le cas du Myozyme, on pourrait envisager des économies sur les coûts liés au respirateur, aux béquilles, puis à la chaise-roulante, et bien sûr aux soins à domicile.

[Rz 36] Enfin, de la même manière que pour le bénéfice, les coûts comme les économies doivent être ramenés à une période d'une année, en utilisant, en principe, le même taux d'escompte.

[Rz 37] Comme on peut le constater, le TF n'a nullement évalué les coûts du Myozyme selon la méthode admise pour un calcul de QALY.

3.1.3. Seuil admissible pour le rapport coût-bénéfice

[Rz 38] La quantification selon une méthode standard des bénéfices et des coûts sert ensuite à calculer un ratio. Ce ratio permet à son tour la comparaison entre divers traitements. Par exemple, il sera possible de dire que tel médicament apporte davantage de QALY pour un coût moindre, par rapport à tel autre médicament destiné à la même maladie. La conséquence est généralement alors que seul le médicament avec le meilleur ratio est pris en charge par l'assurance.

[Rz 39] Le ratio peut aussi être utilisé dans une comparaison avec un seuil absolu jugé maximum. Dans ce cas, il est décidé que les traitements dont le coût par QALY excède un plafond donné ne sont pas du tout pris en charge par l'assurance.

[Rz 40] Contrairement à ce qui a pu être annoncé puis repris par diverses sources⁸⁹, l'arrêt Myozyme n'a pas érigé de plafond à CHF 100'000 par année de QALY⁹⁰. Un tel seuil n'est évoqué nulle part. Ce chiffre apparaît uniquement au considérant 7.6.3 dans le contexte d'une comparaison internationale. Tout au plus, le TF note-t-il que ce seuil « *stimmt in der Größenordnung überein mit den für Therapien in der Schweiz üblicherweise maximal aufgewendeten Kosten* »⁹¹.

[Rz 41] En admettant qu'un plafond doive être fixé, il serait difficile d'invoquer cet arrêt, tant on a vu que le TF recourt à une

⁸⁷ Ce taux est notamment utilisé par le NICE. Cf. NICE, Guide to the Methods of Technology Appraisal, p. 26 (avril 2004), sous http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/TAP_Methods.pdf.

⁸⁸ Les coûts associés à chaque injection s'élèvent CHF 33,53 pour la pose de la perfusion, puis CHF 67,45 pour la surveillance durant la première heure, puis CHF 25.- par 30 minutes supplémentaires. Comme la durée de la perfusion dépend du poids du patient et de sa tolérance à l'injection, qui ne doit pas dépasser 7 mg/kg/h, on compte habituellement entre 1 heure et demie et 3 heures par injection, soit au total CHF 126.30 à CHF 201 par séance, ou CHF 3'283.80 à CHF 5'225.50 par an.

⁸⁹ Cf. par ex. Simon Koch, Coût d'une année de vie, Le Matin du 15 avril 2011 ; Marco Vannotti, Maladies rares: gare à l'indifférence, Revue Médicale Suisse p. 515 (2 mars 2011) (Le TF « fixe une limite à 100'000 francs par an et par patient »).

⁹⁰ Le Conseil fédéral partage cet avis puisqu'il indique, dans sa réponse du 6 juin 2011 à l'interpellation 11.3154 (*supra* note 12) : « la limite indicative mentionnée par le Tribunal fédéral ne constitue pas une valeur limite. »

⁹¹ Cf. consid. 7.6.3.

notion simplifiée de coût par QALY. L'arrêt ayant surestimé le bénéfique et sous-estimé les coûts, le rapport réel de coût par QALY dépasserait certainement – et de beaucoup – le chiffre cité par le TF de CHF 600'000⁹².

[Rz 42] Il faut aussi être conscient que bon nombre de prestations actuellement prises en charge par l'AOS excèdent ce seuil. Le TF n'en touche pas mot. A titre d'exemple, on mentionnera la plupart des thérapies géniques, le traitement de l'hypertension modérée par inhibiteurs de l'enzyme de conversion⁹³ ou encore le traitement de l'hypercholestérolémie par statines⁹⁴.

[Rz 43] Partout dans le monde, le choix du seuil maximum de coût par QALY est vivement controversé. Il est simplement impossible à fixer objectivement. Initialement, une valeur de USD 50'000 par QALY avait été proposée par les économistes américains ; elle avait pour origine l'ordre donné dans les années 1960 par le gouvernement américain à l'assureur public Medicare de prendre en charge le coût des dialyses de tous les patients souffrant d'insuffisance rénale⁹⁵. Un seuil proche (entre £20'000 et £30'000) est utilisé depuis 1999 par le système de santé anglais en liaison avec les évaluations menées par le NICE⁹⁶.

[Rz 44] Cependant, ces seuils sont loin de faire l'unanimité, ne serait-ce que – comme on vient de le souligner – parce que de nombreuses interventions de santé, jugées aujourd'hui indispensables, le dépassent largement. De surcroît, les expériences faites à l'étranger montrent que le rationnement basé sur un seuil de coût par QALY ne recueille pas l'adhésion des populations. Les jugements des agences chargées de ces évaluations technologiques de santé (HTA pour « *Health Technology Assessments* ») génèrent souvent des débats passionnés. Les recours de patients ne sont pas

rare⁹⁷ et sont extensivement relayés par la presse. C'est le cas notamment en Angleterre avec les rapports d'évaluation du NICE.

3.2. Limites de la mesure coût par QALY

[Rz 45] La section ci-dessus s'étant bornée à présenter la méthode de calcul d'un coût par QALY, il convient maintenant d'en exposer les limites. En effet, cette méthode souffre de plusieurs faiblesses tant sur le plan scientifique (sous-chapitre 3.2.1 ci-dessous) que sur le plan éthique (sous-chapitre 3.2.2 ci-dessous). Une brève prise de position sur les avantages et inconvénients de cette méthode clôt la section (sous-chapitre 3.2.3 ci-dessous).

3.2.1. Limites scientifiques

[Rz 46] La méthode d'évaluation fondée sur le coût par QALY n'est clairement pas parfaite. Pour certains auteurs⁹⁸, ces faiblesses sont suffisamment sérieuses pour qu'il soit renoncé à cet outil. Pour d'autres⁹⁹, ces limites doivent seulement être prises en considération lors de son application, et plus particulièrement au stade de la prise de décision par l'autorité publique compétente ; à cet égard, ils soulignent l'absence de réelles alternatives permettant de combiner scientifiquement coûts et bénéfices d'une intervention de santé¹⁰⁰.

[Rz 47] La *première* et principale faiblesse de la méthode tient aux inputs, c'est-à-dire à la fiabilité des chiffres utilisés pour les divers calculs. On énumérera ci-après les principales lacunes :

- a. Données inexistantes : Souvent, toutes les données nécessaires à un calcul précis du coût par QALY font défaut au moment de l'introduction d'un nouveau traitement. Celles-ci ne seront développées et publiées qu'au bout de plusieurs mois ou années. Ainsi, dans le cas du Myozyme, le médicament a été homologué en avril 2006 aux Etats-Unis¹⁰¹, soit quatre ans avant la publication dans le NEJM de l'étude LOTS sur des

⁹² Si l'amélioration de la qualité de vie était réévaluée à 10% du chiffre retenu, ce qui apparaît vraisemblable au vu des résultats de l'étude LOTS, on passerait à un coût de 6 millions pour une année de QALY, mais sans impact sur la survie.

⁹³ Par rapport aux diurétiques, les inhibiteurs de l'enzyme de conversion coûtent plus chers et sont moins efficaces. Cf. Heldenreich et al., Cost-effectiveness of chlorthalidone, amlodipine, and lisinopril as first-step treatment for patients with hypertension: an analysis of the Antihypertensive and Lipid-Lowering treatment to prevent Heart Attack Trial (ALLHAT), 23 J Gen Intern Med p. 509-516 (2008).

⁹⁴ En fonction du profil de risque du patient, le coût par QALY des statines va jusqu'à USD 500'000.- en prévention secondaire (chez un patient) et jusqu'à USD 1'400'000.- en prévention primaire (chez une personne non-malade). Ces chiffres se basent sur le nombre (élevé) de patients qu'il est nécessaire de traiter pour qu'un seul d'entre eux dérive le bénéfice d'une année de QALY. Cf. Prosser et al., Cost-effectiveness of cholesterol-lowering therapies according to selected patient characteristics. 132 Ann Intern Med p. 769-779 (2000).

⁹⁵ Cf. Scott Grosse, Assessing cost-effectiveness in healthcare: history of the ,000 per QALY threshold, Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research p. 165-78 (2008).

⁹⁶ A ce sujet, voir Kirkdale et al., *supra* note 84.

⁹⁷ NHS, National Institute for Health and Clinical Excellence. NICE issues guidance on drugs for Alzheimer's disease (2001), sous <http://www.nice.org.uk/article.asp?a=14406>.

⁹⁸ Parmi les détracteurs intransigeants de la méthode, on citera John Harris, bioéthicien et éditeur de la revue Journal of Medical Ethics (JME). Voir aussi Jan J. Barendregt & Luc Bonneux, The trouble with health economics, 9 European Journal of Public Health p. 309-312 (1999).

⁹⁹ Parmi les partisans fidèles de la méthode, on citera Karl Claxton, Antony Culyer et Alan Maynard, et leurs diverses publications citées sous note 103 *infra*.

¹⁰⁰ Sur les limites scientifiques de la méthode de coût par QALY, voir notamment Michael Drummond et al., Common Methodological Flaws in Economic Evaluations, 43(7) Medical Care p. 5-14 (2005).

¹⁰¹ Les parties publiquement accessibles du dossier d'AMM sont disponibles sur le site web de la FDA à partir de <http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/>. Aux Etats-Unis, le médicament est commercialisé sous deux noms différents: Myozyme pour la forme infantile et Lumi-zyme pour la forme adulte (approuvée en mai 2010).

patients adultes. Autrement dit, pendant plusieurs années, il n'y avait pratiquement aucune information pour opérer un calcul de QALY.

- b. Données extrapolées : Les données utilisées provenant généralement d'études cliniques menées sur une relativement brève période, elles doivent souvent être extrapolées à une période plus longue. Par exemple, on part de l'idée qu'un bénéfice constaté sur la période de l'essai va perdurer pendant le reste de la vie du patient. Une telle extrapolation est risquée, car il se peut tout aussi bien que le bénéfice s'estompe avec le temps, voire même qu'il soit remplacé par un préjudice (par exemple effet secondaire tardif).
- c. Données trop anciennes : A l'inverse, pour certaines données, les chiffres peuvent être issus d'études trop anciennes, alors que le standard de traitement a changé depuis. Par exemple, dans le cas du Myozyme, les données historiques remontaient à 2005 pour les patients inclus dans l'étude LOTS.
- d. Données étrangères : Idéalement, un calcul de QALY devrait se fonder sur des données récoltées auprès de la population du pays concerné. En effet, des données provenant d'un pays où l'état de santé des malades, les soins mis à leur disposition et la prévalence de la maladie sont différents et donc difficiles à extrapoler à un autre pays. Pour la maladie en question, les données de l'étude LOTS provenaient d'Europe et d'Amérique du Nord.
- e. Données fondées sur un contexte non pertinent : Généralement, les mesures de QALY sont issues d'essais cliniques, et non de la pratique médicale. Or ce contexte expérimental peut être passablement éloigné de la situation réelle. Par exemple, les sujets de recherche recrutés ne correspondent pas exactement aux patients traités en clinique qui sont souvent plus âgés, souffrent de comorbidités et font l'objet d'un suivi moins étroit. Les coûts peuvent également être très différents dans le contexte expérimental par rapport au contexte clinique, puisque les patients souffrant de comorbidités présentent plus d'effets secondaires liés au traitement. En résumé, le rapport coût-efficacité augmente puisque les coûts augmentent et les bénéfices diminuent, phénomène connu sous l'étiquette de régression à la moyenne.
- f. Données insuffisamment nombreuses : Le fait de fonder un calcul de QALY sur un seul essai clinique est également considéré comme une faiblesse. Idéalement, les mesures devraient se baser sur une combinaison de plusieurs essais réunis en une méta-analyse. Evidemment, le coût de ces études supplémentaires les place hors de portée des autorités et de l'industrie.

[Rz 48] Une *seconde* faiblesse tient dans l'arbitraire de certains paramètres du modèle mathématique utilisé ; on citera notamment les aspects suivants :

- a. Le taux d'escompte : Les modèles QALY appliquent tant aux bénéfices qu'aux coûts un taux d'escompte. Autrement dit, un bénéfice ressenti dans 5 ans est pris en compte pour un montant plus élevé par rapport à un bénéfice ressenti dans 9 ans ; de même, une dépense assumée dans 5 ans est considérée comme moins élevée qu'une dépense immédiate. Le choix du taux appliqué est cependant largement arbitraire, car aucun critère ne permet de l'établir à 3, 4 ou 5%.
- b. Echelles imprécises : L'ambition de mesurer la qualité de vie en posant des questions aux patients est critiquée comme insuffisamment fiable. Des patients souffrant de la même maladie (au même stade) peuvent y apporter des réponses très différentes. Prendre ensuite la moyenne de leurs réponses est insatisfaisant si, au départ, les variations (dispersion) sont très fortes, et le nombre de patients concernés petit. Une critique similaire peut être formulée pour la combinaison du paramètre « survie » et du paramètre « qualité de vie ». Ainsi, il n'est pas évident pour une personne de répondre à des questions du genre : « combien de jours, de mois ou d'années de votre vie seriez-vous prêt à sacrifier pour éviter de vivre en chaise roulante ? Ou aveugle ? Ou déprimé ? ».
- c. Le seuil d'économicité : Pour rappel, le seuil au-delà duquel un traitement ne sera pas pris en charge est arbitraire, en ce sens qu'il est le résultat d'un choix politique, social et/ou éthique, et non pas d'un calcul mathématique.

[Rz 49] La *troisième* faiblesse tient à la prise en compte de l'*incertitude*. Les bénéfices comme les coûts calculés reposent sur des moyennes basées à leur tour sur des données dont la fiabilité laisse à désirer. Par exemple, on estime qu'en traitant 10 patients aujourd'hui, on évite deux cancers sur une période de 10 ans ; cependant, comme il s'agit d'une estimation, ces deux derniers chiffres sont compris dans une fourchette (en statistique, on parle d'un intervalle de confiance). Le coût par QALY peut dès lors être notablement affecté si, en réalité, en traitant 10 patients aujourd'hui, on évite trois cancers sur une période de 10 ans. Cette marge statistique implique de compléter la présentation des résultats par des analyses dites de sensibilité. Celles-ci montrent comment les conclusions sont affectées au fur et à mesure qu'on adapte une ou plusieurs variables simultanément. Lorsque les ratios découlant des diverses hypothèses de l'analyse de sensibilité divergent très nettement, l'interprétation des résultats doit être effectuée avec prudence et la méthode de coût

par QALY pourrait perdre en crédibilité. En pratique, de telles divergences ne sont pas rares¹⁰².

3.2.2. Débats éthiques sur la mesure du coût par QALY

[Rz 50] Depuis plusieurs décennies, la littérature bioéthique¹⁰³ regorge de débats sur la légitimité du calcul par QALY, et plus généralement de toute évaluation chiffrée de la qualité de vie ou à plus forte raison de sa valeur monétaire. Si l'arrêt du TF devait marquer un plus large recours à cette méthode en Suisse, il est important d'en comprendre les limites. En effet, c'est seulement si les décideurs en sont conscients que les faiblesses ou les lacunes de cette méthode pourront être corrigées. Aussi, ce sous-chapitre expose les principales critiques des bioéthiciens.

a. Les critères médicaux au second plan : La méthode des QALY cherche à tracer un compromis entre le coût et l'efficacité. C'est pourquoi un traitement très

efficace peut être rejeté en faveur d'un traitement moins efficace, mais moins cher¹⁰⁴. Les critères médicaux – qu'il s'agisse de survie ou de qualité de vie – peuvent ainsi passer au second plan.

- b. Les critères budgétaires non pris en considération : Le point de savoir si la société peut se permettre la dépense en cause n'est pas pris en compte par cette méthode. En d'autres termes, elle ne s'intéresse pas aux budgets globaux ou individuels nécessaires pour financer les soins qu'elle aboutit à préconiser. Il se peut ainsi qu'un traitement rejeté pour son mauvais rapport coût-efficacité ne représente qu'une part minime des dépenses de santé, par exemple en raison du faible nombre de patients concernés ; à l'inverse, un traitement jugé avantageux sous l'angle des QALY pourrait faire exploser les budgets de santé, car il devrait être offert à un très large segment de la population.
- c. Discrimination des patients les plus mal lotis déjà au départ : La méthode des QALY aboutit à favoriser les patients dont l'amélioration de la survie ou de la qualité de vie sera la plus forte grâce au traitement. A l'inverse, les patients qui ne peuvent attendre qu'une faible amélioration de l'un ou l'autre de ces deux paramètres auront moins de chance de bénéficier du traitement. Par exemple, une patiente souffrant de sclérose en plaque pourrait se voir refuser une transplantation rénale dont elle a par ailleurs besoin, car sa qualité de vie et sa survie en seront nettement moins augmentées que celles d'une autre patiente qui en a le même besoin, mais qui peut s'attendre à un complet rétablissement suite à la transplantation. Cet argument est souvent désigné par l'expression « *double jeopardy* »¹⁰⁵.
- d. Prise en compte insuffisante des souffrances passées : Certains auteurs considèrent qu'une personne qui a déjà beaucoup souffert dans le passé devrait être privilégiée par rapport à une personne jusqu'à présent bien portante. Dans l'exemple précédent, la patiente qui souffre de sclérose en plaque mériterait la priorité dans la transplantation car sa maladie préexistante lui inflige déjà d'importantes souffrances. Cet argument

¹⁰² Cf. par ex. NICE, A Review of the Clinical and Cost-effectiveness of Gemcitabine for the Treatment of Pancreatic Cancer (mai 2001), sous <http://www.nice.org.uk/nicemedia/live/11425/32190/32190.pdf>.

¹⁰³ Ce chapitre tire ses sources d'un débat extrêmement nourri qui, pendant 20 ans, s'est étendu dans la revue *Journal of Medical Ethics* (JME). On citera ainsi les échanges, de loin pas toujours tendres, entre : John Harris, QALYfying the value of life, 13 JME 117-123 (1987) ; John Rawles, Castigating QALYs, 15 JME p. 143-147 (1989) ; Gavin Mooney, QALYs: are they enough? A health economist's perspective, 15 JME p.148-152 (1989) ; John Rawles & Kate Rawles, The QALY argument: a physician's and a philosopher's view, 16 JME p. 93-94 (1990) ; John Cubbon, the principle of QALY maximization as the basis for allocating health care resources, 17 JME p. 181-184 (1991) ; John Harris, Unprincipled QALYs: a response to Cubbon, 17 JME p. 185-188 (1991) ; Alan Williams, Cost-effectiveness analysis: is it ethical? 18 JME p.7-11 (1992) ; Peter Singer et al., Double jeopardy and the use of QALYs in health care allocation, 21 JME p. 144-150 (1995) ; John Harris, Double jeopardy and the veil of ignorance – a reply, 21 JME p. 151-157 (1995) ; Tony Hope, QALYs, lotteries and veils: the story so far, 22 JME p. 195-196 (1996) ; John McKie et al., Double jeopardy, the equal value of lives and the veil of ignorance: a rejoinder to Harris, 22 JME p. 204-208 (1996) ; John Harris, Would Aristotle have played Russian Roulette? 22 JME p. 209-215 (1996) ; Joshua Cohen, Preferences, needs and QALYs, 22 JME p. 267-272 (1996) ; Christopher Cherry, Health care, human worth and the limits of the particular, 23 JME p. 310-314 (1997) ; Tony Hope, Rationing and life-saving treatments: should identifiable patients have higher priority? 27 JME p. 179-185 (2001) ; Alan Maynard, Ethics and health care « underfunding », 27 JME p. 223-227 (2001) ; Milton C. Weinstein, Should physicians be gatekeepers of medical resources? 27 JME p. 268-274 (2001) ; John Harris, It's not NICE to discriminate, 31 JME p. 373-375 (2005) ; Michael Rawlins & A. Dillon, NICE discrimination, 31 JME p. 683-684 (2005) ; John Harris, Nice and not so nice, 31 JME p. 685-688 (2005) ; Karl Claxton & Anthony J. Culyer, Wickedness or folly? The ethics of NICE's decisions, 32 JME p. 373-377 (2006) ; John Harris, NICE is not cost effective, 32 JME p. 378-380 (2006) ; Muireann Quigley, A NICE fallacy, 33 JME p. 465-466 (2007) ; Karl Claxton & Anthony J. Culyer, Rights, responsibilities and NICE: a rejoinder to Harris, 33 JME p. 462-464 (2007) ; M. Schlender, The use of cost-effectiveness by NICE: no(t yet an) exemplar of a deliberative process, 34 JME p. 534-539 (2008) ; Karl Claxton & Anthony J. Culyer, Not a NICE fallacy: a reply to Dr. Quigley, 34 JME p. 598-601 (2008).

¹⁰⁴ Pour simplifier, on peut envisager un traitement qui offre 2 ans de vie supplémentaire mais coûte CHF 500'000 sur cette période, respectivement un traitement qui n'offre qu'une année de plus, mais pour 50'000 Le second traitement à CHF 50'000 par QALY aura la préférence sur le premier à CHF 250'000 par QALY, simplement pour un motif de coût.

¹⁰⁵ « *The feature of QALYs involves a sort of double jeopardy. QALYs dictate that because an individual is unfortunate, because she has once become a victim of disaster, we are required to visit upon her a second and perhaps graver misfortune. [...] Her first disaster leaves her with a poor quality of life and when she presents herself for help, along come QALYs and finish her off.* » Harris, QALYfying the value of life, *supra* note 103, p. 120. Voir également Adam Oliver, A Fair Test of the Fair Innings, 29 *Medical Decision Making* p. 491-499 (2009).

est parfois abrégé sous l'appellation « *fair innings* » ou « justice globale ». Dans la même ligne de pensée, certains auteurs estiment que les groupes socialement défavorisés devraient bénéficier de traitements médicaux prioritaires. Par exemple, l'accès aux soins devrait être facilité pour ceux que le système social tend déjà à discriminer, comme par exemple les migrants ou les personnes souffrant de maladies mentales. Ainsi, une clinique de réhabilitation pour drogués devrait être financée en priorité par rapport à un centre de médecine du sport, quand bien même le calcul de QALY favoriserait le second.

- e. Discrimination des patients âgés, mourants ou atteints de maladies rares : La méthode des QALY peut aisément conduire à refuser des soins à des patients âgés ou atteints de maladies incurables, car le bénéfice de survie sera toujours plus faible¹⁰⁶. Seule une très nette amélioration de la qualité de vie peut contrebalancer cette impossibilité d'augmenter sensiblement la survie. Plus généralement, il sera presque toujours¹⁰⁷ préférable sous l'angle des QALY d'investir dans les soins aux enfants que dans les soins aux seniors¹⁰⁸. Cette discrimination vient renforcer la tendance déjà observée en pratique de limiter l'accès à certains soins lorsque le patient est particulièrement âgé¹⁰⁹. Certains bioéthiciens estiment aussi que la qualité de vie ne peut pas être mesurée de manière linéaire. Par exemple, ils défendent le point de vue que les derniers instants de vie d'une personne gravement malade revêtent souvent pour elle une importance démesurée, importance dont il convient de tenir compte au niveau des dépenses engagées¹¹⁰. Le NICE a partiellement suivi cette idée, en assouplissant ses règles pour décider si un traitement destiné

à un patient ayant une espérance de vie inférieure à 24 mois peut être pris en charge¹¹¹. S'agissant des patients atteints de maladies rares, la mesure de coût par QALY leur sera presque toujours défavorable compte tenu du coût élevé du médicament dû à la nécessité d'amortir l'investissement préalable en R&D sur un tout petit nombre de patients.

- f. Favorisation insuffisante de certains groupes de population : A l'inverse, certains auteurs considèrent qu'il est plus important de sauver certaines catégories de patients que d'autres. Par exemple, il serait préférable d'offrir 20 ans de vie supplémentaires à un enfant de 5 ans, plutôt qu'à un adulte de 50 ans. Or la méthode des QALY est conçue pour appréhender indifféremment ces 20 années supplémentaires. Dans la même ligne de pensée, ces auteurs estiment qu'il faudrait favoriser les personnes ayant des charges de famille par rapport aux personnes seules. Naturellement, les critères ouvrant le droit à un traitement prioritaire sont hautement controversés. Le débat touche également les maladies évitables : faut-il donner la priorité au patient dont le cancer du poumon est dû à sa consommation de cigarettes parce que son coût par QALY est meilleur que celui dont le cancer est dû à un travail ingrat l'ayant mis en contact avec de l'amiante ?
- g. Prise en compte insuffisante du paramètre de la survie : Le système de mesure des coûts par QALY admet qu'il peut être préférable d'être mort que de souffrir d'une qualité de vie exécrable. A l'inverse, certains bioéthiciens estiment qu'il est impossible de préférer la mort à la vie, quelle que soit la qualité de vie¹¹². De manière plus ciblée, certains auteurs estiment que la possibilité, même très faible, de sauver une vie devrait avoir plus de poids que la probabilité élevée d'améliorer la qualité de vie¹¹³ ; ils donnent des exemples de cet ordre : en offrant une transplantation cardiaque à un patient mourant, il y a une chance sur 4 de lui permettre de vivre 6 mois de plus, alors que pour la même dépense, on pourrait offrir un médicament contre la dysfonction érectile à plusieurs centaines d'hommes dont la qualité

¹⁰⁶ En simplifiant, si un traitement offre 20 années de vie supplémentaire, il présentera un meilleur rapport coût-efficacité chez une personne de 20 ans que chez une personne déjà âgée de 70 ans, dont l'espérance de vie résiduelle est inférieure à 20 ans.

¹⁰⁷ Dans certains cas, le rapport coût-bénéfice peut être plus favorable chez des patients âgés et donc conduire à discriminer les personnes jeunes. On pense par exemple aux traitements contre l'ostéoporose. Plus le patient est âgé, plus le médicament va réduire son risque de fractures; le coût par QALY sera ainsi plus favorable chez des patients de plus de 70 ans. Cf. par ex. Lamy & Krieg, *supra* note 63.

¹⁰⁸ « *Maximising QALYs involves an implicit and comprehensive ageist bias.* » John Harris, *QALYfying the value of life*, *supra* note 103, p. 119.

¹⁰⁹ Cf. Samia Hurst, *supra* note 8, p. 1140 (« *The most frequently reported criteria for rationing decisions were a small expected benefit (82.3%), low chances of success (79.8%), intention to prolong life when quality of life is low (70.6%), and age over 85 years (70%)* »). Dans la jurisprudence, voir l'ATF 136 I 121 (âge maximal pour le remboursement d'une opération de pose d'un anneau gastrique) et l'ATF 125 V 95 (refus du remboursement d'une opération cardiaque chez une patiente âgée).

¹¹⁰ Cf. Christopher Cowley, *Justifying terminal care by « retrospective quality-adjusted life-years »*, 36 JME p. 290-292 (2010).

¹¹¹ Cf. NICE, *Appraising life-extending end of life treatments* (juillet 2009). Selon ce document, il convient de survaloriser la qualité de vie si le traitement promet au moins trois mois de survie supplémentaire ; il faut de surcroît que ce traitement soit destiné à un petit groupe de patients.

¹¹² Dans son article séminale de 1987, Harris émet des doutes sérieux sur cette idée de base. Cf. *QALYfying the value of life*, *supra* note 103.

¹¹³ Par exemple, la Loi fédérale sur la transplantation tient compte de l'urgence médicale du receveur, c'est-à-dire le risque qu'il meurt à court terme s'il ne reçoit pas en priorité un organe (cf. son art. 18 al. 1 let. a). Autrement dit, le paramètre de la survie (même à court terme) constitue un critère pondéré séparément de celui de la qualité de vie apprécié sous l'angle de la compatibilité immunitaire.

de vie est nettement détériorée par cette maladie. La méthode des QALY peut aboutir à privilégier la deuxième option, ce que ces auteurs considèrent inadmissible¹¹⁴.

- h. Prise en compte insuffisante de l'argument d'égalité : Pour certains auteurs, il est préférable d'offrir le même traitement à tous, indépendamment des bénéfices que peuvent en retirer certains groupes¹¹⁵. Ainsi, s'il existe 10 organes à transplanter, le meilleur système pour les attribuer est la loterie, même s'il est admis que certains patients tireraient de l'organe un plus grand bénéfice que d'autres. De même, si pour un coût identique, il est possible d'offrir dix opérations à dix patients de manière à prolonger leur vie d'une année chacun, alternativement une unique opération à une seule personne qui la lui prolongera de 20 ans, il vaudrait mieux opter pour la première hypothèse. En d'autres termes, en offrant à un plus grand nombre la même probabilité de bénéficier du soin en cause, on préserve le sentiment d'égalité de valeur et de droits égaux de tout être humain. Cette préoccupation devrait se voir reconnaître un rang plus élevé que l'optimisation financière et médicale des soins.
- i. Conséquences délétères au niveau du personnel médical : Des auteurs craignent que la généralisation du système des QALY conduise à pervertir la relation thérapeutique entre le professionnel de la santé et son patient. Si l'on martèle aux médecins qu'ils doivent optimiser les soins en fonction du coût par QALY, ils cesseront de vouloir maximiser le bénéfice pour chacun de leurs patients. On risque alors de légitimer une approche où le médecin concentre ses efforts sur les cas les plus simples et en vient à délaisser les patients qui posent le plus de problèmes. Par ailleurs, on risque de provoquer des erreurs dans le choix du (non-)traitement, les médecins n'étant guère formés et entraînés à appliquer une méthode de coût par QALY.
- j. Confiance des patients dans le système de santé : Si les patients prennent conscience que leurs chances de recevoir un traitement dépendent d'une mesure de coût par QALY, ils peuvent être amenés à fournir des informations fausses pour améliorer leur score. On pourrait imaginer qu'un patient exagère les difficultés qu'il rencontre avant le traitement et qu'il embellisse la description de l'amélioration ressentie grâce au traitement. Au lieu de fournir des renseignements précis et véridiques à son médecin, il mentira pour augmenter ses chances de recevoir le traitement. La relation

de confiance entre le professionnel de la santé et le patient s'en trouvera négativement affectée¹¹⁶.

- k. Menace d'une judiciarisation excessive : On peut s'attendre à ce que les tribunaux soient assaillis de litiges entre caisses-maladies et patients ayant à prouver que le traitement réclamé n'excède pas le seuil de coût par QALY imposé. Chaque patient aura tendance à croire que son cas est différent et mérite une réévaluation du bénéfice et/ou du coût par le juge. Par exemple, une patiente de faible poids et plus jeune pourra avancer que le coût du médicament est moindre et que le bénéfice attendu est plus élevé. Chaque nouvelle étude clinique publiée pourra appeler à une révision de la jurisprudence. La justice n'est pas forcément équipée pour trancher ce type de litiges. De surcroît, des divergences entre tribunaux peuvent survenir, augmentant encore le risque d'inégalité de traitement entre patients. A cette inégalité dans l'issue juridique du procès s'ajoutera l'inégalité sociale, qui tient à ce que les patients socio-économiquement défavorisés s'adressent de toute façon moins souvent aux tribunaux. Or on sait que les patients socio-économiquement défavorisés sont déjà en moins bonne santé¹¹⁷.
- l. Délais démesurés : Il s'écoule souvent une longue période entre l'apparition sur le marché d'un nouveau traitement et l'évaluation de son rapport coût-efficacité par une agence publique ou des institutions privées. Si, dans l'intervalle, la prise en charge est refusée, des patients souffriront, voire mourront, pour des motifs avant tout bureaucratiques.

[Rz 51] Plus généralement, certains auteurs regrettent que le débat sur les QALY éclipse celui sur la nécessité d'accroître les budgets de santé. Plutôt que de discuter longuement quels soins devraient être financés, il faudrait se battre pour augmenter toutes les dépenses de santé, du moment qu'elles offrent un bénéfice – même faible – aux patients¹¹⁸.

¹¹⁶ De manière générale, les patients en Suisse tiennent à ce que le choix du traitement soit avant tout dicté par des impératifs médicaux, et non économiques. Ils s'opposent à ce que ce choix soit délégué, même en partie, aux caisses-maladie ou aux tribunaux. Cf. Interpharma, Moniteur de la santé 2011, L'essentiel en bref, (2011), sous http://www.interpharma.ch/fr/pdf/WIK11_F.pdf. Plus généralement, des sondages auprès de larges groupes de population dans plusieurs pays ont montré que les citoyens sont d'abord attachés à l'équité du système, et non à sa stricte économie. Cette équité est perçue comme dérivant d'une multitude de critères. Cf. Oliver, *supra* note 105; Elizabeth Fenton, Making Fair Funding Decisions for High Cost Cancer Care: The Case of Herceptin in New Zealand, 3(2) Public Health Ethics p. 140-142 (2010).

¹¹⁷ Il existe une importante littérature sur les déterminants sociaux de la santé. On estime ainsi que jusqu'à 70% des facteurs déterminant l'état de santé d'une personne relèvent des conditions socio-économiques. Voir ainsi le tableau de François Van der Linde, Spectra 58 (2006).

¹¹⁸ Ces auteurs se gardent généralement d'indiquer de combien le budget de la santé devrait être augmenté (chaque année) et comment cette

¹¹⁴ Cf. Harris, QALYfying the value of life, *supra* note 103, p. 120.

¹¹⁵ Cf. *id.* p. 121.

Ces auteurs estiment généralement que les dépenses de santé méritent une priorité élevée, quitte à sacrifier d'autres secteurs de dépenses étatiques¹¹⁹.

3.2.3. Conclusion intermédiaire sur les faiblesses de la mesure du coût par QALY

[Rz 52] Les positions souvent radicalement opposées des différents milieux concernés n'ont pas permis d'aboutir à un consensus global sur l'utilisation de la mesure du coût par QALY. Cependant, un compromis se dessine pour utiliser cette mesure comme un élément parmi d'autres à considérer au moment de la prise de décision. Elle ne doit pas constituer l'unique critère à prendre en compte, mais elle peut orienter la décision en clarifiant les diverses implications médicales et économiques.

[Rz 53] En effet, cette mesure présente l'avantage d'être neutre en ce sens qu'un QALY est évalué selon les mêmes bases mathématiques, quelle que soit la personne ou la maladie concernée. Elle constitue quasiment le seul outil à disposition si l'on veut comparer différents traitements au moyen d'une même échelle. Elle souligne le fait – souvent oublié – qu'en décidant de financer une prestation en faveur de certains patients, on impose un sacrifice correspondant à un autre groupe, qui verra sa prétention à un autre traitement refusée par manque de ressources. Elle évite de basculer dans les excès inverses consistant à financer des traitements futiles ou à encourager l'acharnement thérapeutique, qui entraînent leurs propres lots d'inconvénients et de litiges.

[Rz 54] Il n'en demeure pas moins que les implications médicales et économiques mises à jour par la méthode du coût par QALY doivent être confrontées aux implications éthiques et sociales. Ainsi il se peut que des préoccupations non-financières justifient de favoriser certains groupes. Par exemple, il pourrait être nécessaire de privilégier les patients souffrant de maladies orphelines qui, sinon, subiraient de fait une discrimination systématique. Savoir si, quand et comment adapter le verdict du coût par QALY n'en demeure pas moins délicat ; à cet égard, le consensus éthique et social fait tout autant défaut.

[Rz 55] Enfin, lorsque l'on passe à l'étape de prise de décision, il faut se souvenir que celle-ci repose sur un débat politique. On l'a bien vu en Suisse avec le vote populaire sur les médecines alternatives. L'étape décisionnelle est malheureusement souvent négligée, en ce sens qu'elle ne fait pas l'objet d'un processus transparent et démocratique (cf. sous-chapitre 4.2. ci-dessous). Alternativement, elle est parfois déléguée aux tribunaux, bien qu'un jugement au cas par cas par des juges sans formation médicale ou économique ne constitue de loin pas la solution idéale.

augmentation devrait être financée par la collectivité.

¹¹⁹ Cf. Harris, QALYfying the value of life, *supra* note 103, p. 122.

3.3. Portée et implications de l'arrêt

[Rz 56] Malgré l'important retentissement médiatique de l'arrêt Myozyme, ses implications sont loin d'avoir été pleinement explorées. Il y a donc lieu de s'interroger sur sa portée, d'abord s'agissant de patients dans leurs rapports avec leurs caisses, puis plus largement s'agissant du remboursement des prestations de santé coûteuses.

3.3.1. Implications pour les patients

a) Problème du fardeau de la preuve

[Rz 57] Bien que le TF ne s'étende pas sur ce point, le fardeau de la preuve, s'agissant d'obtenir la prise en charge d'un médicament hors LS, repose essentiellement sur le patient. C'est à lui de prouver que les conditions de l'exception jurisprudentielle (aujourd'hui les conditions des art. 71a ou 71b OAMal) sont remplies. Pour un patient, de surcroît atteint d'une « maladie susceptible d'être mortelle [...] ou de lui causer des problèmes de santé graves et chroniques », réunir les preuves nécessaires est souvent au-delà de ses moyens. Certes, la caisse a un devoir de collaborer à la preuve ; cependant, elle n'a pas forcément accès à une information médicale et scientifique plus détaillée¹²⁰. Pour rappel, le patient doit apporter des données, si possible chiffrées, sur le bénéfice thérapeutique abstrait et concret¹²¹ ; il doit également pouvoir quantifier ce bénéfice au regard du coût, afin de soumettre – autant que possible – un chiffre de coût par QALY. En réalité, même assisté par son médecin traitant, le patient n'a aucun moyen d'accéder à de telles données, sauf si celles-ci ont fait l'objet de publications dans des revues scientifiques. Au demeurant, de telles publications sont rares lorsque le médicament vient d'entrer sur le marché ou lorsque le médicament est réservé à un minuscule groupe de patients souffrant de maladies ultra-orphelines.

[Rz 58] Ces difficultés quasi-insurmontables de preuve n'ont rien d'inattendu si l'on songe que tous les systèmes de HTA

¹²⁰ A cet égard, le rôle du médecin-conseil apparaît très limité. Celui-ci sert essentiellement de filtre destiné à protéger la confidentialité des données médicales concernant le patient. Il n'est en revanche pas capable d'analyser, et encore moins de produire, des études scientifiques débouchant sur un chiffre de coût-bénéfice.

¹²¹ Même la preuve judiciaire d'un bénéfice *concret* (à savoir dans un cas individuel) peut être excessivement difficile. Comme le cas « Myozyme » l'illustre, médecins et patients ont tendance à présenter un bénéfice en des termes essentiellement subjectifs : amélioration sensible, progrès substantiel, meilleure qualité de vie. Pour formuler ces indicateurs de manière utilisable pour le tribunal, il faudrait disposer d'une référence (« *baseline* ») permettant de les chiffrer. Mais ni les patients ni leurs médecins ne savent réellement ce qui se serait passé s'ils n'avaient pas pris le médicament (pour ceux qui l'ont reçu avant la décision de la caisse) ou s'ils devaient le prendre (pour ceux qui s'abstiennent dans l'attente de la décision de la caisse). Il est dès lors facile pour le Tribunal d'affirmer – comme il le fait dans l'arrêt Myozyme – qu'on ne peut attribuer avec certitude le progrès ressenti par le patient (ou observé par son médecin) à l'usage du médicament.

reposent sur la collaboration du fabricant du médicament. Comme la Suisse l'a admis¹²², les autorités publiques dépendent de la collaboration du fabricant chaque fois qu'elles doivent évaluer l'apport d'une nouvelle prestation. Seul le fabricant dispose des données nécessaires à cette tâche, avec les risques de conflits d'intérêts que cela implique.

b) Portée de l'arrêt pour d'autres patients dans des circonstances similaires

[Rz 59] Les caisses pourraient désormais être tentées de refuser tout remboursement pour des médicaments hors LS dont le coût par QALY est similaire à celui du Myozyme. Différentes caisses auraient déjà adressé des courriers à leurs assurés refusant la prise en charge pour ce motif.

[Rz 60] Cependant, chaque assuré conserve la possibilité de faire valoir devant la justice que, dans son cas, le coût est moindre et/ou le bénéfice plus élevé¹²³. Le patient peut vouloir démontrer que, pour lui, les alternatives thérapeutiques sont moins efficaces et nettement plus coûteuses, par exemple parce qu'il devra être hospitalisé aux soins intensifs, au lieu de recevoir le médicament en traitement ambulatoire ; dans cette hypothèse, même si le coût du médicament reste élevé, son emploi permet d'éviter d'autres dépenses de santé, résultant en un rapport coût-bénéfice plus favorable. D'autres situations sont encore envisageables. Par exemple, le patient explique qu'il a besoin d'un dosage plus faible du médicament. Dans certains cas, le patient peut apporter la preuve d'un bénéfice nettement plus élevé, ne serait-ce que parce que sa maladie se trouve à un autre stade ou présente un phénotype particulier, accompagné d'une meilleure réponse au traitement.

[Rz 61] L'assuré a donc tout intérêt à exiger de sa caisse une décision sur la prise en charge d'un médicament hors liste coûteux ; de même, il peut avoir intérêt à recourir devant les instances judiciaires cantonales, voire fédérales, pour faire trancher la question du rapport coût-bénéfice. Plus généralement, un développement de la jurisprudence sur ce thème serait à saluer, du moins tant qu'une instance administrative spécialisée n'a pas été mise sur pied (sur ce point, chapitre 4.2 ci-dessous). *De lege ferenda*, l'arrêt Myozyme ne devrait

pas fermer la porte à d'autres jugements susceptibles de clarifier ces notions de coût et de bénéfice.

[Rz 62] Il n'en est pas moins reconnu que le développement de cette jurisprudence se fera au prix de lourds sacrifices de la part des patients et de leur entourage. Les patients en fin de vie estiment avoir mieux à faire que de consacrer leurs derniers instants à des procès coûteux et surtout très longs. Même lorsque les tribunaux se prononcent rapidement, il faut au minimum deux ou trois ans pour avoir un arrêt de dernière instance. Le patient gravement malade risque de ne pas connaître l'issue de son litige. Cette circonstance milite en faveur d'un droit de « recours » des associations de patients, recommandation développée au sous-chapitre 4.2 ci-dessous.

[Rz 63] Pour sa part, l'OFSP a écrit aux caisses pour leur rappeler que chaque dossier de patient doit faire l'objet d'une évaluation « au cas par cas »¹²⁴ ; cet examen particulier est impératif même si le médicament a subi un refus d'admission dans la LS. L'évaluation doit se faire en tenant compte de l'efficacité abstraite et concrète, ainsi que des principes de proportionnalité et d'égalité de traitement.

c) Portée de l'arrêt pour les patients atteints de maladies rares

[Rz 64] L'arrêt Myozyme a été d'emblée critiqué pour ses conséquences potentielles pour les patients atteints de maladies rares. Il est considéré comme d'autant plus injuste que ces patients souffrent déjà d'une prise en charge médicale difficile. Souvent, leurs maladies sont compliquées à diagnostiquer, de sorte qu'ils ont souffert pendant des années sans réponse médicale appropriée. Une fois le diagnostic posé, ils découvrent fréquemment qu'il n'y a aucun traitement disponible pour leur maladie ou que, s'il en existe un, il n'a été testé que sur un petit nombre de patients, de sorte qu'il présente encore un caractère expérimental. Enfin, ces patients sont avisés que ce médicament n'est ordinairement pas remboursé¹²⁵ si bien qu'ils devront s'embarquer dans une longue procédure judiciaire pour tenter d'en obtenir la prise en charge. Leurs chances de remporter leur combat judiciaire sont faibles vu les nombreux écueils à surmonter.

[Rz 65] Ces situations douloureuses sont plus communes qu'on ne le croit. On dénombre plus de 7'000 maladies rares, dont 80% ont une origine génétique¹²⁶. Parmi les plus connues, on citera l'hémophilie, l'ostéogénèse imparfaite,

¹²² Cf. par ex. Commission de gestion du Conseil national, rapport du 26 janvier 2009 intitulé « Détermination et contrôle des prestations médicales dans l'assurance obligatoire de soins », sous <http://www.admin.ch/ch/f/ff/2009/5029.pdf>. Par ailleurs, le système d'inscription des médicaments dans la LS est entièrement basé sur l'initiative du fabricant et sa collaboration. Si l'OFSP a la possibilité théorique d'imposer l'inscription (art. 70 OAMal), il n'en a jamais fait usage.

¹²³ Le Conseil fédéral, dans sa réponse du 6 juin 2011 à l'interpellation 11.3154 (*supra* note 12), indiquait que « [I]es assureurs sont tenus, même après l'arrêt du Tribunal fédéral précité, d'examiner chaque cas particulier en fonction des critères mentionnés aux art. 71a et 71b OAMal et de se prononcer sur une éventuelle prise en charge. De l'avis du Conseil fédéral, un refus général de prestations n'est pas acceptable ».

¹²⁴ Lettre-circulaire de l'OFSP aux caisses-maladie du 30 mars 2011 intitulée « Prise en charge de médicaments dans un cas particulier ».

¹²⁵ La LS, qui totalise quelque 2'500 médicaments à charge de l'AOS, n'inclut que 41 médicaments contre des maladies rares. Cf. la réponse du Conseil fédéral du 6 juin 2011 à l'interpellation 11.3154 (*supra* note 12).

¹²⁶ Lazor R, D'Amato Sizonenko L. Les maladies rares affectent 30 millions de personnes en Europe, 89, Bulletin des médecins suisses, p.636-638 (2008).

la maladie de Crohn, la sclérose latérale amyotrophique¹²⁷. L'Association ProRaris affirme que 500'000 patients en Suisse seraient concernés¹²⁸.

[Rz 66] Pour ces patients, l'arrêt Myozyme va indubitablement compliquer les démarches vis-à-vis des caisses. Celles-ci seront enclines à réagir brutalement, en niant d'emblée le droit à la prise en charge ou en exigeant des preuves qui sont hors de la portée de leurs assurés.

d) Portée de l'arrêt pour les populations pédiatriques

[Rz 67] On oublie parfois que les enfants sont les grands orphelins de la pharmacothérapie. L'écrasante majorité des médicaments n'a été approuvée que pour un usage chez l'adulte¹²⁹. La LPT^h est en passe d'être modifiée pour augmenter la production de données sur la sécurité et l'efficacité des nouveaux médicaments chez l'enfant¹³⁰. En attendant, les médicaments sur le marché ne sont le plus souvent pas approuvés pour l'enfant et, par conséquent, ne devraient en principe pas être à charge des caisses-maladies. Les règles qui s'appliquent à leur remboursement devraient être celles dégagées par le TF et maintenant reprises dans l'OAMal (art. 71a).

[Rz 68] Aussi doit-on se demander si l'arrêt Myozyme compliquera le remboursement des médicaments utilisés hors indication chez l'enfant. Si cette jurisprudence devait être appliquée strictement, la réponse serait indubitablement oui. Le TF a exigé qu'un bénéfice thérapeutique élevé soit prouvé *in abstracto* sur la base d'études cliniques. Or de telles études font la plupart du temps défaut pour les populations pédiatriques. La caisse qui voudrait refuser le remboursement d'un médicament destiné à un enfant aurait donc beau jeu d'affirmer que la première exigence du TF n'est pas remplie.

[Rz 69] En pratique cependant, la politique des caisses est de se montrer peu sévère s'agissant du remboursement de médicaments destinés aux enfants. Bien entendu, les caisses ne commentent pas les raisons de cette attitude plus flexible. On peut cependant imaginer la levée de boucliers à laquelle elles devraient faire face si elles venaient à refuser systématiquement le remboursement des médicaments aux enfants. De plus, à la différence des médicaments destinés aux maladies orphelines, le coût des médicaments administrés « off-label » ou hors LS aux enfants est généralement bas.

[Rz 70] Cet aparté sur la situation des assurés pédiatriques met en évidence les incohérences d'un système qui, systématiquement, exigerait la preuve clinique d'un bénéfice thérapeutique élevé (concret et abstrait).

3.3.2. Portée de l'arrêt pour le système AOS, en particulier l'inscription dans la LS

[Rz 71] L'arrêt Myozyme pourrait-il avoir une influence sur la prise en charge par l'AOS d'autres prestations de santé ? On pense par exemple à l'admission de médicaments dans la LS ou de soins par des médecins. Autrement dit, cet arrêt lance-t-il le signal que toute prestation doit rester en deçà d'un seuil (par ex. CHF 100'000.- par année de QALY) ?

[Rz 72] Aujourd'hui, comme déjà relevé, la LS inclut plusieurs médicaments dont le coût annuel peut excéder très largement ce seuil, notamment selon les indications admises ou les circonstances d'administration. On citera le facteur VII recombinant (Novoseven®) pour le traitement de l'hémophilie, qui coûte CHF 4'371 (prix public) par flacon de 5 mg¹³¹. L'arrêt du Tribunal fédéral ne pouvant servir de fondement pour une remise en cause de médicaments déjà admis dans la LS, il n'y a pas lieu de craindre un retrait de cette liste. En revanche, la question pourrait se poser à l'avenir lors du dépôt d'une demande d'admission pour un nouveau médicament coûteux. La réponse est alors loin d'être évidente.

[Rz 73] D'un côté, à teneur des dispositions applicables, les critères d'admission d'un médicament dans la LS sont actuellement indépendants d'un calcul de type coût-bénéfice. Un médicament est admis dans la LS¹³² si son prix en Suisse est égal ou inférieur à celui pratiqué dans sept pays étrangers¹³³ (« comparaison géographique ») et si son prix suisse

¹²⁷ Sur son site (www.prorararis.ch), l'association ProRaris, Alliance Maladies Rares, n'indique pas la source d'un tel chiffre – extraordinairement élevé –, mais semble se baser sur une prévalence de 6.5% de la population.

¹²⁸ Une liste des maladies orphelines est disponible sur le site internet du réseau européen Orphanet (www.orpha-net.ch).

¹²⁹ Cf. par ex. Commission nationale d'éthique pour la médecine humaine, La recherche sur les enfants, N° 16, p. 7 (2009) (« D'après une étude de l'Académie américaine de pédiatrie datant de 1995, quelque 80% des médicaments prescrits à des enfants n'ont pas fait l'objet d'essais impliquant des enfants. Certes, des chiffres plus récents révèlent un certain progrès mais bon nombre de médicaments continuent à être utilisés *off-label*, c.-à-d. pour un usage autre que celui autorisé (hors étiquette), sans compter les médicaments dits *off-license*, c.-à-d. utilisés hors autorisation de mise sur le marché (AMM). Une étude réalisée en 2000 dans cinq hôpitaux d'Europe montre que 67% des médicaments prescrits à des enfants ont été administrés hors AMM (et donc sans essais) ou carrément sans AMM et que 39% de médicaments sur 2262 ont été délivrés *off-label* à des enfants. Dans une clinique pédiatrique universitaire suisse, selon une étude prospective étalée sur six mois qui a été publiée en 2006, il est apparu que 24% des prescriptions se faisaient *off-license* et 25% *off-label*. »).

¹³⁰ Cf. Révision ordinaire de la LPT^h, rapport explicatif du Département fédéral de l'intérieur (DFI) d'octobre 2009 et projet de loi révisée, en particulier son futur art. 54a.

¹³¹ Pour un patient de 70 kg résistant aux autres médicaments, et nécessitant une dose de 7 mg par injection, le coût s'élève à CHF 6'140 par injection. A titre d'exemple, en 2010, un patient a ainsi dû recevoir 571 doses, soit un total de 4 grammes, représentant CHF 3'505'908. Il est bien peu probable que ce coût ramené à un bénéfice formulé en termes de QALY respecte le seuil de CHF 100'000.

¹³² Tous les médicaments ne font pas l'objet d'une demande d'admission dans la LS. En effet, les médicaments utilisés en milieu hospitalier stationnaire sont remboursés dans le cadre du système forfaitaire des DRG (« *diagnostic-related groups* »). Le fabricant n'a alors pas intérêt – voire n'a pas la possibilité – de demander l'inscription dans la LS.

¹³³ Cf. art. 65b OAMal et art. 35 de l'Ordonnance sur les prestations de

ne dépasse pas (ou pas de plus de 20%¹³⁴) le prix suisse du médicament alternatif le plus proche (« comparaison thérapeutique »). Ces deux comparaisons n'impliquent nullement de connaître le coût par QALY du médicament candidat à l'admission dans la LS¹³⁵.

[Rz 74] De l'autre côté, le Tribunal fédéral a appuyé sa discussion d'une limite chiffrée sur la condition d'économicité posée à l'art. 32 al. 1 LAMal. Cette condition vise l'ensemble des prestations de santé. De surcroît, le Tribunal fédéral a justifié ce « seuil » de CHF 100'000.- en invoquant aussi la notion de proportionnalité, principe général du droit applicable à toutes les prestations de santé. Dès lors, on pourrait imaginer qu'une autorité administrative comme l'OFSP prenne appui sur cet arrêt pour imposer un contrôle supplémentaire de proportionnalité fondé sur une limite chiffrée. Il y aurait effectivement contradiction à admettre dans la LS un médicament qui excéderait nettement cette limite pour tout type de patients, alors même que les tribunaux continueraient à refuser le remboursement hors LS d'un autre médicament tout aussi cher destiné à des patients atteints de maladies mortelles.

3.3.3. Portée et signal pour l'industrie pharmaceutique

[Rz 75] En refusant le remboursement de médicaments très chers n'offrant qu'un bénéfice limité, l'Etat ne risque-t-il pas de dissuader les entreprises pharmaceutiques d'investir dans la recherche et le développement de médicaments contre des maladies rares ou difficiles à soigner?

[Rz 76] Malgré leurs déclarations parfois emphatiques en faveur de la recherche destinée à des « *unmet medical needs* », les sociétés pharmaceutiques n'investissent que lorsqu'elles ont la perspective raisonnable de récupérer leurs dépenses et de réaliser un bénéfice. A l'inverse, une société n'investira pas si elle sait d'avance que les patients n'achèteront pas son produit, ne pouvant ni le payer de leur propre poche, ni en faire payer un tiers par le biais d'une assurance publique ou privée.

[Rz 77] La recherche contre les maladies orphelines est particulièrement exposée au risque de tarissement des investissements. Vu que ces maladies ne touchent qu'un faible nombre de patients, les chances de rentabiliser l'investissement passent nécessairement par un prix par patient élevé¹³⁶. Si l'assurance ne le couvre pas, il est peu probable que les patients puissent en assumer eux-mêmes le coût. Ces maladies

orphelines sont de surcroît souvent difficiles à soigner, de sorte que l'apport thérapeutique du médicament ne sera pas forcément d'emblée notable. Le faible nombre de patients entraîne aussi une mobilisation sociale moindre en faveur d'une prise en charge. Tous ces facteurs se conjuguent pour dissuader l'investissement.

4. Recommandations

[Rz 78] La fixation des priorités en matière de santé constitue un thème bien trop vaste pour être appréhendé de manière approfondie dans un article. Le thème est de surcroît si controversé que chaque proposition mérite à elle seule des développements extensifs. Ce dernier chapitre se contente donc d'esquisser les premières réflexions en vue d'une amélioration du système.

4.1. Prise en charge adaptée des maladies rares

[Rz 79] On a vu que les personnes atteintes de maladies rares subiront de plein fouet les conséquences de l'arrêt. Pour bon nombre d'entre elles, il n'existe simplement aucun médicament et la question d'une prise en charge par l'assurance ne se pose même pas. Pour les rares maladies à disposer de traitements, les choix sont généralement limités à un, voire deux médicaments, toujours très chers, donc avec un coût par QALY excédant largement le « seuil » évoqué de CHF 100'000.

[Rz 80] L'éthique commande-t-elle de favoriser ces patients au motif qu'ils ont déjà beaucoup souffert dans le passé et qu'ils sont en moyenne exposés à des souffrances plus importantes que les autres patients ? Plusieurs bioéthiciens répondent par l'affirmative à cette question¹³⁷. Il s'agit alors ensuite de trouver les moyens idoines d'assurer une plus ample protection¹³⁸.

a) Choix d'un seuil de coût par QALY plus élevé

[Rz 81] Une première solution consisterait à relever le seuil de CHF 100'000 par QALY, en tout cas s'agissant de maladies

¹³⁴ l'assurance de soins (OPAS; RS 832.112.31).

¹³⁴ Ce supplément allant de 10 à 20% est octroyé au nouveau médicament s'il est nettement meilleur que l'ancien médicament utilisé comme point de comparaison. Point 332 des Instructions de l'OFSP concernant la Liste des spécialités (2008).

¹³⁵ C'est seulement lorsque le médicament revendique une prime à l'innovation par rapport au prix d'une alternative thérapeutique que les autorités procèdent à une prise en compte de l'efficacité comparée.

¹³⁶ Cf. par ex. Aaron Smith, From orphan to blockbuster? CNN Money (8 juillet 2005).

¹³⁷ On observera d'ailleurs que la Loi fédérale sur la transplantation tient compte du paramètre de la rareté (cf. déjà note 9 *supra*). Elle le fait en discriminant positivement les patients qui, en raison de leurs caractéristiques immunitaires, devraient sinon attendre beaucoup plus longtemps un organe (cf. art. 18 al. 2).

¹³⁸ On citera à cet égard la récente modification (2 décembre 2010, entrée en vigueur 1er janvier 2011) de la Liste des analyses (annexe 3 de l'OPAS) prévoyant, à des conditions strictes, la prise en charge des analyses visant à diagnostiquer des maladies génétiques rares. Certaines de ces conditions font de surcroît l'objet d'un examen préalable par un comité d'experts créé par la Société suisse de génétique médicale (SSGM). Voir la page de l'OFSP, à partir de <http://www.bag.admin.ch/themen/krankenversicherung/00263/00264/04185/index.html?lang=fr>; également les pages de la SSGM sur les maladies orphelines, sous http://www.ssgm.ch/view_page_professional.php?view=page&page_id=28.

ultra-orphelines. Ainsi, différents commentateurs plaident pour une discrimination légale positive en leur faveur¹³⁹ ; leurs situations plus difficiles et leurs souffrances plus importantes justifieraient l'application d'un seuil plus élevé. En 2004, le NICE anglais avait lancé une grande consultation publique sur ce thème¹⁴⁰. Celle-ci n'avait pas permis de déboucher sur une position unanime, mais une majorité s'était dessinée en faveur d'un seuil de coût par QALY plus élevé pour les maladies ultra-orphelines¹⁴¹. La question suivante tient alors à l'identification du nouveau seuil jugé approprié. Autant dire qu'il n'est pas facile de y apporter réponse satisfaisante.

b) Financement par une assurance distincte

[Rz 82] Une autre solution pourrait provenir de fonds spéciaux dévolus aux maladies orphelines. Plutôt que de faire reposer le coût très élevé du traitement sur une fraction de caisses-maladie ayant eu la « malchance » d'avoir de tels patients parmi leurs assurés, il conviendrait de financer leur traitement par des fonds étatiques séparément consacrés aux cas dits « catastrophiques ». Le financement aurait ainsi une base solidaire plus large que les seuls assurés de la caisse concernée. Différentes classes d'impôts venant de différentes catégories de contribuables pourraient concourir à ce financement. Le financement séparé aurait aussi l'avantage de quantifier distinctement le sacrifice financier attendu de la collectivité. La population pourrait dès lors se prononcer sur les choix à faire en matière de financement.

[Rz 83] Des propositions en faveur de fonds pour cas dits catastrophiques ont déjà été formulées aux Etats-Unis. Jusqu'à présent, elles n'ont guère connu de succès. Des expériences semblables en oncologie ont été introduites en Angleterre avec le NHS Cancer Drugs Fund, mais elles sont critiquées pour plusieurs motifs. D'abord, elles introduisent un système de santé à deux vitesses minant la crédibilité des autorités. Ensuite, elles diminuent les facteurs incitatifs pour les entreprises pharmaceutiques de commercialiser leurs médicaments à des prix abordables et acceptables au regard des bénéficiaires. Enfin, elles sélectionnent une série de maladies pour un traitement de faveur d'une manière arbitraire¹⁴².

c) Encouragement ciblé de la recherche

[Rz 84] Une troisième proposition consisterait à encourager par des fonds publics la recherche fondamentale et la recherche appliquée axées sur les maladies rares. Ce financement *ex ante* proposé aux sociétés pharmaceutiques investissant dans ces domaines serait évidemment lié à des réductions de prix *ex post*, une fois le médicament autorisé. Le financement pourrait soit être accordé à des projets identifiés comme particulièrement prometteurs, soit être offert plus largement, par exemple sous forme de crédits d'impôts, pour peu que soient remplies des conditions liées au type de maladie, au bénéfice et au coût du traitement.

[Rz 85] En encourageant ainsi la recherche axée sur les maladies orphelines, on augmente de surcroît les chances de trouver des traitements destinés à des maladies plus répandues. En effet, l'expérience a montré que de telles recherches débouchent souvent sur des résultats intéressants pour d'autres maladies¹⁴³. Par exemple, en étudiant une maladie rare causée par un seul gène, on met à jour des idées de traitement pour des maladies plus communes attribuées à plusieurs gènes.

d) Système individualisé de remboursement

[Rz 86] Une quatrième possibilité, nettement plus délicate, consisterait pour l'Etat à négocier avec le fabricant un système de remboursement individualisé par patient. Le prix versé par l'assurance serait fonction de divers critères, certains médicaux (par ex. l'état de santé du patient et le bénéfice attendu), d'autres économiques (par ex. la fortune et le revenu du patient). Cette proposition s'inspire des solutions mises en œuvre aux Etats-Unis, sur une base privée, pour les patients démunis. Compte tenu des importantes lacunes de couverture d'assurance dans ce pays, les sociétés pharmaceutiques y proposent aux patients ne pouvant payer le prix standard d'adapter celui-ci à leurs ressources. Plus le patient est pauvre, moins il paiera de sa poche et plus l'Etat (ou dans le cas américain, la société pharmaceutique) le subventionnera. Si c'est l'Etat qui décide de l'attribution des subventions, le droit constitutionnel à la protection des données est relativement peu lésé.

4.2. Création d'un processus administratif s'appuyant sur une agence spécialisée et des procédures transparentes et démocratiques

[Rz 87] Comme l'arrêt Myozyme l'atteste, un tribunal n'est pas outillé pour mettre en place une évaluation de l'économocité sur la base d'un coût par QALY. Même l'interprétation d'un calcul de QALY existant, par exemple tiré de publications

¹³⁹ Cf. par ex. Michael F. Drummond et al., Assessing the economic challenges posed by orphan drugs, 23(1) International Journal of Technology Assessment in Health Care p. 36-42 (2007); D.A. Hughes et al., Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? 98 QJM p. 829-836 (2005).

¹⁴⁰ Cf. NICE, Appraising Orphan Drugs, Draft, (mars 2006), at <http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/smt/120705item4.pdf>; NICE, communiqué de presse du 26 janvier 2005 intitulé « NICE should consider paying premium prices for drugs to treat patients with very rare diseases » sous http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/2005_002_CitizensCouncilreport.pdf.

¹⁴¹ NICE, Citizens Council Report, Ultra Orphan drugs (février 2005), sous http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/Citizens_Council_Ultraorphan.pdf.

¹⁴² Alan Maynard & Karen Bloor, The economics of the NHS Cancer Drugs Fund, 9 Appl Health Econ Health Policy p. 137-138 (2011).

¹⁴³ Cf. par ex. C.A. Gericke et al., Ethical issues in funding orphan drug research and development, 31 JME p. 164-168 (2005).

médicales ou établi par des agences étrangères, peut être problématique pour un juge. Par ailleurs, s'en remettre aux tribunaux pour se prononcer sur la prise en charge de traitements comporte de sérieux inconvénients pour les patients forcés de réunir autour d'eux une équipe d'experts juridiques et médicaux (sous-chapitre 3.3.1 ci-dessus). A l'heure où les preuves d'un renoncement aux soins pour des motifs économiques s'accumulent¹⁴⁴, une évaluation globale du système de financement de l'assurance-maladie doit impérativement être réalisée. Pour sa part, la solution judiciaire n'apporte qu'une solution partielle à un problème particulier.

[Rz 88] Aussi serait-il nettement préférable de confier les premières phases d'évaluation d'un traitement (« *assessment* » et « *appraisal* ») à une agence spécialisée, laissant aux autorités politiques ou judiciaires les dernières phases de décision¹⁴⁵. Cette agence aurait pour mission de réunir les données existantes, de recueillir les données manquantes, de valider les méthodes de calcul de coût par QALY, d'effectuer les analyses de sensibilité et de présenter les résultats de manière compréhensible et utilisable pour les différentes parties prenantes¹⁴⁶. Ces dernières auraient la possibilité d'intervenir aux différentes étapes du processus, allant de la sélection des traitements à évaluer jusqu'à la validation des modèles de calcul. Ainsi, les témoignages de patients sur les bénéfices effectivement ressentis trouveraient leur place dans l'évaluation des avantages du traitement. Les associations de patients y trouveraient un cadre propice à leur engagement¹⁴⁷. Outre le caractère participatif du processus, celui-ci devrait aussi être transparent¹⁴⁸. Chaque étape devrait faire

l'objet d'annonces publiées. Le degré de transparence atteint par le NICE devrait être pris pour modèle. A la fin du processus, le résultat de l'« *assessment* » et de l'« *appraisal* » devrait pouvoir faire l'objet d'une reconsidération par un large panel d'experts indépendants. Cette reconsidération ne serait pas à proprement parler un recours, puisqu'il n'y aurait pas encore de décision à ce stade. De plus, cette phase de reconsidération resterait gérée par l'agence. La qualité pour agir serait cependant reconnue largement, notamment aux associations de patients.

[Rz 89] Pareille proposition est en train de faire son chemin. Le 16 juin 2010, le Conseiller national Ignazio Cassis a déposé une motion en faveur d'une « véritable agence nationale de Health Technology Assessment ». Son auteur estime que « l'économicité et l'adéquation des prestations doivent impérativement être davantage contrôlées, et ceci de manière systématique. »¹⁴⁹ Répondant à la motion, le Conseil fédéral a proposé de l'accepter, estimant « judicieux de disposer d'une institution indépendante »¹⁵⁰. Dans un premier temps, il se propose de « définir les groupes cibles, les méthodes de travail, l'organisme responsable et les besoins financiers » pour ensuite « élaborer une proposition de mise en œuvre »¹⁵¹. La motion a ensuite été examinée par la Commission de la sécurité sociale et de la santé publique du Conseil des Etats qui l'a acceptée le 25 février 2011¹⁵². Bien que les deux Chambres l'aient adoptée et transmise, un long chemin sépare encore ce projet de sa réalisation concrète¹⁵³.

¹⁴⁴ Voir à Genève l'intéressante étude de Hans Wolff et al., Health care renunciation for economic reasons in Switzerland. 141 Swiss Medical Weekly w13165 (2001).

¹⁴⁵ La question de savoir qui – les juges, le Parlement, le Conseil fédéral, une agence spécialisée ? – a la plus grande légitimité à décider des priorités de santé est délicate. A ce sujet, voir le sous-chapitre 4.3. ci-dessous.

¹⁴⁶ Actuellement, aucune de ces tâches n'est menée en Suisse.

¹⁴⁷ On peut se demander pourquoi en Suisse les associations de patients ne parviennent pas à jouer un rôle plus important. Le manque de forums officiels qui acceptent et encouragent leurs participation l'explique sans doute pour partie. L'absence de tels forums complique également leurs efforts pour médiatiser la situation difficile dans laquelle se trouvent leurs membres.

¹⁴⁸ Le manque de transparence est une critique récurrente de toute évaluation du système sanitaire suisse, en particulier s'agissant des décisions administratives. Pourtant, le Conseil fédéral marque encore sa réticence; il continue à craindre que la transparence n'aboutisse à augmenter les pressions sur les fonctionnaires, les experts et les membres des commissions. Cependant, il omet de signaler que le potentiel de pression existe déjà pour les parties admises à la procédure, en particulier les requérants souhaitant faire admettre une nouvelle prestation. En améliorant l'accès à l'information au profit de groupes jusqu'à présent exclus de la procédure, on rétablit au moins partiellement l'égalité des armes. Le Conseil fédéral concède par ailleurs que « la communication des résultats intermédiaires de la procédure aurait une incidence positive sur la promotion de la coopération internationale [...] et sur la crédibilité même de la procédure ». Cf. Avis du Conseil fédéral du 24 juin 2009 (FF 2009 p. 5114-5115), suite au rapport du Contrôle parlementaire de l'administration (CPA) du 21 août

2008 ainsi qu'aux recommandations de la Commission de gestion du Conseil national (CdG-N) du 26 janvier 2009.

¹⁴⁹ Le parlementaire ajoute « Les citoyens investissent chaque année 2 milliards de francs supplémentaires dans le système de santé sans que le retour sur investissement ou le bénéfice puissent être correctement estimés. [...] Une véritable agence nationale HTA, qui existe dans la majorité des pays industrialisés (www.inahta.org), fait cruellement défaut en Suisse. ». Motion 10.3451, sous http://www.parlament.ch/fr/suche/pages/geschaefte.aspx?gesch_id=20103451.

¹⁵⁰ Réponse du 17 septembre 2010 à la motion précitée. Pourtant, quelques mois auparavant, le Conseil fédéral avait fait état de « sérieuses réserves quant à une pondération accrue de l'économicité et à l'application systématique du rapport coût/bénéfice sous forme de coûts maximaux par année de vie gagnée ajustée par sa qualité ». Cf. avis du Conseil fédéral, déjà cité sous note 148 *supra*.

¹⁵¹ Réponse du Conseil fédéral du 17 septembre 2009, *supra* note 150.

¹⁵² Cf. http://www.parlament.ch/afs/data/f/bericht/2010/f_bericht_s_k19_0_20103015_0_20110225.htm [Print]

¹⁵³ L'association faitière de l'industrie pharmaceutique suisse (interpharma) et l'association faitière des caisses-maladie (santésuisse) ont d'ores et déjà créé la plate-forme HTASwiss. Selon les explications de la première, « [l']objectif est d'élaborer un document consensuel suisse pour l'utilisation et la réalisation des Health Technology Assessments, reflétant l'état actuel de la science dans ce domaine et les expériences réalisées avec les HTA dans d'autres pays. Dans le contexte des conditions cadres institutionnelles et normatives de la Suisse et compte tenu des attentes des citoyens vis-à-vis d'une assurance-maladie solidaire, il s'agit d'élaborer des critères et des repères sur la manière de réaliser une évaluation valable des interventions médicales en Suisse. » Voir la page web <http://www.interpharma.ch/fr/politique/le-systeme-de-sante-suisse/hta>.

4.3. Promouvoir le débat public

[Rz 90] Qui est le mieux légitimé à décider combien dépenser pour la santé ? Certains estiment que la question est si essentielle qu'elle devrait revenir au peuple, que ce soit par le biais de consultations plus ou moins formelles ou par un vote populaire. D'autres estiment que la question est trop complexe pour être décidée par des groupes de citoyens ou par votation populaire.

[Rz 91] A cet égard, le vote sur les médecines alternatives a montré les limites de la consultation populaire. Le 17 mai 2009, une nette majorité des votants (67%) s'est déclarée en faveur de la prise en compte de ces médecines¹⁵⁴, quand bien même les preuves scientifiques font toujours défaut et les coûts supplémentaires pour l'AOS ne sont guère mesurés. La mise en œuvre de ce vote positif dans la LAMal se révèle aujourd'hui délicate¹⁵⁵.

[Rz 92] De même, un sondage effectué en 2011 par l'institut gfs pour le compte de l'association faitière des sociétés pharmaceutiques montre que la population insiste pour maintenir un large éventail de soins. Interrogés sur les problèmes que soulèvent les maladies rares, 68% des sondés « refusent plus ou moins par principe que l'on renonce à un traitement pour des raisons de coûts »¹⁵⁶. Pourtant, le mécontentement de la population confrontée à l'augmentation constante des primes ne cesse de croître¹⁵⁷.

[Rz 93] Dans ces circonstances, il semble difficile de faire voter la population aussi bien sur un (ou plusieurs) plafond(s) de coût par QALY que sur des principes généraux applicables à une variété de situations médicales. Il est souvent objecté que la majorité des bien-portants ne saurait juger de manière équitable des besoins des malades. S'agissant de votes populaires, la surreprésentation de certains groupes de votants aboutirait aussi à des déséquilibres.

[Rz 94] Le débat public peut toutefois prendre d'autres formes que le vote populaire. Ainsi, les consultations de panels de citoyens dans le cadre de Publi-Forums ou de réunions similaires ont connu un certain engouement en Suisse. Le Centre d'évaluation des choix technologiques (TA-SWISS) a mené plusieurs expériences de cet ordre dans les domaines de la santé ou de la technologie. Cependant, il s'est

généralement abstenu d'interroger directement les citoyens sur les implications financières des décisions d'admission de nouvelles technologies.

[Rz 95] Finalement, même sans consultation formalisée, un débat public peut trouver sa place au travers des médias. En sensibilisant la population aux bénéfices et aux coûts de traitements, on peut espérer intégrer cette dimension dans les décisions ponctuellement soumises aux instances politiques. Elle devrait être présente lorsqu'il s'agit d'augmenter les impôts pour financer une assurance sociale, lorsqu'il s'agit de décider de l'implantation d'un nouveau centre hospitalier, ou au contraire de concentrer les missions de certains hôpitaux trop petits pour être efficaces.

5. Conclusion

[Rz 96] L'arrêt du TF est opportun dans la mesure où il ouvre un débat sur les limites à fixer aux dépenses de santé, tout particulièrement s'agissant de la prise en charge d'un patient particulier. Il ose poser la question délicate du seuil financier au-delà duquel la société accepte de laisser souffrir ou mourir un être humain. Au lieu de cacher cette difficulté inéluctable, il aborde avec courage ce problème¹⁵⁸.

[Rz 97] L'arrêt est toutefois dangereux dans la mesure où il crée un précédent qui pourrait être exploité par les payeurs pour refuser la prise en charge d'autres pathologies pour des motifs économiques uniquement. Il l'est d'autant plus que ses développements se fondent sur une approche abusivement simplificatrice de la méthode de coût par QALY. Il est dangereux également en ce qu'il ne se prononce que sur un aspect étroit de la problématique, s'abstenant de discuter des seuils applicables aux autres prestations de soins. Il laisse la voie ouverte à des inégalités de traitement entre diverses catégories de patients, au détriment des plus vulnérables, particulièrement ceux qui souffrent d'une maladie rare.

[Rz 98] L'arrêt lance de plus un signal très clair à l'industrie biomédicale. Celle-ci est dissuadée d'investir dans des secteurs économiquement hasardeux, puisque le faible nombre de patients potentiels concernés ne lui permettra pas d'envisager un retour sur investissement raisonnable. La menace que constitue ce signal est à prendre d'autant plus au sérieux que les « pipelines » (produits en développement) des sociétés accumulent ce genre de médicaments particulièrement coûteux¹⁵⁹. Les promesses d'une médecine dite personnalisée (basée sur les avancées de la génétique) rendent cette évolution incontournable.

[Rz 99] L'arrêt va enfin compliquer la tâche des médecins qui – plus que jamais – seront pris dans un dilemme entre éthique et économie, défense d'un patient individuel et responsabilité collective envers le système de santé.

asp#Projet_dlaboration_dun_consensus_suisse_sur_les_HTA et le site dédié à ce thème: <http://www.swisshta.ch/>.

¹⁵⁴ Pour les résultats détaillés de cette votation, voir la page web <http://www.bfs.admin.ch/bfs/portal/fr/index/themen/17/03/blank/key/2009/03.html> de l'Office fédéral de la statistique.

¹⁵⁵ Voir le communiqué de presse de l'OFSP du 12 janvier 2011 intitulé « Cinq médecines complémentaires seront remboursées sous condition pendant une période provisoire de six ans », sous <http://www.bag.admin.ch/aktuell/00718/01220/index.html?lang=fr&msg-id=37173>.

¹⁵⁶ Interpharma, *supra* note 116, p. 4.

¹⁵⁷ Cf. voir les résultats du sondage effectué par santésuisse, rapport du 30 août 2010, p. 8, sous <http://www.santesuisse.ch/datasheets/files/201008301134153.pdf>.

¹⁵⁸ Dans le même sens, Samia Hurst et al., *supra* note 8, p. 1142.

¹⁵⁹ Cf. par ex. Fenton, *supra* note 116, p. 137 (2010).

Valerie Junod, professeur aux Universités de Genève et Lausanne. L'auteur remercie Grégoire Nicolet, Betty et Charles-André Junod pour leur relecture critique du manuscrit.

Dr. Med., Jean-Blaise Wasserfallen, professeur à l'Université de Lausanne et directeur médical du Centre Hospitalier Universitaire vaudois (CHUV).

* * *