

# Rationnement des soins: qu'implique l'arrêt «Myozyme»?

**Cet arrêt conclut qu'un médicament hors liste des spécialités n'apportant pas un bénéfice thérapeutique élevé, et présentant un coût jugé disproportionné ne doit pas être pris en charge par l'assurance-maladie. Il est discutable à bien des égards: sur le plan de l'évaluation médico-économique utilisée comme sur les incertitudes quant à sa portée et à ses implications pour l'ensemble des acteurs du système de santé.**

Jean-Blaise Wasserfallen,  
Valérie Junod

A la page 1753 vous trouverez un commentaire de Hanspeter Kuhn, avocat et responsable du Service juridique de la FMH.

Une version plus détaillée de cet article a été publiée par la Revue Suisse de Droit de la Santé (RSDS) / Jusletter du 29 août 2011.

## La situation clinique

A l'âge de 67 ans, une patiente s'est vu diagnostiquer la forme adulte de la maladie de Pompe. Sa caisse-maladie a d'abord accepté un traitement de six mois avec le Myozyme®. Ce médicament, autorisé en Suisse depuis mai 2008, atténue certains symptômes de la maladie [1]. En juin 2008, estimant le médicament trop cher (à plus de 500 000 francs par an), la caisse-maladie a refusé la poursuite du remboursement. Sur recours, le Tribunal fédéral (TF) a nié le droit à la prise en charge par l'assurance obligatoire des soins (AOS), en retenant que le médicament n'apportait pas un bénéfice thérapeutique élevé et que son coût était disproportionné [2].

La partie de l'arrêt sur la non-économité du traitement est particulièrement intéressante, car elle concerne le thème ultra-sensible du rationnement des soins [3]. Tenant compte de critères médicaux, financiers et éthiques, le TF suggère une limite au remboursement d'un médicament à visée palliative utilisé pour une maladie rare pour laquelle il n'existe de surcroît pas d'alternative. Le TF mentionne un montant jugé raisonnable autour de 100 000 francs par année de vie supplémentaire en bonne santé.

Cette mention d'un seuil constitue une première en Suisse. A ce titre, l'arrêt a eu un important retentissement dans les médias, la littérature spécialisée [4, 5] et sur la scène politique. Certains ont d'ailleurs exagéré sa portée, en affirmant à tort que ces 100 000 francs dictaient à l'avenir un plafond de dépenses [6]. En toute hypothèse, l'arrêt est discutable en ce qu'il n'applique pas correctement la méthode d'analyse des coûts par années de vie ajustées selon la qualité (QALY), qu'il n'en discute pas les faiblesses, et qu'il n'examine pas ses conséquences délétères sur les différents acteurs du système de santé.

## L'analyse du Tribunal fédéral [2]

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, aujourd'hui intégrées aux nouveaux articles 71a et 71b de l'Ordonnance sur l'assurance-maladie (OAMal) [7].

L'exception ici pertinente est celle d'un médicament soignant une maladie grave pour laquelle il n'existe aucune alternative thérapeutique autorisée et à charge des caisses-maladie. Ces deux premières conditions étant remplies, le TF devait encore déterminer si le médicament procure un bénéfice thérapeutique élevé et s'il est économique.

## Bénéfice thérapeutique élevé? Non

S'agissant du bénéfice, le TF précise que celui-ci doit être apprécié tant de manière abstraite (sur la base des études cliniques) que de manière concrète (par rapport à l'assurée en procès). Pour jauger l'efficacité abstraite du Myozyme®, le TF examine l'étude LOTS [8], qui révèle que les patients adultes traités pendant 78 semaines améliorent leur distance de marche moyenne parcourue en 6 minutes de 28 mètres (ou 8,4%) par rapport au groupe contrôle (dès la 26<sup>ème</sup> semaine de traitement) et leur capacité vitale pulmonaire de 3,4% pendant les 38 premières semaines (passant de 53% à 55,4%). Pour le TF, ces deux paramètres sont insuffisants pour conclure à un bénéfice élevé abstrait.

Pour jauger l'efficacité concrète, le TF récapitule les expertises médicales produites dans le cadre du procès: pendant le traitement, l'assurée avait perçu une amélioration modeste de sa qualité de vie, 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 thérapie. Dès lors, il ne peut être conclu à une efficacité notable dans le cas individuel.

## Traitement économique? Non

L'une des conditions de l'exception jurisprudentielle n'étant pas remplie, le TF aurait pu arrêter là son rai-

Correspondance:  
Prof Dr Jean-Blaise Wasserfallen  
UNIL, MPP  
Directeur médical CHUV  
Bugnon 21  
CH-1011 Lausanne  
Tél. 021 314 18 02  
Fax 021 314 18 18  
jbw(at)chuv.ch

Prof Dr iur. Valérie Junod  
Professeur UNIL et UNIGE  
Ecole des HEC  
Internef 615  
CH-1015 Lausanne  
Tél. 021 692 34 28  
Fax 021 692 33 05  
valerie.junod(at)unil.ch

sonnement. 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.

Le Myozyme® n'ayant pas été soumis à l'OFSP pour inscription dans la LS, le TF rappelle que c'est au tribunal d'opérer le contrôle de l'économicité (art. 32 al. 1 LAMal). En premier lieu, cette condition implique de choisir, parmi plusieurs traitements possibles, celui qui présente le meilleur profil coût-efficacité. 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.

Selon le TF, ces exigences ne peuvent être écartées en invoquant l'éthique, en particulier un impératif de toujours préserver la vie. Elles ne peuvent pas l'être non plus en invoquant le caractère orphelin de la maladie en cause. En effet, les moyens financiers à disposition ne sont pas illimités; les consacrer à une maladie, même rare, signifie en priver un autre domaine sanitaire. Déjà aujourd'hui, la LAMal opère des choix, en restreignant ou excluant le remboursement de certaines prestations pourtant médicalement souhaitables: les soins dentaires, la contraception, la pro-

duction dans le cas du Myozyme®. Il n'existe d'ailleurs aucune étude publiée de coût par QALY pour ce médicament et le TF ne prétend pas mener sa propre analyse. Les chiffres qu'il utilise semblent d'ailleurs imprécis. Premièrement, au vu des résultats de l'étude LOTS [8], il est exclu de retenir un gain d'une année de vie supplémentaire, puisque le traitement ne fait que diminuer légèrement le handicap du patient. Deuxièmement, le coût d'une année de traitement par Myozyme® mentionné par le TF semble inhabituellement bas, dès lors qu'il correspond au coût du médicament pour une patiente pesant entre 43 et 52 kg. Troisièmement, le TF ne mentionne pas les coûts annexes liés à l'administration du médicament par le personnel de soins. Enfin, il ne fait aucune allusion aux éventuels coûts économisés grâce au médicament. L'arrêt ayant surestimé le bénéfice du traitement et sous-estimé ses coûts, le rapport réel de coût par QALY dépasse largement les 600 000 francs.

### Quelles critiques à l'égard de la mesure de coût par QALY?

Sous l'angle scientifique, la première et principale faiblesse de cette méthode tient à la fiabilité des données: elles sont parfois inexistantes et donc extrapolées, trop anciennes, ou provenant d'un pays et d'un

## L'arrêt laisse la voie ouverte à des inégalités de traitement au détriment de patients très vulnérables tels ceux souffrant de graves maladies rares.

création médicalement assistée, plus récemment les lunettes.

Le TF regrette que ce rationnement existant ne soit pas fondé sur des critères généralisables et reconnus. Il en résulte insécurité juridique et inégalité de traitement, car les décisions de prise en charge sont adoptées au cas par cas par les médecins-conseils et/ou les caisses-maladie. La jurisprudence s'efforce de combler la lacune laissée par les autorités politiques en acceptant ou en refusant des recours portant sur des montants plus ou moins élevés.

Se référant aux pratiques des pays voisins, le TF note qu'un seuil de 100 000 francs par année de vie sauvée, ajustée pour la qualité, est généralement jugé admissible. Il estime que ce seuil coïncide en grande partie avec les montants jusqu'à présent acceptés par l'OFSP et la jurisprudence. Il s'ensuit que dans le cas d'espèce, le traitement est non-économique puisque ses coûts excèdent 500 000–600 000 francs par an, et cela indépendamment de l'ampleur du bénéfice thérapeutique.

### Analyse critique de l'arrêt

Le TF n'effectue pas une réelle analyse de coût par QALY. Il y fait référence, mais ne la met pas œuvre

de système de soins étrangers ou d'un trop petit nombre de patients. La seconde faiblesse a trait à l'arbitraire de certains paramètres du modèle utilisé: taux d'escompte pour mesurer les bénéfices et coûts survenant dans l'avenir, imprécision des échelles, arbitraire du seuil d'économicité. La troisième porte sur l'incertitude dans le transfert de valeurs mesurées sur une population à un patient donné.

Pour les bioéthiciens, la méthode de coût par QALY tend à faire passer les critères médicaux au second plan [9]. Elle élude la question de savoir si la société peut ou non se permettre la dépense en cause. Elle risque d'introduire une discrimination des patients déjà les plus mal lotis au départ (patients âgés, mourants ou atteints de maladies rares). Elle ne tient pas compte des souffrances passées. Elle menace la confiance des patients et des soignants dans le système de santé. Elle pourrait déboucher sur une judiciarisation excessive des prises en charges cliniques, avec d'inévitables délais dans la mise à disposition des nouveautés technologiques. Plus généralement, certains auteurs regrettent que le débat sur les QALY éclipe celui sur la nécessité d'accroître les budgets de santé.

Malgré ces nombreuses critiques, la méthode de coût par QALY présente l'avantage d'être neutre: un

QALY est évalué selon les mêmes bases mathématiques, quelles que soient la personne ou la maladie concernées. Elle constitue le meilleur outil à disposition pour comparer différents traitements avec une même échelle. Elle souligne le fait qu'en décidant de financer une prestation en faveur de certains patients, on impose un sacrifice correspondant à un autre

## L'arrêt ose poser la question délicate du seuil financier au-delà duquel la société accepte de laisser souffrir ou mourir un être humain.

groupe. 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.

### Quelle est la portée de l'arrêt?

#### Pour les patients

C'est à l'assuré en litige avec sa caisse-maladie de prouver que les conditions de l'exception sont remplies lorsque le médicament ne figure pas dans la LS. Réunir les preuves nécessaires est souvent au-delà de ses moyens: les données publiées sont généralement très partielles, voire partiales. Même si la caisse-maladie a un devoir de collaborer, elle n'a pas forcément accès à des informations médicales et scientifiques plus détaillées. Seul le fabricant dispose des données nécessaires et il est rare qu'il puisse être impliqué dans le procès.

Or, sur la base de l'arrêt «Myozyme», les caisses pourraient être tentées de refuser tout remboursement pour des médicaments hors LS et dont le coût par QALY est similaire à celui de ce médicament. Différentes caisses auraient déjà adressé des courriers dans ce sens à leurs assurés. L'OFSP a dû leur rappeler

#### Commentaire de Hanspeter Kuhn, avocat et responsable du Service juridique de la FMH

L'arrêt sur le Myozyme dont il est question ici constitue une décision de principe qui – espérons-le – va réveiller le monde politique. Un premier pas dans ce sens a été franchi par le Conseil national qui a transmis le postulat d'Ignazio Cassis portant sur cette question et demandant au Conseil fédéral de mener des réflexions plus approfondies sur le rationnement dans l'assurance sociale [1].

Jean-Blaise Wasserfallen, médecin, et Valérie Junod, juriste, expliquent dans leur article (et de manière plus détaillée dans la Jusletter [2]) que cet arrêt du Tribunal fédéral ne doit pas être exploité en vue de refuser pour ainsi dire aveuglément des cas pour des motifs uniquement économiques. Je résumerai pour ma part la situation comme suit:

- Dans un premier temps, le Tribunal fédéral a constaté que la preuve de l'efficacité du traitement au Myozyme n'était pas suffisante [3]; il n'aurait donc pas eu besoin de motiver davantage son refus de prise en charge des coûts. Les considérants portant sur la limite économique supérieure des coûts à prendre en charge ne sont dès lors que de simples *obiter dicta* («soit dit en passant») qui n'ont aucune incidence sur la décision juridique.
- Les auteurs démontrent que le tribunal s'est basé sur des coûts correspondant à une personne très légère si bien que les coûts réels des médicaments dépassent clairement les 600 000 francs par an.
- Enfin, les considérants de l'arrêt mettent dans le même panier plusieurs arrêts portant sur des questions différentes en mentionnant des cas qui portent sur les coûts du traitement et d'autres sur les coûts des soins infirmiers: le tribunal mentionne un cas dans lequel le seuil admissible des coûts des soins infirmiers a été accepté à hauteur de 100 000 francs [5], mais omet de mentionner les coûts de traitement qui vont encore venir s'ajouter à ce montant.

Il existe donc des raisons valables de ne pas accepter de limite stricte de 100 000 francs pour la prise en charge des coûts de traitement ou de soins dans l'assurance-maladie sociale conformément à la LAMal.

1 Postulat 11.3218 du conseiller national Ignazio Cassis, transmis le 30.9.2011 par le Conseil national.

2 Junod V., Wasserfallen J.-B. Rationnement des soins. Jusletter. 29 août 2011.

3 «Bien que l'on puisse admettre qu'il existe un bénéfice thérapeutique, celui-ci n'est pas suffisamment élevé pour que les coûts soient pris en charge hors liste des spécialités; il n'existe donc aucune obligation de prise en charge par la plaignante.» (trad. FMH)

4 Les *obiter dicta* ont «pour inconvénients de ne pas contribuer à la recherche du droit applicable dans un cas particulier, d'induire régulièrement le lecteur en erreur et de faire souvent obstacle aux constatations ultérieures», Dörner H.-J. «Neues aus dem Befristungsrecht» dans: Neue Zeitschrift für Arbeitsrecht. 2007;2:57. Cité sur Wikipédia (en allemand; site consulté le 26 octobre 2011). (trad. FMH)

5 Consid. 7.6.2 et arrêt cité ATF 126 V 334.

que chaque dossier doit faire l'objet d'une évaluation «au cas par cas», même si le médicament a subi un refus d'admission dans la LS.

#### **Pour le système AOS, en particulier l'inscription dans la LS**

Aujourd'hui, la LS inclut plusieurs médicaments dont le coût annuel excède ce seuil de 100 000 francs notamment selon les indications admises ou selon les circonstances d'administration. On citera ainsi la plupart des thérapies géniques, le traitement de l'hypertension modérée par inhibiteurs de l'enzyme de conversion [10] ou encore le traitement de l'hypercholestérolémie par statines [11], suivant le profil de risque des patients. Le TF n'en touche pas mot.

Il n'y a toutefois pas lieu de craindre une remise en cause de la prise en charge de traitements existants sur la base de l'arrêt «Myozyme», même si la question pourrait se poser pour des traitements futurs. En effet, quand bien même les critères d'admission d'un médicament dans la LS sont actuellement indépendants d'un calcul de type coût-bénéfice, le TF a appuyé sa discussion d'une limite chiffrée sur la condition d'économicité posée à l'art. 32 al. 1 LAMal et sur la notion de proportionnalité, deux exigences communes à l'ensemble des prestations de santé.

#### **Pour l'industrie pharmaceutique**

Malgré leurs déclarations en faveur de la recherche destinée à des «unmet medical needs», les sociétés pharmaceutiques n'investissent que lorsqu'elles ont une perspective raisonnable de récupérer leurs dépenses et de réaliser un bénéfice. 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 la recherche et le développement passent nécessairement par un prix par patient élevé. Si l'assurance ne le couvre pas, il est peu probable que les patients puissent en assumer eux-mêmes le coût. On voit mal alors pourquoi l'industrie accepterait encore d'investir dans ce domaine.

#### **Conclusion**

L'arrêt du TF est utile dans la mesure où il ouvre un débat sur les limites à fixer aux dépenses de santé pour 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.

L'arrêt est toutefois dangereux dans la mesure où il crée un précédent qui pourrait être exploité par les

caisses-maladie 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 laisse ainsi la voie ouverte à des inégalités de traitement de fait, en particulier au détriment de patients très vulnérables tels ceux souffrant de graves maladies rares. Enfin, l'arrêt va 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.

#### **Références**

- 1 Compendium suisse des médicaments. Myozyme®. Documed AG, Basel 2011 ([www.compendium.ch/MonographieTxt.aspx?lang=fr&MonType=fi](http://www.compendium.ch/MonographieTxt.aspx?lang=fr&MonType=fi)). Accès le 29.8.2011).
- 2 Tribunal Fédéral. Arrêt 9C\_334/2010 du 23 novembre 2010, publié aux ATF 136 V 395. ([http://jumpcgi.bger.ch/cgi-bin/JumpCGI?id=23.11.2010\\_9C\\_334/2010](http://jumpcgi.bger.ch/cgi-bin/JumpCGI?id=23.11.2010_9C_334/2010)). Accès le 2.8.2011).
- 3 Kiefer B. Rationnement des soins: l'impossible conversation. *Rev Méd Suisse*. 2007;3:2064.
- 4 Herren D. HTA: how to assess? *Bull Méd Suisses*. 2011;92(14):519.
- 5 Poledna T, Tschopp M. Der Myozyme-Entscheid des Bundesgerichts. Ethik, Rationierung und Grenzen der Finanzierung des Gesundheitssystems – ein Meilenstein für die Rechtsprechung und das Gesundheitsrecht. *Jusletter* 7.2.2011 ([www.jusletter.ch](http://www.jusletter.ch)). Accès le 29.8.2011.
- 6 Vannotti M. Maladies rares: gare à l'indifférence. *Rev Méd Suisse*. 2011;7:515.
- 7 Ordonnance du 27 juin 1995 sur l'assurance maladie (OAMal).
- 8 Van der Ploeg AT, Clemens PR, Corzo D, Escolar DM, Florence J, Groeneveld GJ, et al. A Randomized Study of Alglucosidase Alfa in Late-Onset Pompe's Disease. *N Engl J Med*. 2010;362:1396-406.
- 9 Harris J. QALYfying the value of life. *J Med Ethics*. 1987;13:117-23.
- 10 Heldenreich PA, Davis BR, Cutler JA, Furberg CD, Lairson DR, Shlipak MG, Pressel SL, 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 (ALL-HAT). *J Gen Intern Med*. 2008;23:509-16.
- 11 Prosser LA, Stinett AA, Goldman PA, Williams LW, Huninck MGM, Goldman L, et al. Cost-effectiveness of cholesterol-lowering therapies according to selected patient characteristics. *Ann Intern Med*. 2000;132:769-79.