

Document	REAS 2013 p. 177
Auteur(s)	Valérie Junod, Jean-Blaise Wasserfallen
Titre	Le Myozyme: quoi de neuf depuis 2010?
Publication	REAS - Responsabilité et assurance
Editeur	Verein Haftung und Versicherung
ISSN	1424-926X
Maison d'édition	Schulthess Juristische Medien AG

REAS 2013 p. 177

Le Myozyme: quoi de neuf depuis 2010?

Valérie Junod* /
Jean-Blaise Wasserfallen**

En 2010, le Tribunal fédéral excluait le remboursement du médicament Myozyme¹, jugeant qu'il ne remplissait pas les conditions d'une prise en charge exceptionnelle par l'assurance obligatoire de soins (AOS), s'agissant d'un médicament ne figurant (alors) pas sur la Liste des spécialités (LS) de l'Office fédéral de la santé publique (OFSP). Le médicament n'était pas notablement efficace ni dans le cas d'espèce, ni abstraitement sur la base des essais cliniques. Son coût (à un demi-million de francs par an) était disproportionné au vu du faible service médical rendu. Le fait que la maladie en cause – la forme adulte (tardive) de la maladie génétique de Pompe – soit rare n'y changeait rien².

En novembre 2011, l'OFSP incluait le Myozyme dans la LS, mais moyennant des conditions (dites limitatio) drastiques³. Le médicament est désormais automatiquement à charge de l'AOS s'il est prescrit à un assuré par un médecin conformément aux conditions de l'information professionnelle (IP, communément appelée la notice d'emploi) et de la limitatio. Auparavant, Swissmedic avait modifié l'IP du Myozyme pour admettre son utilisation chez des patients non plus seulement pédiatriques, mais

* Professeure associée à l'Université de Lausanne (faculté des HEC) et professeure titulaire à l'Université de Genève (faculté de droit).

** Directeur médical du CHUV (Lausanne) et professeur titulaire à l'Université de Lausanne (faculté des HEC).

1 1 Arrêt dit « Myozyme », 9C_334/2010 du 23 novembre 2010 et publié aux ATF 136 V 395.

2 Nous avons déjà analysé cette jurisprudence dans notre commentaire paru dans la Jusletter du 29 août 2011, Rationnement des soins: le TF joue enfin cartes sur table. Dès lors nous choisissons ici de ne pas revenir sur ces critiques et de concentrer notre analyse sur la contradiction entre ladite jurisprudence et la position de l'OFSP telle qu'elle ressort de la limitatio du Myozyme.

3 Bulletin de l'OFSP 45/11 du 7 novembre 2011, p. 954, également sur Internet à partir de <<http://bag.e-mediat.net/SL2007.Web.External/Default.aspx>>.



aussi adultes⁴. L'IP souligne toutefois que les données d'efficacité pour ce groupe sont "limitées"⁵.

La présente contribution examine si ces conditions formulées par l'OFSP dans la limitatio sont adéquates, aussi bien en elles-mêmes que par rapport à la jurisprudence susmentionnée du Tribunal fédéral. L'analyse se justifie déjà au motif que cette limitatio est absolument unique en son genre; c'est la plus longue et la plus complexe jamais incluse dans la LS. Compte tenu des débats nourris ayant suivi la publication de l'arrêt, on aurait pu s'attendre à ce que la limitatio fournisse une réponse aux critiques du Tribunal fédéral. Comme on le verra, il n'en est rien.

Notre article est divisé en trois parties; il débute par une brève présentation de la limitatio, en simplifiant considérablement le langage médical (exagérément) technique utilisé par l'OFSP. Il expose ensuite ses avantages et inconvénients. Dans la troisième partie, il analyse sa compatibilité avec l'arrêt Myozyme de 2010. La conclusion formule quelques recommandations d'amélioration. Nous partons de l'idée que les tenants et aboutissants de cet arrêt ont été exposés ailleurs et sont donc connus.

1. Les conditions d'une prise en charge du Myozyme par l'AOS

Désormais, tout patient chez qui on a diagnostiqué la forme adulte (tardive) de la maladie de Pompe pourra bénéficier d'au moins 12 mois de traitement. La maladie étant évolutive, lui et son médecin doivent choisir à quel moment il entend exercer ce "droit". La limitatio exige que le patient souffre déjà de premiers symptômes invalidants⁶ (le stade dit 2 sur l'échelle de Rankin⁷ est atteint en raison de la maladie), mais qu'il n'ait pas atteint les derniers stades de la maladie (grabataire ou stade 5 sur cette échelle⁸). Entre ces deux bornes, les variations de l'état de santé sont significatives et de nombreuses années peuvent s'écouler. Choisir quand débiter le traitement n'est donc pas aisé.

Si la prise en charge sur les 12 premiers mois est automatique, la poursuite du traitement, à chaque fois pour des périodes consécutives de 12 mois, ob-

REAS 2013 p. 177, 178

4 La modification de l'IP se fonde principalement sur l'unique étude randomisée contrôlée chez l'adulte à ce jour, à savoir Van der Ploeg et al., A randomised study of Alglucosidase alfa in late-onset Pompe's disease, 362 New England Journal of Medicine p. 1396–406 (2010) (ci-après étude LOTS).

5 L'ancienne version (2008) de l'IP disait: « Aucune efficacité clinique n'a été jusqu'à présent démontrée en ce qui concerne l'effet bénéfique de Myozyme™ chez les patients atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe (voir sous Pharmacodynamique/Efficacité clinique) ». La nouvelle version énonce que les données d'efficacité sont « limitées », puis les décrit précisément dans la section Efficacité clinique/Forme d'apparition tardive de la maladie de Pompe.

6 La limitatio va au-delà d'un simple renvoi à l'échelle de Rankin, puisqu'elle décrit parallèlement les symptômes invalidants.

7 Les paliers de cette échelle sont décrits dans la limitatio. Au stade 2, le patient souffre d'un handicap léger et ne peut plus accomplir toutes ses activités habituelles, mais n'a pas besoin d'une aide.

8 La limitatio évoque (à deux reprises s'agissant des critères d'exclusion) un stade supérieur à 4. Il faut vraisemblablement en déduire un renvoi au stade 5, puisqu'il n'existe pas de stade intermédiaire entre 4 et 5 et qu'on cerne mal en quoi consisterait un stade supérieur à 4, mais qui ne serait pas 5. Au stade 5, le patient souffre d'un handicap grave; il est grabataire, incontinent et a besoin de soins et d'une attention constants. Il n'est pas clair si les deux premières conditions (grabataire et incontinent) sont cumulatives.



ait à des conditions plus strictes⁹. Principalement, il doit être démontré par des mesures régulières (une première au début de la thérapie, puis tous les six mois) que l'état de l'assuré s'est amélioré ou ne s'est pas trop détérioré. Plus précisément, le traitement est immédiatement arrêté si, selon deux mesures successives à 6 mois d'intervalle, le patient a subi une dégradation de plus de 10% à l'aune d'au moins deux de trois paramètres principaux de mesure¹⁰. Ces paramètres sont la force musculaire du patient, la distance qu'il est capable de marcher en six minutes et sa capacité respiratoire (fonction pulmonaire). La diminution d'au moins 10% se calcule toujours par rapport à la première mesure effectuée juste avant le début du traitement. Compte tenu de l'évolution typique de la maladie et de l'efficacité réduite du Myozyme, le patient même traité souffrira inévitablement de cette péjoration, la question étant de savoir de combien de temps le Myozyme retardera cette échéance.

La limitatio énonce encore d'autres règles et exceptions médicales, notamment lorsqu'il n'est pas possible de mesurer les trois paramètres ci-dessus chez le patient (on en utilise alors d'autres) ou lorsque ce dernier vient à souffrir d'autres troubles graves, ce qui commande en principe l'arrêt définitif de la thérapie¹¹. Le patient doit également s'engager à suivre scrupuleusement son traitement, une stricte "compliance" étant une condition de la prise en charge.

Intéressantes également sont les conditions administratives. Le traitement doit être administré par des médecins spécialisés (neurologues d'un service hospitalier de neurologie) ou par des médecins "ordinaires"¹² mais en coopération avec un groupe désigné par l'OFSP comme spécialiste (Swiss Group for Inborn Errors of Metabolism, SGIEM¹³). Ensuite, toutes les données mesurées chez le patient – et il y en a une dizaine à chaque visite de contrôle – doivent être entrées dans un registre en ligne créé par Genzyme (l'entreprise pharmaceutique à l'origine du médicament, aujourd'hui partie du groupe Sanofi-Aventis) et agréé par l'OFSP¹⁴. Ce registre n'est pas public, mais regroupe les données de tous les patients traités par Myozyme aux frais de l'AOS¹⁵. Enfin, la limitatio impose aux caisses-maladie de se déterminer sur la prise en charge du médicament dans les 20 jours suivant la réception du dossier complet attestant de la réalisation des conditions de la limitatio¹⁶.

2. Evaluation de la limitatio

L'inclusion dans la LS, même aux conditions strictes de la limitatio, simplifie considérablement la vie des patients et des professionnels de la santé. Les patients savent désormais qu'ils ont (presque) automatiquement droit à un premier "cycle" de

-
- 9 On peut se demander si l'assuré n'a pas droit automatiquement à 2 ans de thérapie. En effet, la thérapie ne peut être interrompue qu'après une détérioration observée sur 2 contrôles à 6 mois d'intervalle, ce qui implique un suivi sur au moins une année. Or la première prolongation peut être demandée déjà après 10 mois et la caisse doit se déterminer dans les 20 jours. Dans ce cas, la caisse ne dispose que des données d'un seul contrôle (celui après les six premiers mois). Elle ne devrait donc jamais pouvoir refuser la poursuite du traitement.
 - 10 La limitatio fait encore état d'une mesure de la tendance à l'évolution qui complète le critère de la diminution de 10% sur 2 paramètres. En quoi consiste cette tendance est peu clair.
 - 11 La limitatio énonce deux critères dits d'exclusion, mais ceux-ci font référence, en partie du moins, à l'échelle de Rankin pour un stade supérieur à 4.
 - 12 La limitatio exige que le médecin ait « une expérience prouvée du traitement » de ses patients, mais il n'est pas clair s'il s'agit là d'une condition supplémentaire à celles (alternatives) énoncées ensuite, à savoir la qualité de neurologue d'un service de neurologie ou la collaboration avec le SGIEM.
 - 13 La limitatio ne donne aucune autre précision sur ce groupe, et son rôle reste peu clair.
 - 14 Le registre est accessible sous <www.swisspomperegistry.ch>. On relèvera que le patient ou son représentant légal doit avoir expressément et par écrit accepté la procédure de contrôle périodique et l'entrée des données dans le registre.
 - 15 Le registre est décrit comme anonyme; il ne s'agit vraisemblablement pas d'un anonymat à proprement parler, mais d'un codage, puisque le médecin a le code pour ses propres patients. En revanche, qui d'autres pourrait obtenir que les données du registre soient décodées n'est pas clair.
 - 16 Chaque prise en charge annuelle s'accompagne d'une garantie écrite de remboursement des coûts « obtenue par l'intermédiaire du médecin-conseil » de la caisse de l'assuré.



traitement de 12 mois et ils peuvent largement choisir quand le débiter. Ils savent précisément à quelles conditions ce traitement pourra être prolongé, possiblement sur plusieurs cycles. Ces conditions dont dépend la poursuite du traitement sont exclusivement médicales. Elles sont de surcroît basées (pour la plupart) sur des outils de mesure (échelles) dûment validés. Les patients ne sont donc plus livrés au pouvoir d'appréciation (à l'arbitraire?) des caisses-maladie¹⁷, celles-ci étant au demeurant tenues de se déterminer dans un délai bref. Les patients sont tous mis sur pied d'égalité. Ils bénéficient également d'un suivi étroit, puisque leur état de santé est évalué méticuleusement tous les 6 mois. Ce suivi est encadré par des médecins expérimentés. Aucune des mesures de suivi n'est invasive; elles peuvent être effectuées en ambulatoire de manière simple. Par ailleurs, le droit

REAS 2013 p. 177, 179

des patients au respect de leur sphère privé est préservé, le registre qui renferme leurs données étant "anonyme"¹⁸.

En dépit de ses avantages, les critiques à l'encontre de la limitatio sont nombreuses. Tout d'abord, elle est étonnamment mal rédigée. Elle est mal structurée, notamment en raison des nombreuses et inutiles répétitions; elle ne réunit pas systématiquement les conditions selon leur chronologie ou leur nature¹⁹. Elle renferme des erreurs flagrantes de vocabulaire (10 minutes au lieu de 10 mètres). On y trouve des contradictions ou des répétitions incohérentes dans la présentation des conditions médicales²⁰. Il n'est souvent pas clair si les sous-conditions sont cumulatives ou alternatives²¹. Il y a des références trop brèves pour être comprises²². Il est renvoyé à des échelles, mais sans mentionner les paliers qui doivent être (ou ne pas être) atteints²³. La limitatio recourt parfois à des termes vagues, aménageant une marge d'appréciation dont on ignore à qui elle profite²⁴.

Sur le fond, la plus importante des critiques a trait à la poursuite du traitement même si l'état de santé du patient se détériore. Alors que le principal essai clinique²⁵ (étude LOTS randomisée contre placebo) démontrait sur 18 mois une amélioration moyenne de 1 à 8 pourcents chez les patients traités et une détérioration de 1 à 2 pourcents chez les patients non-traités²⁶, la limitatio admet que le patient continue le traitement même si, son état de santé se dégrade. En effet, pour que la thérapie soit arrêtée, deux paramètres sur trois doivent accuser une baisse de plus de 10% (par rapport à la mesure initiale) lors de deux dates consécutives de mesure à 6 mois d'intervalle. Résumé et

17 On fera abstraction du contrôle subsidiaire dit de plausibilité qui fait intervenir à la fois le médecin-traitant et le médecin-conseil de la caisse. Par ailleurs, le SGIEM doit également intervenir et l'OFSP doit être informé. La procédure, qui semble lourde puisqu'elle fait intervenir quatre acteurs, n'est guère décrite.

18 Voir toutefois la remarque à la note 15 supra.

19 Par exemple, l'administration de la première batterie de tests avant de débiter le traitement par Myozyme n'apparaît qu'en filigrane dans la limitatio.

20 On citera ainsi le passage: « Le passé médical, l'état médical général [du patient] et diverses autres analyses sont considérés, mais ils ne devraient pas influencer l'évaluation des chances de réussite de la thérapie». Quel est dès lors l'objet de cette prise en considération?

21 Par exemple, le test de plausibilité est décrit tantôt comme un test subsidiaire lorsque ni les critères principaux, ni les critères secondaires ne permettent une évaluation, et tantôt comme un test effectué en parallèle des critères secondaires.

22 Par exemple: « mod. de la valeur de l'échelle de Rankin supérieure à 4 ».

23 Sous contrôle de plausibilité, il est fait mention de 4 échelles différentes (Rankin, Walton-Gardner et Medwin, gravité de la fatigue, handicap de Rotterdam), mais sans aucune indication des seuils pertinents.

24 Par exemple, parmi les critères d'exclusion, la limitatio cite une limitation invalidante « ne permettant pas d'espérer d'un traitement une importante amélioration de la qualité de vie », respectivement « qui conduit à une importante diminution de l'espérance de vie ».

25 Cf. Van der Ploeg et al. (op. cit. n. 4). Cette étude a été menée sur 90 patients pendant 18 mois.

26 Plus précisément, les patients traités parcourent 25 mètres de plus en 6 minutes (moyenne de départ: 318 mètres; augmentation de 8%) et les patients sous placebo marchent 3 mètres de moins (diminution de près de 1%); les patients traités ont une capacité respiratoire augmentée de 1,2% et les patients non-traités subissent une diminution de 2,2%.



simplifié, cela signifie que l'AOS pourrait prendre en charge un traitement dont les bénéfices seraient inférieurs à ceux constatés pour le placebo dans l'étude LOTS²⁷. Bien sûr, cette affirmation a quelque chose d'exagéré, puisque le bénéfice thérapeutique mesuré dans l'essai clinique couvre une période de 18 mois et qu'il n'est nullement certain que les patients traités dans l'essai auraient continué à bénéficier du traitement après 18 mois (même avec Myozyme)²⁸. Par ailleurs, il est également vrai que la détérioration d'au moins 10% sur deux paramètres peut être observée sur une période bien plus longue que les 18 mois de l'essai clinique. Ainsi, on peut imaginer que le patient n'atteigne cette borne inférieure qu'au bout de 20 ans de traitement, alors que sans traitement, il l'aurait atteinte bien plus tôt. Il n'en demeure pas moins que, sans explication de l'OFSP, on ne comprend guère pourquoi la limitatio est si peu exigeante en termes de bénéfice obtenu grâce au traitement.

Seconde critique: les paramètres mesurés sont aisés à fausser. Le patient qui aurait lu (et bien sûr compris) la limitatio aurait tout intérêt à marcher peu et respirer faiblement à sa première mesure, puisque c'est elle qui restera déterminante tout au long du traitement pour calculer la baisse de 10%. Il n'y a guère de moyens d'éviter cet écueil.

Troisième critique: le patient peut certes choisir le moment où il commence le traitement, mais ce choix, même assisté par le médecin, est délicat. Le patient doit décider entre commencer tôt et espérer une stabilisation pendant une longue période où il se portera relativement bien. Ou alors réserver le Myozyme pour le moment où ses symptômes seront plus lourds et espérer alors une petite amélioration d'une qualité de vie déjà nettement péjorée. Le choix est difficile. Des recommandations dites de

REAS 2013 p. 177, 180

consensus préconisent de débiter le traitement dès l'apparition des premiers symptômes²⁹.

Quatrième critique: on a créé un registre prétendument à des seules fins de "contrôle de la qualité". Or la limitatio ne dit pas en quoi consiste ce contrôle de la qualité. La caisse-maladie dispose déjà de toutes les données concernant son assuré; elle n'a pas besoin du registre. Par ailleurs, la limitatio stipule clairement qu'il ne peut être utilisé à des fins de recherche³⁰. Or, celle-ci serait tout particulièrement nécessaire dans le cas d'une maladie rare comme celle de Pompe. Il reste en effet beaucoup à apprendre sur l'évolution de la maladie (sous traitement) et sur le profil bénéfice-risque du médicament. Pourquoi se priver de ces informations alors qu'elles sont réunies de manière (relativement) fiable dans un registre?

3. Compatibilité de la limitatio avec la jurisprudence Myozyme

Dans son arrêt, le Tribunal fédéral s'est prononcé sur la prise en charge d'un médicament qui n'était pas sur la LS. Les conditions d'un remboursement exceptionnel d'un médicament non-LS sont différentes de celles qui président à l'inscription sur la

27 Selon la limitatio de l'OFSP, un patient qui, au départ marcherait 318 mètres et qui après 18 mois de traitement marcherait 30 mètres de moins n'aurait pas (encore) vu sa situation se détériorer de 10%.

28 Une étude ouverte (sans contrôle) sur les 60 sujets ayant reçu le Myozyme dans l'étude LOTS a montré une légère perte d'efficacité en poursuivant le traitement pendant 26 semaines (supplémentaires, après les 72 semaines initiales). La distance de marche a diminué en moyenne de 7 mètres dans la phase d'extension. Cette étude n'ayant pas eu de groupe contrôle, il est impossible de savoir si les patients non traités (ou les sujets sous placebo) auraient vu leur situation se détériorer par rapport à la tendance observée pendant les 72 premières semaines.

29 E. J. Cupler et al., Consensus treatment recommendations for late-onset Pompe disease, 45(3) *Muscle Nerve* p. 319–333 (2012). Selon cette recommandation, le traitement ne doit pas être débuté avant l'apparition des symptômes. Cette recommandation s'écarte de la limitatio de l'OFSP, laquelle exige que le patient ait déjà atteint le stade 2 de l'échelle de Rankin (cf. note 7 supra).

30 Selon la limitatio, « [l]e registre est considéré par l'OFSP comme un outil de contrôle de qualité et ne peut ainsi pas être utilisé à des fins d'étude ».



LS³¹. En effet, dans le premier cas, le médicament doit présenter un bénéfice notable (utilité thérapeutique élevée) contre une maladie très grave et son coût ne doit pas être disproportionné. En revanche, s'agissant de l'inscription dans la LS, le médicament doit présenter un rapport bénéfice-risque favorable, mais la décision incombe presque exclusivement à Swissmedic³². Cette situation peut conduire à des résultats absurdes lorsque Swissmedic accorde l'autorisation de mise sur le marché à un nouveau médicament tout en concédant que "les données étayant l'efficacité clinique sont limitées"³³. Aux fins d'admission dans la LS, l'économicité du médicament est mesurée selon une méthode qu'on peut qualifier de relative, puisqu'elle se base sur une comparaison géographique (le prix suisse par rapport à la moyenne des prix dans six pays de référence³⁴) et une comparaison thérapeutique (le prix du nouveau médicament comparé à un médicament déjà disponible contre la même maladie³⁵). Il n'est donc point question dans la législation d'un seuil calculé en fonction du coût par QALY, quality-adjusted life year), comme préconisé par l'arrêt du Tribunal fédéral de 2010..

Même si les conditions sont bel et bien différentes, il y a quelque chose d'incohérent à ce qu'un médicament jugé non notablement efficace et trop cher par le Tribunal fédéral puisse être ensuite admis dans la LS. Le Myozyme n'est pas devenu plus efficace. Même si son prix a diminué de moitié³⁶, le rapport bénéfice-coût reste donc bien supérieur à la limite esquissée par le Tribunal fédéral de CHF 100 000 par année de vie supplémentaire en bonne santé (coût par QALY)³⁷.

Pareille incohérence commande de se demander si la jurisprudence Myozyme pourra être maintenue. Comment le Tribunal fédéral répondra-t-il aux arguments d'un prochain recourant qui lui aussi exigera le remboursement d'un médicament hors LS et qui fera valoir une inégalité de traitement dès lors que la LS contient des médicaments dont le bénéfice a été jugé modeste pour un coût disproportionné? L'incohérence entre deux situations proches, même si pas identiques, doit amener – le juge ou le législateur – à réviser soit la jurisprudence, soit les conditions des ordonnances régissant l'admission dans la LS.

4. Conclusion

L'arrêt Myozyme a eu le grand mérite d'ouvrir un débat, aussi bien parmi les médecins, les juristes, les éthiciens que la société dans son ensemble³⁸. Quelle solidarité voulons-nous entre malades et bien-portants? Jusqu'où sommes-nous d'accord de payer

REAS 2013 p. 177, 181

et pour quoi? Une limite chiffrée est-elle admissible? Comment tenir compte du caractère rare d'une maladie? Les patients en fin de vie méritent-ils des égards et des sacrifices financiers particuliers?

31 Ces conditions sont aujourd'hui récapitulées aux art. 71a et 71b OAMal, dispositions entrées en vigueur le 1er mars 2011.

32 Cf. note 5 supra. En pareil cas, le médicament ne devrait être jugé efficace sous l'angle de la LAMal que si l'OFSP a déterminé que l'efficacité rapportée par les essais cliniques est suffisamment importante.

33 Cf. note 5 supra. Dans pareil cas, le médicament ne devrait être jugé efficace sous l'angle de la LAMal que si l'OFSP a déterminé que l'efficacité rapportée par les essais cliniques est suffisamment importante.

34 Cf. art. 65b OAMal; art. 34 et 35 OPAS.

35 Cf. art. 65b OAMal; art. 31 al. 2 et 34 al. 2 lettre d OPAS.

36 A l'époque, le médicament coûtait entre CHF 500 000 et 1 million par an selon le poids du patient (40 à 80 kilos), pour un prix public de CHF 1106 le flacon de 50 mg. Désormais, il coûte entre CHF 245 000 et 490 000, sur la base d'un prix public de CHF 588.

37 Comme les essais cliniques n'ont pas démontré que le Myozyme prolonge la vie, il ne peut être question que d'une amélioration de la qualité de vie. Cette amélioration devrait être très sensible pour que le seuil de CHF 100 000 par QALY soit respecté. Or l'essai clinique LOTS atteste seulement une légère amélioration de certains paramètres influant sur la qualité de vie.

38 Voir les très nombreuses références citées par Hardy Landolt dans l'introduction de ce forum, devant p. 163, note 1 et 2.



Regrettablement, la limitatio de l'OFSP ne répond pas – ou alors mal – à ces questions. De par ses apparences scientifiques, elle donne l'impression (fausse) d'un compromis économique-médical. Bien sûr, l'OFSP n'est pas l'autorité compétente pour régler les problèmes majeurs de société que soulève l'arrêt Myozyme. Il ne faudrait cependant pas que sa réponse qui, d'une certaine manière, semble contenter une majorité serve, à éluder le nécessaire débat.

A notre sens, le Tribunal fédéral a eu raison de recommander une approche chiffrée par QALY. Celle-ci doit cependant ne servir que de point de départ, d'autres paramètres devant entrer en ligne de compte. Nous avons déjà décrit ailleurs les avantages et inconvénients de la méthode³⁹ et nous n'y reviendrons pas ici, sauf pour rappeler qu'elle assure un minimum de transparence, à l'inverse de la limitatio qui a été adoptée sans la moindre publicité. L'OFSP décide de l'inclusion dans la LS sur la base de la recommandation de sa Commission des médicaments⁴⁰. A part le résultat (l'inclusion dans la LS à un prix donné moyennant une limitatio), rien n'est rendu public. Pas le moindre communiqué concernant le travail de la Commission. A part l'entreprise pharmaceutique à l'origine de la demande d'inclusion dans la LS, personne ne peut tenter de recours contre la décision administrative. Même s'il s'agit de la réponse la plus élémentaire à un problème infiniment plus complexe, la moindre des choses serait d'améliorer la transparence⁴¹. Les décisions qui touchent à la vie des patients méritent une discussion ouverte, y compris au sein de l'administration. Plusieurs projets témoignent d'un besoin et d'une volonté de s'y atteler⁴². Si l'inclusion du Myozyme dans la LS moyennant limitatio apporte une contribution au débat, nous restons sceptiques sur sa qualité.

³⁹ Cf. l'article cité en note 2 supra.

⁴⁰ Art. 37e OAMal et art. 31 al. 1 OPAS.

⁴¹ A notre avis, les motifs de la décision de l'OFSP et le préavis de la Commission des médicaments devraient être rendus publics. Le droit de recours devrait être élargi aux associations représentant les intérêts des caisses-maladie, des pharmacies, des médecins et des patients.

⁴² Cf. par ex. TA-Swiss, Utilité et coûts des traitements médicaux entre intérêts individuels et collectifs, rapport du publifocus (novembre 2012), <[http://www.ta-swiss.ch/?redirect=getfile.php&cmd\[getfile\]\[uid\]=2174](http://www.ta-swiss.ch/?redirect=getfile.php&cmd[getfile][uid]=2174)>; motion parlementaire acceptée 10.3451, Pour une véritable agence nationale de Health Technology Assessment; postulat 10.3754 accepté, Mise en place au niveau national d'un système d'évaluation des technologies médicales et des médicaments; Département fédéral de l'intérieur, Die Strategie des Bundesrats in der Gesundheitspolitik (juin 2011).