

**Evaluation – Executive Summary**

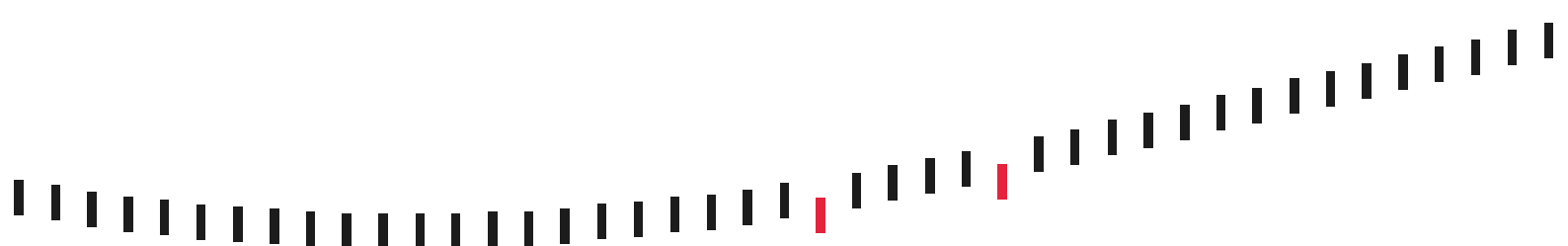
# Prise en charge des médicaments dans des cas particuliers

**Bâle | 24.07.2020**

Sur mandat de l'Office fédéral de la santé publique (OFSP)

Auteurs

Dr. Wolfram Kägi, Miriam Frey et Thomas Möhr (BSS), Yvonne Bollag, Caroline Brugger (asim)



# Condensé

Pour pouvoir être pris en charge par l'assurance obligatoire des soins AOS, les médicaments doivent être autorisés, prescrits par un médecin et figurer dans la liste des spécialités. Dans certains cas, les articles 71a à 71d OAMal dérogent à cette règle. La prise en charge par le biais de l'AOS peut avoir lieu sous certaines conditions au moyen des demandes de garantie de prise en charge et c'est la prise en charge des cas particuliers qui est évaluée ici. Il s'avère que ce type de prise en charge revêt une importance particulière. Les art. 71a à 71d OAMal facilitent l'accès à des médicaments vitaux, cependant, une optimisation est nécessaire. Les critiques concernent particulièrement la charge administrative et l'inégalité de traitement des assurés LaMal dans la prise en charge des cas particuliers.

## Mots-clés

- Prise en charge des cas particuliers
- Médicaments
- Liste des spécialités
- Art. 71a à 71d OAMal
- Off label use (utilisation «hors étiquette»)

## Introduction

La prise en charge des médicaments par l'assurance obligatoire des soins AOS est réglementée selon un processus en deux étapes. D'une part, le médicament doit être autorisé sur le marché suisse, conformément au droit des produits thérapeutiques. L'organe compétent est Swissmedic. D'autre part, le médicament doit être prescrit par un médecin en vertu de l'obligation de prise en charge stipulée dans la loi sur l'assurance-maladie LAMal et doit figurer dans la liste des spécialités (LS). L'admission dans la LS a lieu sur requête du titulaire de l'autorisation. Or, dans la pratique médicale, certains cas exigent l'utilisation de médicaments qui ne sont pas admis dans la LS. Une dérogation a donc été formulée dans les articles 71a à 71d de l'ordonnance sur l'assurance-maladie OAMal. La prise en charge par l'AOS peut avoir lieu sous certaines conditions par le biais des demandes de garantie de prise en charge. C'est cette prise en charge des cas particuliers qui fait l'objet de la présente évaluation. Concrètement, elle s'articule autour des questions suivantes.

- Question principale 1 : où en est la mise en œuvre des mesures en vertu des art. 71a à 71d OAMal ?
- Question principale 2 : les mesures en vertu des art. 71a à 71d OAMal sont-elles adéquates et efficaces ?
- Question principale 3 : y a-t-il un potentiel d'optimisation ? Si oui, dans quels domaines ?

L'évaluation a été réalisée par BSS Volkswirtschaftliche Beratung et asim, médecine des assurances de l'Université de Bâle, à la demande de l'Office fédéral de la santé publique.

## Méthodologie

Différentes méthodes ont été utilisées pour répondre aux questions énumérées plus haut : une analyse des documents, des analyses de données, un workshop avec le groupe d'accompagnement, des entretiens avec nombreuses parties prenantes, une enquête en ligne auprès des assureurs et des médecins-conseils, l'analyse des évaluations d'une demande-test émises par les assureurs ainsi qu'une analyse juridique. L'évaluation a été réalisée entre juin 2019 et mai 2020. Concernant les détails de l'ensemble des données utilisées et le choix méthodologique, y compris l'explication des raisons pour lesquelles certains acteurs concernés ont été interrogés et selon quelle méthode, voir chapitres 2.4 et 2.5 du rapport.

## Résultats

S'appuyant sur les dimensions classiques Input, Processus, Extrants, Effets direct et Impact, un modèle d'effets a été conçu dans le cadre de l'évaluation. Les résultats principaux sont présentés en fonction de ces dimensions.

*Input : hausse croissante des cas particuliers.* La dimension input comprend la pertinence de la dérogation telle que prévue par les art. 71a à 71d OAMal : est-elle pertinente *dans son principe* ? Les répondants estiment que c'est le cas. Cependant, des doutes sont émis quant à la viabilité des art. 71a à 71d OAMal. Ils s'expliquent essentiellement par le nombre élevé et en progression constante des demandes de garantie de prise en charge au titre des art. 71a à 71d OAMal, ce qui ôte de plus en plus à cette réglementation son caractère dérogatoire. Ce phénomène s'applique aussi aux

futurs développements : les progrès de la médecine entraînent un nombre toujours plus important de médicaments disponibles et de possibilités de les combiner. C'est notamment la médecine personnalisée qui montre les limites des procédures actuelles en vertu des art. 71a à 71d OAMal.

*Processus : charge administrative élevée.* Dans le cadre des dimensions relatives aux processus, l'analyse s'est penchée sur l'examen des demandes, la charge qui en résulte pour les personnes concernées au titre des art. 71a à 71d OAMal et les négociations tarifaires.

- Examen des demandes : une majorité des parties intéressées part du principe que l'examen des demandes de garantie de prise en charge en vertu des art. 71a à 71d OAMal est effectué conformément à la loi. Les critiques viennent avant tout du côté des fournisseurs de prestations et des représentants des patients, qui déplorent le manque de transparence du processus d'examen par les assureurs. Ils relèvent notamment que le rejet des demandes est notifié par une lettre standard avec un libellé juridique, sans mentionner les motifs médicaux.
- Charge : sur la base des sondages effectués dans le cadre de la présente évaluation, la charge administrative pour l'établissement et l'évaluation d'une demande de même que l'administration au sein des pharmacies hospitalières (pour autant qu'elles soient impliquées) peut se chiffrer en moyenne à environ 5 heures par cas. S'ajoute à cela la charge administrative des sociétés pharmaceutiques, qui n'est pas encore prise en compte. Extrapolé à l'ensemble des demandes, on arrive à environ 200 000 heures ou bien, avec un tarif horaire moyen estimé de 100 francs, près de 20 millions de francs par an. Toutes les parties impliquées sont unanimes : la charge administrative est trop importante et représente l'un des points critiques majeurs de la réglementation.
- Négociation tarifaire : des accords contractuels sont souvent conclus entre les firmes pharmaceutiques et les assureurs, autrement dit, les prix ne sont pas négociés par cas particulier, mais fixés à l'avance. Les assureurs et les sociétés pharmaceutiques interrogés s'accordent généralement à l'issue des négociations tarifaires. Les assureurs indiquent ne pas pouvoir se mettre d'accord sur le prix dans 10% en moyenne des négociations. Si cela entraîne un rejet de la demande, les coûts du médicament sont pris en charge soit par des tiers (p. ex. des fondations) soit un autre médicament est utilisé.

*Extrants : une petite partie des demandes génère des coûts de l'AOS élevés.* Rien qu'en 2019, près de 38 000 nouvelles demandes de garantie de prise en charge ont été déposées. Entre 2017 et 2019, le nombre de nouvelles demandes a augmenté de près de 50%. La prise en charge des cas particuliers ne correspond donc plus à la dérogation initialement conçue. Les nouvelles demandes de garantie de prise en charge déposées sont acceptées dans environ 75% des cas. Si l'on examine les nouvelles demandes soumises en 2019, environ 160 mio. de CHF ont été versés pour la prise en charge des cas particuliers en vertu des art. 71a à 71d OAMal (en plus des prises en charge relatives aux demandes acceptées les années précédentes). Il s'avère qu'environ 90% des nouvelles demandes acceptées génèrent la moitié des coûts. Cela signifie que l'autre moitié des coûts représente 10% des demandes de prise en charge les plus coûteuses. Alors qu'un nombre réduit de demandes très onéreuses constitue une part importante des coûts, la majorité d'entre elles correspond à des coûts relativement modestes. Environ 30% des demandes acceptées se rapportent à une demande de garantie de prise en charge inférieure à 1000 francs. Enfin, l'analyse de la diligence dénote une forte variabilité parmi les assureurs. Compte tenu d'une politique de livraison des données qui varie d'un assureur à l'autre, il est impossible de calculer le taux de respect des délais impartis.

*Effets direct/Impact : l'enjeu de l'inégalité de traitement des assurés.* Diverses sources de données et d'informations ont été analysées pour répondre à la question de l'égalité de traitement. Pour synthétiser, on peut dire que l'égalité de traitement des assurés LaMal n'est pas garantie à l'heure actuelle.

- L'analyse des données révèle des écarts substantiels dans les taux d'octroi de chaque assureur. Dans la mesure où notamment les grands assureurs doivent traiter un nombre important de demandes chaque année, on ne peut pas en déduire que certains assureurs reçoivent de manière aléatoire une part nettement plus élevée de demandes pour lesquelles les critères des art. 71a à 71d OAMal ne sont pas remplis. Les taux d'acceptation hétérogènes doivent donc être considérés comme un premier indice de l'inégalité de traitement.
- Au cours des entretiens, les acteurs concernés ont relevé des expériences qui confirment l'hétérogénéité observée dans l'analyse des données. Toutes les parties prenantes s'accordent pour dire que le problème est dû à des avis divergents des médecins-conseils. Une autre partie de cette disparité s'explique par une différence d'approche des assureurs lorsque les négociations tarifaires avec les titulaires d'autorisation échouent.
- Qui plus est, une demande-test identique envoyée dans le cadre de l'évaluation a été diversement évaluée par les assureurs, en raison surtout de l'hétérogénéité des évaluations émises par les médecins-conseils. La demande-test a été rejetée à 25%, acceptée à 20%, environ 40% ont opté pour un essai thérapeutique et le reste des assureurs n'a pas pu se prononcer sur la base des informations soumises. Le vecteur de cette hétérogénéité était l'évaluation du bénéfice thérapeutique, même si les assureurs participants utilisent le même outil d'évaluation.

Il se peut que les art. 71a à 71d OAMal incitent l'industrie pharmaceutique à ne pas faire une demande d'admission dans la LS pour certains médicaments ou indications. Motif : un référencement dans la LS est (préalablement) lié à une procédure complexe et la société pharmaceutique doit se mettre d'accord sur un prix avec l'OFSP.<sup>1</sup> D'après un assureur, plusieurs titulaires d'autorisation (non cités) pratiquent activement un marketing «off label» et reconnaissent ouvertement qu'ils ne cherchent pas à faire lister leur produit dans la LS étant donné qu'ils gagnent davantage en s'abstenant de le faire. Les groupes pharmaceutiques interrogés nient quant à eux vouloir contourner la LS. Ils ont répondu que leur objectif reste toujours une admission dans la LS. Cependant, il est mentionné que les art. 71a à 71d OAMal ôtent la pression exercée sur les négociations entre l'OFSP et l'industrie pharmaceutique. Même si les deux parties ne se sont pas encore entendues sur les conditions d'une admission dans la LS, le médicament peut être prescrit et décompté en vertu des art. 71a à 71d OAMal. Ce système est critiqué à plusieurs reprises étant donné qu'il provoque un «embouteillage devant la LS» et un ralentissement du processus d'admission.

*Conclusion : une réglementation importante mais qui requiert des optimisations.* Les articles 71a à 71d recueillent un avis favorable des parties prenantes. Ils permettent d'accéder rapidement à des médicaments vitaux et sans eux, cette accessibilité serait nettement péjorée. Cependant, des optimisations sont nécessaires. Les facteurs critiques concernent notamment la charge administrative et l'inégalité de traitement.

---

<sup>1</sup> Sur la base de critères de fixation du prix prescrits, l'OFSP détermine l'économicité du prix d'un médicament. Un écart souvent important sépare les prix demandés par les titulaires d'autorisation et les prix considérés comme économiques par l'OFSP.

# Recommandations

Les recommandations s'appuient sur les sources d'informations et de données utilisées dans le cadre de cette évaluation, dont l'analyse et la pondération ont été réalisées par l'équipe d'évaluation.

## **Input : recommandation 1 : révision des bases légales**

1. L'inscription dans la loi des principaux fondements devrait être examinée.
2. La manière de procéder pour l'élément OLU dans le domaine stationnaire devrait être précisée. Il convient d'étudier une définition claire pour le domaine stationnaire.
3. Les notions juridiques imprécises figurant dans les art. 71a à 72d OAMal doivent être clarifiées et définies.
4. La «dynamisation» de la LS doit être examinée.
5. Les art. 71a à 71d OAMal omettent de réglementer avec suffisamment de clarté la marche à suivre en cas d'absence de consensus ou de consensus encore ouvert sur les prix entre assureurs et titulaires d'autorisation. Une réglementation claire par voie d'ordonnance est notamment nécessaire pour les essais thérapeutiques.

## **Processus : recommandation 2 : registre avec plateforme numérique pour le dépôt des demandes**

Une plateforme numérique est mise au point pour le dépôt des demandes. Tous les fournisseurs de prestations peuvent soumettre les demandes uniquement par le biais de cette plateforme. Elle comporte un formulaire homogène avec toutes les informations nécessaires. Si ces informations ne sont pas renseignées, la demande ne peut pas être envoyée. Les décisions figurent également sur cette plateforme. Contexte : le problème ou le motif évoqué à plusieurs reprises pour expliquer la charge élevée relève de la qualité disparate des demandes déposées et des questions/relances qu'elles nécessitent. Une partie de ces charges pourrait être réduite par un enregistrement uniforme. Un autre avantage serait une livraison simplifiée des données à l'OFSP par les assureurs; les données pourraient être exportées directement depuis le système. *Concernant la future livraison des données des assureurs à l'OFSP* : si la recommandation relative à la plateforme numérique n'est pas concrétisée, les évaluateurs estiment que les données devraient continuer à être livrées à l'OFSP. Dans ce cas, il faut impérativement recommander une définition exacte et une communication précise de chaque paramètre utilisé de façon à permettre une comparaison entre les ensembles de données fournis par les différents assureurs.

## **Effets direct / Impact : recommandation 3 : accroître la transparence**

Les assureurs motivent leurs décisions négatives. Les fournisseurs de prestations et les organisations de patients critiquent le manque de transparence des refus de demandes. Il serait conditionnellement efficace que les assureurs augmentent proactivement la transparence dans ce domaine.

**Effets directs / Impact : recommandation 4 : cas complexes : service centralisé d'évaluation du bénéfice thérapeutique**

Pour les cas complexes, un comité d'experts indépendant se charge d'évaluer le bénéfice thérapeutique. Les décisions afférentes sont disponibles pour les professionnels sous forme anonyme, permettant ainsi de réduire l'inégalité de traitement.

