



Communiqué de presse – Berne, le 18 juin 2019

## **Résolvons le problème de l'article 71 OAMal en impliquant les patient-e-s et les médecins spécialistes en cas de difficulté dans les procédures d'autorisation**

**Pour contrer la lenteur des procédures d'autorisation de médicaments pour les maladies rares, la Société Suisse pour la Mucoviscidose (CFCH) plaide en faveur d'une adaptation de la réglementation actuelle. Elle réclame l'implication des patient-e-s et des médecins spécialistes. A l'origine de cette revendication se trouvent les négociations tarifaires entre la Confédération et le fabricant d'un médicament destiné à traiter la mucoviscidose, qui durent depuis près de trois ans maintenant et restreignent fortement l'accès au traitement.**

Le climat de suspicion généralisé entre les fournisseurs de prestations et les industriels d'un côté et les organismes payeurs de l'autre se transforme progressivement en chemin de croix pour les patient-e-s. Ceci est particulièrement vrai pour les maladies rares, comme le montre l'impasse des négociations tarifaires menées depuis bientôt trois ans entre l'OFSP et Vertex dans cas du médicament Orkambi. Tant qu'un médicament autorisé ne figure pas dans la liste des spécialités (LS), les assureurs-maladies, mais aussi l'AI, ne sont pas tenus de le rembourser. Le remboursement n'est possible que si une disposition en ce sens est introduite dans l'Ordonnance sur l'assurance maladie (art. 71 OAMal). L'assureur décide ensuite au cas par cas du remboursement et de son montant.

### **Aucune entente entre les assureurs pour un remboursement harmonisé**

En dépit des efforts déployés par le secteur des assurances et la Société suisse des médecins-conseils pour harmoniser les critères de décision liés à l'article 7 OAMal, la prise en charge des coûts reste en fin de compte à la seule appréciation de l'assureur. Or, si l'on en croit un [article du Tages-Anzeiger en date du 17 juin](#), leurs approches divergent. L'accès équitable à un médicament, espoir de nombreux patient-e-s atteint-e-s de mucoviscidose (environ 370 patients), n'est par conséquent pas assuré. Selon les médecins spécialistes chevronnés, Orkambi soulage les symptômes de la maladie à tel point que les patient-e-s sur liste d'attente peuvent être accepté-e-s pour une greffe de poumon. Au stade terminal de la maladie, la transplantation pulmonaire est aujourd'hui la seule et unique chance de prolonger l'espérance de vie du/de la patient-e.

### **Etude sur les coûts totaux et proposition de révision de l'art. 71 OAMal à débattre**

L'incapacité de l'Etat et des industriels réduit les personnes atteintes de mucoviscidose à l'impuissance. Elles se sentent prises entre le marteau et l'enclume. Après avoir appelé – en vain – à plusieurs reprises à une entente entre les parties négociatrices, la CFCH a décidé de passer à l'action. Elle a ainsi commandé une étude afin d'établir scientifiquement les coûts totaux de la mucoviscidose. Mais la Société plaide également en faveur d'une révision de l'art. 71 OAMal et a, de ce fait, élaboré une proposition qui se focalise sur l'implication des patient-e-s et des médecins spécialistes lorsque les procédures d'autorisation sont en rade. Aujourd'hui, ces procédures sont exclusivement du ressort de l'Etat et de l'industrie. Dans quelques cas particuliers (art. 71 OAMal), les assureurs interviennent aussi. L'objectif de la CFCH est de fournir le plus rapidement possible les médicaments innovants aux patient-e-s en attente et pour lequel-le-s ces traitements ont été mis au point et préparés. Il est évident que les coûts de santé doivent rester raisonnables pour ne pas mettre à rude épreuve la solidarité du système. Il est tout aussi évident que les fabricants de médicaments innovants et efficaces doivent rentrer dans leurs frais.

### **« Il est temps d'inviter les organisations de patient-e-s à la table des négociations »**

Selon Reto Weibel, co-président de la CFCH, l'ébauche présentée par la CFCH ne prétend pas fournir la solution ultime. Cette base de réflexion doit cependant ouvrir la voie à un débat sur un problème qui débouche trop souvent sur une impasse. Nous avons délibérément formulé une proposition générale afin qu'elle puisse s'appliquer aussi

bien aux maladies rares qu'à d'autres domaines. Face aux problèmes qui ne cessent de croître du fait du développement dynamique des médicaments, il est de temps de rechercher ensemble des solutions. En tant qu'organisations de patient-e-s, nous devons être impliqué-e-s dans les discussions. Personne en effet n'est plus proche d'une maladie que les malades eux/elles-mêmes et leur entourage. »

### **Ebauche de solution concernant la révision de l'art. 71 OAMal (à débattre)**

Cette ébauche repose sur le principe de confiance de LAMal et sur les principes suivants :

- Implication des patient-e-s et médecins spécialistes concerné-e-s
- Modèle d'évaluation homogène indépendant des assureurs et des fabricants
- Accès rapide des patient-e-s aux traitements efficaces
- Procédures allégées et transparentes

#### **Cas n° 1 (« off label ») :**

##### **Prise en charge des coûts d'un médicament admis dans la liste des spécialités (LS) et utilisé pour une autre indication que celle autorisée ou prévue par la limitation**

En cas de négociations difficiles entre l'OFSP et une entreprise pharmaceutique, le retard causé doit être minimisé et l'accès au médicament doit pouvoir se faire par une procédure spécifique à portée générale. La CFM décide sur demande de l'entreprise pharmaceutique de son lancement. Critères possibles pour lancer la procédure spécifique :

- On est en présence d'une maladie grave au sens de l'OAMal
- Le prix anticipé du médicament est supérieur à un montant annuel à définir
- Le médicament permet d'escompter un bénéfice thérapeutique important par rapport aux alternatives thérapeutiques
- A la différence de la procédure régulière de remboursement, l'OFSP et le fabricant passent un contrat de prise en charge après avoir décidé ensemble de lancer la procédure spécifique.
- Si le médicament entre dans la LS et que son efficacité est supérieure aux alternatives thérapeutiques, le prix demandé par le fabricant est appliqué.
- La prise en charge des coûts se fait seulement une fois que le médecin et le/la patient-e ont confirmé par écrit l'efficacité du médicament dans leur cas concret (risk sharing / pay for performance). Sans cette confirmation, le médicament ne sera pas remboursé.
- Il est toujours possible de négocier ultérieurement.

#### **Cas n° 2 (« in label ») :**

##### **Prise en charge des coûts d'un médicament autorisé mais ne figurant pas dans la liste des spécialités**

Un médicament est autorisé et ne figure pas dans la liste des spécialités, mais doit tout de même être utilisé, et le cas est jugé par une nouvelle institution (à créer). La demande de prise en charge des coûts est effectuée par le/la patient-e et son médecin traitant. Ils sont donc impliqués dans la procédure, tout comme l'assureur-maladie, le fabricant et l'OFSP. Les critères d'évaluation sont acceptés/présents par l'OFSP et s'appliquent à tous les assureurs sans exception.

Afin de simplifier la procédure, le médecin traitant et son/sa patient-e peuvent décider de l'utilisation du médicament à condition que son coût ne dépasse pas une certaine somme. Un seuil de prévalence peut également être fixé. Un organe supérieur, composé de représentant-e-s de toutes les parties prenantes, décide du bienfondé de la décision dans un délai limité. Les traitements doivent être annoncés et leur efficacité observée, p. ex. au moyen d'un registre des patients. Le médecin et le/la patient-e doivent tous deux évaluer l'efficacité du traitement. Les décisions et la prise en charge des coûts sont faites en toute transparence.

### **Interlocuteurs pour les questions des médias**

Reto Weibel, Co -Président

079 334 65 08, [reto.weibel@cfch.ch](mailto:reto.weibel@cfch.ch)

Marco Buser, Directeur

031 313 88 45, [marco.buser@cfch.ch](mailto:marco.buser@cfch.ch)

**A propos de la CFCH :** La Société Suisse pour la Mucoviscidose (CFCH, [www.cfch.ch](http://www.cfch.ch)) est une organisation de patient-e-s indépendante politiquement et financièrement. Depuis 1966, elle poursuit sa mission de soutien et de conseil auprès de ses quelque 1500 membres et de leurs proches. Au cœur de ses objectifs se trouve l'aide à l'auto-assistance des 1000 personnes atteintes de la maladie héréditaire en Suisse, dans leurs différentes phases de vie et situations.

Expéditeur : Société Suisse pour la Mucoviscidose (CFCH), Altenbergstrasse 29, 3000 Berne 8

## Informations sur la Société Suisse pour la Mucoviscidose (CFCH)

La Société Suisse pour la Mucoviscidose en abrégé, la CFCH, est une organisation à but non lucratif qui poursuit les objectifs suivants:

- promouvoir l'entraide
- conseiller, aider et soutenir les personnes atteintes par la mucoviscidose et leur famille
- promouvoir la recherche sur les causes et les traitements de la mucoviscidose
- soigner les contacts avec les organisations régionales, nationales et internationales qui poursuivent un but semblable
- faire connaître la mucoviscidose

**Nous répondrons volontiers à vos questions ou vous indiquerons avec quels patients ou spécialistes de la maladie - si possible dans votre région - vous pouvez vous entretenir.**

Vous découvrirez des histoires touchantes sur des personnes atteintes de mucoviscidose dans le **livre de portraits « A couper le souffle »**, sorti en novembre 2016. Cet ouvrage dresse le portrait de douze personnes atteintes de mucoviscidose et présente douze façons de faire face à la maladie. Les journalistes peuvent se procurer le livre gratuitement auprès de la CFCH.

## Qu'est-ce que la mucoviscidose ?

### Mucoviscidose : symptômes et traitement

**Imprévisible** : la mucoviscidose est la maladie métabolique génétique la plus fréquente en Europe. En Suisse, elle est diagnostiquée chaque année chez quelque 35 nouveau-nés. En 2016, 900 personnes souffraient de la maladie dans notre pays. Quelque 320 000 Suisses sont porteurs du gène responsable de la mucoviscidose, la plupart n'en sont pas conscient-e-s. L'espérance de vie moyenne d'un enfant naissant aujourd'hui en Europe avec la maladie est de 52 ans. La mucoviscidose a pour conséquence que l'échange de sel et d'eau dans les cellules du corps ne fonctionne pas correctement. De ce fait, l'organisme fabrique des sécrétions et des liquides qui sont soit trop concentrés, soit trop visqueux. Les poumons et le tube digestif sont les organes les plus touchés par ce phénomène, qui entraîne la formation dans les poumons d'un mucus visqueux provoquant toux, colonisation bactérienne et réactions inflammatoires. Les poumons subissent ainsi des dommages permanents et le volume respiratoire ne cesse de diminuer. La digestion est elle aussi altérée et l'organisme n'est plus capable d'ingérer certains aliments. Ces problèmes digestifs entraînent maux de ventre, diarrhées et une prise de poids réduite.

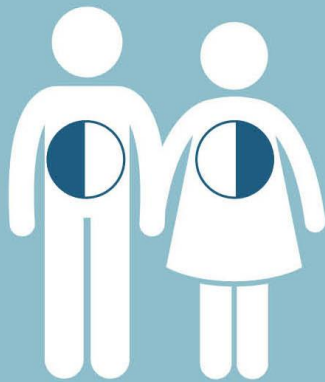
**Incurable** : la maladie reste à ce jour incurable. Un traitement intensif et quotidien doit accompagner dès sa naissance toute personne souffrant de mucoviscidose. Ce traitement se traduit par l'inhalation, plusieurs fois par jour, de médicaments et antibiotiques. La physiothérapie respiratoire et le sport contribuent aussi à expectorer le mucus. L'espoir de résultats plus probants réside dans de nouvelles formes de traitement, notamment la thérapie spécifique à la mutation qui s'attaque aux causes de la maladie. L'ultime mesure thérapeutique envisageable pour les personnes atteintes de mucoviscidose reste aujourd'hui la transplantation pulmonaire. Chaque année, entre 10 et 15 personnes atteintes de mucoviscidose, y compris des enfants et des adolescent-e-s, reçoivent un nouveau poumon. Comme en Suisse, peu de personnes portent sur elles leur carte de donneur, les patient-e-s souffrant de mucoviscidose sont nombreux/euses à attendre en vain un nouveau poumon.

**Invisible** : les longues heures de traitement nécessaires chaque jour influencent fortement la vie des personnes atteintes de mucoviscidose. Le fait que la maladie soit invisible de l'extérieur rend la situation encore plus difficile et il n'est pas rare que les patient-e-s se heurtent à l'incompréhension ou à des malentendus dans leur environnement personnel.

**Transmise involontairement** : la mucoviscidose est due à une erreur dans le matériel génétique transmis par les parents aux enfants. Les parents d'enfants atteints de mucoviscidose ne sont pas malades, mais uniquement porteurs d'un gène qui a muté et dans la plupart des cas, ils n'en sont pas conscients. Lorsqu'un enfant hérite du gène modifié de ses deux parents, les symptômes de la mucoviscidose apparaissent. La probabilité qu'un tel cas se produise est de 25 %.

### Le modèle d'hérédité

Des parents apparemment en bonne santé porteurs d'un gène défectueux de la mucoviscidose. On observe trois cas de figure possibles sur le plan héréditaire:



Les deux parents transmettent le chromosome sain, l'enfant est en bonne santé.



L'enfant hérite d'un chromosome défectueux de son père ou de sa mère. Il est apparemment en bonne santé mais peut lui-même transmettre la maladie.



Les deux parents transmettent le chromosome défectueux – l'enfant souffre de mucoviscidose.