



curafutura

Die innovativen Krankenversicherer
Les assureurs-maladie innovants
Gli assicuratori-malattia innovativi



Utilisation hors étiquette (off-label use) : utilisation et remboursement de médicaments par l'AOS

Art. 71a-d OAMal

CONTEXTE

Les médicaments sont autorisés par Swissmedic. Sur demande du titulaire de l'autorisation, l'OFSP examine, par une procédure idoine, l'admission dans la liste des spécialités (LS). Une grande importance est notamment accordée au respect des critères d'admission que sont l'efficacité, l'adéquation et l'économicité. Le prix du médicament en dépend. Les médicaments figurant sur la liste des spécialités, actualisée chaque mois par l'OFSP, doivent être remboursés par l'AOS au prix indiqué.

Les art. 71a – 71d OAMal («art. 71a-d OAMal») réglementent le remboursement des médicaments qui ont fait l'objet d'une réglementation exceptionnelle. Il s'agit de médicaments qui ne sont pas remboursés selon la liste des spécialités (LS), qui sont déjà autorisés mais ne figurent pas (encore) sur la liste LS ou qui ne sont pas (encore) autorisés en Suisse. Dans des cas exceptionnels, de telles thérapies médicamenteuses peuvent être prises en charge si les critères énumérés à l'art. 71a-d OAMal sont remplis. Les thérapies médicamenteuses utilisées en dehors de l'obligation de remboursement ordinaire (liste des spécialités, art. 52 LAMal) sont qualifiées de «off-limitatio», «off-label» et «unlicensed use» (ou «usage hors étiquette») et ne sont en principe pas soumises à l'obligation de remboursement.

Les conditions-cadres légales des art. 71a-d OAMal ont été introduites pour la première fois en 2011 après l'arrêt du Tribunal fédéral concernant le Myozyme et révisées pour la première fois en 2017. La mise en œuvre de l'article a fait l'objet d'un monitoring à deux reprises, la dernière en 2019/2020 ([évaluations de l'OFSP](#)). Au cours de la dernière décennie, il a été reproché à plusieurs reprises aux assureurs-maladie, par les fournisseurs de prestations, les patients et l'industrie pharmaceutique, de faire preuve d'inégalité de traitement et de refuser l'accès à des traitements.

Les fournisseurs de prestations qui souhaitent recourir à un médicament «off-label» et donc non remboursé par les caisses-maladie

peuvent présenter à l'assurance-maladie du patient une demande de prise en charge des coûts pour le cas particulier. Si les conditions d'utilisation énoncées à l'art. 71a-d OAMal sont remplies et que l'on peut s'attendre à un bénéfice important pour le patient, l'assurance-maladie peut prendre en charge les coûts correspondants. Le montant des coûts des médicaments pris en charge est négocié avec le titulaire de l'autorisation. Le prix remboursé doit être inférieur au prix mentionné sur la liste des spécialités.

À cet égard, les principaux défis à relever sont les suivants:

- Une durée plus longue en cas d'admission dans la LS (remboursement par les caisses) de médicaments nouvellement autorisés (ou d'une indication supplémentaire) prolonge la période transitoire, pendant laquelle des évaluations au cas par cas doivent être effectuées conformément aux art. 71a-d OAMal.



curafutura

Die innovativen Krankenversicherer
Les assureurs-maladie innovants
Gli assicuratori-malattia innovativi

- Certains fabricants renoncent à une autorisation de mise sur le marché (ou à une extension de l'indication) en Suisse, de sorte que le remboursement au titre de l'art. 71c reste la seule possibilité.
- La demande d'admission dans la LS n'est ouverte qu'aux titulaires de l'autorisation.
- La perception qu'ont les patients des nouveaux principes actifs est influencée par la maladie: les nouveaux médicaments sont considérés efficaces et perçus comme une solution au problème.
- Les assurés sont trop sollicités pour pouvoir comprendre les critères EAE exigés par la LAMal, par exemple un rapport coût-utilité adéquat.
- Caractère émotionnel des rapports concernant des patients souffrant d'affections incurables.
- Risque de réputation pour les assureurs-maladie en cas de refus de garantie de prise en charge des coûts.
- Augmentation continue du nombre d'évaluations de cas particuliers.
- Renforcement du contrôle des pratiques de remboursement par les autorités.

LA POSITION DE CURAFUTURA

curafutura approuve la possibilité exceptionnelle de remboursement prévue à l'art. 71a-d OAMal

Les art. 71a-d OAMal autorisent, à titre de réglementation exceptionnelle, la prise en charge des coûts de médicaments dans le cas particulier. Pour curafutura, le but visé est important mais ne peut servir que de **solution transitoire** jusqu'à ce que les substances actives soient inscrites sur la LS. L'accès de tous les assurés à de nouvelles substances actives innovantes est garanti grâce à l'art. 71a-d OAMal; en cas de besoin correspondant et de bénéfice à escompter, un remboursement est possible même si le principe actif pour l'indication correspondante ne figure pas (encore) sur la liste des spécialités.

curafutura participe activement au processus d'optimisation des évaluations de cas individuels et élabore des solutions constructives avec d'autres parties prenantes.

curafutura s'engage en faveur des conditions-cadres suivantes:

- Création d'une **évaluation uniforme des études au niveau sectoriel** («**rating des études OLU**») et intégration dans la situation clinique impliquant éventuellement les experts, afin de permettre une évaluation similaire et équitable (accès équitable pour les patients) et d'exposer les motifs de refus en toute transparence. Les différentes demandes de garantie de prise en charge des coûts doivent continuer d'être mises en œuvre de manière décentralisée par les assureurs-maladie, conformément aux conditions-cadres légales actuelles.
- **Optimisation des processus** des garanties de prise en charge des coûts grâce à la réduction des charges et à l'accélération obtenue grâce à la collaboration et au numérique
- **Remboursement limité dans le temps** (selon art. 71b) et obligation d'enregistrement pour les nouvelles thérapies dont les preuves à long terme sont incertaines
- **Droit de proposition et de recours des assureurs-maladie** concernant la prise en charge des médicaments par l'AOS
- **Interlocuteur central** (office de médiation) pour les assurés en cas de décision négative sur la garantie de prise en charge des coûts.

JUSTIFICATION



curafutura

Die innovativen Krankenversicherer
Les assureurs-maladie innovants
Gli assicuratori-malattia innovativi

(1) L'art. 71a-d OAMal a fait ses preuves

La mise en œuvre de l'art. 71a-d OAMal a été évaluée par l'OFSP. Depuis l'introduction des articles de l'ordonnance en 2011, deux rapports de monitoring ont été rédigés. Tous deux montrent que dans quatre cas sur cinq, les demandes de garantie de prise en charge des coûts ont abouti. Il est dans la nature d'une évaluation au cas par cas et dans l'intérêt des patients et des assurés que les demandes de garantie de prise en charge des coûts ne soient pas toutes remboursées. Le bénéfice du traitement doit être avéré ou supposé pour une situation de traitement spécifique et être équilibré par rapport aux coûts.

Les reproches des fournisseurs de prestations mettent en évidence les différents intérêts. Alors que le «principe de confiance» s'applique aux prestations médicales et que toute prestation fournie est payée (sauf si elle est contestée et répertoriée dans l'annexe 1 OPAS), il existe pour les substances médicamenteuses une procédure officielle qui garantit le respect des critères d'admission légaux.

En supprimant l'actuelle évaluation au cas par cas et en déléguant la prise de décision à des tiers, comme p. ex. des experts, il est à craindre que les critères EAE légaux ne soient pas suffisamment pris en considération. Les assureurs-maladie et leurs équipes de médecins-conseils sont des professionnels de l'évaluation du rapport coûts-utilité et sont donc les mieux placés pour le difficile arbitrage entre le bénéfice pour les patients et les conséquences financières pour les assurés.

(2) curafutura et SWICA ont la solution : pour un accès équitable aux médicaments et pour l'optimisation des processus

curafutura uniformise l'évaluation clinique des principes actifs dans des indications spécifiques au moyen d'une **notation commune des études basée sur l'évidence** (publications cliniques scientifiques dans des revues par des pairs). Cela instaure une **évaluation identique et équitable, c'est-à-dire un accès équitable pour les patients**. Les auteurs des notations émettent une recommandation harmonisée indiquant dans quels cas un remboursement semble approprié. Ces évaluations sont enregistrées dans une base de données avec les publications correspondantes et le contexte clinique et mises à jour en permanence. La collaboration entre les services des médecins-conseils permet une évaluation équilibrée.

De plus, il est prévu, en collaboration avec la Ligue contre le cancer, de simplifier la charge administrative liée aux **demandes de garantie de prise en charge des coûts pour des principes actifs éprouvés dont le brevet est expiré**.

La collaboration et les outils numériques permettent d'**optimiser et d'accélérer les processus pour toutes les parties prenantes et de réduire la charge de travail**.

(3) Durée limitée et droit de proposition: empêcher un contournement durable de l'admission LS et donc réduire les cas d'usage hors étiquette

Pour y parvenir, des adaptations réglementaires sont nécessaires. curafutura demande d'une part que le **remboursement des indications visées aux articles 71a, 71b et 71c OAMal soit limité à deux ans**. Au cours de cette période, les lacunes de preuve concernant l'efficacité de la substance active dans l'indication donnée doivent être comblées, de sorte qu'une autorisation ordinaire soit possible. D'autre part, il faut enfin procéder aux adaptations légales en vue de l'implémentation d'un **droit de proposition pour les assureurs-maladie et d'autres parties prenantes importantes**, ainsi qu'à une procédure d'admission LS simplifiée pour les principes actifs incontestés qui sont déjà remboursés depuis de nombreuses années en usage hors étiquette.

(4) Prix économiques

curafutura demande que le titulaire de l'autorisation mette à disposition des données et informations permettant de déterminer l'économicité. Des mécanismes de correction sont en outre nécessaires si le



curafutura

Die innovativen Krankenversicherer
Les assureurs-maladie innovants
Gli assicuratori-malattia innovativi

prix effectivement payé n'est pas nettement inférieur au prix LS ultérieur ou au prix LS dans une autre indication. S'il n'existe pas encore de prix LS au moment de la rémunération, la différence par rapport au prix LS (p. ex. 35%) est compensée après communication du prix LS. En l'absence d'admission dans la LS dans le délai précité, le titulaire de la licence est redevable envers l'assureur d'une partie de la rémunération versée (p. ex. 50%).