

Conférence 1

L'observatoire économique du médicament orphelin : mythe ou réalité ?

Christophe Duguet¹, Antoine Ferry²



> Nous ferons cette présentation à deux voix parce que le sujet de l'économie du médicament orphelin est si important qu'il nécessite un débat structuré et transparent. Je commencerai par quelques éléments de contexte. Le marché des médicaments orphelins représente aujourd'hui 1,2 milliard d'euros (+ 4 % en 2012, contre + 30 % en 2008). Depuis plusieurs années, des critiques croissantes sont exprimées sur les niveaux de prix de certains médicaments orphelins en France et dans d'autres pays européens.

Par ailleurs, les contraintes se sont multipliées ces dernières années sur les médicaments orphelins. Parmi celles-ci figurent la perte des avantages pour les médicaments orphelins ayant un chiffre d'affaires supérieur à 30 millions d'euros, le « capage » pour les médicaments orphelins présentant un coût par patient et par an supérieur à 50 000 euros, et les inquiétudes sur les évolutions des outils d'évaluation des médicaments orphelins, tels que l'index thérapeutique relatif unique (ITR). En outre, de multiples interrogations se posent sur l'utilisation de la médico-économie ; elles portent notamment sur la recevabilité du dossier, la méthodologie de l'évaluation du médicament et la modulation de son évaluation, le problème du comparateur pertinent, et la qualité méthodologique des études.

Toutes ces évolutions s'inscrivent dans un contexte qui se caractérise par un manque de données officielles, fiables et partagées sur l'économie du médicament orphelin. Force est de constater que ces données sont très peu nombreuses. Depuis 2008, le Comité économique des produits de santé (CEPS) ne consacre qu'un tout petit chapitre de son rapport annuel aux médicaments orphelins. De plus, il ne précise pas comment l'enveloppe de la solidarité, d'un montant de 1,3 milliard d'euros, est utilisée pour les médicaments orphelins. En outre, les formules utilisées dans son rapport sont imprécises « une soixantaine de médicaments », « une majorité », « un certain nombre ».



¹ AFM-Téléthon.



² Laboratoire CTRS.

Le manque d'informations officielles et détaillées sur les médicaments orphelins a des conséquences sur les prises de décision publique. Lorsque la perte des avantages pour les médicaments orphelins réalisant un chiffre d'affaires supérieur à 30 millions d'euros a été discutée au Parlement, le CEPS a écrit que « *treize médicaments orphelins ont chacun un chiffre d'affaires annuel en France supérieur à 30 millions d'euros pour un total de 710 millions d'euros* ». Au même moment, le sénateur Vasselle indiquait que « *quatorze médicaments orphelins ont réalisé, sur le seul marché national, un chiffre d'affaires supérieur à 20 millions d'euros [...] pour un montant cumulé de 801,90 millions d'euros* ». De son côté, le député Bur précisait dans son rapport que « *seize médicaments orphelins ont un chiffre d'affaires supérieur à 20 millions d'euros en France, et douze d'entre eux ont un chiffre d'affaires supérieur à 30 millions d'euros* ». Ces différences de chiffres ne sont pas anecdotiques, car ils ont été discutés dans le cadre d'un débat démocratique, qui a abouti à la prise de décisions encadrant l'économie des médicaments orphelins.

L'absence de lieu de débat sur des données objectives génère des risques importants, tels que favoriser les amalgames entre les bons et les mauvais « élèves », renforcer les suspicions réciproques entre les différents acteurs, ne pas identifier les vrais défis des spécificités des maladies rares, ne pas apporter les réponses réglementaires et économiques adaptées aux spécificités des maladies rares, passer à côté de l'enjeu de la question des prix et des coûts. Jusqu'à présent, la collectivité avait une forte adhésion pour payer, au titre de la solidarité, les médicaments orphelins. Dans le contexte actuel, le risque est qu'elle se désengage, considérant qu'elle paie des choses qu'elle ne devrait pas payer.

Le domaine des maladies rares était celui de la concertation et de la collaboration entre tous les acteurs, qui ont permis de construire de manière collective une prise de conscience et une prise de mesures sur les maladies rares en France. Or, le modèle actuel du médicament s'inscrit non pas dans une logique de concertation, mais dans une logique de confrontation d'acteurs.

Aujourd'hui, il est important d'obtenir la création d'un observatoire économique du médicament orphelin – qui avait été demandée dans le cadre du PNMR 1. Dans ce plan, il avait simplement été obtenu qu'un groupe de travail se constitue et rende compte annuellement au comité de suivi et de prospective sur l'analyse économique du marché du médicament. Il semblerait que ce groupe démarre en janvier 2014.

Antoine Ferry, CTRS

Un débat public doit s'organiser sur cette problématique. En outre, les documents publiés doivent être irréfutables. Christophe n'a cité que quelques exemples sur la variation significative des éléments financiers des médicaments orphelins, mais ils sont en réalité beaucoup plus nombreux. Il est important que cette présentation se fasse à deux voix, car nous devons réunir nos forces vives pour avancer sur ce sujet. Le futur observatoire économique du médicament orphelin devra s'appuyer sur les outils suivants :

• les outils d'évaluation de la consommation de santé

Les différents éléments constitutifs du coût (traitements, actes annexes, nombre de patients, etc.), l'analyse sectorielle du coût global par type de pathologies, par nombre de patients, par localisation géographique doivent être pris en compte pour mieux appréhender les disparités économiques des médicaments orphelins. En outre, les sources de données utilisées doivent être fiables et reconnues. Enfin, un lieu de débat doit être mis en place pour confronter les analyses.

• les outils d'évaluation des gains de santé

Des outils méthodologiques de l'évaluation économique des pathologies avant traitement (sauf le cancer) doivent être promus. Par ailleurs, les registres utilisés pour recueillir ces données doivent être configurés pour recueillir aussi des données économiques. Enfin, il est nécessaire de promouvoir les études et analyses sociétales sur les impacts socio-économiques pour le patient et son entourage.

• les outils d'analyse des marchés du médicament orphelin nationaux et internationaux

Une base de données sur les prix des produits commercialisés doit être créée au moins au niveau européen. En outre, un panorama des laboratoires commercialisant les médicaments orphelins devrait être réalisé ; il précisera notamment la nationalité du laboratoire et le ratio des médicaments orphelins sur le chiffre d'affaires total.

En conclusion, je considère que nous partageons un intérêt évident sur ce sujet. La mise en œuvre de l'observatoire est relativement simple puisque les outils existent. Comme l'ensemble des acteurs sont animés par la même volonté, il convient de s'interroger sur les blocages à cette création. ♦

LIENS D'INTÉRÊT

Les auteurs déclarent n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.

De la salle

Comment fixer un juste prix pour les médicaments orphelins ? À propos des différences de chiffres observés dans les rapports, qu'en est-il de la mise à jour de la liste des médicaments orphelins publiée au *Journal officiel* par circulaire, et qui devait faire l'objet d'une mise à jour semestrielle sur le site du ministère ?

Christophe Duguet

Le prix est fixé en fonction de sa valeur, correspondant à la capacité de la société à payer un certain prix. La valeur d'un médicament qui sauve la vie d'un jeune de 20 ans peut atteindre quelques centaines de milliers d'euros, même si ce médicament coûte, tout compris, 10 ou 100 euros. Le fabricant de ce médicament pourra demander, par exemple, 200 000 euros d'argent public à la collectivité. Ce système ne peut plus durer dans le contexte économique actuel caractérisé par des contraintes importantes. Il doit donc évoluer pour que la fixation du prix prenne en compte les différents éléments de coût qui peuvent être tous mesurés. Cette question commence à se poser en France, mais aussi dans de nombreux autres pays. Si nous n'arrivons pas à faire évoluer collectivement les mécanismes, les décisions qui seraient alors imposées risquent à la fois de bloquer l'accès des médicaments à un grand nombre de patients, et de freiner toute innovation.

Antoine Ferry

Nous avons tous intérêt à disposer des données fiables sur les coûts et les gains d'un médicament. Les outils de gain sont encore relativement peu développés dans le cadre des médicaments orphelins. Le prix juste traduit un juste équilibre entre le coût et les gains, tout en intégrant une réalité : les industriels doivent continuer à gagner de l'argent pour continuer à vivre et à développer de nouveaux médicaments.

Patrice Dosquet, DGOS

Votre diapositive indique que la demande de création d'un observatoire a été « refusée », mais je peux vous dire qu'il n'en a rien été. Force est d'admettre que le plan est parfois très mal rédigé. Dans la mesure figurait tout d'abord l'observation du hors AMM. Hier, nous avons largement expliqué que la loi avait changé beaucoup de choses ; de plus, une partie du travail avait été réalisée par d'autres moyens entre 2011 et 2012. Nous avons alors estimé que la constitution d'un groupe n'était pas nécessaire pour réaliser cette observation – cela peut se discuter, mais c'est ainsi.

L'autre partie est effectivement retardée, mais il n'y a jamais eu de refus. Par ailleurs, il faut savoir que la majorité des médicaments orphelins sont dans les cancers rares ; ils ne relèvent donc pas du même plan. Malheureusement, les médicaments orphelins concernant les maladies rares hors cancers rares sont très peu nombreux.

Christophe Duguet

Le mot « refus » portait sur la demande de création d'un observatoire que nous avons faite au moment de la création du PNMR 2.

