

## II. Accès aux médicaments innovants

Prix abordable - Plus value thérapeutique - Organisation du remboursement - Pacte d'avenir - Pay for performance - Evidence Based Medicine - Programme médical d'urgence - Programmes d'usage compassionnel - Groupe de travail sur le plan européen

Question n° 857 posée le 29 avril 2016 à Madame la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique, par Monsieur le député DUCARME<sup>1</sup>

Une rencontre d'experts a eu lieu à Amsterdam sous l'égide du ministre de la Santé des Pays-Bas début mars 2016, pour faire le point sur l'accès des patients aux médicaments innovants à un prix acceptable socialement.

Ces médicaments peuvent améliorer considérablement leur qualité de vie, voire les guérir, mais sont extrêmement chers, ce qui peut faire exploser les coûts des soins. En outre, les règles actuelles d'agrément imposent de tester un nouveau médicament sur de larges groupes de patients, ce qui pose problème pour les pathologies rares.

1. Quel bilan tirez-vous de l'accès aux médicaments innovants dans notre pays? Envisagez-vous de prendre de nouvelles initiatives pour renforcer et encore accélérer cet accès, notamment par son prix ?
2. Dispose-t-on d'une comparaison avec les pays voisins ?
3. Envisage-t-on de revoir les règles d'agrément pour ces produits afin de les assouplir, notamment dans le cadre des pathologies rares où il n'est pas évident de trouver de grands groupes de patients pour tester les médicaments?

### Réponse

En ce qui concerne vos deux premières questions, je veux d'abord vous donner un peu plus de précisions. L'accès et l'accessibilité aux nouvelles thérapies sont selon moi déterminés par deux facteurs très différents mais aussi cruciaux. Il y a d'abord et surtout la disponibilité de la thérapie, mais en revanche, et au moins aussi important, le fait de pouvoir payer à court terme ou à long terme. Ce dernier élément est déterminant pour le maintien du financement et la durabilité du système de l'assurance maladie.

1. Bulletin n° 087, Chambre, session ordinaire 2015-2016, p. 172.

Comme vous le savez, j'ai entre-temps pris un certain nombre d'initiatives pour optimiser l'organisation du remboursement des médicaments et offrir des réponses réelles au défi que représente le coût élevé des nouveaux médicaments. Pour ceci, je réfère au Pacte d'avenir pour le patient que j'ai conclu avec l'industrie pharmaceutique, et dans lequel j'ai pris des engagements clairs concernant les contrats, avec l'accent sur le *pay for performance*, dans lesquels j'ai explicitement confirmé mes intentions de baser ma procédure décisionnelle sur l'*Evidence Based Medicine* et dans lequel je me suis également engagée à accélérer les processus administratifs pour le remboursement de nouveaux médicaments.

Le Parlement a récemment approuvé la base légale permettant de démarrer la procédure pédiatrique accélérée dès 2017. Celle-ci permettra aux enfants d'avoir accès jusqu'à six fois plus tôt à des médicaments innovants. Sur le marché post-brevet, nous laissons libre cours à la concurrence grâce à un nouveau système de prescription du moins cher et du *patent cliff*, pour lequel des centaines de millions sont libérés chaque année pour l'innovation. Pour ceci, je me réfère aussi aux coopérations belges, néerlandaises, luxembourgeoises et autrichiennes en ce qui concerne le remboursement des médicaments, dans lequel je prends des mesures avec mes collègues européens afin d'associer nos pouvoirs, et d'ouvrir cette collaboration aux autres États membres intéressés.

En ce qui concerne votre question sur l'évaluation de la situation belge par rapport à l'accès à l'innovation et une comparaison avec nos pays voisins, je reviens sur ce que j'ai cité auparavant. L'accès et l'accessibilité sont principalement déterminés par l'organisation du remboursement.

Pour la Belgique, cela signifie une analyse très profonde de la plus-value thérapeutique, de l'efficacité du coût et de l'impact budgétaire. Après une évaluation favorable, le nouveau médicament est inscrit dans la liste des spécialités pharmaceutiques remboursables, et *de facto* un accès aisé à la thérapie pour tous les patients nécessitant cette thérapie en résulte, ce dernier point étant très important.

En ce point, notre système se différencie quand même de celui de nos pays voisins. Pour ceci, je réfère par exemple au *sluismodel* qui est appliqué aux Pays-Bas, mais aussi au financement partiel des thérapies onéreuses via les budgets alloués à l'hôpital en France, et à l'accès théorique aux nouveaux médicaments en Allemagne, immédiatement après enregistrement mais avec les choix de paquets réels qui sont faits dans les différentes institutions d'assurance et régions. Tous ces modèles peuvent en réalité limiter l'accès réel et rendre des comparaisons extrêmement difficiles et peu pertinentes.

En fait, je dois conclure que la Belgique ne s'en sort pas si mal en ce qui concerne l'accessibilité aux thérapies médicamenteuses innovatrices. En ce qui concerne les médicaments orphelins (127), plus de 60 % sont actuellement remboursables (78) en Belgique et 15 % sont en cours de procédure auprès de la Commission de remboursement des médicaments (CRM). Seulement moins de 10 % se sont vus refuser une inscription au remboursement, mais il reste encore un peu moins de 20 % qui n'ont pas encore fait une telle demande. Les nouvelles immunothérapies en oncologie sont déjà remboursables, et l'extension à de nouvelles indications sont explorées. Les nouvelles thérapies contre l'hépatite C sont disponibles et remboursées. Ceci ne sont que quelques exemples.

En ce qui concerne votre question sur l'assouplissement des conditions d'agrément ou d'autorisation de mise sur le marché de nouveaux médicaments, je tiens à souligner que je ne veux nulle part nuire à la recherche soigneuse sur l'efficacité et surtout la sécurité des nouveaux médicaments. Je suis évidemment consciente que l'évidence et l'expertise, en particulier pour les maladies rares, peuvent être très limitées. Mais de nouveau, ici une collaboration internationale renforcée, et une autorisation de mise sur le marché, qui est en premier lieu une matière européenne, peuvent offrir des possibilités. Ici également, je continuerai à faire des efforts dans ce domaine.

La Belgique met en application l'article 83 du règlement européen 724/2004 par l'application de la loi sur les médicaments du 25 mars 1964.

La base légale nationale prévoit la possibilité de mettre à disposition rapidement un médicament qui se montre innovant sur le plan thérapeutique, scientifique ou technique pour des patients souffrant d'une maladie invalidante, chronique ou grave, ou d'une maladie considérée comme mettant la vie en danger et qui ne peuvent être traités de manière satisfaisante avec des médicaments actuellement disponibles sur le marché.

Il existe donc en Belgique la possibilité de mettre sur pied des programmes d'usage compassionnel pour des médicaments qui ne possèdent aucune autorisation de mise sur le marché mais pour lesquelles la balance bénéfice/risque est en faveur des patients qui présentent un besoin médical urgent.

La Belgique a également été une étape plus loin en instaurant un cadre pour les médicaments autorisés mais pour lesquelles un programme médical d'urgence peut être mis sur pied pour autant que les patients dont la vie est en danger, n'aient pas d'autres options thérapeutiques satisfaisantes.

Nous sommes donc précurseur en la matière en ayant instauré un cadre juridique pour les médicaments avec et sans autorisations qui peuvent répondre à un besoin médical urgent.

L'arrêté royal du 14 décembre 2006 définissant la procédure a été modifié en juillet 2014 afin d'améliorer le processus d'évaluation dont l'objectif est toujours de promouvoir l'accès d'un médicament innovant dans un délai assez court tout en garantissant la sécurité du patient.

Sur le plan européen, nous participons activement à un groupe de travail, le STAMP (*Safe and Timely Access to Medicines for Patients*), dont la finalité est de tenter d'harmoniser les procédures en Europe via une coopération rapprochée entre les États membres.

Lors de ces réunions il y a un échange d'informations et de procédures entre États membres.

Dans le but d'une harmonisation et d'un accès rapide aux médicaments innovants, ce groupe de travail a participé à l'élaboration de différentes initiatives européennes :

- PRIME (*PRIority MEdicines*) dont le but est de supporter le développement de médicaments ciblant un besoin médical non satisfait
- *Adaptive pathway* qui est un concept scientifique visant le développement de la médecine et la génération de données qui permet un accès rapide et progressif d'un médicament au patient
- Une réflexion est également menée sur l'utilisation d'un médicament autorisé dans une nouvelle indication, appelée *drug repurposing* dont le but est d'établir la nécessité d'instaurer un cadre juridique européen ou des guidances pour les différents États membres dans ce contexte spécifique.