



Info spot

Les médicaments orphelins

1. Qu'est-ce qu'un médicament orphelin ?

Un médicament orphelin est un médicament admis utilisé pour le diagnostic, la prévention ou le traitement d'une maladie rare mortelle ou très grave.

Pour bénéficier du statut d'« orphelin », un médicament doit répondre aux critères repris dans le règlement CE n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 et notamment, être destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'affections ne touchant pas plus de 5 personnes sur 10.000 dans la Communauté.

2. Remboursement des médicaments orphelins.

La firme qui est responsable de la mise sur le marché d'un médicament orphelin peut demander au niveau national l'inscription au remboursement. La procédure d'inscription est celle décrite au chapitre II, sous-section 5 de l'arrêté royal du 21 décembre 2001 fixant les procédures, délais et conditions concernant l'intervention de l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités dans le coût des spécialités pharmaceutiques. Le Ministre des Affaires sociales, sur base de la proposition de la Commission de Remboursement des Médicaments, de l'avis de l'Inspecteur des Finances et de l'accord du Ministre du Budget, peut alors décider d'accorder ou non une intervention de l'assurance pour le médicament concerné.

Tous les médicaments orphelins admis au remboursement en Belgique ont été inscrits au chapitre IV de l'annexe 1ère de l'arrêté royal précité. Ils ne sont remboursés qu'après autorisation du médecin-conseil de l'organisme assureur du bénéficiaire.

Pour les médicaments orphelins qui touchent des maladies encore fort méconnues et dont le coût est souvent très élevé, il a été décidé de créer au sein du Service des Soins de santé de l'Inami, un Collège des Médecins pour des médicaments orphelins (arrêté royal du 8 juillet 2004 relatif au remboursement des médicaments orphelins).

Un Collège est instauré par médicament et seulement à la demande de la Commission de Remboursement des Médicaments et si les modalités de remboursement le mentionnent.

3. Rôles du Collège des Médecins pour des Médicaments orphelins.

Le Collège a pour mission :

- a. De donner un avis au médecin-conseil de l'organisme assureur si celui-ci en fait la demande.
- b. De fournir des réponses à des questions ponctuelles émises par la Commission de Remboursement des Médicaments ou le Fonds Spécial de Solidarité.
- c. De rédiger un rapport annuel des activités des différents Collèges.
- d. De proposer d'éventuelles modifications des modalités de remboursement existantes.
- e. De proposer les données devant être récoltées.

4. Composition du Collège.

Le Collège est formé :

- d'un président, nommé par le Roi,
- de 4 médecins experts dans la pathologie visée. Ces experts sont désignés par le Ministre sur base de la proposition de la Commission de remboursement des Médicaments.
- de 4 médecins ayant un mandat auprès d'un organisme assureur et membres de la Commission de remboursement des Médicaments. Ils sont également désignés par le Ministre mais sur proposition du Collège intermutualiste national.

Etant donné que l'instauration d'un collège dépend des conditions de remboursement du médicament orphelin concerné, il y a donc un Collège par médicament orphelin remboursable, mais pour des médicaments orphelins visant la même pathologie ou visant le même domaine, la composition des différents Collèges peut alors être identique.

5. Fonctionnement des Collèges.

Les demandes introduites auprès des différents organismes assureurs par les médecins traitants sont anonymisées puis envoyées au secrétariat des Collèges qui les transmet aux membres.

L'avis du Collège (positif, négatif ou sous condition – fourniture de renseignements complémentaires) est transmis à l'organisme assureur concerné.

C'est le médecin-conseil de l'organisme assureur qui prend la décision finale quant au droit individuel du bénéficiaire au remboursement.

6. Les Collèges : situation au 01/07/2007.

Depuis 2004, date d'entrée en vigueur de l'arrêté royal relatif au remboursement des médicaments orphelins, divers Collèges ont été instaurés.

Le tableau ci-dessus reprend tous les Collèges existants en date du mois de juin 2007, l'indication pour laquelle le médicament est remboursé et les conditions de remboursement, le domaine général de la maladie visée et le nombre de patients répertoriés au niveau des Collèges

Spécialités	Indication et conditions de remboursement	Domaine	Nombre de patients estimé	Coût/patient/an (estimation)
ALDURAZYME (09/2004)	Mucopolysaccharidose Type I – chapitre IV, §3120000	Maladies métaboliques	12	± 300 000 €
CARBAGLU (09/2006)	Hyperammoniémie secondaire à un déficit en N-acétylglutamate synthétase – chapitre IV, § 38000100 et 38000200		15-20	± 300
				± 14 000 à 1 100 000 €
FABRAZYME (09/2004)	Maladie de Fabry – chapitre IV, § 2970000		50-75 (50 %)	± 200 000 €
REPLAGAL (09/2004)				± 200 000 €
ORFADIN (07/2006)	Tyrosinémie héréditaire Type I – chapitre IV, § 3660000		11	Max. ± 100 000 €
ZAVESCA (09/2005)	Maladie de Gaucher type I – chapitre IV, § 3430000		3	± 94 000 €
MYOZYME (06/2007)	Maladie de Pompe – chapitre IV, § 4180000		23	± 176 000 à 411 000 €
TRACLEER (09/2004)	Hypertension artérielle pulmonaire – chapitre IV, § 2990000	Cardiologie – Pneumologie	120 (60 nouveaux cas/an	± 39 000 €
REVATIO (06/2007)	Hypertension artérielle pulmonaire - chapitre IV, § 4190000		105	± 6 600 à 26 400 €
XAGRID (11/2005)	Thrombocytose essentielle – chapitre IV, § 3450000	Hématologie	180-200	± 7 500 €
TRISENOX (11/2005)	Leucémie promyélocytaire aiguë – chapitre IV, § 3480000		6-16	± 25 000 €
DUODOPA (05/2007)	Maladie de Parkinson – chapitre IV, § 4060000	Neurologie	80	± 47 000 €

7. Les dépenses enregistrées pour les médicaments orphelins en 2005 et 2006

Les dernières données disponibles couvrent les années 2005-2006.

Secteur de délivrance	Spécialité	Code ATC	Dépenses INAMI 2005	Dépenses INAMI 2006	Nombre de patients 2006
Officines hospitalières	ALDURAZYME	A16AB05	1.323.866	-	-
	FABRAZYME	A16AB04	251.491	-	-
	GLIVEC	L01XE01	462.318	-	-
	REPLAGAL	A16AB03	5.046.711	-	-
	SOMAVERT	H01AX01	2.711	-	-
	TRACLEER	C02KX01	3.743.077	-	-
	XAGRID	L01XX35	49.389	-	-
Officines publiques	GLIVEC	L01XE01	15.094.412	17.900.036	675
	SOMAVERT	H01AX01	654.912	1.081.285	44

La spécialité enregistrant les plus fortes dépenses est le GLIVEC (oncologie; il n'existe pas de collège pour cette spécialité). Cependant, ce médicament possède plusieurs indications et seules deux de ces indications sont considérées comme « orphelines ». Les données disponibles ne permettent pas de connaître l'indication dans laquelle le médicament a été prescrit.

Trois médicaments sont des enzymes utilisés pour des traitements substitutifs à long terme (REPLAGAL, ALDURAZYME et FABRAZYME).

La spécialité TRACLEER appartient au domaine cardiovasculaire (traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire).

Le nombre de patients n'est calculable que pour le secteur des officines publiques à partir des données Pharmanet. Les données des officines hospitalières en 2006 ne sont pas encore disponibles.

8. Conclusion.

Quelques 7000 maladies rares touchent plus de 25 millions de personnes rien qu'en Europe. Ces maladies encore méconnues ne bénéficient que de très peu de traitements. Ayant pris conscience de cette problématique, l'Europe, ainsi que certains de ses Etats Membres, a lancé un vaste programme visant à favoriser la recherche scientifique et le développement des moyens thérapeutiques pour ces pathologies invalidantes. Malgré ces incitants européens, les prix de certains médicaments restent extrêmement élevés, même pour des molécules qui existent parfois depuis plus de dix ans.

Actuellement près de 460 produits ont été désignés comme médicaments orphelins et 35 d'entre eux ont été enregistrés en tant que tels en Europe. En Belgique, 18 médicaments orphelins sont remboursés et 12 d'entre eux se sont vus instaurer un Collège des Médecins pour les Médicaments Orphelins.

L'utilité des collèges est démontré car ils permettent :

- de suivre les dépenses,
- d'évaluer les conditions de remboursement et de les modifier éventuellement à la lumière des cas concrets,
- d'acquérir une connaissance scientifique et clinique,
- de rédiger un avis motivé.