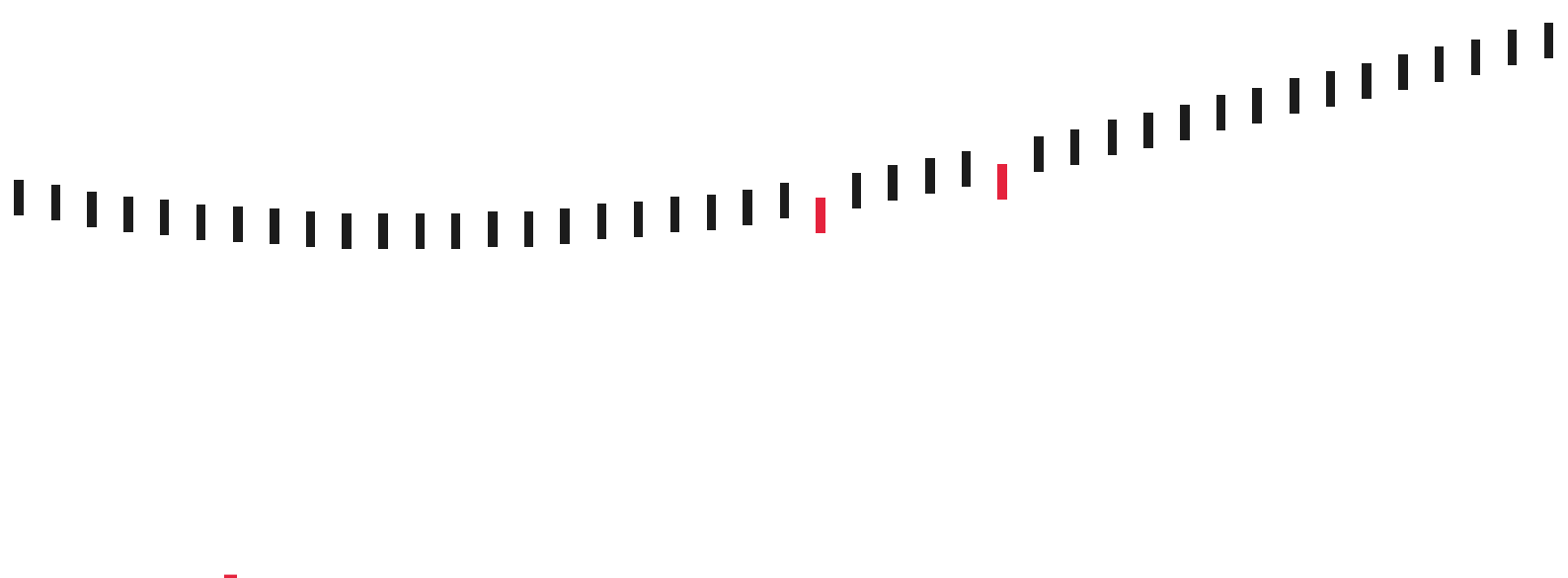


Rapport final

Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer

Prise en charge de médicaments dans des cas
particuliers selon les art. 71a à 71d OAMal : analyse de
la situation pour les enfants atteints du cancer

Bâle | 04.03.2022



Impressum

Prise en charge de médicaments dans des cas particuliers selon les art. 71a à 71d

OAMal : analyse de la situation pour les enfants atteints du cancer

04.03.2022

Mandant : Office fédéral de la santé publique

Auteurs : Wolfram Kägi et Thomas Möhr

Responsables pour le mandant : Beatrice Bolinger et Raphaela Kocher

Direction de projet du mandataire : Wolfram Kägi

Traitement du projet : Wolfram Kägi, Thomas Möhr et Philia Heuberger

BSS Volkswirtschaftliche Beratung AG

Aeschengraben 9

4051 Basel

T +41 61 262 05 55

contact@bss-basel.ch

www.bss-basel.ch

Table des matières

1. Introduction	1
2. Méthodologie	2
2.1 Analyse documentaire	2
2.2 Discussions avec des professionnels	2
2.3 Enquête en ligne	2
3. L'oncologie pédiatrique en Suisse	3
4. Aperçu des systèmes de rémunération	5
4.1 Domaine ambulatoire	5
4.2 Domaine stationnaire	5
4.3 Infirmités congénitales	5
5. Rémunération des médicaments dans le domaine ambulatoire	6
5.1 Système général de rémunération	6
5.2 Importance des art. 71a à 71d OAMal en oncologie pédiatrique	9
6. Résultats des enquêtes	10
6.1 Processus	10
6.2 Répartition des demandes entre les trois articles	10
6.3 Taux d'acceptation	11
6.4 Défis	13
7. Possibilités d'optimisation	16
7.1 Informations sur l'urgence des demandes	16
7.2 Liste des thérapies standard	17
7.3 Avis du médecin-conseil : procédure centralisée	19
7.4 Compréhension uniforme du « protocole d'étude » en oncologie pédiatrique	20
8. Résumé	20
9. Réponse aux questions du postulat	22
10. Bibliographie	23
Annexe 1 : Questions du cahier des charges	24
Annexe 2 : Compléments concernant l'oncologie pédiatrique en Suisse	25
Annexe 3 : Discussions avec des professionnels	27

Figures

Figure 1 : Évolution du nombre de nouveaux cas et de décès au fil du temps	3
Figure 2 : Prise en charge des médicaments en Suisse dans le domaine ambulatoire	6
Figure 3 : Répartition des demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a, 71b et 71c OAMal.....	11
Figure 4 : Taux d'acceptation dans le domaine de l'oncologie pédiatrique des demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal.....	12
Figure 5 : Possibilité de juger de l'urgence des demandes	15
Figure 6 : Indication du degré d'urgence pour toutes les demandes	16
Figure 7 : Avis sur l'utilité d'une liste des médicaments administrés de manière standardisée .	17
Figure 8 : Nouveaux cas et décès du cancer de l'enfant, par âge	25
Figure 9 : Taux de survie à 5 ans des enfants atteints du cancer, comparaison entre les pays de l'OCDE.....	26

Condensé

La présente analyse de la situation examine la prise en charge des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer. Elle sert de base pour répondre au postulat 18.4098 de la Commission de la sécurité sociale et de la santé publique du Conseil national.

Près de 30 % des maladies cancéreuses chez l'enfant constituent des infirmités congénitales. Dans ces cas, l'assurance-invalidité (AI) prend en charge le coût des médicaments. Les traitements stationnaires sont par ailleurs rémunérés selon le système DRG. La présente étude se concentre sur la prise en charge des médicaments dans le secteur ambulatoire par les caisses-maladie. Dans le système de rémunération du secteur ambulatoire, l'assurance obligatoire des soins (AOS) rembourse habituellement les médicaments, à condition qu'ils figurent dans la liste des spécialités (LS) pour le champ d'application prévu. Or dans le quotidien médico-thérapeutique, de nombreuses situations impliquent d'utiliser un médicament dont ce n'est pas (encore) le cas. Il est possible, dans des cas particuliers, de faire payer de tels médicaments à l'AOS, en remplissant une demande de prise en charge des coûts fondée sur les art. 71a à 71d de l'ordonnance sur l'assurance-maladie (OAMal). On peut même considérer que tout enfant atteint du cancer sera tôt ou tard traité (sauf dans le cas d'une infirmité congénitale, qui est du ressort de l'AI) avec un médicament ayant fait l'objet d'une demande au sens des art. 71a à 71d OAMal.

Près de 80 % des demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a à 71d OAMal concernent des médicaments qui sont autorisés en Suisse et qui figurent dans la LS, mais qui sont utilisés pour une autre indication que celles autorisées dans l'information professionnelle ou prévues par la limitation fixée dans la LS (art. 71a OAMal). Elles se rapportent sinon, dans respectivement 10 % des cas, à des médicaments qui sont autorisés en Suisse mais qui ne figurent pas dans la LS (art. 71b OAMal), ou bien à des médicaments qui ne sont pas encore autorisés en Suisse (art. 71c OAMal).

Le taux d'acceptation des demandes de prise en charge des coûts au sens des art. 71a à 71d OAMal est très élevé en oncologie pédiatrique. Selon les assurances-maladie interrogées, l'AOS approuve directement près de 77 % des demandes. Les 23 % restants des demandes donnent lieu à un « essai thérapeutique » : dans ce cas, l'entreprise pharmaceutique prend d'abord en charge le coût du médicament. À supposer que le traitement ait été fructueux, l'assurance-maladie en remboursera les coûts dans le cadre de l'AOS, à une date convenue à l'avance. Les refus sont très rares – comme le confirment tant les assurances-maladie que les oncologues pédiatriques. Dans les quelques cas où une demande de prise en charge des coûts en oncologie pédiatrique n'est pas approuvée, une autre possibilité de financement est généralement trouvée – grâce à une fondation ou, si les coûts demeurent relativement bas, au sein de la famille. Il n'y a pas non plus de différence systématique sur le plan du taux d'acceptation entre les trois articles 71a, 71b et 71c OAMal, selon les oncologues pédiatriques et les assurances-maladies à qui la question a été posée.

Les oncologues pédiatriques interrogés se déclarent satisfaits du taux d'acceptation, qui contribue au taux élevé de survie qui distingue la Suisse dans les comparaisons internationales en oncologie pédiatrique. La pratique de remboursement présente toutefois un réel potentiel d'optimisation à leurs yeux. Les oncologues pédiatriques déplorent en particulier de devoir consacrer autant de temps à rédiger leurs demandes de prise en charge des coûts ainsi qu'à répondre aux questions à ce sujet. En outre, ils signalent des cas ponctuels où le médicament devrait être administré immédiatement – et où le processus de demande de prise en charge des coûts et de prise de décision dure trop longtemps. Cependant, même en pareil cas, une solution est le plus souvent trouvée – lors d'un coup de téléphone à l'assurance-maladie ou par une garantie de couverture de la part d'une fondation disposée à payer en cas de refus de la demande.

Il a encore été vérifié si la pratique d'autorisation diffère d'une caisse-maladie à l'autre. Aucune différence n'est apparue au niveau du processus décisionnel. En outre, le taux d'acceptation est très élevé dans toutes les assurances. Le faible nombre de cas ne permet pas de se prononcer sur une éventuelle différence systématique entre les assurances-maladie quant aux rares refus subis.

Il serait possible d'optimiser la mise en œuvre des art. 71a à 71d OAMal dans le domaine de l'oncologie pédiatrique, en dressant une liste des traitements standard. Une telle approche réduirait les coûts administratifs – au profit des oncologues pédiatriques comme des assurances-maladie. Une autre optimisation possible consisterait à centraliser l'évaluation par le médecin-conseil des demandes de prise en charge des coûts en oncologie pédiatrique. En outre, l'équipe chargée de l'étude recommande aux oncologues pédiatriques de toujours désigner comme telles les demandes particulièrement urgentes. Enfin, les assurances-maladie devraient sensibiliser leurs collaborateurs afin qu'ils distinguent bien, dans le domaine de l'oncologie pédiatrique, entre les études sponsorisées par les groupes pharmaceutiques et les « protocoles d'étude ».

1. Introduction

Le 25 octobre 2018, la Commission de la sécurité sociale et de la santé publique du Conseil national (CSS-N) a déposé un postulat¹ sur le thème du remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer. Ce postulat charge le Conseil fédéral d'établir un rapport qui devra apporter des précisions sur les points suivants :

- conditions auxquelles les caisses-maladie prennent en charge les coûts des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer ;
- solutions envisageables en vue d'un remboursement des coûts des médicaments non encore autorisés en Suisse, mais autorisés à l'étranger ;
- solutions permettant d'éviter de créer des cas d'inégalité de traitement en matière de prise en charge des médicaments utilisés hors étiquette (« off-label-use »).

La présente analyse de la situation constitue le rapport demandé par la CSSS-N. Selon les analyses à la base du présent rapport, presque tous les enfants atteints du cancer seront tôt ou tard traités avec un médicament qui n'est pas systématiquement remboursé par l'assurance obligatoire des soins (AOS). À la place, les oncologues pédiatriques doivent adresser aux assurances-maladie une demande de prise en charge des coûts au sens des art. 71a à 71d de l'ordonnance sur l'assurance-maladie (OAMal), afin de solliciter le remboursement du médicament. La présente analyse de la situation se concentre par conséquent sur le système de prise en charge prévu aux art. 71a à 71d OAMal.

La structure de ce document est la suivante : son chapitre 2 décrit les méthodes utilisées pour répondre aux questions de recherche. Le chapitre 3 traite du taux d'incidence et du taux de survie des enfants atteints du cancer en Suisse. Le chapitre 4 offre un bref aperçu des différents systèmes de prise en charge des médicaments en oncologie pédiatrique. Le fonctionnement du système de remboursement fondé sur les art. 71a à 71d OAMal est expliqué en détail au chapitre 5. Le chapitre 6 porte sur les résultats des enquêtes menées et aborde les processus du système de prise en charge, la répartition des demandes entre les art. 71a, 71b et 71c OAMal, leur taux d'acceptation et les défis posés par le système de prise en charge. Le chapitre 7 présente les idées susceptibles d'optimiser le système de prise en charge des médicaments administrés aux enfants atteints du cancer. Le chapitre **Fehler! Verweisquelle konnte nicht gefunden werden.** enfin résume les principaux résultats de l'analyse de la situation.

¹ Postulat 18.4098 « Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer ».

2. Méthodologie

Les pages qui suivent exposent les méthodes ayant servi à la présente analyse de la situation.

2.1 Analyse documentaire

La présente analyse de la situation repose sur les résultats de l'évaluation de la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers en vertu des art. 71a à 71d OAMal (Kägi et al, 2020). Elle a été réalisée par BSS et Asim, à la demande de l'OFSP.²

Les statistiques et la littérature scientifique sur le cancer de l'enfant, sur son incidence et le taux de survie ont également été consultées pour les besoins de ce rapport.

2.2 Discussions avec des professionnels

L'équipe chargée de l'étude a mené des discussions avec en tout six oncologues pédiatriques issus de quatre hôpitaux différents. La liste des interlocuteurs figure à l'annexe 3.

2.3 Enquête en ligne

Les assurances-maladie jouent un rôle clé dans la prise en charge des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer, en se prononçant sur les demandes au sens des art. 71a à 71d OAMal. Elles ont été conviées à une enquête en ligne visant à offrir la vision la plus large possible des assurances-maladie. Une telle approche a encore permis d'examiner s'il y avait des différences entre assurances-maladie dans la pratique de prise en charge.

Au total, 21 assurances-maladie ont été invitées à participer à l'enquête en ligne. Il s'agit des quatre membres de Curafutura et des membres de Santésuisse ayant consenti à participer à l'enquête en ligne menée dans le cadre de l'évaluation susmentionnée (Kägi et al, 2020). Parmi les 21 assurances-maladie invitées, 18 ont participé à l'enquête (taux de retour : 86 %)³. Au total, l'effectif des personnes assurées dans l'AOS au 1^{er} janvier 2021 y est représenté à hauteur de 89 %. Le taux de couverture pour les enfants assurés (0 à 18 ans) est lui aussi de 89 %. Le questionnaire avait été discuté auparavant avec une des principales assurances-maladie.

² L'évaluation est accessible en ligne à l'adresse suivante : <https://www.bag.admin.ch/bag/fr/home/das-bag/publikationen/evaluationsberichte/evalber-kuv.html>

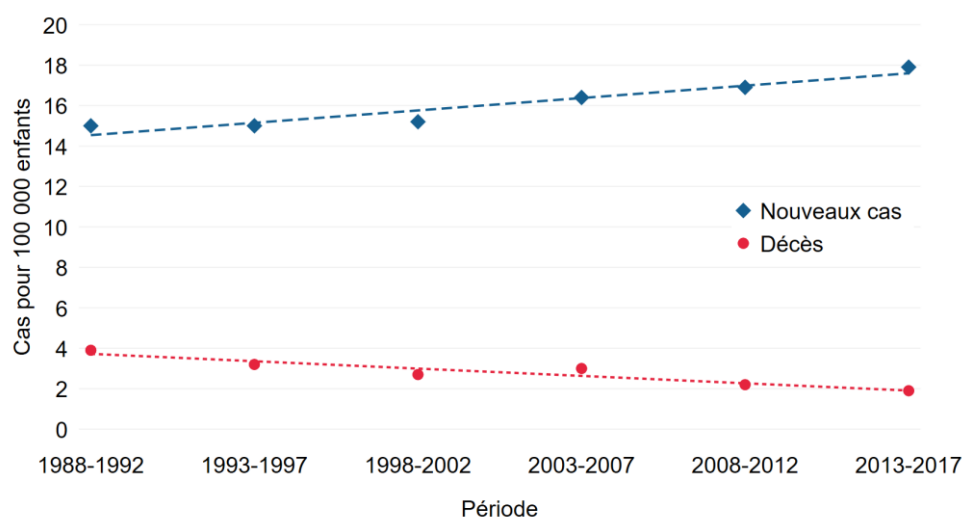
³ Ce nombre inclut les assurances-maladie n'ayant pas pu répondre à toutes les questions.

3. L'oncologie pédiatrique en Suisse

En Suisse, près de 220 cas de cancer sont diagnostiqués chaque année chez des enfants âgés de 0 à 14 ans. L'incidence, soit le nombre de nouveaux cas diagnostiqués par an pour 100 000 enfants, a connu au cours des dernières décennies une évolution certes lente, mais toujours haussière : alors qu'on recensait 15,0 nouveaux diagnostics par an pour 100 000 enfants entre 1988 et 1992, l'incidence était de 17,9 entre 2013 et 2017. Il est vrai, cependant, que de réels progrès médicaux ont été réalisés durant cette période : beaucoup d'enfants bénéficient maintenant de traitements efficaces et le taux de survie à dix ans avoisine 90 % (OFS, 2021a).

La Figure 1 montre l'évolution au fil du temps des nouveaux cas de maladie et de décès pour 100 000 enfants.

Figure 1 : Évolution du nombre de nouveaux cas et de décès au fil du temps



Source : OFS (2021a). Graphique réalisé par les auteurs.

Le nombre de nouveaux cas semble dépendre de l'âge : l'incidence est la plus élevée jusqu'à l'âge de 3 ans inclus (voir Figure 8 de l'annexe 2). Le nombre de décès pour 100 000 enfants est toutefois constant dans tous les groupes d'âge. Ce qui donne à penser que la probabilité de survie est spécialement élevée chez les tout petits. Les considérations ci-dessus ne prennent pas en compte le groupe des adolescents (15 à 19 ans). Selon l'Office fédéral de la statistique (2021b), environ 120 nouveaux cas sont apparus par an entre 2012 et 2017 dans cette classe d'âge.⁴

La Suisse affiche en comparaison internationale un taux de survie élevé en cas de tumeur pédiatrique. La Figure 9 de l'annexe 2 indique le taux de survie à 5 ans des enfants tombés

⁴ Dans les pages qui suivent, la notion de « cancer de l'enfant » ne vaut que pour les cas de cancer apparus dans le groupe d'âge des 0 à 14 ans. Le système de remboursement est toutefois le même.

malades du cancer entre 2010-2014 dans les pays de l'OCDE. La Suisse se situe dans la moyenne supérieure de l'OCDE (Allemani et al., 2018).

4. Aperçu des systèmes de rémunération

La prise en charge des médicaments en oncologie pédiatrique diffère en fonction d'abord du genre de traitement (domaine ambulatoire ou stationnaire), ensuite du genre de maladie, qui peut être une infirmité congénitale ou une maladie acquise ultérieurement.

4.1 Domaine ambulatoire

La présente étude se concentre, conformément au cahier des charges, sur la prise en charge des médicaments dans le secteur *ambulatoire*. Le système de remboursement correspondant est décrit au chapitre 5 ci-après.

4.2 Domaine stationnaire

L'évolution générale obéissant au principe « l'ambulatoire avant le stationnaire » vaut également en oncologie pédiatrique. Selon une personne parmi les oncologues pédiatriques consultés, on essaie en principe toujours de réaliser les thérapies en ambulatoire. La pose du diagnostic initial et l'évaluation de l'ampleur de la tumeur (« staging ») doivent toutefois s'effectuer de manière stationnaire.

Le domaine stationnaire est soumis au système DRG : toutes les prestations, médicaments compris, sont en principe prises en charge dans le cadre des forfaits par cas. Il existe par ailleurs, pour les médicaments particulièrement onéreux (et pour les autres cas spéciaux), la liste des « rémunérations supplémentaires » que les assurances-maladie couvrent également.

Lors d'une des discussions avec les professionnels, il a été dit qu'en oncologie pédiatrique, il est parfois nécessaire de prendre en charge des médicaments qui ne sont couverts ni par le forfait par cas, ni par la liste des rémunérations supplémentaires. De tels cas donnent souvent lieu à de fastidieuses discussions avec les assurances-maladie – à moins qu'une fondation n'en assure le financement. Il s'agit toutefois de cas spéciaux et rares. Aussi la présente étude ne prend-elle *pas* en compte le remboursement des médicaments administrés dans le domaine stationnaire et qui ne font l'objet ni de forfaits par cas, ni de rémunérations supplémentaires.

4.3 Infirmités congénitales

On parle d'« infirmités congénitales » à propos des maladies existant déjà à la naissance. La proportion de cancers de l'enfant qui entrent dans la catégorie des infirmités congénitales est de l'ordre de 30 %, selon les discussions avec les professionnels.⁵ Dans de tels cas, l'AI statue sur la prise en charge des frais de traitement ; selon l'art. 13, al. 1, de la loi fédérale sur l'assurance-invalidité, l'AI accorde jusqu'à l'âge de 20 ans révolus toutes les mesures médicales nécessaires pour le traitement des infirmités congénitales. Les deux oncologues pédiatriques spécifiquement

⁵ Une des deux personnes interrogées a estimé cette proportion à un quart, et l'autre à un tiers des cas d'oncologie pédiatrique.

interrogés sur la collaboration avec l'AI qualifient celle-ci de bonne. L'une de ces deux personnes a encore expliqué que l'AI accepte en général de grands blocs de prestations – qui incluent la prise en charge des médicaments. Il arrive parfois que l'AI pose des questions – par exemple si l'on ne pourrait pas prendre un autre médicament, mais c'est d'autant plus rare qu'elle dispose déjà, du fait de l'inscription à l'AI effectuée, de documents complets sur le cas d'espèce.

Comme l'AI finance les frais de traitement des infirmités congénitales, les assurances-maladie ne sont *pas* impliquées dans la prise en charge des médicaments nécessaires. Si dans un pareil cas une assurance-maladie refuse de rembourser les coûts, elle le fait pour un motif légitime : elle n'est nullement compétente en la matière et c'est à juste titre qu'elle renvoie à l'AI.

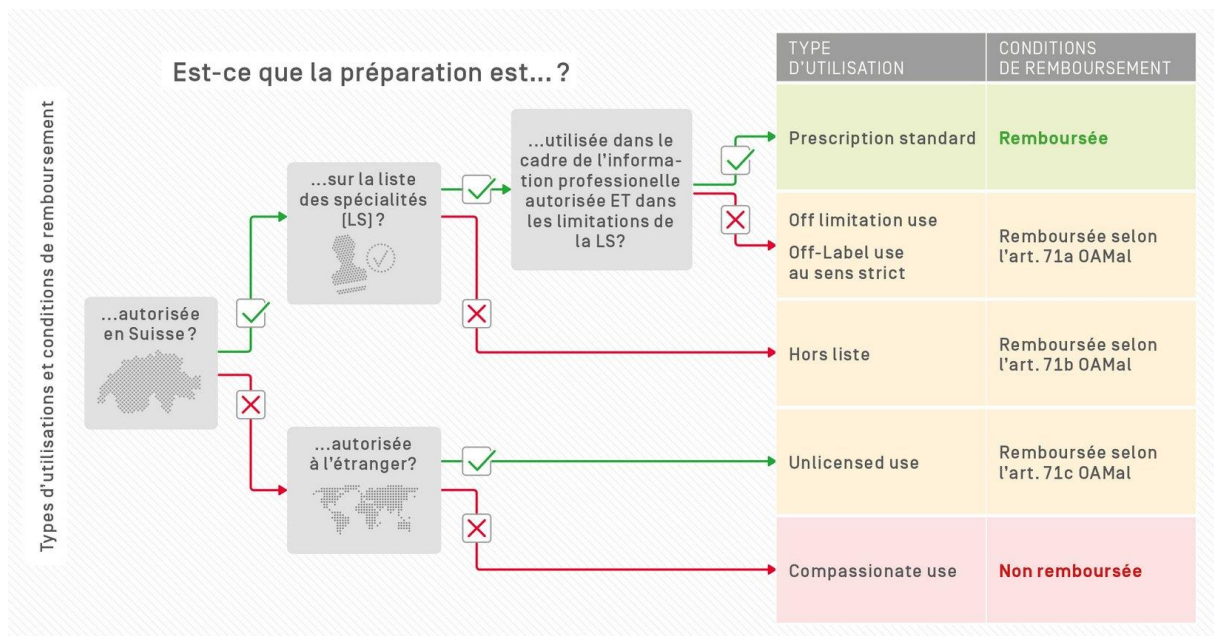
5. Rémunération des médicaments dans le domaine ambulatoire

5.1 Système général de rémunération

5.1.1 Aperçu

La Figure 2 donne un aperçu graphique du système suisse de prise en charge des médicaments dans le domaine ambulatoire.

Figure 2 : Prise en charge des médicaments en Suisse dans le domaine ambulatoire



Source : Schéma élaboré par la Ligue contre le cancer (2020).

5.1.2 Prescription standard

En cas de prescription standard, l'AOS rembourse le médicament. Une première condition est ici que le médicament soit autorisé en Suisse. Une telle autorisation est du ressort de l'Institut suisse des produits thérapeutiques (Swissmedic). Si un titulaire d'autorisation – soit typiquement une entreprise pharmaceutique – dépose auprès de Swissmedic une demande d'autorisation de mise sur le marché d'un médicament, Swissmedic a pour tâche d'en contrôler la qualité, la sécurité et l'efficacité. Si Swissmedic juge les critères en la matière remplis, le médicament en question sera autorisé en Suisse. En même temps que l'autorisation, Swissmedic approuve les informations professionnelles et destinées aux patients (« notice d'emballage ») du médicament. Bien souvent, un médicament n'a été conçu ou développé que pour des adultes – et donc la demande d'autorisation est déposée pour eux seulement. (Kägi et al. 2020, Swissmedic 2019a et 2019b)

Afin de pouvoir être pris en charge dans le cadre d'une prescription standard, le médicament doit non seulement être autorisé par Swissmedic, mais encore figurer dans la LS pour le champ d'application prévu. La LS est la « liste des spécialités pharmaceutiques et des médicaments confectionnés avec leur prix » de l'OFSP. Le titulaire de l'autorisation peut déposer auprès de l'OFSP une demande d'inscription dans cette liste. L'OFSP vérifie alors avec la Commission fédérale des médicaments (CFM), qui possède ici un statut consultatif, le respect des conditions générales d'octroi des prestations de la LAMal, à savoir l'efficacité, l'adéquation et l'économicité du médicament (critères EAE). Seuls le champ d'application et le dosage autorisés par Swissmedic donnent lieu ici à un contrôle. À l'issue de ce contrôle EAE, l'OFSP peut fixer des conditions sous la forme de limitations ou de charges. (Kägi et al., 2020)

Il arrive parfois qu'un médicament figure déjà dans la LS à l'usage des adultes, et qu'il soit autorisé après coup à l'usage des enfants. En pareil cas, le titulaire de l'autorisation peut demander à l'OFSP une extension des indications ou une modification de la limitation. Si la demande est acceptée, la LS est adaptée en conséquence et l'AOS devra prendre en charge les coûts selon la nouvelle formulation des indications ou de la limitation. (art. 65f OAMal)

En résumé, l'AOS prend en charge un médicament en cas de prescription standard lorsque deux conditions sont réunies : il doit être autorisé en Suisse et de plus figurer dans la LS pour le champ d'application prévu dans le cadre du traitement.

5.1.3 Prise en charge selon les art. 71a à 71d OAMal

Dans le quotidien médico-thérapeutique, il y a toutefois bien des situations où il faut utiliser un médicament qui ne satisfait pas (encore) aux conditions susmentionnées. L'al. o explique par ailleurs comment de telles situations peuvent apparaître en oncologie pédiatrique. Ces cas peuvent faire l'objet d'une dérogation fondée sur les art. 71a à 71d OAMal : moyennant une demande de prise en charge des coûts, l'AOS peut les couvrir. Un remboursement devient possible si le médicament fait partie d'un « complexe thérapeutique »⁶ ou si « l'usage du médicament permet d'escompter un bénéfice élevé contre une maladie susceptible d'être

⁶ Texte de l'ordonnance : si « l'usage du médicament constitue un préalable indispensable à la réalisation d'une autre prestation prise en charge par l'assurance obligatoire des soins et que celle-ci est largement prédominante » (art. 71a, al. 1a, OAMal).

mortelle pour l'assuré ou de lui causer des problèmes de santé graves et chroniques et que, faute d'alternative thérapeutique, il n'existe pas d'autre traitement efficace autorisé » (art. 71a, al. 1b, OAMal).⁷ Il incombe au service du médecin-conseil de l'assurance-maladie d'évaluer le bénéfice à prévoir. (Kägi et al., 2020)

C'est ainsi que grâce aux art. 71a à 71d OAMal, un médicament peut être pris en charge par l'AOS même sans être autorisé par Swissmedic et/ou figurer dans la LS. Trois cas de figure sont à distinguer ici :

- Le médicament est autorisé en Suisse et figure dans la LS, mais il est utilisé pour une autre indication que celles autorisées dans l'information professionnelle ou prévues par la limitation fixée dans la LS. → Une prise en charge selon l'art. 71a OAMal est possible.
- Le médicament est autorisé en Suisse mais ne figure pas encore dans la LS. → Une prise en charge selon l'art. 71b OAMal est possible.
- Le médicament n'est pas autorisé par Swissmedic, mais il est importé d'un État qui a institué un système équivalent d'autorisation et dans lequel il est autorisé pour le même champ d'application. → Une prise en charge selon l'art. 71c OAMal est possible.

En outre, on trouve le cas où une assurance-maladie décide qu'un essai thérapeutique se justifie. Concrètement, le médecin de confiance n'a pas assez bien noté le médicament pour qu'il soit remboursé, mais il pourrait être d'une grande utilité dans un cas d'espèce. Lors d'essais thérapeutiques, les coûts des médicaments sont pris en charge dans un premier temps par l'entreprise pharmaceutique. En cas de réponse à la thérapie, l'assurance-maladie en couvre les coûts dans le cadre de l'AOS.⁸ Un oncologue pédiatrique a fait remarquer à ce sujet qu'il est indifférent pour l'enfant à soigner que l'entreprise pharmaceutique finance d'abord les coûts ou que l'AOS s'en charge – la priorité étant la prise en charge des coûts et le traitement ainsi rendu possible avec le médicament.

5.1.4 Usage compassionnel (*compassionate use*)

Si un médicament n'est autorisé ni en Suisse ni dans un État ayant institué un système équivalent d'autorisation, une prise en charge par l'AOS n'est pas possible. En règle générale, les entreprises pharmaceutiques fournissent gratuitement le médicament, aux fins d'un usage compassionnel (*compassionate use*).

⁷ Il ressort de l'évaluation de la prise en charge des médicaments dans des cas particuliers (art. 71a à 71d OAMal) que les conditions à respecter restent parfois évasives. En particulier, la formulation selon laquelle la maladie « peut causer des problèmes de santé graves et chroniques » laisse une grande marge d'interprétation. (Kägi et al., 2020)

⁸ Pour une description plus détaillée du concept d'essai thérapeutique, avec ses avantages ou inconvénients, voir Kägi et al. (2020, pages 5 et 14).

5.2 Importance des art. 71a à 71d OAMal en oncologie pédiatrique

Le système de prise en charge décrit au ch. 5.1 vaut pour tous les domaines médicaux. Les oncologues pédiatriques interrogés s'accordaient à dire que la prise en charge selon les art. 71a à 71d OAMal joue un rôle important dans leur discipline. Plusieurs raisons ont été invoquées :

- *Petit nombre de médicaments autorisés pour les enfants* : comme indiqué au ch. 5.1.2, seuls de rares médicaments sont autorisés pour les enfants. L'oncologie pédiatrique ne fait pas exception à la règle. C'est ainsi que plusieurs médicaments contre le cancer sont autorisés en Suisse et inscrits sur la LS – mais seulement pour les adultes. Pour qu'ils puissent être pris en charge en oncologie pédiatrique par l'AOS, il faut que le médecin traitant dépose auprès de l'assurance-maladie une demande de prise en charge des coûts fondée sur l'art. 71a OAMal.
- *Progrès médicaux* : les avancées médicales, allant de pair avec l'évolution vers une médecine personnalisée, font qu'il y a toujours plus de nouveaux médicaments ou de combinaisons de médicaments possibles. Même s'ils se trouvent encore au milieu du processus décrit au ch. 5.1 (autorisation de Swissmedic, contrôle par l'OFSP), il se peut qu'un médecin traitant souhaite déjà les utiliser. Cette problématique n'est d'ailleurs pas spécifique à l'oncologie pédiatrique.
- *Petit nombre de cas* : en raison de la faible taille du marché suisse, les entreprises pharmaceutiques ne voient pas toujours l'intérêt de déployer autant d'efforts pour une autorisation de mise sur le marché et pour une inscription sur la LS. À plus forte raison s'il s'agit d'un médicament contre une maladie rare. Le cancer de l'enfant est concerné par cette problématique, au même titre que d'autres maladies rares. Il convient de noter que le cancer de l'enfant englobe divers groupes de tumeurs, avec à chaque fois des sous-groupes présentant des particularités. Il existe ainsi – selon le type de tumeur et son emplacement – des maladies cancéreuses n'apparaissant qu'une fois par an en Suisse. Il est donc plus attrayant pour les entreprises pharmaceutiques, du moins dans un premier temps, de solliciter des autorisations pour les grands marchés et de s'adresser en priorité à l'Agence européenne des médicaments (EMA, pour l'UE) ou à l'Agence fédérale américaine des produits alimentaires et médicamenteux (FDA).

Parmi les experts interrogés, une personne a signalé que chaque enfant atteint du cancer reçoit tôt ou tard un médicament dans le cadre des art. 71a à 71d OAMal. Par conséquent, le remboursement des médicaments en oncologie pédiatrique est très tributaire des avantages et inconvénients du système de prise en charge prévu aux art. 71a à 71d OAMal. A contrario, on notera que seule une infime partie des demandes fondées sur ces dispositions relève de l'oncologie pédiatrique. En 2019, près de 38 000 nouvelles demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a à 71d OAMal ont été déposées. On peut considérer que moins d'un pourcent de ces demandes relèvent de l'oncologie pédiatrique.⁹ Par conséquent, les conclusions

⁹ Comme indiqué au chapitre 3, près de 220 nouveaux cas sont enregistrés par année dans le groupe d'âge des 0 à 14 ans. Si l'on retire de ces 220 cas les 30 % d'infirmités congénitales (voir ch. **Fehler! Verweisquelle konnte nicht gefunden werden.**) et qu'on y ajoute les 120 cas concernant les 15 à 19 ans, on obtient près de 270 cas pour lesquels une demande de prise en charge des coûts fondée sur les art. 71a à 71d OAMal est probable. Soit une part de 0,7 % de toutes les demandes de prise en charge des coûts reposant sur les art. 71a à 71d OAMal. Il est vrai qu'un même enfant peut faire l'objet de plusieurs demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal, et donc que ce pourcentage est susceptible d'être quelque

de l'évaluation de la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers au titre des art. 71a à 71d OAMal (Kägi et al., 2020) ne sont pas automatiquement transposables au domaine de l'oncologie pédiatrique.

6. Résultats des enquêtes

Le présent chapitre résume les résultats de l'enquête faite par écrit auprès des assurances-maladie ainsi que des discussions avec les professionnels (oncologues).

6.1 Processus

Le processus décrit au ch. 5.1.3 vaut également pour l'oncologie pédiatrique : les oncologues pédiatriques doivent déposer auprès des assurances-maladie une demande de prise en charge des coûts, afin d'obtenir le remboursement d'un médicament en vertu des art. 71a à 71d OAMal.

Dans l'enquête écrite menée par BSS, les assurances-maladie devaient dire si pour l'oncologie pédiatrique, leurs processus décisionnels internes diffèrent de ceux applicables aux autres demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a à 71d OAMal. Des questions portaient expressément sur les différences avec d'autres domaines de la pédiatrie et avec l'oncologie adulte. Douze assurances ont répondu à la question. Toutes ont signalé l'absence de différence dans leur processus décisionnel. Une autre assurance-maladie a signalé ailleurs dans le questionnaire que les demandes concernant des enfants sont examinées avec une bienveillance particulière. Un des oncologues pédiatriques interrogés l'a confirmé.

Lorsqu'ils vérifient le respect des conditions de prise en charge des coûts énoncées aux art. 71a à 71d OAMal, les services de médecins-conseils des assurances-maladie consultent la littérature scientifique publiée, les lignes directrices, les avis d'experts et leur propre expérience afin d'étayer leur décision.

6.2 Répartition des demandes entre les trois articles

Les assurances-maladie devaient dire dans l'enquête en ligne comment les demandes de prise en charge des coûts reçues se répartissent entre les art. 71a, 71b et 71c OAMal. Une simple estimation en pourcentages leur était ici demandée, le nombre exact de demandes ne pouvant être déterminé¹⁰. Afin de tenir compte des rapports de taille entre les diverses assurances-

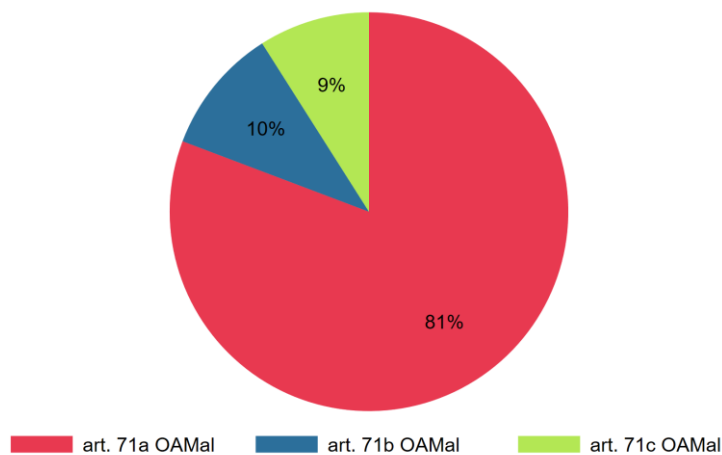
peu supérieur. Il n'existe pas de données exactes sur le nombre de demandes de prise en charge des coûts en oncologie pédiatrique.

¹⁰ Lors des tests pour l'enquête en ligne, il est apparu que beaucoup d'assurances-maladie ignoraient combien de demandes déposées au titre des art. 71a à 71d OAMal elles avaient reçues en oncologie pédiatrique, ou auraient eu besoin de longues recherches pour obtenir cette information. Il convient de préciser qu'une assurance-maladie reçoit extrêmement peu de demandes de ce type – la somme de toutes les requêtes correspondantes sur le plan suisse étant déjà très faible (voir note 9). Aussi l'enquête en ligne comportait-elle ici des catégories. Neuf assurances-maladie ont coché la catégorie « env. 0 à 9 demandes » et deux la catégorie « env. 10 à 19 demandes ». Les autres n'ont pas répondu à la question.

maladie, leurs indications en pourcentage ont été pondérées par le nombre d'enfants assurés dans leur AOS (âge de 0 à 18 ans).

Comme le montre la Figure 3, une écrasante majorité des demandes concernent des médicaments déjà autorisés par Swissmedic et qui figurent dans la LS – mais qui sont utilisés pour d'autres indications que celles autorisées dans l'information professionnelle ou prévues par la limitation (art. 71a OAMal). Environ 10 % des demandes concernent des médicaments autorisés en Suisse mais absents de la LS (art. 71b OAMal) et 10 % des médicaments qui ne sont pas autorisés en Suisse (art. 71c OAMal). Cette répartition ne dépend pas de la méthode d'évaluation ou de pondération utilisée.¹¹

Figure 3 : Répartition des demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a, 71b et 71c OAMal



Remarques : dix assureurs ont répondu à la question, qui se référait à l'année 2019. Les très petites assurances, qui n'avaient reçu cette année-là aucune demande en oncologie pédiatrique au titre des art. 71a à 71d OAMal, n'ont pas pu répondre à la question. Les indications reçues ont été pondérées à chaque fois par le nombre d'enfants (âgés de 0 à 18 ans) assurés dans l'AOS, pour pouvoir estimer approximativement le nombre de demandes reçues au titre des art. 71a à 71d OAMal. Source : données de l'enquête en ligne (voir ch. 2.3). Calculs effectués par BSS.

Lors des discussions, les oncologues pédiatriques interrogés ont confirmé qu'une écrasante majorité des médicaments utilisés sont autorisés en Suisse et qu'une petite partie seulement doivent être remboursés sur la base de l'art. 71c OAMal.

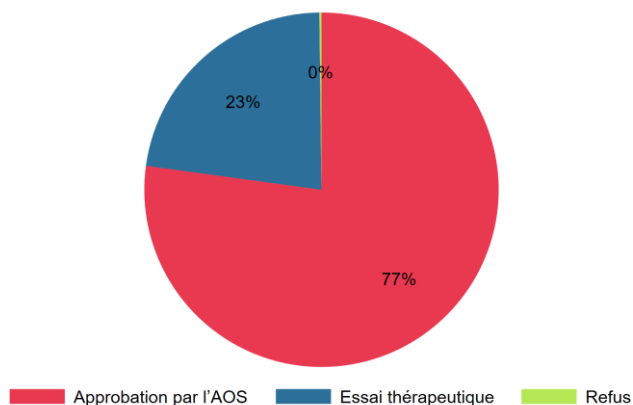
6.3 Taux d'acceptation

Les demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a à 71d OAMal affichent un taux d'acceptation très élevé en oncologie pédiatrique. Les oncologues interrogés signalent que leurs demandes finissent presque toujours par être acceptées.

¹¹ Les indications des assurances ont à nouveau été pondérées par le nombre d'enfants (âgés de 0 à 18 ans) assurés dans leur AOS respective, afin d'obtenir le nombre approximatif de demandes reçues au titre des art. 71a à 71d OAMal. Sans pondération, les proportions sont de 79 % pour l'art. 71a OAMal, 14 % pour l'art. 71b OAMal et 8 % pour l'art. 71c OAMal. Mais si l'on ne considère que les sept assurances dont les chiffres reposent sur une base de données interne et non sur une simple estimation, la part (pondérée) de l'art. 71a OAMal reste de 79 % tandis que celles des art. 71b et 71c OAMal avoisinent à chaque fois 10 %.

Les assurances-maladie étaient encore priées d'indiquer leur taux d'acceptation des demandes. Elles pouvaient ainsi signaler a) si elles avaient accepté les demandes reçues au titre des art. 71a à 71d OAMal (prise en charge par l'AOS), b) si un essai thérapeutique avait été approuvé ou c) si les demandes avaient été refusées. Selon la Figure 4, environ 77 % des demandes sont directement prises en charge par l'AOS, tandis qu'un essai thérapeutique est lancé dans 23 % des cas. Comme les oncologues pédiatriques, les assurances-maladie relèvent qu'un refus n'intervient quasiment jamais. Le très fort taux d'acceptation susmentionné ne varie quasiment pas selon la méthode d'évaluation ou de pondération utilisée.¹² On peut donc considérer que les conditions générales d'une prise en charge au titre des art. 71a à 71d OAMal (voir ch. 5.1.3) sont pratiquement toujours remplies en oncologie pédiatrique.

Figure 4 : Taux d'acceptation dans le domaine de l'oncologie pédiatrique des demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal



Remarques : huit assurances-maladie ont donné une réponse plausible à la question, qui se rapportait à l'année 2019. Les très petites assurances, qui n'avaient reçu cette année-là aucune demande en oncologie pédiatrique au titre des art. 71a à 71d OAMal, n'ont pas pu répondre à la question. Les indications reçues ont été pondérées à chaque fois par le nombre d'enfants (âgés de 0 à 18 ans) assurés dans l'AOS, pour pouvoir estimer approximativement le nombre de demandes reçues au titre des art. 71a à 71d OAMal. Source : données de l'enquête en ligne (voir ch. 2.3). Calculs effectués par BSS.

Si l'on classe comme « acceptés » tant les cas de prise en charge par l'AOS que les essais thérapeutiques, le taux d'acceptation est proche de 100 % d'après les indications des assurances-maladie. À titre de comparaison, le taux d'acceptation des demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal se situait en 2019 autour de 78 % pour toutes les indications médicales (Kägi et al., 2020). Ce chiffre ne contient toutefois qu'une partie des essais thérapeutiques.¹³ Si l'on recodait tous les essais thérapeutiques comme demandes approuvées, le taux d'acceptation grimperait encore – mais le constat central reste ici le suivant : en oncologie pédiatrique, le taux

¹² Les indications des assurances ont à nouveau été pondérées par le nombre d'enfants (âgés de 0 à 18 ans) assurés dans leur AOS respective, afin d'obtenir le nombre approximatif de demandes reçues au titre des art. 71a à 71d OAMal. Sans pondération, les proportions sont de 79 % (approbation par l'AOS), 19 % (essai thérapeutique) et 2 % (refus). Mais si l'on ne considère que les sept assurances dont les chiffres reposent sur une base de données interne et non sur une simple estimation, les résultats pondérés s'élèvent à 77 % (approbation par l'AOS), 23 % (essai thérapeutique) et 0 % (refus).

¹³ Une partie des assurances-maladie ont assimilé les essais thérapeutiques à une « acceptation », tandis que les autres les ont classés parmi les « refus ». A posteriori, une classification uniforme de toutes les demandes s'est avérée impossible.

d'acceptation des demandes au titre des art. 71a à 71d OAMal avoisine 100 % et dépasse ainsi le taux affiché pour l'ensemble des demandes fondées sur ces articles.¹⁴

Les assurances-maladie étaient encore priées de dire si le taux d'acceptation diffère entre les trois articles 71a, 71b et 71c OAMal. Huit assurances-maladie ont répondu n'avoir constaté *aucune* différence systématique entre ces dispositions. Aucune assurance-maladie n'a affirmé en avoir relevé quant au taux d'acceptation. Même les oncologues pédiatriques interrogés plus tard à ce sujet lors des discussions n'ont pas observé de différence systématique au niveau du taux d'acceptation entre les trois articles.¹⁵ Ces réponses n'ont rien de surprenant, si l'on pense qu'en principe toutes les demandes ont été approuvées (à condition d'assimiler les essais thérapeutiques à une acceptation).

Les assurances-maladie ont été interrogées sur les raisons de leurs éventuels refus. Comme en témoigne la Figure 4, de nombreuses assurances-maladie ont signalé n'avoir refusé aucune demande en 2019. Une assurance-maladie avait justifié un refus par l'« insuffisance des données disponibles ». Deux oncologues pédiatriques ont remarqué à propos des rares cas de refus qu'il s'agissait souvent de médicaments pour lesquels il existe peu de résultats scientifiques. Le problème se pose notamment pour les récidives (« rechutes »). Les deux oncologues pédiatriques s'accordent toutefois à dire que les refus sont rarissimes. En outre, une autre possibilité de financement est souvent trouvée : si les coûts sont faibles, il arrive que la famille s'en charge, alors qu'en cas de coûts élevés ou pour les familles financièrement fragiles, une solution de rechange est généralement disponible, par exemple via une fondation.

6.4 Défis

6.4.1 Temps nécessaire aux oncologues pédiatriques

Malgré le taux d'acceptation élevé des demandes dans leur discipline médicale, les oncologues pédiatriques interrogés estiment qu'il y aurait un grand potentiel d'optimisation dans le système de prise en charge. Selon un professionnel interrogé :

« La vraie question n'est pas de savoir si une demande sera acceptée, mais combien de temps il faudra consacrer à un tel dossier. »

¹⁴ Même si une écrasante majorité des demandes de prise en charge des coûts sont approuvées, des refus interviennent dans des cas d'espèce, selon les experts interrogés. Un oncologue pédiatrique l'a illustré par l'exemple suivant : Swissmedic a autorisé pour un médicament la forme galénique de la suspension (« sirop »), mais elle ne figure pas dans la LS. Les caisses-maladie vont ainsi refuser les demandes de prise en charge correspondantes, en renvoyant comme alternative thérapeutique au comprimé renfermant la même substance active. Or il faudrait casser ce comprimé pour obtenir le dosage réduit destiné aux enfants – alors même qu'il n'est pas prévu dans l'information professionnelle que le comprimé soit coupé et qu'on n'y parviendrait pas avec une précision suffisante. En outre, les enfants ont bien souvent de la peine à avaler un comprimé. Pour toutes ces raisons, l'oncologue pédiatrique interrogé estime qu'un refus est ici injustifié.

¹⁵ Deux des oncologues pédiatriques interrogés ont toutefois signalé que les (rares) demandes fondées sur l'art. 71c OAMal leur avaient valu plus souvent des questions des assurances-maladie que les demandes basées sur les art. 71a ou 71b OAMal.

Les oncologues pédiatriques interrogés s'accordaient à dire qu'il leur faut consentir de gros efforts pour obtenir le remboursement des médicaments nécessaires. Outre la formulation de leur demande, sa justification minutieuse et la compilation de la littérature scientifique, ils doivent encore consacrer du temps aux questions des assurances, auxquelles il est souvent difficile de répondre. Des difficultés se présentent notamment quand il existe peu de preuves ou qu'il faut démontrer le caractère économique d'un médicament. Il a été signalé à plusieurs reprises que les assurances-maladie n'y sont pour rien et qu'il s'agit d'un problème inhérent au système. Les oncologues pédiatriques préféreraient consacrer cet énorme investissement en temps au traitement médical des enfants. Ils ont jugé particulièrement gênant de devoir consacrer tant de temps non seulement aux cas médicaux particuliers, mais aussi à des thérapies standard bien établies. Aussi le chapitre 7 présente-t-il diverses possibilités d'optimiser le système à cet égard.

Les assurances-maladie ayant participé à l'enquête en ligne n'étaient pas expressément invitées à se prononcer sur leur charge administrative. Celle-ci n'a toutefois jamais été qualifiée de problématique dans la zone de texte libre, où chacun pouvait indiquer les défis rencontrés et les optimisations possibles. Trois assurances-maladie ont signalé que la prise en charge des médicaments en oncologie pédiatrique se passe « très bien », « sans problème » ou « sans heurt » et qu'aucune mesure supplémentaire ne s'impose.

6.4.2 Éventuelle inégalité de traitement

L'évaluation portant sur la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers fondée sur les art. 71a à 71d OAMal a certes montré que l'égalité de traitement n'est pas suffisamment garantie entre tous les assurés LAMal (Kägi et al, 2020). Mais comme indiqué au ch. 0, les conclusions portant sur la prise en charge globale des cas particuliers ne sont pas directement applicables au domaine restreint de l'oncologie pédiatrique. On le voit notamment au taux d'acceptation : aucune différence n'a été découverte en la matière entre les assurances-maladie. La part des autorisations (prise en charge par l'AOS ou essai thérapeutique) avoisine 100 % dans toutes les assurances ayant participé à l'enquête en ligne. Comme indiqué au ch. **Fehler! Verweisquelle konnte nicht gefunden werden.**, les oncologues pédiatriques confirment que les demandes finissent presque toujours par être acceptées.

Le rapport entre la prise en charge des coûts par l'AOS et les essais thérapeutiques diffère d'une assurance-maladie à l'autre. Or de telles différences peuvent très bien être dues au hasard, en raison du très petit nombre de cas traités par assurance.

Quatre oncologues pédiatriques devaient dire s'il existe des différences entre les assurances-maladie quant au temps nécessaire pour écrire leur demande et, notamment, pour répondre aux (éventuelles) questions. Tous s'accordaient à dire que les différences en la matière sont considérables. Une des personnes interrogées a fait remarquer que la charge de travail liée aux questions dépend de la formation du médecin-conseil. On peut donc se demander s'il existe une inégalité de traitement entre les oncologues pédiatriques – selon qu'il leur faut consacrer beaucoup ou peu de temps à négocier avec les assurances-maladie. L'un d'eux ne voit aucun risque à cet égard, comme les traitements en oncologie pédiatrique s'inscrivent souvent dans des protocoles d'étude internationaux. Le protocole d'étude prescrit le traitement et le médicament – autrement dit, il est indépendant du médecin traitant. Le même oncologue considère que tous ses pairs s'investissent beaucoup pour leurs patients et ne ménagent pas leurs efforts pour

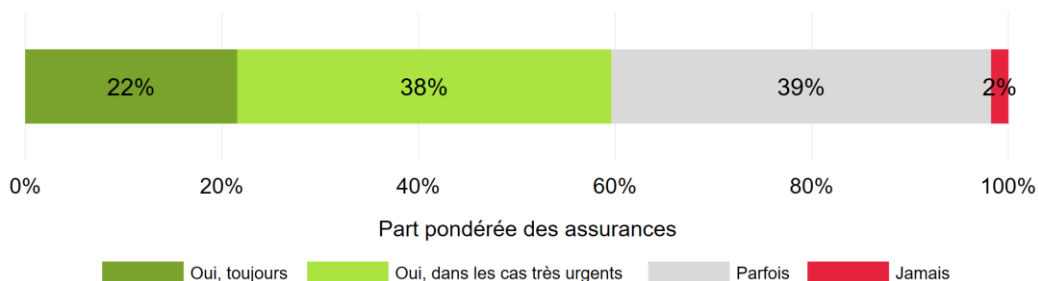
répondre aux questions des assurances-maladie. Ce n'est pas directement vérifiable, mais le taux élevé des demandes acceptées tend à le confirmer (voir point **Fehler! Verweisquelle konnte nicht gefunden werden.**).

6.4.3 Caractère urgent des demandes

En oncologie pédiatrique, il est parfois (mais pas toujours) décisif que la demande soit approuvée au plus vite. Selon l'art. 71d OAMal, jusqu'à deux semaines peuvent s'écouler entre la présentation de la demande complète et la décision. Les discussions avec les professionnels ont soulevé le problème des cas particulièrement urgents où un médicament doit être remis sur-le-champ. Or bien souvent, un coup de téléphone à la caisse-maladie ou une autre garantie de prise en charge – émanant par exemple d'une fondation – résout le problème. Un professionnel a signalé que les choses ne tardaient jamais en cas de cancer agressif. Une autre a signalé qu'il y avait déjà eu des cas où une thérapie avait été reportée jusqu'à ce que le financement soit garanti. Selon l'entreprise pharmaceutique, il peut être impossible d'obtenir un médicament tant que la question du paiement n'est pas réglée. Les enfants font les frais de tels cas, si le processus de décision prend plus de temps qu'il ne faudrait.

Les assurances-maladie ont par conséquent été priées de dire si, sur la base des demandes déposées, il leur était toujours possible d'en évaluer l'urgence. La Figure 5 montre que c'est souvent le cas, mais qu'il y a néanmoins des demandes dont le degré d'urgence n'est pas clairement précisé.

Figure 5 : Possibilité de juger de l'urgence des demandes



Source : données de l'enquête en ligne (voir ch. 2.3). Nombre de réponses : 14. Les indications reçues ont été pondérées par le nombre d'enfants (âgés de 0 à 18 ans) assurés dans l'AOS par l'assurance-maladie concernée, pour pouvoir estimer approximativement le nombre de demandes reçues au titre des art. 71a à 71d OAMal. Calculs effectués par BSS.

Les assurances-maladie étaient encore priées d'indiquer comment elles gèrent les demandes urgentes de prise en charge des coûts. Dix assurances ont signalé qu'elles les traitent en priorité – pour autant qu'elles puissent être identifiées comme urgentes. Deux assurances-maladie ont répondu qu'elles traitaient dans le même délai toutes les demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal.

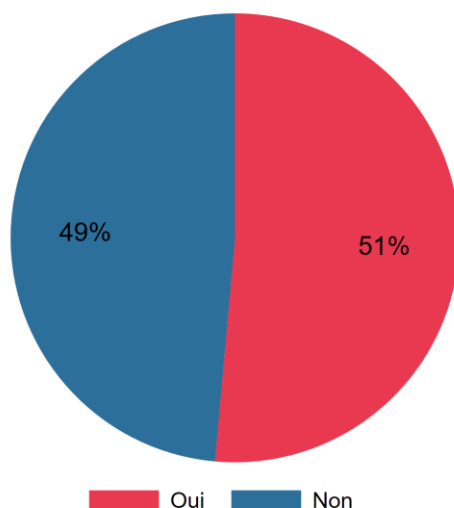
7. Possibilités d'optimisation

7.1 Informations sur l'urgence des demandes

Comme indiqué au ch. 6.4.3, près de 40 % des assurances ont parfois de la peine à juger du caractère urgent d'une demande de prise en charge des coûts. Alors même que dix caisses-maladie sur douze signalent traiter en priorité les demandes identifiées comme urgentes.

Les assurances-maladie devaient dire si elles souhaiteraient que les oncologues pédiatriques précisent le degré d'urgence de *toutes* leurs demandes. Comme l'indique la Figure 6, les avis des assurances-maladie divergent sur cette proposition.

Figure 6 : Indication du degré d'urgence pour toutes les demandes



Source : données de l'enquête en ligne (voir ch. 2.3). Nombre de réponses : 13. Les indications reçues ont été pondérées par le nombre d'enfants (âgés de 0 à 18 ans) assurés dans l'AOS par l'assurance-maladie concernée, pour pouvoir estimer approximativement le nombre de demandes reçues au titre des art. 71a à 71d OAMal. Calculs effectués par BSS.

Avis de l'équipe chargée de l'étude

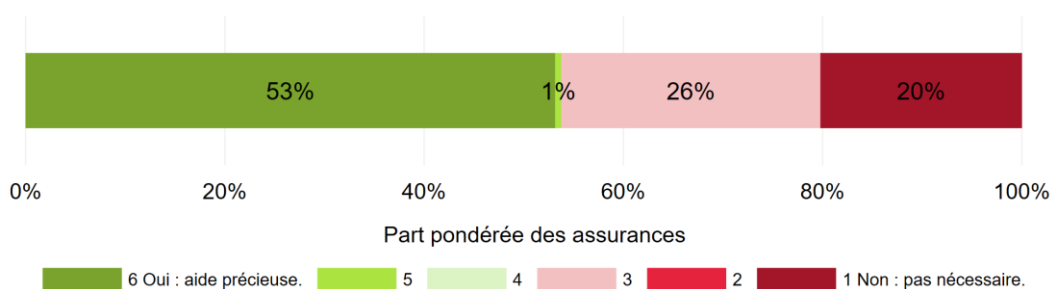
Les oncologues pédiatriques pourraient aisément indiquer le degré d'urgence d'une demande de prise en charge des coûts. L'équipe chargée de l'étude recommande par conséquent à tous les demandeurs de le faire. À supposer qu'on décide d'optimiser à l'avenir le processus de demande à l'aide d'un formulaire informatique adéquat (voir les propositions de l'étude Kägi et al., 2020), on pourrait ou devrait prévoir un champ permettant d'indiquer systématiquement comme telles les demandes urgentes. Un tel champ serait disponible pour tous les domaines médicaux. Il faudrait toutefois veiller, lors de la mise au point des détails correspondants, à ce que le marquage « urgent » soit soumis à des conditions clairement définies.

7.2 Liste des thérapies standard

Tous les oncologues pédiatriques interrogés lors des discussions ont déploré de devoir consacrer autant de temps aux demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal, même pour des thérapies standard. Les oncologues pédiatriques entendent par là des thérapies effectuées de manière routinière, où les médicaments sont administrés sous une forme adaptée aux enfants (en suspension). Beaucoup sont établies depuis des années, voire des décennies. Lors des entretiens, il a été suggéré de dresser une liste de ces thérapies.

Les assurances-maladie devaient dire si le fait de savoir quels médicaments sont prescrits dans le cadre de thérapies standard en oncologie pédiatrique faciliterait leurs processus décisionnels. Comme le montre la Figure 7, plus de la moitié des assurances-maladie considèrent qu'une telle liste constituerait pour eux une « aide précieuse ». Mais il y a aussi des assurances qui sont indécises ou pour qui une telle liste n'est « pas nécessaire ».

Figure 7 : Avis sur l'utilité d'une liste des médicaments administrés de manière standardisée



Source : données de l'enquête en ligne (voir ch. 2.3). Nombre de réponses : 14. Les indications reçues ont été pondérées par le nombre d'enfants (âgés de 0 à 18 ans) assurés dans l'AOS par l'assurance-maladie concernée, pour pouvoir estimer approximativement le nombre de demandes reçues au titre des art. 71a à 71d OAMal. Calculs effectués par BSS.

Les vérifications suivantes s'imposent pour établir une liste des thérapies standard :

- **Responsabilités** : il est proposé d'établir une telle liste comme solution de branche. Un oncologue pédiatrique a suggéré que la Société suisse d'hématologie et d'oncologie pédiatrique (SSHOP) puisse représenter le point de vue des oncologues pédiatriques. Du côté des assurances-maladie, une intervention des associations faitières (curafutura et santésuisse) est envisageable. Il faut toutefois garder à l'esprit que les demandes de prise en charge des coûts en oncologie pédiatrique correspondent à moins d'un pourcent des demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal que reçoivent les assurances. Ces dernières sont par conséquent bien moins « sous pression » ici que les oncologues pédiatriques – pour parvenir à une solution de branche viable, il faudrait dès lors aussi que le gain de temps pour les assurances ressorte clairement (voir plus bas).
- **Intervalle entre les actualisations** : les acteurs impliqués doivent s'accorder sur la fréquence d'actualisation nécessaire de la liste. Les oncologues pédiatriques interrogés ont des opinions divergentes sur la question (de toutes les deux ou trois semaines à une fois par an).
- **Délimitation des thérapies** : les acteurs impliqués doivent se mettre d'accord sur la manière de distinguer les thérapies « standard ». Il serait ainsi envisageable d'inclure des thérapies

qui sont « spécifiques à la maladie et indépendantes du médecin »¹⁶ – par exemple du fait qu’elles résultent d’une discussion au sein du *tumor board* ou qu’elles sont utilisées dans le cadre d’un protocole thérapeutique international. Il serait par ailleurs possible de fixer un prix maximum pour tenir compte de la hausse des coûts du secteur de la santé.

Il faudrait par ailleurs examiner dans quelle mesure les médicaments utilisés dans les thérapies standard qui sont présents sur cette liste nécessiteraient encore une demande de prise en charge des coûts. La variante suivante, conforme aux art. 71a à 71d OAMal, serait envisageable : la prise en charge reposerait, comme le prévoit l’ordonnance, sur une demande de prise en charge des coûts adressée à l’assurance-maladie et donc à son médecin-conseil. Les oncologues pédiatriques renverraient à la liste dans leur demande – ce qui simplifierait le travail du médecin-conseil, qui pourrait recommander de l’approuver sans autre examen. La charge de travail requise pour poser des questions et pour y répondre diminuerait ainsi de part et d’autre.

- *Changement pour les oncologues pédiatriques* : les oncologues pédiatriques pourraient renvoyer à la liste pour leurs demandes de prise en charge des coûts. Leur fardeau administratif diminuerait ainsi – car ils n’auraient plus besoin de fournir des études et de décrire de façon exhaustive le médicament utilisé dans la thérapie standard.
- *Rôle des assurances-maladie* : le travail resterait le même pour le service des prestations d’une assurance-maladie, mais son service du médecin-conseil aurait moins à faire.

Avis de l’équipe chargée de l’étude

L’équipe chargée de l’étude recommande de dresser une liste des thérapies standard en oncologie pédiatrique. Le système gagnerait en efficacité et ne poserait aucun problème juridique, s’il s’agissait d’une solution de branche.

Variantes

Le système de prise en charge combiné à une liste des thérapies standard pourrait réduire encore davantage le travail administratif des acteurs impliqués – mais il faudrait modifier l’OAMal dans ce sens.

Variante 1 : une demande de prise en charge des coûts continuerait d’être adressée comme jusqu’ici à l’assurance-maladie. Mais à supposer que la demande renvoie à la liste en vigueur, l’assurance-maladie serait habilitée à l’approuver directement – sans le détour par son service du médecin-conseil. L’ordonnance aurait toutefois besoin d’être adaptée sur ce point.

Variante 2 : *aucune* demande de prise en charge n’aurait besoin d’être déposée ici. Dès lors qu’un médicament serait utilisé dans le cadre d’une thérapie standard inscrite sur la liste, l’assurance-maladie l’approuverait directement. Cette variante réduirait sans doute encore les charges, mais elle s’inscrirait en faux avec la pratique actuelle en matière de prise en charge dans le domaine ambulatoire.

¹⁶ Selon un oncologue pédiatrique, le second point constitue une différence majeure par rapport à l’oncologie adulte, où différents médecins sont susceptibles de tirer des conclusions différentes sur le traitement indiqué. En oncologie pédiatrique, la plupart des tableaux cliniques aboutissent à un traitement uniforme.

7.3 Avis du médecin-conseil : procédure centralisée

Remarque préliminaire : ce n'est qu'après l'enquête en ligne que l'équipe chargée de l'étude a conçu la possibilité d'optimisation ci-après. À la différence des deux autres optimisations susmentionnées, les assurances-maladie n'ont donc pas pu se prononcer à ce sujet.

Une autre optimisation possible consisterait à faire examiner les demandes – relativement rares en oncologie pédiatrique – par un *service central de médecine-conseil* ou par un médecin-conseil spécialement désigné à cet effet (avec un suppléant). Les demandes de prise en charge des coûts continueraient donc d'être adressées à l'assurance. À ceci près que l'assurance ne ferait pas appel à son propre service du médecin-conseil, mais qu'elle transmettrait les demandes au médecin-conseil désigné à cet effet. Là encore, il pourrait s'agir d'une solution de branche, qui pourrait être aménagée de différentes manières :

- Une personne (avec un suppléant) est chargée d'examiner pour toutes les assurances la *totalité* des demandes relevant de l'oncologie pédiatrique.
- Une personne (avec un suppléant) est chargée d'examiner pour toutes les assurances les demandes *non standardisées* relevant de l'oncologie pédiatrique.
- Un groupe d'experts formé d'oncologues pédiatriques est chargé d'examiner pour toutes les assurances les demandes *non standardisées* relevant de l'oncologie pédiatrique.

Un oncologue pédiatrique a expliqué que les médecins-conseils ont une tâche très difficile, consistant à examiner les demandes de prise en charge des coûts émanant de toutes sortes de domaines médicaux. À ses yeux, cela peut parfois conduire à un déficit de connaissances, dans un domaine où les cas sont aussi rares et spécifiques que l'oncologie pédiatrique. D'autres oncologues pédiatriques signalent qu'avec certains médecins-conseils, il leur faut fournir des explications beaucoup plus détaillées. Un oncologue pédiatrique a encore signalé un cas où dans le doute, le médecin-conseil s'était adressé à un oncologue pour adultes – et avait ainsi reçu une réponse problématique du point de vue de l'oncologie pédiatrique. Une procédure centralisée permettrait de garantir, selon les oncologues pédiatriques, que les demandes soient traitées par une personne compétente dans cette spécialité.

La solution la plus indiquée selon un des oncologues pédiatriques interrogés serait que le groupe d'experts puisse prendre la décision – qu'il aurait l'obligation de solidement étayer, par exemple à l'aide d'une décision du *tumor board*.

Avis de l'équipe chargée de l'étude

L'équipe chargée de l'étude recommande d'externaliser auprès d'un médecin-conseil spécialement désigné (avec un suppléant), pour tout le domaine de l'oncologie pédiatrique, les demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal. Le processus y gagnerait beaucoup en efficacité.

Les assurances-maladie peuvent aisément reconnaître et transférer à qui de droit les demandes de prise en charge des coûts relevant de l'oncologie pédiatrique. Si un seul médecin-conseil examinait les cas finalement peu nombreux touchant à l'oncologie pédiatrique, on aurait la certitude que l'évaluation médicale serait faite par une personne compétente en oncologie pédiatrique. On saisirait au passage la chance de tester un nouveau processus de prise en charge des médicaments utilisés hors étiquette (« off-label-use ») – et les résultats obtenus seraient sans doute pertinents pour d'autres domaines médicaux (maladies rares notamment).

7.4 Compréhension uniforme du « protocole d'étude » en oncologie pédiatrique

La dernière possibilité d'optimisation proposée aux associations faitières et aux services des prestations des assurances-maladie consisterait à encourager une conception uniforme de la notion de « protocole d'étude » dans le domaine de l'oncologie pédiatrique. Cela réduirait le travail administratif de tous les acteurs du processus de prise en charge. Quatre des oncologues pédiatriques signalent qu'il leur faut régulièrement donner de longues explications quand une caisse-maladie ou un service du médecin-conseil prennent un protocole d'étude en oncologie pédiatrique pour une étude sponsorisée par une entreprise pharmaceutique. En oncologie pédiatrique, ce ne sont pas les entreprises pharmaceutiques, mais bien les hôpitaux qui parrainent ou organisent les protocoles d'étude. Il s'agit d'une différence fondamentale : un oncologue pédiatrique a expliqué qu'à juste titre, ce n'était pas à l'AOS de prendre en charge la remise des médicaments effectuée dans le cadre d'études parrainées par des entreprises pharmaceutiques. Or un tel raisonnement ne vaut pas pour les « protocoles d'étude » approuvés en oncologie pédiatrique. Premièrement, il n'y a pas en coulisse d'entreprise pharmaceutique parrainant l'étude. Deuxièmement, les médicaments concernés sont souvent déjà bien établis et seraient de toute façon remis même en l'absence de protocole d'étude. Seuls certains aspects varient dans le cadre du protocole d'étude (p. ex. dosage ou moment de l'ingestion), dans le but d'atténuer les effets secondaires du médicament. Selon les oncologues pédiatriques, cette distinction n'est familière qu'à une partie des assurances-maladie, de sorte qu'il leur faut souvent donner de longues explications et des arguments aux autres. Des malentendus surviennent également, à l'arrivée de nouveaux collaborateurs, dans une assurance-maladie où tout était clair jusque-là.

Avis de l'équipe chargée de l'étude

Le système pourrait gagner en efficacité pour tous les acteurs si une conception uniforme des choses était encouragée. Il s'agit d'une mesure aisée à réaliser et peu coûteuse. Les associations faitières ou les services de prestations des assurances-maladie seraient par exemple en mesure d'encourager une compréhension commune de ces questions.

8. Résumé

De nombreux médicaments utilisés en oncologie pédiatrique doivent faire l'objet d'une demande de prise en charge des coûts fondée sur les art. 71a à 71d OAMal. On peut considérer qu'une demande de remboursement d'un médicament au titre des art. 71a à 71d OAMal sera tôt ou tard déposée pour presque chaque enfant atteint du cancer (sauf dans les cas d'infirmités congénitales, qui relèvent de l'AI). Près de 80 % des demandes de prise en charge des coûts concernent des médicaments autorisés en Suisse et inscrits sur la LS, mais qui sont utilisés pour une autre indication que celles autorisées dans l'information professionnelle ou prévues par la limitation fixée dans la LS (art. 71a OAMal). Env. 10 % des demandes concernent des médicaments qui sont autorisés en Suisse mais qui ne figurent pas sur la LS (art. 71b OAMal), et 10 % des médicaments qui ne sont pas encore autorisés en Suisse (art. 71c OAMal).

Le taux d'acceptation des demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a à 71d OAMal est très élevé en oncologie pédiatrique. Selon les assurances-maladie interrogées, l'AOS approuve directement près de 77 % des demandes et pour les 23 % restants, le traitement débute aux frais des entreprises pharmaceutiques (« essai thérapeutique »). Les refus sont très rares – comme le confirment les oncologues pédiatriques interrogés. Dans les quelques cas où une demande de prise en charge des coûts en oncologie pédiatrique n'est pas approuvée, une autre possibilité de financement est généralement trouvée – grâce à une fondation ou, si les coûts demeurent relativement bas, au sein de la famille. Selon les oncologues pédiatriques et les assurances-maladie à qui la question a été posée, il n'y a pas de différence systématique sur le plan du taux d'acceptation entre les trois articles 71a, 71b et 71c OAMal.

Les oncologues pédiatriques interrogés se disent satisfaits du taux d'acceptation de leurs demandes : il contribue à ce que la Suisse affiche en comparaison internationale un taux de survie élevé en oncologie pédiatrique. La pratique de remboursement présente toutefois un réel potentiel d'optimisation à leurs yeux. Les oncologues pédiatriques déplorent en particulier de devoir consacrer autant de temps à rédiger leurs demandes de prise en charge des coûts ainsi qu'à répondre aux questions à ce sujet. En outre, il y aurait des cas ponctuels où il faudrait administrer immédiatement le médicament – et où le processus standard de demande de prise en charge des coûts et de prise de décision dure trop longtemps. Cependant, même en pareil cas, une solution est le plus souvent trouvée – lors d'un coup de téléphone à l'assurance-maladie ou par une garantie de couverture de la part d'une fondation disposée à payer en cas de refus de la demande.

Il serait possible d'optimiser la mise en œuvre des art. 71a à 71d OAMal dans le domaine de l'oncologie pédiatrique, en dressant une liste des traitements standard. Une telle approche réduirait les coûts administratifs – au profit des oncologues pédiatriques comme des assurances-maladie. Une autre optimisation possible consisterait à centraliser l'évaluation par le médecin-conseil des demandes de prise en charge des coûts en oncologie pédiatrique. En outre, l'équipe chargée de l'étude recommande aux oncologues pédiatriques de toujours désigner comme telles les demandes particulièrement urgentes. Enfin, les assurances-maladie devraient sensibiliser leurs collaborateurs afin qu'ils distinguent bien, dans le domaine de l'oncologie pédiatrique, entre les études sponsorisées par les groupes pharmaceutiques et les « protocoles d'étude ».

9. Réponse aux questions du postulat

Ce chapitre répond brièvement aux trois questions soulevées par le postulat, sur la base des analyses figurant dans le texte principal.

À quelles conditions les caisses-maladie prennent-elles en charge les coûts des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer ?

En cas d'infirmités congénitales, l'AI prend en charge le coût des médicaments, tandis que les traitements stationnaires sont rémunérés selon le système DRG. Dans le cas des médicaments administrés en ambulatoire, le système de prise en charge du secteur ambulatoire s'applique : les médicaments sont habituellement remboursés, à condition d'être autorisés par Swissmedic et de figurer dans la liste des spécialités (LS) pour le champ d'application prévu. Si ces deux conditions ne sont pas remplies, il est malgré tout possible d'obtenir que l'AOS rembourse les médicaments, en déposant une demande de prise en charge des coûts au titre des art. 71a à 71d OAMal. Ce mode de prise en charge revêt une grande importance en oncologie pédiatrique. Les assurances-maladie approuvent la plupart des demandes de prise en charge des coûts – et ce n'est que dans de rares cas que des refus interviennent. Or même là un autre mode de prise en charge est généralement trouvé, par exemple via une fondation ou dans le cadre familial.

Comment est-il possible d'obtenir le remboursement des médicaments non encore autorisés en Suisse, mais autorisés à l'étranger ?

Ces médicaments peuvent faire l'objet d'une demande de prise en charge des coûts au titre de l'art. 71c OAMal. De telles demandes sont relativement rares – un peu moins de 10 % de toutes les demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a à 71d OAMal. Il n'y a pas de différence systématique au niveau du taux d'acceptation entre les demandes fondées sur les art. 71a, 71b ou 71c OAMal.

Comment peut-on éviter les inégalités de traitement en matière de prise en charge des médicaments utilisés hors étiquette (« off-label-use ») ?

Moins d'un pourcent des demandes au titre des art. 71a à 71d OAMal relèvent de l'oncologie pédiatrique. Les problèmes généraux posés par la prise en charge des médicaments utilisés hors étiquette (« off-label-use ») ne se retrouvent donc pas nécessairement dans le domaine spécifique de l'oncologie pédiatrique. Le taux d'acceptation des demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal y avoisine 100 %, et cela pour toutes les assurances-maladie. On peut donc considérer que le problème général des inégalités de traitement subies par les assurés LAMal en matière de prise en charge des médicaments utilisés hors étiquette (« off-label-use ») *n'existe pas* en oncologie pédiatrique. Le nombre de cas est trop faible pour permettre de juger s'il y a des différences systématiques entre les assurances-maladie quant aux refus de remboursement.

10. Bibliographie

Allemani, C., Matsuda, T., Di Carlo, V., et al. (2018). Global surveillance of trends in cancer survival 2000–14 (CONCORD-3): analysis of individual records for 37 513 025 patients diagnosed with one of 18 cancers from 322 population-based registries in 71 countries. *The Lancet*, 391(10125), 1023-1075.

Kägi, W., Brugger, C., Bollag, Y., Frey, M., Möhr, T. (2020). Evaluation der Vergütung von Arzneimitteln im Einzelfall nach den Art. 71a–71d KVV. *BSS Volkswirtschaftliche Beratung et asim, Versicherungsmedizin*. Evaluation im Auftrag des Bundesamts für Gesundheit (résumé en français). Disponible en ligne à l'adresse : <https://www.bag.admin.ch/bag/fr/home/das-bag/publikationen/evaluationsberichte/evalber-kuv.html> (lien consulté le : 10.12.2021).

Ligue contre le cancer. (2020). Remboursement et accès aux médicaments. Disponible en ligne à l'adresse : <https://www.liguecancer.ch/conseil-et-soutien/professionnelsles/materiel-dinformation/remboursement-et-acces-aux-medicaments> (lien consulté le : 22.12.2021).

Office fédéral de la statistique OFS. (2021a). Cancer chez les enfants : nouveaux cas et décès. Disponible en ligne à l'adresse : <https://www.bfs.admin.ch/bfs/fr/home/statistiques/sante/etat-sante/maladies/cancer/chez-enfants.assetdetail.14816239.html> (lien consulté le : 10.12.2021).

Office fédéral de la statistique OFS. (2021b). Le cancer en Suisse, rapport 2021. Disponible en ligne à l'adresse : <https://www.bfs.admin.ch/bfs/fr/home/actualites/quoi-de-neuf.assetdetail.19305697.html> (lien consulté le : 17.12.2021).

Postulat 18.4098 du 25.10.2018, Commission de la sécurité sociale et de la santé publique du Conseil national (CSSS-N). Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer.

swissmedic. (2019a). Swissmedic et le parcours des produits thérapeutiques. Disponible en ligne à l'adresse : <https://www.swissmedic.ch/swissmedic/fr/home/notre-profil/swissmedic--institut-suisse-des-produits-therapeutiques/patients-et-utilisateurs.html> (lien consulté le : 22.12.2021).

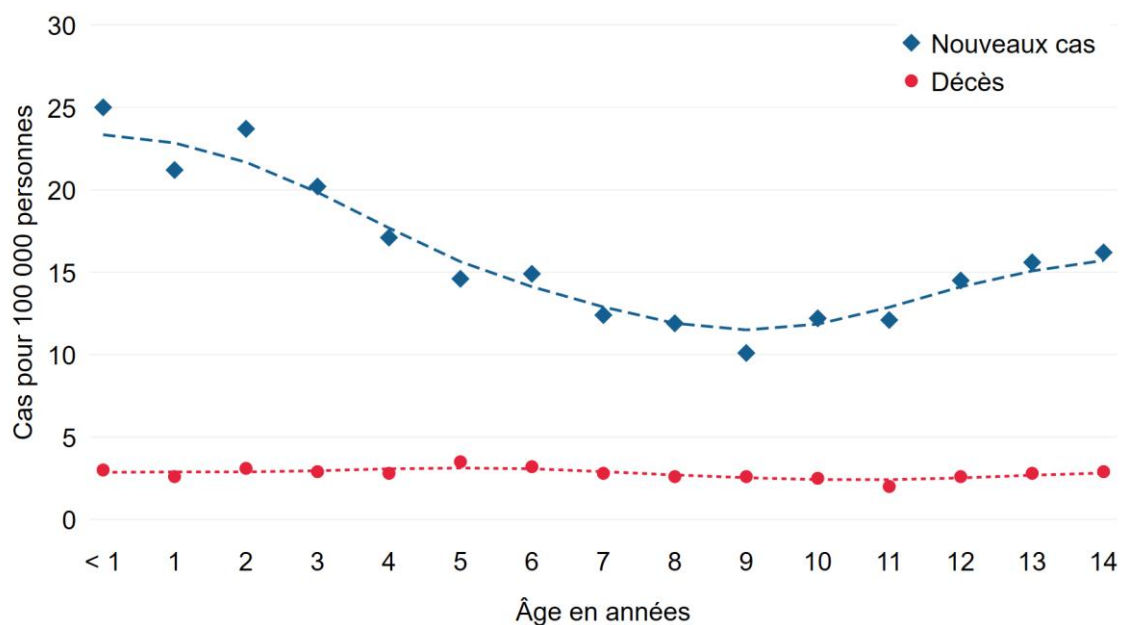
swissmedic. (2019b). Pédiatrie. Disponible en ligne à l'adresse : <https://www.swissmedic.ch/swissmedic/fr/home/medicaments-a-usage-humain/besondere-arzneimittelgruppen--ham-/pediatrie.html> (lien consulté le : 22.12.2021).

Annexe 1 : Questions du cahier des charges

Question	Réponse
Question 1 : Comment se déroule en oncologie pédiatrique la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers prévue aux art. 71a à 71d OAMal ?	chap. 5 et 6
Processus et procédures	chap. 4, 5.1, 5.2 et 6.1
À quelles vérifications procèdent les assureurs et comment prennent-ils leur décision sur les demandes de prise en charge de médicaments dans des cas particuliers en oncologie pédiatrique ?	chap. 5.1, 5.2, 6.1 et 6.3
Y a-t-il des différences entre la probabilité de prise en charge de médicaments utilisés en oncologie pédiatrique et celle d'autres thérapies, notamment celles à base de médicaments anticancéreux (év. établir une comparaison avec les données de l'évaluation déjà réalisée) ?	chap. 6.3
Y a-t-il des différences entre assureurs au niveau des processus et procédures, des évaluations et de la prise en charge, etc. ? Si oui, lesquelles ?	chap. 6.1 et 6.4.2
Égalité des droits, égalité de traitement et qualité de l'évaluation de l'utilité : <ul style="list-style-type: none"> - L'égalité d'accès aux thérapies est-elle garantie ? - L'évaluation et la prise en charge des coûts dans des cas particuliers ont-elles un caractère uniforme [entre assureurs-maladie et au sein d'un même assureur] ? - De nouveaux modèles sont-ils utilisés en vue d'une évaluation uniforme, par exemple le formulaire standardisé de demande de garantie de prise en charge des coûts (OLUtool), et sont-ils adéquats ? 	chap. 6.1, 6.3 et 6.4
Quelles sont les raisons à l'origine d'un refus (qualité des demandes, montant de la prise en charge, rapport coût-bénéfice, protocoles d'étude ou infirmités congénitales, etc.) ? Et un tel refus a-t-il pour effet de priver les patients de traitement ?	chap. 6.3
Question 2 : Y a-t-il un potentiel d'optimisation ? Si oui, dans quels domaines ?	chap. 7
Quelles mesures de mise en œuvre doivent-elles être poursuivies ou améliorées et de quelle manière ?	chap. 7
Quel besoin concret d'agir découle-t-il des réponses aux questions portant sur l'analyse de la situation pour : <ul style="list-style-type: none"> - la Confédération, soit l'OFSP (au niveau de la réglementation ou de la mise en œuvre) ? - les assurances ? - les fournisseurs de prestations ? - les titulaires d'autorisation ? 	chap. 7

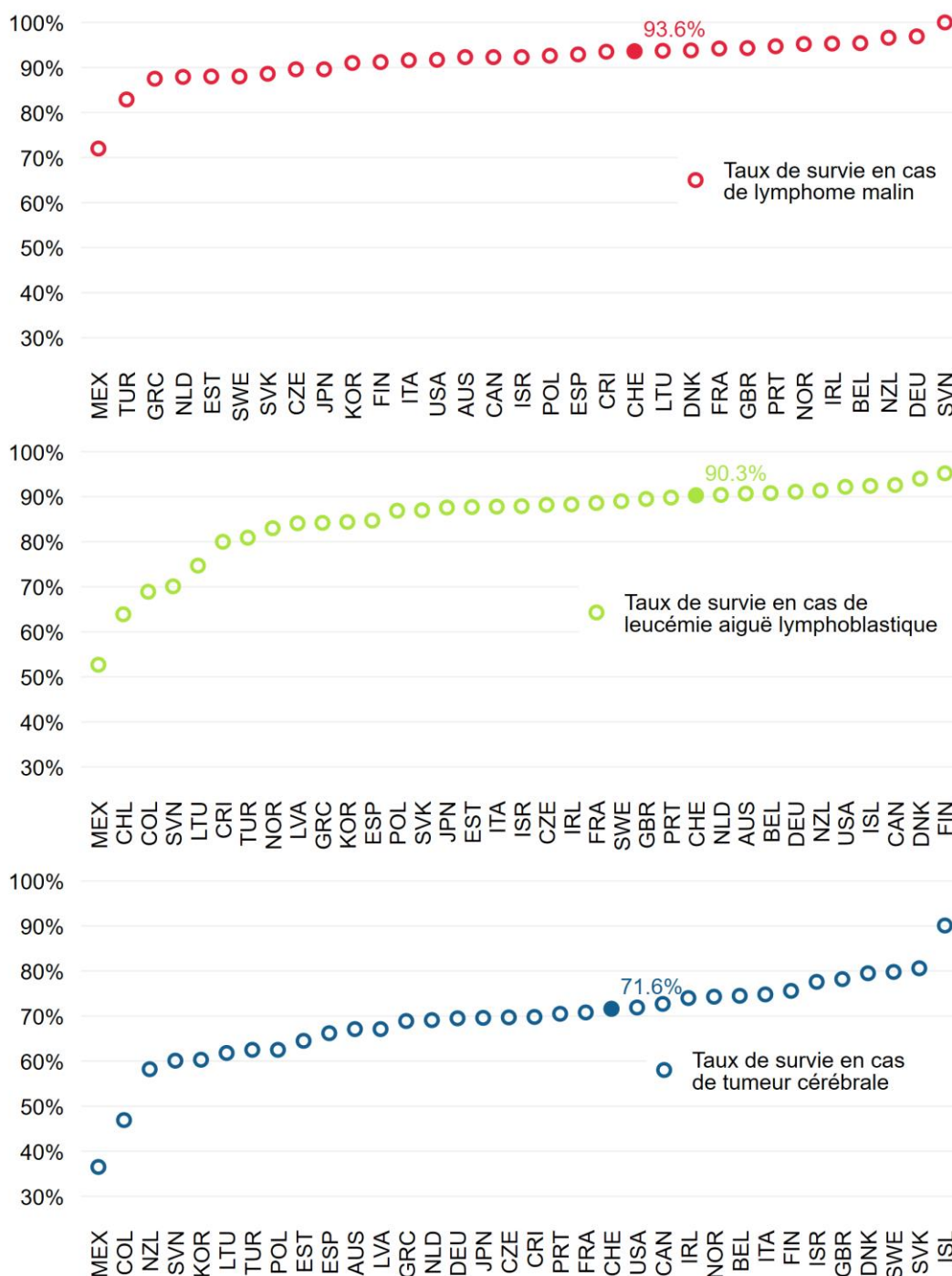
Annexe 2 : Compléments concernant l'oncologie pédiatrique en Suisse

Figure 8 : Nouveaux cas et décès du cancer de l'enfant, par âge



La figure montre le nombre moyen de nouveaux cas et de décès pour 100 000 enfants en Suisse. Elle se réfère aux années 1988 à 2017. Source : OFS (2021). Graphique réalisé par les auteurs.

Figure 9 : Taux de survie à 5 ans des enfants atteints du cancer, comparaison entre les pays de l'OCDE



Remarques : Graphique réalisé par les auteurs. Source : Allemani et al. (2018).

Annexe 3 : Discussions avec des professionnels

Les personnes indiquées ci-après ont participé aux discussions.

Nom	Fonction	Institution
D ^r Pierluigi Brazzola (2 entretiens)	Responsable de l'Unité de pédiatrie	Hôpital régional de Bellinzone
D ^r Nicolas Gerber	Chef de clinique avec fonction particulière en oncologie / neuro-oncologie, responsable du centre de recherche clinique Vice-président	Hôpital universitaire pour enfants de Zurich Groupe d'oncologie pédiatrique suisse (SPOG)
P ^r Jean-Pierre Bourquin	Responsable de l'Unité d'oncologie	Hôpital universitaire pour enfants de Zurich
P ^r Katrin Scheinemann	Cheffe de service de l'Unité d'oncologie et hématologie pédiatrique et de l'Unité de soins de jour Présidente	Hôpital cantonal d'Aarau Groupe d'oncologie pédiatrique suisse (SPOG)
P ^r Marc Ansari	Responsable de l'Unité d'oncologie et hématologie pédiatrique	Hôpitaux universitaires de Genève (HUG)
D ^r Fabienne Gumy Pause	Médecin-adjointe, Unité d'oncologie et hématologie pédiatrique	Hôpitaux universitaires de Genève (HUG)

