

**Avis n° 58 du 27 janvier 2014 relatif à la  
problématique du financement de  
médicaments onéreux**

# Résumé et recommandations<sup>1</sup>

Le présent texte et les recommandations qu'il fonde, ont été rédigés à la suite d'une série de questions sur le financement des médicaments onéreux, par exemple les médicaments orphelins. De fait, leur financement, de même que celui d'autres interventions coûteuses, soulèvent divers problèmes. Cet avis peut être utile dans l'application du Plan belge pour les maladies rares<sup>2</sup> et du projet de loi du 23 janvier 2014 portant des dispositions diverses en matière d'accessibilité aux soins de santé<sup>3</sup>, entre autres, en ce qui concerne le remboursement.

La première partie traite de ces demandes d'avis. Une série d'éléments contextuels sont examinés, tels que les inégalités sociales, le droit d'initiative de l'industrie pharmaceutique, le problème des incertitudes quant au rapport risque/bénéfice de médicaments (chers) et les responsabilités des prestataires de soins. Le sujet de l'avis, tel qu'il a été reformulé par le Comité, et sa finalité sont également abordés.

La deuxième partie s'intéresse brièvement aux mécanismes d'accès aux médicaments. Il s'agit en l'occurrence généralement de la réglementation classique dans laquelle, après l'octroi de l'autorisation de mise sur le marché (en général, dans le cadre d'une procédure centralisée auprès de la *European Medicines Agency*, EMA), la tarification et le remboursement (en Belgique, par l'INAMI) se déroulent au niveau de chaque pays. Ces médicaments sont également mis à disposition en dehors du circuit défini par la réglementation classique, par le biais d'essais cliniques, de programmes d'usage compassionnel (*compassionate use*) et de programmes médicaux d'urgence (*medical need*). En outre, une intervention du Fonds Spécial de Solidarité au sein de l'INAMI est possible, sans oublier les initiatives caritatives permanentes ou ponctuelles.

La troisième partie, après une courte présentation générale de la problématique, analyse *in extenso* une série d'aspects et de dimensions éthiques : les différentes théories de la justice (l'approche libertarienne, la perspective utilitariste, l'égalitarisme, l'approche par capacités, l'approche communautariste). Elle aborde plus en détail la problématique de la rareté, l'existence des possibilités exponentielles, la responsabilité professionnelle et déontologique et la médicalisation moderne. En effet, cette problématique doit toujours être placée dans une perspective éthique.

---

1 Dans le présent avis, on a choisi, par souci de lisibilité du texte, d'utiliser au masculin des termes généraux tels que « patient » ou « médecin », ainsi que les mots y renvoyant (articles, pronoms...). Il va de soi qu'ils désignent tant des hommes que des femmes.

2 [http://www.laurette-onkelinx.be/articles\\_docs/Plan\\_Belge\\_pour\\_les\\_maladies\\_rares.pdf](http://www.laurette-onkelinx.be/articles_docs/Plan_Belge_pour_les_maladies_rares.pdf)

Voir aussi <http://www.kbs-frb.be/publication.aspx?id=310000&langtype=2060>

3 *Doc. Parl.* 53K3260

<http://www.lachambre.be/kvvcr/showpage.cfm?section=/none&leftmenu=no&language=fr&cfm=/site/wwwcfm/flwb/flwb.cfm?lang=F&legislat=53&dossierID=3260>

La quatrième partie formule les recommandations qui sont énoncées sous une forme concise dans ce résumé.

### ***Recommandations***

En substance, les recommandations du Comité fonctionnent en tandem. Le premier volet du tandem comprend les critères à l'aide desquels *chaque* partie prenante ou *stakeholder* peut procéder à une analyse du problème justifiée sur le plan éthique. Le second volet comprend des considérations qui sont formulées au niveau de chaque partie prenante ou *stakeholder en particulier*.

#### Premier volet : le cadre

Le tableau 1 présente un cadre de **critères** formels et de contenu qui pourra servir de fil conducteur à chaque partie prenante ou *stakeholder* pour procéder à une **analyse** du problème, **justifiée sur le plan éthique**, et ce indépendamment du niveau (macro, méso ou micro) auquel cette partie prenante se situe.

| <b>Tableau 1 – Critères pour une décision équitable en matière d'utilisation, de financement et de remboursement d'interventions et de thérapies onéreuses</b>  |
|---|
| <ul style="list-style-type: none"><li>• <b><u>Critères formels</u></b> :<ul style="list-style-type: none"><li>○ <i>Collectivité</i><br/>La décision n'est pas purement individuelle, mais un processus parcouru en commun, évalué avec des experts</li><li>○ <i>Caractère raisonnable</i><br/>Une justification rationnelle est possible ; ce n'est pas une décision purement émotionnelle</li><li>○ <i>Pertinence</i><br/>Les motifs de la décision, ainsi que les procédures, sont pertinents</li><li>○ <i>Transparence</i><br/>Les décisions et procédures sont disponibles pour toutes les parties concernées et sont motivées</li><li>○ <i>Possibilité de recours</i><br/>Il est possible de déposer un recours à l'encontre de la décision et de revoir la décision à la lumière de nouveaux éléments de preuve ou de nouveaux arguments</li><li>○ <i>Critère global: caractère contraignant</i><br/>Ces critères formels ne sont pas facultatifs. Ils doivent être remplis pour pouvoir garantir une décision justifiée sur le plan éthique. Autrement dit, les personnes ou instances qui prennent la décision, en un mot les décideurs, doivent examiner chacun de ces critères et pouvoir y apporter une réponse.</li></ul></li></ul> |
| <ul style="list-style-type: none"><li>• <b><u>Critères de contenu</u></b></li></ul>   |

- *Problème de l'équité*  
Où dans la problématique concernée, le problème de l'équité se situe-t-il ? Où se situe la tension ?
- *Preuves*  
Qu'est-ce que l'efficacité ?
- *Coût*  
Quel est le rapport coût/bénéfice (*efficiency* ou *cost-effectiveness*) ?
- *Perspectives*  
Quel intérêt et quelle valeur ajoutée le résultat a-t-il pour le patient (utilité/futilité) ?

## Second volet : les recommandations concrètes

A côté de ce fil conducteur destiné à *toutes les parties prenantes*, le Comité émet les recommandations suivantes à l'adresse de *chaque partie prenante séparément*. Les diverses parties prenantes peuvent se situer à plusieurs niveaux (macro, méso, micro). Ces niveaux apparaissent à travers les recommandations parce que l'on a choisi de partir d'une réalité complexe, écheveau où s'entremêlent des parties prenantes qui s'influencent mutuellement.

### **1. La société**

Le Comité affirme que notre société a besoin d'un débat public sur la solidarité et conseille :

- de mieux informer le citoyen sur les raisons de défendre la solidarité, sur le fonctionnement du système, sur la manière dont les décisions sont prises, à quoi l'argent est consacré, et que l'argent est utilisé à bon escient : ce processus d'information doit se dérouler dans la plus grande transparence ;
- d'informer correctement le citoyen concernant les décisions sur des cas individuels faisant l'objet d'un débat public.

### **2. Les autorités**

Le Comité recommande aux autorités de s'attaquer structurellement à certains obstacles, comme :

- mettre systématiquement à l'ordre du jour la problématique des conflits et des conflits d'intérêts dans les organes consultatifs et décisionnels ;
- stimuler l'organisation d'essais cliniques et de programmes d'usage compassionnel (*Compassionate Use*) et de programmes médicaux d'urgence (*Medical Need*) ainsi que leur suivi;
- réclamer plus de transparence concernant les demandes déposées auprès de l'EMA en vue de l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché;
- chercher à simplifier et à accélérer les procédures tant pour les demandes de remboursement que pour les demandes adressées au Fonds Spécial de Solidarité; chercher à accroître la transparence de ces procédures et des décisions qui en découlent;

- harmoniser les différents maillons dans le processus global pour la mise à disposition de médicaments.

Le Comité fait remarquer à cet égard que les autorités ne peuvent pas faire peser sur les épaules du médecin-prescripteur la responsabilité de la prise de décisions difficiles. Dans ce contexte, il est clair que le prescripteur ne peut être le seul et unique garant du système, mais qu'il doit être conscient du coût d'opportunité de sa décision.

### **3. Les organismes assureurs**

Le Comité recommande que :

- les organismes assureurs (les mutualités) informent leurs membres et patients sur la nécessité de la solidarité, sur les coûts des soins à la société et à l'individu, sur la problématique du financement des médicaments onéreux en général, mais également appliquée à la situation particulière du patient. Le rôle des organismes assureurs en tant que représentants du patient est important, compte tenu en particulier qu'à ce stade, les patients ne sont pas impliqués dans le processus de décision de remboursement ; il est évident que les organismes assureurs ne doivent pas non plus perdre de vue l'intérêt général ;
- la transparence sur leur attitude est garantie.

### **4. L'industrie**

Le Comité est conscient que la réalisation de profits est un objectif raisonnable et acceptable pour l'industrie. Mais les firmes pharmaceutiques ne peuvent pas pour cela abuser de la réglementation ou influencer indûment l'opinion publique, les prestataires de soins et les autorités. A cet égard, la transparence sur leurs relations avec les associations de patients et avec les prestataires de soins est essentielle. La réalisation de bénéfices ne peut jamais se faire aux dépens des plus faibles de la société. Le Comité recommande également que les entreprises pharmaceutiques communiquent d'une façon claire et transparente à propos des coûts de leurs médicaments, que beaucoup jugent trop élevés.

### **5. Le prescripteur**

Le Comité présuppose que le médecin doit s'engager à donner à son patient le meilleur traitement possible dans l'état actuel de la science. Cela implique qu'il doit être au courant des preuves et des incertitudes relatives à l'efficacité et les risques du médicament ou du traitement. Il peut en évaluer la valeur ajoutée et informer correctement son patient en se basant sur ces informations.

Le médecin doit aussi être au fait des mécanismes et procédures existants en matière de financement des interventions onéreuses, entre autres le remboursement. Il s'ensuit qu'il doit recueillir les renseignements nécessaires auprès du service social de l'hôpital, de l'organisme assureur (la mutualité) du patient, de l'INAMI, etc... afin de se faire une idée précise des possibilités et procédures existantes et de pouvoir informer le patient du risque de devoir intervenir lui-même financièrement.

Le Comité estime toutefois que le médecin ne peut pas limiter son rôle au traitement de son patient. Le médecin ne peut compromettre la relation de confiance qu'il a avec son patient, et doit donc continuer à s'engager en faveur de son patient, mais en même temps, il doit aussi pouvoir toujours être à même de justifier cet engagement ou sa décision à l'égard de

l'ensemble de la société. Il lui incombe donc aussi de s'interroger sur son rôle envers la société, et ce concernant le coût d'opportunité. Comme cela a déjà été mentionné, cela ne signifie toutefois pas que les autorités doivent faire peser sur les épaules du médecin-prescripteur la responsabilité de la prise de décisions difficiles.

Le Comité recommande au médecin le modèle de *duty to inform* (devoir d'informer), assorti du principe de proportionnalité raisonnable. Cela signifie qu'il inscrit son analyse dans un **contexte clinique prévenant et de qualité** afin de parvenir, **avec le patient**, à un **processus de prise de décision partagée** (*shared decision making*).

Cela implique

- que le médecin informe le patient de manière prévenante, en toute connaissance et en toute honnêteté
  - sur les possibilités médicales et thérapeutiques existantes;
  - sur le niveau de preuve et le degré d'efficacité du traitement;
  - sur ce que le patient peut attendre concrètement du traitement;
  - sur le coût et le financement du traitement (Combien coûte-t-il ? Est-il remboursé ou pas, ou seulement partiellement ?) ;
  - sur le parcours à suivre à cet égard (mécanismes et procédures de financement; réflexion sur le risque que le patient est prêt à prendre s'il devait supporter le coût lui-même; informations sur le risque que l'hôpital est prêt à prendre pour assumer le coût, etc...).
- que les informations sont **correctes, réalistes et fournies dans un contexte empathique** compte tenu d'un **timing correct et raisonnable** au sein du processus. Cela implique

- que le médecin consacre suffisamment de temps à cette discussion;
- que le volume d'information fourni est proportionnel à la faculté de compréhension (tant intellectuelle qu'émotionnelle) du patient;
- qu'au besoin, la discussion peut être répétée;
- que l'on peut décider ensemble dans un climat serein.

De cette façon, on peut espérer parvenir à une vraie décision partagée (*shared decision*) entre le médecin-prescripteur et le patient.

## 6. L'hôpital

Le Comité recommande qu'il y ait une concertation au sein de l'hôpital entre les **partenaires** : la direction de l'hôpital, les prestataires de soins, le Comité d'éthique médicale ou une commission spécifique d'experts, le Service Social, un éventuel Fonds interne pour financement alternatif.

Les rôles et responsabilités de l'hôpital s'énoncent comme suit :

- l'hôpital doit avoir soigneusement défini une politique sur l'ensemble de la problématique des interventions onéreuses et sur l'approche des cas individuels ;
- toutes les personnes concernées doivent être informées de cette politique ;

- les prestataires de soins doivent pouvoir accéder à tout moment à ces informations et pouvoir se concerter avec les responsables et avec les partenaires susmentionnés.

Selon la loi relative aux droits des patients, il est obligatoire d'informer le patient des coûts qu'il pourrait être amené à supporter. Mais il est contestable sur le plan éthique de lui faire signer un engagement de paiement : on ne peut pas mettre le patient ou ses représentants « au pied du mur », surtout dans les situations d'urgence. Il est évident qu'il faut se soucier de l'impact émotionnel que peut avoir l'entretien mené à ce sujet avec le patient ou sa famille.

Le Comité conseille donc aux hôpitaux de pratiquer une culture active de la concertation et de mener une politique de transparence de l'information, inspirée par une culture des soins étayée par des règles éthiques.

## **7. Le patient, sa famille et les associations de patients**

Le rôle du patient et de son entourage se situe à trois niveaux différents.

- Tout d'abord, le patient qui est atteint d'une maladie grave, souvent potentiellement fatale, et qui, de ce fait, est éminemment vulnérable, est en relation, lui et son entourage, avec le médecin. Dans une telle situation, pour être à même de prendre une décision libre et éclairée, il faut que :
  - la décision ne soit pas dictée par des attentes erronées, très élevées ou irréelles (espoir irréaliste);
  - la décision ne soit pas prise sous la pression (par exemple de la famille ou du médecin);
  - dans la mesure du possible, les émotions n'interfèrent pas avec la prise de décision (p. ex., chagrin, angoisse).

Les associations de patients peuvent procurer un soutien important en la matière, mais elles doivent aussi veiller à leur propre crédibilité en faisant preuve de transparence quant à leurs relations avec l'industrie pharmaceutique.

- Au niveau des hôpitaux où les patients sont traités, l'apport de patients et d'associations de patients peut améliorer l'organisation des soins. Les patients peuvent aussi prêter leur concours à la mise sur pied et à l'élaboration d'essais cliniques.
- S'agissant des discussions sur la politique générale des soins de santé, on ne peut que recommander de favoriser la participation des patients.

Le Comité souligne le fait que les patients, leur famille et les associations de patients doivent comprendre et accepter qu'il y a des limites aux possibilités de traitement et de financement.



## 8. Les médias

Les médias ont un rôle important dans la sensibilisation de l'opinion publique sur la nécessité de la solidarité. L'information sur ce thème, ainsi que sur la problématique des patients individuels, doit être scientifiquement fondée ; à cet égard, l'information ne saurait se borner à attirer l'attention sur des cas individuels. Le journalisme à sensation n'est pas défendable au regard de l'éthique : les manchettes racoleuses peuvent susciter de faux espoirs. Les informations diffusées sur ces sujets devraient être prudentes, exactes et sobres.

# Contenu

|   |           |
|---|-----------|
| <b>A. Partie 1: Introduction</b>  | <b>12</b> |
| A.1. Saisine  | 12        |
| A.2. Contexte   | 15        |
| A.2.1. La problématique de l'inégalité  | 15        |
| A.2.2. Le rôle de l'industrie pharmaceutique  | 17        |
| A.2.3. Le facteur d'incertitude   | 18        |
| A.2.4. Les responsabilités des prestataires de soins  | 19        |
| A.3. Sujet de l'avis tel que reformulé, et objectif de l'avis   | 22        |
| <b>B. Partie 2: Mécanismes d'accès</b>  | <b>23</b> |
| B.1. La réglementation classique  | 23        |
| B.1.1. Autorisation de mise sur le marché   | 23        |
| B.1.2. Fixation du prix   | 24        |
| B.1.3. Remboursement  | 24        |
| B.2. Accès hors de la réglementation classique  | 28        |
| B.2.1. Contribution propre du patient   | 28        |
| B.2.2. Essais cliniques   | 28        |
| B.2.3. Programmes d'usage compassionnel ( <i>Compassionate Use</i> ) et programmes médicaux d'urgence ( <i>Medical Need</i> ) | 29        |
| B.2.4. Fonds Spécial de Solidarité  | 31        |
| B.2.5. Initiatives volontaires  | 32        |
| <b>C. Partie 3: Considérations éthiques</b>   | <b>33</b> |
| C.1. Aspects et dimensions éthiques   | 33        |
| C.1.1. Théories de la justice   | 33        |
| C.1.1.1. L'approche libertarienne   | 37        |
| C.1.1.2. La perspective utilitariste  | 38        |
| C.1.1.3. L'égalitarisme   | 40        |
| C.1.1.4. L'approche par capacités ( <i>capabilities approach</i> )  | 47        |
| C.1.1.5. L'approche communautariste   | 51        |
| C.1.2. Rareté   | 53        |
| C.1.3. Possibilités exponentielles  | 54        |
| C.1.4. Responsabilité professionnelle et déontologique  | 55        |
| C.1.5. Optimisme et foi dans le progrès   | 55        |
| C.2. Concepts et critères essentiels  | 57        |
| C.3. Évaluation   | 58        |

|   |           |
|---|-----------|
| <b>D. Partie 4 : Recommandations aux parties prenantes</b>  | <b>60</b> |
| D.1. La société   | 60        |
| D.2. Les autorités  | 61        |
| D.3. Les organismes assureurs                               | 64        |
| D.4. L'industrie  | 65        |
| D.5. Le prescripteur  | 66        |
| D.6. L'hôpital  | 68        |
| D.7. Le patient et sa famille, les associations de patients | 69        |
| D.8. Les médias   | 71        |
| Références  | 73        |

# A. Partie 1: Introduction

Le texte qui suit

- commente les demandes d'avis (A.1.)
- esquisse le contexte complexe de la problématique (A.2.)
- reformule l'objet et le but du présent avis (A.3)

## A.1. Saisine

Le 12 mai 2008, le Comité a reçu une demande d'avis de M. Martin Hiele, membre du Comité, concernant la problématique du remboursement des médicaments orphelins très coûteux.

*“Les médias ont récemment reparlé de la problématique du remboursement des médicaments orphelins [...] en rapport avec le coût d'une série de traitements onéreux pour les maladies rares graves. Manifestement, la discussion de cette problématique a déjà été menée sur plusieurs terrains.*

*Ne pourrait-il pas être intéressant de la mettre en lumière du point de vue du Comité consultatif de Bioéthique?”*

Suite à cette question, en collaboration avec le Fonds Maladies rares et médicaments orphelins au sein de la Fondation Roi Baudouin et avec RaDiOrg (*Rare Diseases Organisation*), un symposium a été organisé le 22 février 2011 sur les aspects sociétaux et éthiques des soins relatifs aux maladies rares. Pour le Fonds, ce symposium cadrait avec sa tâche consistant à élaborer une proposition pour un Plan belge pour les Maladies rares<sup>4</sup>. L'Union européenne a en effet demandé à tous les États membres d'élaborer un plan de ce type, avec des mesures destinées à faciliter le traitement des maladies rares, notamment à l'aide de médicaments orphelins.

Le 17 mars 2011, le Comité a reçu la demande suivante de M. Marc Bogaert, membre du Comité.

*“Comme vous le savez, les médicaments innovants (et notamment les médicaments orphelins) sont très coûteux et généralement inabordables pour le patient. Heureusement, il existe une série de mécanismes qui lui permettent malgré tout d'accéder à ces médicaments coûteux, par exemple, par le biais de remboursement via les procédures normales de l'INAMI, d'études cliniques, des programmes d'usage compassionnel et des programmes médicaux d'urgence, ou le Fonds Spécial de Solidarité.*

---

4 Voir notamment le site web du Fonds Maladies rares et médicaments orphelins:  
<http://www.kbs-frb.be/fund.aspx?id=293667&langtype=2060>

*Mais il arrive que ce ne soit pas le cas, par exemple, avant que le remboursement ne soit réglé, en cas de décision négative quant au remboursement, ou s'il s'agit d'indications qui tombent en-dehors des critères de l'INAMI. On ignore si une intervention du Fonds Spécial de Solidarité sera autorisée dans de tels cas de figure.*

*Souvent, dans des situations aiguës, on ne peut pas attendre pour administrer le médicament d'avoir la certitude d'une possible intervention du Fonds Spécial de Solidarité, par exemple. À ce moment, se pose la question de savoir qui prendra le paiement en charge si, par exemple, le Fonds Spécial de Solidarité refuse d'intervenir, ou si aucune solution n'est trouvée avec l'entreprise qui commercialise le traitement.*

*Confrontés à ce genre de situation, certains hôpitaux demandent au patient ou à sa famille de signer un « engagement de paiement » qui consiste à informer le patient ou sa famille du fait qu'il n'y a pas de remboursement, et à lui communiquer le montant estimé. On demande au patient ou à sa famille de s'engager à verser cette somme (estimée) s'il s'avère par la suite que l'intervention par le Fonds Spécial de Solidarité n'est pas autorisée.*

*Mais cela soulève d'importantes questions éthiques. Les sommes dont il s'agit sont souvent très élevées, et certainement inaccessibles à la plupart des patients ou de leur famille. Toutefois, le médecin traitant constate – souvent à juste titre – que le traitement en question reste la meilleure solution pour le problème. Quels parents pourraient alors refuser de signer, privant ainsi leur enfant de la chance d'un traitement.*

*On place donc le patient ou sa famille devant une tâche impossible. Le médecin se trouve également dans une position intenable car si le patient ou sa famille refusent de s'engager à payer, cela signifie qu'il doit alors accepter de traiter son patient d'une manière qui n'est pas optimale.*

*À mon sens, cet engagement de paiement n'est pas acceptable du point de vue éthique, mais j'aimerais connaître l'avis d'éthiciens et autres membres du Comité consultatif à ce sujet.”*

Suite à ces questions, il a été décidé d'émettre un avis concernant la problématique du financement de médicaments onéreux. Le présent avis a pour objectif de réfléchir aux aspects éthiques de l'accès aux médicaments onéreux et du financement de ceux-ci, et d'informer toutes les parties prenantes à ce sujet. On remarquera dans ce cadre que le problème posé ici pour les médicaments coûteux s'applique également *mutatis mutandis* à toutes les interventions coûteuses, e.a. aux dispositifs médicaux. Soulignons que les besoins du patient à envisager ne se limitent pas à des « soins de santé » au sens strict ; les soins à domicile, les déplacements etc. sont également importants.

Le rôle et les perspectives des parties prenantes sont codéterminés par le niveau qu'elles occupent. Ainsi, les citoyens comme membres de la société, et les autorités occupent plutôt un niveau macro ; ceux qui codéterminent la politique ou conseillent les autorités, les organismes assureurs, les hôpitaux et les associations de patients occupent un niveau méso ; le patient présentant une affection ne pouvant être soignée que par un médicament très chère se trouve plutôt au niveau micro. Les responsabilités du médecin dépendent elles aussi du niveau auquel il agit : le médecin traitant comme prescripteur et comme investigateur (micro), le médecin-conseil d'un organisme assureur ou le médecin comme membre d'une commission qui émet des conseils en matière de politique (méso),... Les diverses parties prenantes peuvent donc se situer à plusieurs niveaux, mais ces niveaux sont tous étroitement intriqués dans cette problématique.

Le présent avis traite donc d'une réalité complexe, un écheveau d'acteurs ou de parties prenantes qui s'influencent mutuellement. Il conjugue plusieurs niveaux ou perspectives.

## A.2. Contexte

La problématique éthique du financement des médicaments coûteux se situe dans un contexte complexe, composé d'une combinaison de questions d'éthique fondamentale et de problèmes factuels. Dans la suite du texte, nous expliquons brièvement :

- A.2.1. la problématique de l'inégalité ;
- A.2.2. le rôle de l'industrie pharmaceutique;
- A.2.3. le facteur d'incertitude;
- A.2.4. les responsabilités des prestataires de soins.

### A.2.1. La problématique de l'inégalité

Dans le Règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins qui sont en règle générale très coûteux, il est dit qu' *"il importe que les patients souffrant d'affections rares puissent bénéficier de la même qualité de traitement que les autres"*.

Certains patients peuvent mieux que d'autres se permettre de payer eux-mêmes un traitement cher, coûtant, par exemple, 10.000 €. Tout le monde ne se trouve pas non plus dans les circonstances de pouvoir souscrire une assurance hospitalisation (chère) : ces assurances varient par ailleurs énormément dans ce qu'elles couvrent (limites d'âge, ampleur de la couverture, franchise...). Une telle inégalité est susceptible de créer une médecine à deux vitesses. Ceci implique qu'étant donné le coût élevé, la société doit intervenir en tout ou en partie dans de nombreux cas. Ainsi, se pose la question s'il est désirable que la société intervienne pour que chacun ait accès aux thérapies très coûteuses même si leur valeur exacte n'est souvent pas connue.

Essentiellement, la problématique revient à ceci : qu'est-ce qu'implique le droit aux soins de santé, et quel rôle des facteurs comme p. ex. l'âge, la gravité de l'affection, la prévalence, le coût, les preuves, jouent-ils dans la détermination de ce droit?

Quels principes suivons-nous dans ce contexte? Quelles priorités posons-nous? Est-il opportun de rembourser à des patients n'ayant qu'une espérance de vie réduite des traitements coûteux, sauf s'ils sont utilisés comme mesure palliative ? Un patient présentant une affection grave ou rare, a-t-il les mêmes droits ou plus de droits qu'un autre patient? Devons-nous financer collectivement les traitements coûteux et laisser les patients payer eux-mêmes ceux qui sont meilleur marché? Ou devons-nous faire en sorte que davantage de gens souffrant de problèmes fréquents puissent être aidés à moindres frais ? Autrement dit, devons-nous opter pour le principe de 'peu pour beaucoup' (par exemple, remboursement de médicaments bon marché, avec intervention financière du patient) ou, au contraire, de 'beaucoup pour peu' (par exemple, rembourser intégralement des interventions

très onéreuses comme des médicaments coûteux, des défibrillateurs implantables et des transcatheter implantations de valve aortique) ?



Bien souvent, des médicaments coûteux sont utilisés pour traiter des affections rares. La mise à disposition (ici, le financement), de ces médicaments pose la question du rôle de la rareté. La discussion concernant ce concept prendra encore plus d'importance avec l'arrivée de la médecine personnalisée, autrement dit une approche tenant compte des caractéristiques individuelles (entre autres, génétiques) du patient. On peut en effet s'attendre à ce qu'un meilleur diagnostic des sous-groupes d'affections, peut-être même au niveau de l'individu, mène au développement systématique de traitements spécifiques. Là où il existait par exemple un seul traitement pour le cancer du sein, on en compte aujourd'hui plusieurs en fonction du sous-type de tumeur. On peut s'attendre à ce que ce phénomène se reproduise dans toutes les branches de la médecine, avec, pour conséquence, une hausse considérable du coût de ces médicaments.

Concrètement, nous nous trouvons dans un champ de tension entre les progrès de la science médicale et les possibilités diagnostiques et thérapeutiques qu'elle permet d'une part, et la possibilité pour le système de sécurité sociale de rester abordable de l'autre. Des éléments comme la surconsommation, l'acharnement thérapeutique et le coût élevé durant les derniers mois de vie, jouent un rôle dans ce cadre. Pouvons-nous fournir à chacun(e) un accès égal à ce dont il ou elle a besoin, considérant les immenses progrès des possibilités diagnostiques et thérapeutiques ?

Enfin, il faut mentionner le lien fondamental entre l'inégalité socio-économique et l'inégalité sur le plan de la santé : ainsi par exemple, l'espérance de vie (tant en termes absolus qu'en termes de qualité de vie) de personnes issues de classes socio-économiques plus basses est notablement moindre<sup>5</sup>.

## A.2.2. Le rôle de l'industrie pharmaceutique

Les sociétés pharmaceutiques, comme les autres entreprises, sont motivées par des considérations commerciales pour prendre des décisions portant sur le type de médicaments à développer, le marché où les commercialiser, les indications pour lesquelles il convient ou non de demander une autorisation, le prix à demander, le retrait d'un médicament du marché parce qu'il n'est plus intéressant commercialement, etc.

Les entreprises disposent d'un droit d'initiative dans de telles questions.

Pour la demande de remboursement auprès de l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI) (voir B.1.3.) et la mise sur pied de programmes d'usage compassionnel et les programmes médicaux d'urgence (voir B.2.3.), le droit d'initiative revient également à l'industrie.

---

5 Voir <http://www4.vlaanderen.be/dar/svr/afbeeldingennieuwtjes/gezondheid/bijlagen/2013-03-11-webartikel2013-2-gezondheidszorg.pdf>

Dans ce contexte, les objectifs principaux des parties ne vont pas nécessairement dans le même sens. Le médecin (et la société) veulent traiter le patient de manière régulière et financièrement acceptable/réaliste; l'industrie pharmaceutique cherche à développer un médicament rentable et à en demander un prix élevé (voir B.1.2.).

Le coût élevé de certains médicaments onéreux, par exemple, des médicaments orphelins, se justifie avant tout par le petit nombre de patients qui l'utiliseront ; par ailleurs, le développement et la production peuvent coûter très cher.

L'industrie a un intérêt d'influencer les organes décisionnels et le médecin prescripteur en organisant les études cliniques d'une certaine manière, et en présentant de manière aussi favorable que possible, le rapport risque/bénéfice de son médicament. Elle a en outre un intérêt d'encourager par la publicité et des incitants, la consommation au niveau des établissements de soins, des médecins prescripteurs, des pharmaciens et des patients (et leurs associations).

### A.2.3. Le facteur d'incertitude

A chaque décision concernant l'autorisation de mise sur le marché et de remboursement, et lorsqu'un médecin décide de prescrire ou non un médicament coûteux, il faut tenir compte du facteur d'incertitude. Au moment où les autorités, mais aussi le médecin-prescripteur, prennent des décisions, les preuves, c'est-à-dire les éléments qui permettent d'évaluer le rapport risque/bénéfice, sont en effet souvent limitées. En effet, même dans le développement clinique correct d'un médicament, les nombres de patients étudiés dans les essais cliniques<sup>6</sup> pré-commercialisation sont relativement réduits, la durée d'exposition est limitée, et il y a des critères d'inclusion et d'exclusion stricts (*efficacy*). De ce fait, il est difficile d'extrapoler au niveau du patient dans la pratique. Il faut bien entendu s'efforcer, par des études post-commercialisation (phase 4), d'évaluer la valeur du médicament pour le patient moyen dans la pratique quotidienne (*effectiveness*), mais là aussi, il est rare que l'on obtienne une certitude. En général, on ne dispose pas non plus de certitudes sur l'efficience ou *efficiency* (synonyme *cost-effectiveness*, c'est-à-dire, le rapport entre le coût et le résultat ou le rapport coût/bénéfice). Le problème est qu'on ne peut mesurer cet *efficiency* que par approximation : il est en effet très difficile d'évaluer le bénéfice en termes de santé mais aussi le coût (coûts directs comme le coût du médicament et, le cas échéant, de son administration, la nécessité d'un suivi, et coûts indirects comme la nécessité d'une hospitalisation, la possibilité de reprendre son travail). Un traitement peut être efficace, mais trop coûteux au vu de ses résultats.

---

6 Les quatre phases successives d'un essai clinique ou d'une « expérimentation biomédicale portant sur des substances potentiellement médicamenteuses » sont décrites dans le rapport introductif (B. Définitions) à l'avis n° 13 du 9 juillet 2001 relatif aux expérimentations sur l'homme, voir [www.health.belgium.be/bioeth](http://www.health.belgium.be/bioeth) (rubrique 'avis').

On notera aussi que les résultats des études portent toujours sur des moyennes collectives (par exemple, traités vs. non traités). Ceci implique qu'un effet modéré moyen (qui ne permet, par exemple, pas d'attribuer l'autorisation de mise sur le marché) n'exclut pas que certains patients ayant participé aux études en aient effectivement bénéficié. D'autre part, même quand une amélioration moyenne convaincante et statistiquement concluante a été constatée dans le cadre d'une étude, on trouve aussi certains patients à qui l'intervention faisant l'objet de l'étude n'a apporté aucun bénéfice. Souvent, surtout au moment de prendre une décision, on manque aussi d'études comparant le produit à des traitements existants (*comparative effectiveness studies*).

Si ces considérations s'appliquent aux affections fréquentes, le facteur d'incertitude pèse encore plus lourd pour les maladies rares et les médicaments orphelins (au vu du nombre réduit de patients disponibles pour les études), et dans les discussions portant sur l'enregistrement et le remboursement des médicaments orphelins, ainsi que dans leur prescription, il faut souvent se contenter de données très limitées.

#### A.2.4. Les responsabilités des prestataires de soins

Pour certains médicaments ou traitements, il n'existe, donc, au moment où ils sont nécessaires, aucune certitude quant à leur remboursement ou financement. C'est d'autant plus vrai pour les médicaments non (encore) remboursés ou les médicaments utilisés hors des critères de remboursement de l'INAMI. Parfois, le médicament que l'on souhaite utiliser ne fait même pas l'objet d'une autorisation, ou s'il en possède une, ce n'est pas pour l'indication pour laquelle on souhaite l'utiliser.

Au sein des hôpitaux, les comités comme le comité d'éthique médicale, le comité médico-pharmaceutique, le comité matériel médical, ... reçoivent régulièrement des demandes d'avis concernant de tels médicaments (et de matériel et d'autres interventions) coûteux pour lesquels le remboursement ou d'autres sources de financement ne sont pas déterminés et pour lesquels le patient ou l'établissement de soins devrait payer une participation substantielle. Dans certains cas, cette situation peut causer des problèmes financiers au patient, ou empêcher l'application d'un traitement coûteux. Cet état de fait place les hôpitaux, les services cliniques et les médecins prescripteurs face à l'important défi de gérer ces aspects de manière responsable, médicalement et éthiquement parlant. Les responsabilités liées à l'utilisation de traitements coûteux incombent en partie aux prescripteurs, en partie aux services médicaux et en partie à l'hôpital. Comment ces responsabilités doivent-elles être assumées? Les questions suivantes clarifient cette problématique.

- Si un médecin estime en son âme et conscience qu'un médicament onéreux est nécessaire pour le patient, qu'il n'y a pas d'alternative, et qu'aucune intervention financière de la société n'est prévue, il se trouve face à un dilemme déontologique

(Garbutt & Davies 2011). On peut espérer qu'une intervention du *Fonds Spécial de Solidarité* (voir B.2.4.) ou un geste de l'entreprise qui commercialise le traitement (voir B.2.3.) s'avèrera possible. Mais qui doit supporter les frais si ce n'est pas le cas : le patient, le service du médecin traitant, la pharmacie de l'hôpital, l'hôpital, ...?

- Dans ce cadre, il faut aussi se demander si le médecin doit informer (*duty to inform*) le patient de l'existence d'une intervention dont il estime qu'elle est utile, mais craint que le financement risque de ne pas être disponible et que les coûts sont tellement élevés que le patient ne peut pas les assumer par lui-même. Une étude récente, effectuée au Royaume-Uni et sondant l'avis des citoyens ainsi que des patients sur des traitements anticancéreux coûteux, a permis de constater que la majorité des sondés, citoyens ou patients, souhaitaient être informés sur *tous* les traitements anticancéreux existants, même ceux qui n'étaient pas remboursés par le *National Health Service* (NHS) (Jenkins *et al* 2011).
- Question corollaire : un médecin doit-il informer son patient au sujet d'une thérapie *s'il n'est pas convaincu de son efficacité*? Un patient peut-il faire valoir une plainte à l'encontre de son médecin s'il apprend plus tard, par une autre voie, par exemple, par internet, l'existence de cette thérapie?
- Comment le médecin doit-il réagir lorsqu'un patient "exige" un nouveau médicament dont il a appris l'existence par internet ou les médias, alors que son efficacité n'est pas clairement établie ?
- Dans quelle mesure est-il éthiquement acceptable que le devoir d'informer du prix à escompter (comme l'impose la loi sur les droits du patient<sup>7</sup>) s'accompagne d'une demande, de la part de l'hôpital, de signer un engagement de paiement? Le document, qui porte souvent le nom d'engagement de paiement, informe le patient ou son représentant du coût, comme le prévoit la loi sur le droit des patients, ainsi que du fait qu'il n'y a pas de certitude quant à son remboursement ou autre source de financement. En signant un 'document de paiement', le patient ou son représentant confirme avoir été informé, et qu'il est disposé à payer. Néanmoins, ce mécanisme d'engagement de paiement ne résout pas la problématique éthique liée aux traitements coûteux ; au contraire, il pose en soi un problème éthique.

Dans ce contexte sommaire, nous avons donné un bref aperçu de la complexité de la problématique et de l'intrication des questions d'éthique fondamentale avec les problèmes

---

7 Art. 8. [...] § 2. Les informations fournies au patient, en vue de la manifestation de son consentement visé au § 1er, concernent l'objectif, la nature, le degré d'urgence, la durée, la fréquence, les contre-indications, effets secondaires et risques inhérents à l'intervention et pertinents pour le patient, les soins de suivi, les alternatives possibles et les **répercussions financières**. Elles concernent en outre les conséquences possibles en cas de refus ou de retrait du consentement, et les autres précisions jugées souhaitables par le patient ou le praticien professionnel, le cas échéant en ce compris les dispositions légales devant être respectées en ce qui concerne une intervention.

factuels, aux niveaux macro, méso et micro. La diversité et le caractère complexe d'intrication des diverses parties prenantes ressort dans cette problématique. Dans le chapitre suivant, nous rassemblerons ces points dans l'objet et l'objectif de l'avis.

## A.3. Sujet de l'avis tel que reformulé, et objectif de l'avis

Sur base des discussions préliminaires, le Comité a reformulé comme suit la problématique concernant l'accès aux médicaments onéreux.

- *Un accès inégal aux traitements très coûteux est-il éthiquement acceptable, par exemple, parce qu'ils ne sont pas (encore) remboursés ni disponibles par le biais d'un programme de 'Compassionate Use' ou de 'Medical Need', et qu'il n'y a pas de certitude quant à l'intervention du Fonds Spécial de Solidarité? Autrement dit, est-il éthiquement acceptable que dans les discussions portant sur l'intervention de la société, cette dernière (via les autorités) décide de ne pas mettre à disposition certains traitements estimés indispensables pour des motifs purement financiers? Quels sont, du point de vue éthique, les éléments à prendre en considération dans cette problématique?*
- *Comment patients, médecins, hôpitaux et société (l'INAMI, les mutualités, les autorités, les associations de patients, les citoyens) doivent-ils gérer cette problématique si – comme il est souvent le cas – le patient ne peut assurer lui-même ses frais de santé? Est-il éthiquement acceptable qu'un médecin n'informe pas son patient au sujet d'un traitement efficace mais vraisemblablement inabordable? Est-il éthiquement acceptable de présenter au patient ou à son représentant un engagement de paiement à signer avant de commencer le traitement : comment envisager cette question dans le cadre de la loi relative aux droits du patient, qui stipule que les patients doivent être informés d'avance du prix (estimé) du traitement?*

L'objectif et l'intention de ce texte sont triples.

1. Informer toutes les parties prenantes de la manière dont les médicaments coûteux peuvent être mis à disposition d'une façon financièrement acceptable (structures, mécanismes et fonds).
2. Eclaircir les aspects éthiques de la problématique des traitements très coûteux qui ne sont pas (encore) repris dans le système collectif de remboursement et ne seront pas non plus couverts avec certitude par d'autres mécanismes.
3. Présenter les responsabilités et rôles des parties prenantes, d'un point de vue éthique.

## B. Partie 2: Mécanismes d'accès

Nous distinguons les mécanismes d'accès prévus dans la réglementation classique (B.1.) et les autres possibilités d'accès (B.2.).

### B.1. La réglementation classique

Nous commençons par dépeindre quelques aspects de la réglementation en matière de médicaments, et les mécanismes et procédures existants en la matière<sup>8</sup>.

#### B.1.1. Autorisation de mise sur le marché

Un médicament ne peut être mis sur le marché que s'il a fait l'objet d'une autorisation de mise sur le marché (enregistrement ou *marketing authorisation*) délivrée soit par le ministre belge qui a la Santé Publique dans ses compétences, soit (dans la plupart des cas) par la Commission européenne. Cette autorisation n'est délivrée qu'après des tests intensifs, e.a. des essais cliniques sur la personne humaine (voir B.2.2.). L'*European Medicines Agency* (EMA) ou la structure nationale évalue dans quelle mesure le rapport risque/bénéfice est acceptable. Pour l'octroi de l'autorisation, il ne faut ni soumettre des études comparatives, ni référer aux possibilités thérapeutiques existantes, ni apporter la preuve de la valeur ajoutée du nouveau médicament. L'EMA ou la structure nationale, en Belgique, l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé, ne s'occupe pas des aspects sociaux de l'utilisation d'un médicament, comme le coût, l'intervention de la société, etc. : ces aspects relèvent de la responsabilité de l'autorité en charge du remboursement dans chaque Etat-membre. L'octroi d'une autorisation demande du temps, et même en cas de décision positive, le médicament reste souvent indisponible ou difficile d'accès jusqu'à ce que le remboursement soit accordé.

Pour les médicaments destinés à soigner les affections ou maladies rares (médicaments orphelins, c'est-à-dire, des médicaments qui selon la définition européenne sont destinés à des indications concernant moins de 5 patients sur 10.000 en Europe), l'Union européenne a élaboré le règlement (CE) n° 141/2000 visant à encourager leur développement. Tôt ou tard dans le développement d'un médicament, une firme pharmaceutique peut introduire auprès de l'EMA une demande de *orphan designation* (à ne pas confondre avec la demande d'autorisation de mise sur le marché). L'*Orphan designation* offre des avantages tels qu'une assistance de l'EMA pour la préparation de la demande de *marketing authorisation*, l'exclusivité sur le marché pendant plusieurs années et autres mesures d'encouragement. Une demande d'autorisation en tant que 'médicament orphelin' ne peut avoir lieu que si la

---

<sup>8</sup> Voir aussi Callens S et Martens L, (2011), 'Europese regelgeving en geneesmiddelen', in *Tijdschrift voor Geneeskunde* 67:1083-1091

*orphan designation* a été obtenue au préalable. Dans le règlement (CE) n° 141/2000 il est dit qu' "il importe que les patients souffrant d'affections rares puissent bénéficier de la même qualité de traitement que les autres". Le rapport 112 du Centre d'Expertise (KCE) décrit en détail la procédure d'autorisation des médicaments orphelins<sup>9</sup>.

## B.1.2. Fixation du prix

Pour les médicaments remboursables, c'est le ministre belge de l'Economie qui définit le prix maximum. Néanmoins, ce prix maximum est souvent diminué lors des débats concernant le remboursement. Le prix est très important pour les décisions sur le remboursement.

La firme pharmaceutique justifie son prix demandé par "*l'établissement de la structure du prix qui reprend les éléments des coûts de production, d'importation, d'analyse, de transfert, de recherche et de développement, appelés PR1 et les éléments relatifs aux charges salariales, aux frais de publicité et d'information, aux frais de vente et aux frais généraux, appelés PR2*"<sup>10</sup>. Ces éléments se voient attribuer une marge de 10% lorsque le médicament est produit ici, et de 5% lorsqu'il est importé.

En dépit des critères ci-dessus, le calcul du prix proposé par l'entreprise est peu transparent voire opaque. Il est difficile de chiffrer les coûts de recherche, de développement et de production. Il est par ailleurs nécessaire de compenser les investissements de l'entreprise pour des médicaments qui n'ont pas abouti à une commercialisation. Ceci implique qu'une entreprise demande plutôt le prix qu'elle pense pouvoir obtenir. De nombreuses personnes estiment que le prix demandé est beaucoup trop élevé, et, lors de la discussion sur le remboursement, il est donc souvent demandé d'abaisser ce prix.

## B.1.3. Remboursement

Le remboursement est de la compétence des autorités de chaque Etat membre. Toutefois, l'Union européenne détermine les principes de base en matière de politique de remboursement (Directive 89/105/CEE) comme le fait que les décisions d'inclure oui ou non un médicament dans la liste des médicaments remboursables doivent être prises dans un délai déterminé, et qu'elles doivent se fonder sur des critères objectifs.

---

9 Voir <https://www.kce.fgov.be/fr/publication/report/politiques-relatives-aux-maladies-rares-et-aux-m%C3%A9dicaments-orphelins>

10 Pour plus d'informations concernant la fixation du prix public maximum des médicaments pour usage humain innovants/originaux pour lesquels l'entreprise pharmaceutique demande le remboursement par l'INAMI, voir: [http://economie.fgov.be/fr/entreprises/reglementation\\_de\\_marche/Prix\\_reglementes/Geneesmiddelen/Medicaments\\_originaux/Medicaments\\_remboursables/](http://economie.fgov.be/fr/entreprises/reglementation_de_marche/Prix_reglementes/Geneesmiddelen/Medicaments_originaux/Medicaments_remboursables/)



En Belgique, la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM) au sein de l'INAMI joue un rôle important dans le cadre du remboursement des médicaments pour lesquels une autorisation de mise sur le marché a été délivrée. La CRM rassemble des représentants ayant droit de vote des universités, des fédérations professionnelles de médecins et de pharmaciens, d'organismes assureurs (mutualités) et des ministres des Affaires sociales, de la Santé publique et de l'Économie. Les représentants de l'industrie pharmaceutique sont présents en qualité d'observateurs. Les citoyens et les patients ne sont pas présents, mais les organismes assureurs disent défendre les intérêts de leurs membres. La CRM évalue le dossier introduit par l'entreprise sur la base de plusieurs critères comme l'importance du médicament en fonction des besoins thérapeutiques et sociaux, le prix et l'impact budgétaire pour l'assurance soins de santé, la relation entre le coût et la valeur thérapeutique (*efficiency*). La discussion au sein de la CRM, porte souvent sur le prix demandé par la firme : le prix maximum attribué par le ministre de l'Économie est souvent revu à la baisse dans ce débat portant sur le remboursement. Sur la base de l'avis de la CRM, le ministre des Affaires sociales, avec le ministre du Budget, prend la décision d'accorder ou non le remboursement et stipule dans quelles conditions ce remboursement peut avoir lieu.

Rappelons que, comme pour les discussions portant sur l'autorisation, les décisions concernant le remboursement ont lieu à un moment où les preuves relatives au rapport risque/bénéfice sont encore très limitées. Le ministre des Affaires sociales peut imposer à l'entreprise d'émettre, dans un certain délai après l'autorisation du remboursement, un rapport sur les résultats des patients traités en Belgique. La CRM peut aussi procéder à une révision collective (pour un groupe de médicaments destinés à la même indication) afin de permettre une comparaison entre les divers médicaments de ce groupe.

Le remboursement des médicaments coûteux, s'il est autorisé, s'effectue en "catégorie A", ce qui signifie que le patient ne paie pas de tiers provisionnel. En principe, ces médicaments ne sont remboursés qu'après une autorisation a priori du médecin-conseil de l'organisme assureur auquel est affilié le patient. Pour ces médicaments (décrits comme médicaments "repris dans le chapitre IV"), il existe une série de critères de remboursement, tels que l'indication, la limite d'âge, la médication antérieure..., fixés par le ministre des Affaires sociales, et devant être évaluées par le médecin-conseil à chaque demande.

Pour les médicaments autorisés dans l'UE en tant que médicaments orphelins, si la décision de remboursement comme médicament orphelin en Belgique est positive, le ministre des Affaires sociales peut décider d'instituer un Collège (composé d'experts du domaine et de médecins des organismes assureurs) qui assiste le médecin-conseil de l'organisme assureur du patient pour évaluer les demandes individuelles, si ce dernier le souhaite. Dans la pratique, toutes ces demandes sont transmises au Collège, mais c'est au médecin-conseil qu'il appartient de prendre la décision finale. Un rapport détaillé sur le remboursement des médicaments orphelins a été rédigé par le KCE (cf. le rapport 112).

Quand le ministre des Affaires sociales, sur avis du CRM, conclut que les preuves permettant d'inclure un produit ou médicament dans la procédure normale de remboursement sont insuffisantes, un *risk sharing* programme (risque partagé) peut, *en attendant d'obtenir plus de preuves*, être mis en place entre l'INAMI et l'entreprise, pour un maximum de trois ans, en vertu de l'article 81 de la loi INAMI et sur la base d'une convention avec l'entreprise. Ce type de programme vise à soulager le patient, tout en étant un incitant fort à la collecte supplémentaire de preuves pour préparer une nouvelle demande dans le cadre de la procédure normale.

Pour se prononcer sur un remboursement, on peut recourir à l'approche dite par les QALYs. Un QALY se réfère au concept de 'Quality Adjusted Life Year' ou année de vie ajustée par sa qualité, et s'utilise dans l'analyse de rentabilité (*cost-effectiveness*) d'un traitement donné. Il s'agit d'une pondération économique de la pertinence et de l'efficacité d'un traitement, équivalant au nombre d'années de vie gagnées multiplié par un facteur de correction pour la qualité de ces années de vie<sup>11</sup>. L'utilité d'un traitement, qui se traduit par une vie plus longue et plus agréable, peut s'exprimer ainsi par l'augmentation moyenne du QALY, et l'on peut calculer le coût par QALY gagné en moyenne (par exemple, 50.000 euros par QALY). Une application explicite de ce concept existe en Angleterre et au Pays de Galles où £ 20.000 à £ 30.000 est une valeur seuil<sup>12</sup>, mais on y admet également la possibilité de dérogations, par exemple pour des médicaments orphelins. En ce qui concerne la Belgique, on cite, ci-après, du rapport 100 du KCE (p. vi, repris sous le titre "*L'Utilisation des valeurs seuils de l'ICER<sup>13</sup> en Belgique*") : "*En dépit des efforts déployés pour rationaliser le processus décisionnel et étayer les demandes de remboursement avec des preuves scientifiques, la prise de décision reste en Belgique un processus de délibération interactif. L'efficacité clinique réelle est le critère scientifique le plus important utilisé tant par la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM) que par le Conseil Technique des Implants (CTI). Il arrive que le rapport coût-efficacité soit pris en considération par la CRM mais plus rarement par le CTI. Les deux entités considèrent que l'impact budgétaire est plus important que l'ICER.*"

---

11 Voir le rapport KCE 100 concernant les Valeurs seuils pour le rapport coût-efficacité en soins de santé sur : <https://kce.fgov.be/fr/publication/report/valeurs-seuils-pour-le-rapport-co%C3%BBt-efficacit%C3%A9-en-soins-de-sant%C3%A9>

(voir également 'QALYs et DALYs: l'utilité en indicateurs', *La Revue Prescire*, 2013)

12 Rapport KCE 100 *op. cit.*, p. 43.

13 Rapport KCE 100 *op. cit.*, p. iii, définition de l'ICER : "Le rapport coût-efficacité différentiel (ICER) est le rapport entre la différence estimée entre le coût de deux interventions et la différence estimée de ces deux interventions en termes de résultats. Le ICER représente le surcoût estimé par unité de santé supplémentaire générée par cette intervention, comparé à son alternative la plus rentable pour la même affection. Le ICER est utilisé essentiellement pour contribuer à une prise de décision éclairée lorsqu'il s'agit de choisir entre des interventions qui sont à la fois plus coûteuses et d'une efficacité réelle supérieure par rapport à leur comparateur."



## B.2. Accès hors de la réglementation classique

Outre les procédures d'autorisation et de remboursement décrites plus haut, il existe une série d'autres possibilités d'accès aux médicaments autorisés ou non.

### B.2.1. Contribution propre du patient

Bien entendu, il est théoriquement possible que le patient paie (partiellement) lui-même ses médicaments très coûteux. Toutefois, vu les prix des médicaments "onéreux", ce n'est généralement pas faisable. La conclusion d'une assurance auprès d'un organisme assureur (mutualité) ou d'une société d'assurance privée constitue en fait une contribution propre. Le rôle de ces assurances dans le cadre du financement des médicaments onéreux est cependant limité.

### B.2.2. Essais cliniques

L'inclusion du patient dans des essais cliniques dont font l'objet les médicaments avant de recevoir l'autorisation de mise sur le marché, mais aussi après, représente une possibilité majeure pour la mise à disposition (précoce) d'un médicament. La réglementation de ces essais cliniques se retrouve dans la Directive européenne 2001/20/CE, transposée dans la législation belge par la loi du 7 mai 2004 relative aux expérimentations sur la personne humaine, avec plusieurs arrêtés d'exécution. Les protocoles des études de médicaments sur l'être humain doivent être évalués par l'Agence fédérale des médicaments et produits de santé (AFMPS) comme *competent authority*, et un Comité d'Éthique Médicale, avec une répartition du travail selon laquelle l'Agence des médicaments examine surtout la qualité du médicament et le dossier préclinique, et les Comités d'éthique médicale se penchent principalement sur le protocole d'étude présenté.

Dans ce cadre, il est à noter que la déclaration d'Helsinki (actualisée à Fortaleza (Brazil) en 2013)<sup>14</sup> stipule que les patients qui ont réagi positivement à un médicament dans un essai clinique, devraient pouvoir obtenir ce médicament jusqu'à ce qu'il soit disponible par les voies régulières. On ne sait pas au juste dans quelle mesure cette recommandation éthique est suivie dans la pratique.

---

14 WMA, Declaration of Helsinki (Fortaleza, Brazil, October 2013): "Art. 22.[..] In clinical trials, the protocol must also describe appropriate arrangements for post-trial provisions. [...] Art. 26. [...] All medical research subjects should be given the option of being informed about the general outcome and results of the study. [...] Art. 34. In advance of a clinical trial, sponsors, researchers and host country governments should make provisions for post-trial access for all participants who still need an intervention identified as beneficial in the trial. This information must also be disclosed to participants during the informed consent process."

Voir : <http://www.wma.net/en/30publications/10policies/b3/index.html>

Étant donné, comme on l'a vu plus haut, que les preuves sont très restreintes au moment de l'octroi de l'autorisation de mise sur le marché et du remboursement (voir A.2.3. Le facteur d'incertitude), des études post-marketing (de phase IV) s'imposent pour évaluer les effets indésirables et l'efficacité.

Dans cette forme de mise à disposition de médicaments, il convient de noter que les essais cliniques ne servent en principe pas à aider les patients individuels, mais bien à acquérir des connaissances. Dans ce cadre, il se peut que le patient-sujet du test soit attribué au groupe contrôle qui reçoit un placebo, et que les résultats soient moins bons qu'avec le médicament testé ; d'autre part, il peut arriver le contraire : le patient prendrait le risque de se trouver plus mal avec le médicament testé. Remarquons aussi que les patients ne peuvent exiger d'être inclus dans un essai clinique.

### B.2.3. Programmes d'usage compassionnel (*Compassionate Use*) et programmes médicaux d'urgence (*Medical Need*)<sup>15</sup>

Dans ces programmes, le médicament peut être mis gratuitement à disposition par la firme sous certaines conditions.

En cas de *Compassionate Use* ou "usage compassionnel de médicaments" (Règlement européen CE/726/2004 et AR belge du 14 décembre 2006), des médicaments qui n'ont pas (encore) obtenu d'autorisation de mise sur le marché sont tout de même mis à la disposition des "*patients souffrant d'une maladie invalidante, chronique ou grave ou d'une maladie considérée comme mettant en danger, ces patients ne pouvant être traités de manière satisfaisante par un médicament autorisé*".

En cas de *Medical Need* ou "usage de médicaments en cas d'exécution de programmes médicaux d'urgence" (une initiative belge, AR du 14 décembre 2006), des médicaments pour lesquels il existe déjà une autorisation dans l'Union européenne, pourront être mis à disposition pour une indication précise. Dans ce cadre, soit le médicament n'est pas encore autorisé pour cette indication (par exemple, parce que les essais cliniques sont encore en cours), soit le médicament est déjà autorisé pour cette indication, mais pas encore disponible pour l'indication autorisée. Les programmes médicaux d'urgence voient donc une application off-label de médicaments.

Ces deux types de programmes sont soumis à une série de conditions, étant entendu qu'ils ne constituent qu'une mesure temporaire dans l'attente de l'obtention de l'autorisation et du

---

15 Le Comité consultatif de Bio-éthique, dans son avis n° 47 du 9 mars 2009, s'étend aux implications éthiques de la législation concernant les programmes d'usage compassionnel (*compassionate use*) et les programmes médicaux d'urgence (*medical need*). Voir <http://www.health.belgium.be/bioeth> (rubrique 'Avis').

remboursement définitifs pour le médicament ou pour l'indication. Signalons ici que ces programmes ne sont pas concernés par la législation sur les essais cliniques (voir B.2.2.) : ces programmes ne sont en principe pas destinés à acquérir des connaissances, mais bien à essayer de mettre un médicament indispensable à la disposition d'un patient.

Ces programmes sont lancés à l'initiative de l'entreprise (éventuellement sur l'insistance de médecins) qui souhaite mettre le médicament sur le marché, ou l'a déjà fait pour une autre indication. Une entreprise peut décider de ne pas lancer de programme, ou de mettre un terme à un programme existant, par exemple, au moment où l'autorisation est accordée mais où le remboursement n'a pas encore été décidé. Il se pose aussi un problème lorsque les patients inclus dans un programme spécifique, sont par la suite confrontés à une décision négative concernant l'autorisation ou le remboursement, l'entreprise pouvant alors décider de mettre fin au développement du produit, alors que le produit est néanmoins jugé nécessaire dans le cas de tel ou tel patient.

Ces programmes doivent être approuvés par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de santé, et par une commission d'éthique médicale.

#### B.2.4. Fonds Spécial de Solidarité

Le Fonds Spécial de Solidarité (FSS) est un filet de protection supplémentaire à la couverture ordinaire par l'assurance soins de santé. Le FSS fonctionne au sein de l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI) et dispose d'un budget annuel limité pour couvrir les frais de prestations médicales nécessaires qui ne sont pas (encore) remboursées par l'assurance soins de santé régulière et qui sont particulièrement coûteuses.

Le FSS intervient :

- en cas d'indication rare/maladie rare;
- en cas de maladie rare qui nécessite des soins continus et complexes;
- pour des dispositifs médicaux et/ou prestations qui sont des techniques médicales innovantes;
- pour les enfants malades chroniques;
- en cas de soins délivrés à l'étranger.

Dans ces cas de figure, l'on peut faire appel au FSS quand toutes les possibilités de remboursement concernant une prestation médicale sont épuisées, et que la demande répond à certaines conditions. Jusqu'à présent, les décisions du FSS concernent des patients individuels et il ne peut pas prendre de décisions pour des cohortes de patients. Pour un examen détaillé des procédures du Fonds Spécial de Solidarité, nous revoyons au rapport KCE 133<sup>16</sup>.

---

16 Voir <https://kce.fgov.be/fr/publication/report/optimisation-du-fonctionnement-du-fonds-sp%a9cial-de-solidarit%c3%a9>

## B.2.5. Initiatives volontaires

Il existe toutes sortes de fonds caritatifs (par exemple, BOKS pour les enfants atteints d'une maladie métabolique, ALICE pour les enfants prématurés, etc.) qui reposent sur des contributions volontaires.

Certains hôpitaux disposent de fonds propres qui permettent de financer des interventions et des thérapies très coûteuses quand il n'y a pas de remboursement ou de programme *Medical Need* ou *Compassionate Use* possible.

Enfin, il existe de multiples initiatives visant à financer une intervention coûteuse pour un patient spécifique ; celles-ci sont souvent locales et diffusées par les médias. Il est clair que ces initiatives ad hoc, sur lesquelles on peut mettre un visage, sont plus motivantes pour les donateurs potentiels que des considérations portant sur la problématique générale.



## C. Partie 3: Considérations éthiques

D'un point de vue global, on peut émettre les considérations suivantes dans le débat relatif au contexte de la problématique d'accès aux médicaments coûteux (A. Partie 1) et aux mécanismes de financement existants (B. Partie 2).

- Il existe des inégalités en matière d'accès aux médicaments coûteux. Celle-ci s'explique par plusieurs facteurs : durant la phase de recherche, tout le monde n'y a pas accès par le biais des essais cliniques ; pour certains médicaments ou certaines indications, aucun remboursement n'est prévu ; les divers maillons de la mise à disposition d'un médicament sont souvent insuffisamment articulés entre eux, avec délais comme suite.
- L'inégalité peut être temporaire ou permanente. Concernant les problèmes temporaires, une meilleure harmonisation des maillons, la possibilité pour le Fonds Spécial de Solidarité de prendre des décisions pour des cohortes, la possibilité d'intervention par des organisations caritatives et des fonds de solidarité interne pourraient contribuer à une solution. Pour l'inégalité permanente, la réponse est fondamentalement sociétale et existentielle. Nous devons nous demander comment, en tant que société, il convient de gérer les situations dans lesquelles il est impossible d'offrir des soins car ceux-ci sont hors de prix tant pour l'individu que pour la société.

Cela nous contraint à une analyse éthique approfondie de la problématique du financement des médicaments onéreux.

### C.1. Aspects et dimensions éthiques

La dimension éthique dans laquelle s'inscrit la problématique est déterminée par une combinaison de différents aspects et dimensions (Denier 2007; 2008) en l'occurrence par:

- (1) la demande d'une répartition **équitable** des moyens dans les soins de santé;
- (2) la problématique de la **rareté** (lisez la quantité limitée de moyens disponibles);
- (3) les **possibilités exponentielles** des sciences médicales et pharmacologiques pour répondre aux besoins médicaux;
- (4) les **responsabilités professionnelles et déontologiques** des médecins;
- (5) l'**optimisme et la foi dans le progrès** où longévité et santé tiennent lieu de *Summum Bonum*, bien le plus précieux.

#### C.1.1. Théories de la justice (équité)

Parler d'«équité dans les soins de santé» nous plonge dans le domaine de réflexion où se pose la question d'un traitement honnête, juste et correct des êtres humains. Il est ici question d'une société équitable et de ce dont les êtres humains y sont redevables les uns envers les autres (*“What do we owe to each other”*), des droits et des devoirs et des prétentions légitimes sur telle ou telle chose.

Lorsqu'une personne peut faire valoir une prétention légitime et qu'elle dispose donc d'un droit à cet égard, la société se doit d'honorer ce droit et de lui donner ce qui lui revient. Une situation est inéquitable dès lors que certaines personnes se voient privées de ce à quoi elles avaient pourtant droit. Une situation est également inéquitable lorsque les avantages et les charges sont partagés de manière inéquitable. Comment le déterminer? Dans une situation équitable, les avantages et les charges sont répartis correctement, c'est-à-dire sur la base des justes critères, caractéristiques et circonstances.

Le point de départ standard des discussions concernant l'équité est toujours l'égalité. Un partage égal est ici considéré comme un point de départ équitable. Il arrive pourtant qu'un traitement inégal entre des personnes soit parfaitement équitable. Tel est le cas lorsque le traitement en question est fondé sur des différences pertinentes entre les individus (sur la base de critères, caractéristiques et circonstances pertinents).<sup>17</sup>

Il faut ensuite fixer les critères d'un traitement égal et inégal. Il existe en effet une infinité de critères possibles (statut, mérite, contribution, besoin, utilité, capacité financière, beauté, pouvoir de persuasion, liens familiaux, etc.) pour attribuer tel ou tel bien à un individu. Le critère (ou la combinaison de critères) équitable(s) dépendra des circonstances dans lesquelles les biens doivent être partagés, ainsi que du bien à partager proprement dit<sup>18</sup>.]

La conception dominante en matière d'équité au sein de notre société est par ailleurs un facteur déterminant dans cette discussion. Appliqué aux soins de santé, cela signifie que tout système particulier de soins de santé est conçu sur la base de choix politiques et de consensus public. Les différentes théories de la justice (équité), les visions politiques dans ce domaine et les décisions qui en découlent, associées à la manière dont le système est perçu comme légitime par les citoyens (c'est-à-dire la solennité du système), déterminent ensemble à quoi les soins de santé ressembleront concrètement au sein d'une société. De cette manière, un système concret de soins de santé au sein d'une société donnée, sera toujours en évolution et lié au lieu, à l'air du temps et aux caractéristiques socioculturelles du pays.

---

17 Ce point de départ est connu comme étant la définition formelle de l'équité selon Aristote 'L'équité, c'est traiter les cas semblables de manière semblable et les cas non semblables de manière non semblable' (Éthique nicomaque, Livre V).

18 C'est ainsi que le critère d'attribution d'une promotion sera différent du critère d'attribution du premier prix d'un concours de beauté ou d'un tournoi d'éloquence, lequel différera à son tour du critère d'attribution d'une greffe à un patient.

Cinq théories majeures de la philosophie contemporaine de la justice explorent les différents critères susceptibles d'intervenir dans les discussions portant sur le contenu d'un système équitable de soins de santé (Denier & Meulenbergs 2002). Ces théories sont: (1) le libéralisme, (2) l'utilitarisme, (3) l'égalitarisme, (4) l'approche par capacités, et (5) le communautarisme. Le Tableau 2 résume brièvement ce qui, à la lumière de la problématique du financement des médicaments onéreux, constitue le point de départ, le point qui pose problème, et l'essence de chaque théorie. Ce tableau est suivi d'une discussion de chaque théorie.

| <b>Tableau 2: Théories de la justice</b>   |
|--|
| <p>1. Approche libérale</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Point de départ: liberté individuelle absolue dans un marché libre</li> <li>• Problème: l'individualisme et l'absence de filet de sécurité</li> <li>• Important: initiatives volontaires de charité</li> </ul>  |
| <p>2. Perspective utilitariste</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Point de départ: affectation de moyens là où ils maximisent l'utilité</li> <li>• Problème: qu'est-ce qui est utilité? Qu'en est-il des formes de soins de santé "non utiles"?</li> <li>• Important: toujours considérer les conséquences d'un choix ou d'un acte</li> </ul>  |
| <p>3. Égalitarisme</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Point de départ: accès identique à tout un chacun sur la base de besoins médicaux identiques</li> <li>• Problème: comment déterminer les limites?</li> <li>• Important: structure formelle (Daniels, le problème étant l'absence de repères quant au contenu) et orientation quant au contenu (Dworkin, le problème étant qu'il n'existe que peu de preuves pour de nombreux traitements coûteux)</li> </ul> |
| <p>4. Approche par capacités ("<i>capabilities approach</i>")</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Point de départ: égalité des chances pour tous de développer le mieux possible ses talents et capacités</li> <li>• Problème: théorie très exigeante, pas de réflexions en matière de rareté ou de perspective de choix</li> <li>• Important: montre l'importance des formes "non utiles" de soins</li> </ul>  |
| <p>5. Approche communautariste</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Point de départ: valeurs communautaires (<i>shared understandings</i>)</li> <li>• Problème: la société pluraliste, le particularisme; un fondement universel ne semble pas possible</li> <li>• Important: cette théorie nous indique le volume effectif des conceptions en</li> </ul>  |

matière d'équité et nous montre aussi le rôle des émotions dans les situations ad hoc.

### C.1.1.1. L'approche libertarienne

L'approche libertarienne, la plus connue dans la forme développée par Robert Nozick (1974), prône un respect absolu du droit à la propriété privée et de la liberté négative des personnes en tant que fondement du rôle légitime de l'Etat et des revendications légitimes des individus dans la société. Une société équitable protège ce droit et les biens personnels avec pour conséquence que les individus sont libres d'améliorer leurs conditions personnelles selon les principes du marché libre (transfert volontaire de la propriété légitime).

Ce respect absolu de la liberté individuelle et du droit de propriété nous amène à une forme stricte d'équité procédurale. L'équité n'est pas une question de résultats corrects, mais bien de procédures correctes: "*Whatever arises from a just situation by just steps is in itself just*" (Nozick 1974). Mettre l'accent sur les résultats impliquerait en effet une violation systématique de la liberté individuelle et du droit de propriété: "*any principle of justice, which demands a certain distributive end state or pattern of holding will require frequent and gross disruptions of individuals' holdings for the sake of maintaining that end state or pattern*" (Nozick 1974). Cette théorie est par conséquent fondamentalement anti-redistributive. Obliger des individus à contribuer au collectif afin d'améliorer ainsi le bien-être d'autrui est injuste selon cette approche parce qu'il s'agirait (1) d'une redistribution illégitime de biens privés en ce qu'ils seraient erronément considérés comme des biens publics, ce qu'ils ne sont pas, et (2) d'une violation des droits et libertés fondamentaux individuels en faveur du bien public.

Face à la critique selon laquelle ce modèle autoriserait la pauvreté et maintiendrait un fossé croissant entre riches et pauvres, les partisans du libertarisme répondent qu'il y a une différence importante entre l'équité (*justice*) et la charité ou la bienfaisance (*charity*). En effet, argumentent-ils, la moralité est bien davantage que la non-violation de droits. La redistribution des moyens est uniquement légitime si elle se fait volontairement sur une base caritative. Ce qui implique aussi que les personnes qui sont dans le besoin ne peuvent revendiquer la satisfaction de ce besoin comme un droit: "*While justice demands that we not be forced to contribute to the well-being of others, charity requires that we help even those who have no right to our aid*" (Nozick 1974).

En résumé, selon cette théorie, une contribution obligatoire à un système de soins de santé est inéquitable. Les individus doivent être totalement libres de souscrire une assurance maladie privée, c'est-à-dire un système volontaire de redistribution entre les assurés. Selon ce modèle seul un marché libéralisé de l'assurance maladie fondé sur le principe de la capacité financière, est acceptable. Il n'y a aucun droit positif aux soins de santé et la privatisation est une valeur protégée. Répondre aux besoins des individus qui ne peuvent intégrer ce système, est important mais reste un acte libre et moral de charité (Callahan 2008).

Appliquée à la problématique du financement des médicaments onéreux, la perspective libertaire semble se manifester à l'occasion d'appels au soutien financier volontaire de cas individuels sur lesquels il est possible de mettre un visage, ou d'applications plus vastes prenant la forme de grandes initiatives médiatiques qui collectent de l'argent pour la recherche contre le cancer ou autres (par exemple, le 'Télévie', 'Music for Life' ou encore 'Kom op tegen Kanker'). Ces initiatives ont pour point commun de faire appel à la participation volontaire et à la solidarité de tous les citoyens de la société.

### C.1.1.2. La perspective utilitariste

L'utilitarisme est probablement la forme la plus connue de conséquentialisme (où le contenu moral d'une action est évalué d'après ses conséquences, et non ses intentions). Il connaît de nombreuses variantes, selon le préfixe utilisé. Commune à toutes les variantes de l'utilitarisme – et opposée au libéralisme – l'équité est considérée en termes d'**effets utiles** d'une règle ou d'un acte. L'équité est ainsi une question de maximalisation de l'utilité, l'utilité étant définie en termes de plaisir, satisfaction, chance, bien-être, réalisation de préférences, etc. Dans l'utilitarisme classique, un acte ou une règle se justifie quand il maximalise l'utilité globale (*aggregate utility*). L'utilité globale est la somme de toutes les expériences utiles individuelles. Dans l'utilitarisme moyen, un acte ou une règle se justifie quand il maximalise l'utilité par individu (*average utility*). L'utilité moyenne est l'utilité globale divisée par le nombre d'expériences utiles individuelles. Dans les deux cas de figure, chaque personne est considérée comme une unité d'utilité, chaque personne vaut ainsi une unité d'utilité et personne ne vaut plus d'une unité. Ces unités d'utilité sont identiques et personne ne bénéficie d'un statut spécial méritant d'être protégé. Par conséquent, l'utilitarisme peut exclure certains individus de certaines mesures spéciales (par exemple, soins spéciaux) si cette exclusion devait maximaliser l'utilité globale, indépendamment de la valeur que ces mesures spéciales auraient pour la personne concernée. (Buchanan 1997)

Toutes les variantes de l'utilitarisme ont ceci en commun que la valeur et la signification des choses, personnes ou actions sont évaluées en fonction de leur utilité. D'un point de vue utilitariste, les programmes et mesures de santé publique ainsi que le point de l'accessibilité identique aux soins de santé peuvent être défendus sur la base de l'argument de la maximalisation de leur utilité : tout le monde bénéficie de l'existence d'un tel système de soins de santé. À ce titre, la reconnaissance sociale des besoins en soins de santé dépend de la mesure dans laquelle le système maximalise réellement l'utilité.

– Il convient alors de démontrer sur la base de l'évidence empirique si cela se traduit dans les faits. Ainsi, il faut pouvoir démontrer que ce système particulier avec ces mesures spécifiques maximalise réellement l'utilité et que ces services maximalisent effectivement l'utilité s'ils sont, par exemple, reconnus comme une chose à laquelle on a droit. Il convient également de démontrer s'il est souhaitable de présenter ces services comme une chose à laquelle tout un chacun, de manière identique, a droit ou pas ; sur quel point leurs avantages

généraux ne font plus le poids face aux coûts qu'engendre un tel droit identique ; quels biens et services sont prioritaires ou non dans le système, etc. Cela nous amène au problème de la complexité des informations, qu'il faut résoudre si l'on veut appliquer l'utilitarisme à l'organisation des soins de santé. (Barry 1989)

– Une autre difficulté concerne les implications de l'utilitarisme pour le concept des droits individuels. Dans l'utilitarisme, les droits ne sont pas absolus, mais relatifs par rapport à l'utilité. Par conséquent, ils ont un statut faible et indéterminé. En effet, ils tirent leur rôle et signification du fait qu'ils contribuent à la maximalisation de l'utilité à un moment précis et dans un contexte précis. On peut dès lors se demander si des droits qui sont relatifs par rapport au contexte d'utilité sont bel et bien des droits. Des philosophes juridiques contemporains, à l'instar de Ronald Dworkin, définissent en effet un droit comme une chose prioritaire sur la maximalisation de l'utilité. En d'autres termes, le droit est un atout (*trump*) qui l'emporte sur les considérations d'utilité. (Dworkin 1977)

– Un troisième problème est celui de la distribution équitable. Une distribution inéquitable qui maximalise l'utilité peut être parfaitement légitime. Mieux encore, d'un point de vue utilitariste, il peut même s'avérer plus intéressant d'écarter les droits de personnes ayant les besoins les plus importants, mais le résultat utilitaire le plus faible. Si un droit aux soins de santé est garanti uniquement quand il contribue à l'utilité globale ou moyenne, que devons-nous faire alors des patients Alzheimer, patients en état végétatif persistant, bébés prématurés, personnes lourdement handicapées, bref des patients qui ont besoin d'énormément de soins et dont le résultat utile est très faible? Si l'on écartait ces personnes pour le plus grand bonheur du plus grand nombre ("*to ensure the greatest happiness for the greatest number*") cela poserait un problème éthique.

Il importe cependant de noter qu'en raison de sa perspective conséquentialiste, l'utilitarisme attire, à juste titre, notre attention sur les conséquences (utiles) d'un choix ou d'un acte, sur des considérations et trade-offs, sur des questions portant sur les preuves (*evidence*), l'efficacité et l'efficacités, etc. Et c'est un point important. C'est précisément en raison de cette approche que la perspective utilitariste joue un rôle légitime dans la politique des autorités et les choix que nous devons faire, que ce soit au macro-niveau, méso-niveau ou micro-niveau. Il faut tenir compte des conséquences des choix, il faut être en mesure d'avoir des considérations réfléchies et raisonnables. La question de savoir "qu'apporte ce choix par rapport à l'alternative" est une question très pertinente qui joue un rôle nécessaire et légitime dans les choix que l'on doit opérer en matière de soins de santé.

**Appliquée à la problématique du financement des médicaments onéreux, la perspective utilitariste implique que nous sommes attentifs aux conséquences utilitaires d'un traitement donné. On tiendra compte ici de la preuve avérée de l'efficacité du traitement. Si, par exemple, on sait qu'un traitement donné, comme celui de la maladie de Pompe, est réellement efficace pour les jeunes enfants mais n'a que peu voire pas d'effet dans sa forme *late onset* (van der Ploeg *et al.* 2010), il convient d'en tenir compte. L'approche par**

les QALYs nous fournit aussi une donnée importante dans la perspective utilitariste (voir B.1.3.). Un QALY se réfère au concept de 'Quality Adjusted Life Year' ou année de vie ajustée par sa qualité, et s'utilise dans l'analyse de rentabilité d'un traitement donné.

### C.1.1.3. L'égalitarisme

Alors que le libéralisme classique se concentre sur la maximalisation de la liberté, et l'utilitarisme sur la maximalisation de l'utilité, la théorie égalitariste prend l'égalité pour point de départ de l'équité. Il existe différentes variantes d'égalitarisme, déterminée chacune par sa réponse à la question: "Égalité de quoi?" Appliqué aux soins de santé, cela équivaut à la question de savoir: "Quelle est notre ambition? Prospérité identique? Bien-être identique? Santé identique? Utilisation identique des soins de santé? Accès identique? Possibilités de choix identiques? Liberté identique?" (Denier 2007)

Une forme minimaliste d'égalitarisme est pratiquée par des théories libérales, fondées sur les droits qui prennent l'égalité en matière de liberté et de droits politiques pour point de départ de l'équité (voir libéralisme). A l'opposé, un contenu maximaliste de l'égalitarisme impliquerait que nous poursuivons un résultat identique, un *outcome* identique, en l'occurrence une santé identique pour chacun. Une forme intermédiaire – et peut-être la forme la plus connue d'égalitarisme – est défendue par le **modèle de l'égalité des chances** (*fair equality of opportunity*) de John Rawls (1971, 1999). Norman Daniels (1985) a développé les implications de cette théorie au niveau des soins de santé, dans son ouvrage *Just Health Care*.

Les concepts de liberté positive, égalité et responsabilité sont au centre de la perspective de *fair equality of opportunity*. Le concept de liberté positive requiert que les personnes aient réellement la possibilité de réaliser leurs choix de vie, ce qui leur confère une véritable opportunité de développement personnel. Contrairement à la liberté négative (liberté d'interférence), le concept de liberté positive comporte une liberté de réaliser des possibilités (Berlin 1969; Dasgupta 1993). Par conséquent, les institutions sociales axées sur la redistribution doivent être organisées de façon à donner à chaque personne une chance équitable dans l'éventail normal d'opportunités (*normal range of opportunities*) dans la société. Cet éventail normal d'opportunités est déterminé par "*the range of life plans that a person could reasonably hope to pursue, given his or her talents and skills*" (Daniels 1985, p. 38). Par conséquent, pour réaliser cette liberté positive, les institutions doivent veiller à distribuer équitablement les opportunités et les moyens, pas les résultats.

Le contenu équitable des institutions sociales se reflète ainsi dans les tentatives de compenser un manque d'opportunités. Dans la mesure où la maladie et le handicap engendrent des entraves considérables à la possibilité de réaliser des projets de vie individuels, l'équité requiert que des moyens publics soient utilisés afin de compenser ces entraves moralement arbitraires. Si l'on applique cela aux soins de santé, cela signifie que



l'égalité d'accès aux soins de santé doit être réalisée en ce sens que personne ne soit empêché d'obtenir les soins dont il a besoin. Cela n'implique toutefois pas que tout le monde doive avoir accès à chaque traitement possible ou que l'on aurait droit à un résultat favorable. La seule exigence est que les personnes aient une chance équitable d'obtenir un bon résultat. Il est difficile de dire si cela signifie que le coût n'a pas d'importance.

La théorie de Daniels prône le principe de l'"accès identique pour un besoin identique" (*equal access for equal need*) en tant que critère fondamental d'un traitement équitable. Ce critère implique que l'accessibilité aux soins est fonction des besoins. Il doit y avoir un accès identique pour des personnes présentant les mêmes besoins, et une différence d'accès pour les personnes présentant des besoins de soins de santé différents.

Ce principe de départ justifie le traitement prioritaire des personnes présentant les plus gros besoins. Le principe justifie l'égalité d'accès aux soins de base fondés sur les besoins, ainsi que des différences dans l'accessibilité à d'autres formes de soins (par exemple, médecine fondée sur les préférences). Cela nous amène à un système dit *two-tier-system*. Des soins de santé équitables impliquent par conséquent une accessibilité identique à un socle de base de soins de santé fondé sur les besoins. Il peut parfaitement coexister avec un niveau supérieur de soins de santé qui ne serait pas accessible à tout un chacun parce que n'étant pas repris dans le paquet public, et qui serait donc fondé sur la capacité financière individuelle ou l'assurabilité privée du risque (le système dit *two-tier-system*, Beauchamp et Childress 2008).<sup>19</sup> Concrètement, il appartient à chaque société de déterminer le contenu qu'elle souhaite donner au premier *tier* (ce que doit contenir le paquet de base financé collectivement et donc accessible à tout un chacun) et ce qui n'en fait pas partie (et doit par conséquent être financé de manière privée). La question essentielle est alors la suivante: *Quelles formes de soins de santé trouvons-nous à ce point importantes qu'elles doivent figurer dans le paquet collectif et quelles sont celles qui n'y ont pas leur place? Quels sont les critères sur la base desquels nous allons opérer cette distinction?*

Cela nous amène à la question essentielle : quel doit être le degré de redistribution pour être équitable? Il existe en effet des limites à ce que nous pouvons raisonnablement attendre du système de soins de santé. En effet, l'état de santé des personnes est non seulement déterminé par le système de soins de santé même, mais surtout et en grande partie par des facteurs qui ne relèvent pas du système de soins de santé à proprement parler (par exemple, politique de l'enseignement, politique en matière de pauvreté, logement, qualité de l'alimentation, réaction au traitement, style de vie, choix préférentiels concernant le recours aux soins de santé, etc.).<sup>20</sup> Il serait dès lors déraisonnable d'attendre du système de soins de

---

19 Ce qui signifie que certains patients pourront mieux que d'autres se permettre de payer une thérapie coûteuse de par exemple 10.000 € ou de souscrire une assurance hospitalisation (onéreuse). Une telle inégalité sociale induit une médecine à deux vitesses. Du moins en ce qui concerne la partie qui n'entre pas dans le paquet de base (le deuxième *tier*).

20 Dans la littérature, on trouve, par exemple, quatre différents niveaux de l'organisation et du financement des soins de santé qui sont distingués : (1) le niveau global social : le niveau de répartition des budgets de divers

santé de réagir en continu et de compenser toutes les différences résultant de ces facteurs. Autrement dit, le processus de réduction ou de compensation des inégalités a ses limites.

Comment fixer la limite? Et quelles limites se justifient?

### *Le modèle procédural de Daniels*

Selon Norman Daniels, la question de l'équité dans la définition de limites et de priorités se manifeste de deux manières.

- L'équité requiert que les moyens publics soient répartis de manière efficace. En effet, une utilisation inefficace signifierait que certains besoins ne sont pas rencontrés, alors que tel pourrait être le cas si l'on procédait avec davantage d'efficacité. Autrement dit, une utilisation inefficace revient à gaspiller des moyens que l'on pourrait employer ailleurs à très bon escient.
- La définition de limites et priorités empêchera de satisfaire certains besoins légitimes. Le caractère équitable de cette limitation des soins de santé dépendra du fait de pouvoir apporter une justification acceptable.

Comment peut-on prendre des décisions équitables concernant des limitations des soins de santé? Norman Daniels a mis au point un **modèle formel et procédural** soutenu par quatre conditions (Daniels et Sabin 1997, 1998; Daniels 1999). Si ces conditions sont satisfaites pendant le processus décisionnel, la décision peut se justifier sur la base de son caractère raisonnable (*accountability for reasonableness*). Les conditions sont :

- Le critère de **collectivité** (*Publicity condition*) impose que les décisions fixant des limites aux soins médicaux et de santé, et les raisons qui ont amené à prendre ces décisions, soient toujours publiquement disponibles pour les personnes concernées. En effet, la qualité de la prise de décision augmente si les motifs et les procédures doivent être articulés et défendus. Ensuite, le caractère équitable des décisions s'améliorera également au fil du temps, étant donné qu'il sera possible d'évaluer de manière identique des choses identiques.
- Le critère de **pertinence** (*Relevance condition*) impose que les motifs donnés soient raisonnables. Ce n'est possible que si les motifs et principes sur lesquels ils reposent sont légitimes, autrement dit, si de nombreuses personnes impartiales les considèrent comme pertinents et défendables.

---

biens et services sociaux (tels que le logement, l'enseignement, la politique contre la pauvreté, la sécurité, etc.), en bref, les divers services sociaux avec un impact soit direct, soit indirect, sur la santé ; (2) le niveau du budget de la santé : par exemple, la médecine de travail, la protection environnementale, l'approvisionnement en eau, la protection des consommateurs, la sécurité alimentaire, etc. Il s'agit du contrôle des facteurs environnementaux qui ont un impact direct sur la santé ; (3) le niveau du budget des soins de santé : on doit décider, dans les limites du budget, comment il sera réparti entre la prévention (comme la vaccination, les soins prénataux, les soins dentaires préventifs, etc.), le traitement (*cure*) (quels traitements thérapeutiques seront remboursés ?) et le *care* (quels soins ou services de soutien seront remboursés ?) ; et (4) le niveau des traitements ou services rares (par exemple, le nombre de lits aux soins intensifs, de greffes, de places disponibles dans une maison de repos ou un établissement pour handicapés, etc.) (Beauchamp et Childress 2013)

- Le critère de **recours** (*Appeals condition*) : il existe la possibilité de remettre en question les décisions, ainsi que de revoir des décisions déjà prises à la lumière de nouvelles évidences et évolutions.
- Le critère supérieur de **force contraignante** (*Enforcement condition*) : le processus de justification raisonnable est, d'une manière ou d'une autre, régulé publiquement ou volontairement, afin de s'assurer que les conditions 1 à 3 soient effectivement remplies.

Ce modèle vise à garantir le cadre formel et procédural d'une prise de décision équitable. Il n'en demeure pas moins qu'il subsiste ainsi une lacune sur le plan du contenu. À ce sujet, il est intéressant d'envisager une **proposition davantage axée sur le contenu**, qui pourrait servir à définir le processus décisionnel équitable. Pour ce faire, nous pouvons avoir recours au modèle d'assurance hypothétique de Ronald Dworkin.

### *Le modèle de Dworkin*

Pour commencer, Dworkin soutient que le problème actuel du choix dans les soins de santé remonte fondamentalement à notre conception générale et à nos attentes en matière de soins de santé (Dworkin 1993, 1994). En d'autres termes, c'est une crise de la découverte d'une réponse aux deux questions principales que nous devons nous poser, d'un point de vue sociétal, lorsque nous parlons de soins de santé équitables.

1. **Combien** d'argent notre société est-elle disposée à consacrer aux soins de santé? C'est la question agrégative. La notion de coût d'opportunité joue ici un rôle important. En effet, l'argent consacré aux soins de santé pourrait également être consacré à l'enseignement, à l'emploi, à la politique en matière de pauvreté, au logement, à l'environnement, etc. Compte tenu du fait que ces autres dispositifs ont également une influence importante sur l'état de santé d'une population (cf. supra), il est essentiel de trouver un certain équilibre entre les dépenses engagées pour les soins de santé et celles consacrées aux autres postes de dépenses. Ce qui veut dire que nous devons nous demander concrètement quel coût maximum notre société est disposée à payer pour notre santé, pour autant que personne ne soit laissé pour compte.
2. **À quoi** devons-nous consacrer le budget des soins de santé? C'est la question distributive. Combien consacrons-nous à la prévention, combien à l'aspect *cure* et combien à l'aspect *care*? Ici aussi, la notion de coût d'opportunité est déterminante : ce que nous dépensons à une chose ne peut plus être dépensé à autre chose. Dans la mesure où la science médicale peut bien plus que ce que la société peut se permettre avec les deniers publics, nous devons oser nous demander en toute honnêteté dans le cadre d'une garantie universelle de soins de base de qualité, quelles possibilités médicales sont si importantes qu'elles doivent être incorporées dans le paquet public et lesquelles ne doivent pas l'être.

Une question philosophique fondamentale est à la base de ces deux questions. Quelle est la bonne norme pour répondre à ces questions? En d'autres termes, quel est l'idéal de soins de santé équitables que nous devons poursuivre?

Un idéal séculaire bien connu est ce que Dworkin nomme "*the ideal of insulation*". Cet idéal a trois caractéristiques essentielles.

- La première caractéristique consiste à affirmer que la vie et la santé sont notre bien le plus précieux, le **Summum Bonum**. Ou comme le déclarait le philosophe français du XVI<sup>e</sup> siècle René Descartes : c'est notre bien le plus important qui doit être protégé et qu'il faut promouvoir par tous les moyens. Tout le reste est d'une importance moindre.
- La deuxième caractéristique est l'**équité**. Elle suppose que les soins médicaux doivent être répartis sur une base égalitaire qui ne prive personne des soins nécessaires sous le prétexte qu'il ou elle ne peut pas les payer.
- La troisième caractéristique est le vieux **principe du sauvetage (*rule of rescue*)** qui dit qu'il est inacceptable que des gens meurent, alors qu'ils auraient pu être sauvés, car on leur a refusé les biens nécessaires pour des motifs économiques.

Cet idéal est un idéal séculaire qui a longtemps servi de guide pour la pratique médicale. La force de cet idéal est tellement grande que nous avons spontanément tendance à penser que c'est la bonne norme pour répondre à nos deux questions fondamentales. Dworkin nous montre cependant que cela n'est pas le cas. Même s'il a fonctionné correctement pendant des siècles, aujourd'hui, il est devenu inutilisable. Pire encore, si nous continuons à utiliser cet idéal, celui-ci fera probablement plus de mal que de bien.

- Prenons, d'abord, la question agrégative. Combien d'argent notre société est-elle disposée à consacrer aux soins de santé? Selon l'*ideal of insulation*, nous devrions donner tout ce que nous pouvons pour parvenir au niveau où plus aucun gain ne peut être obtenu en termes de santé ou d'espérance de vie. Dans la réalité, cependant, aucune société n'organise sa politique de santé de cette façon, tout comme les personnes individuelles n'organisent pas leur vie de telle façon que littéralement tout est étudié pour avoir la vie la plus longue et la plus saine possible. L'essence du problème est que, auparavant, il n'y avait pas un tel fossé entre la rhétorique de l'*ideal of insulation* et toutes les possibilités médicales. Cependant, au cours de ces dernières décennies, les possibilités médico-technologiques en termes de diagnostic et de thérapie ont connu un tel développement que nous pouvons aujourd'hui nettement plus que par le passé. C'est la raison pour laquelle il n'est pas raisonnable de supposer que la société place la santé sur la plus haute marche du podium, avant toutes les autres valeurs, et qu'elle doit protéger et promouvoir la santé et l'espérance de vie par tous les moyens et à tout prix.

Si nous confrontons l'idéal à ce problème, l'argument devient caduc. La meilleure réponse possible que nous pouvons apporter est que l'importance du budget de la santé doit être décidée dans la "sphère politique". Nous nous en remettons alors aux responsables

politiques qui doivent à leur tour veiller à trouver une réponse. C'est une réponse quelque peu décevante. En effet, de cette façon, l'*ideal of insulation* n'offre pas de contribution de fond au débat. Bien au contraire. Le problème réside dans le fait que si l'éthique philosophique a une mission quelque part, c'est bien qu'elle devrait pouvoir, sur la base d'un raisonnement solide et consistant, offrir des indicateurs à ceux qui ont pour tâche de définir la politique.

– Ensuite, il y a la question distributive. L'*ideal of insulation* veut que le budget soit réparti de façon et équitable (cf. la réponse procédurale de Daniels). Mais que cela signifie-t-il? L'idéal nous dit quelque chose qui est certainement très important, à savoir que l'accès aux soins médicaux ne peut pas dépendre de la capacité financière. Mais c'est un avis purement négatif. Nous avons besoin d'un avis positif. En effet, si la rationalisation des soins de santé ne peut pas être définie par l'épaisseur du portefeuille de tout un chacun, quel principe devons-nous par contre suivre? Le critère du besoin médical? Dans ce cas, il est nécessaire que nous réalisons une analyse pour définir quels besoins sont à ce point importants qu'ils doivent être satisfaits et lesquels ne doivent pas l'être. Une nouvelle fois, le vieil idéal ne peut nous être d'aucun secours à ce niveau.

Dans son modèle, Dworkin a formulé une approche alternative basée non pas sur l'idée de la séparation des soins de santé (*ideal of insulation*) mais sur l'idée de l'intégration des soins de santé en compétition avec d'autres biens importants ('le principe hypothétique de l'assurance raisonnable') L'idée centrale est:

*"We should aim to make collective, social decisions about the quantity and distribution of health care so as to match, as closely as possible, the decisions that people in the community would make for themselves, one by one, in the appropriate circumstances, if they were looking from youth down the course of their lives and trying to decide what risks were worth running in return for not running other kinds of risks." (Dworkin 1993, pp. 208-209)*

Ce mécanisme est basé sur la réflexion suivante. Supposons que

- nous disposions tous de la même somme d'argent ;
- il y ait un marché d'assurances équitable avec les corrections nécessaires ;
- nous encourrions tous un risque égal devant la maladie et le handicap.

Pour quelles formes de soins de santé nous assurerions-nous avec raison et pour lesquelles ne le ferions-nous pas? À cet égard, Dworkin affirme qu'il ne serait pas raisonnable de ne pas prendre d'assurance. En même temps, il ne serait également pas raisonnable de consacrer tout son argent aux soins de santé, car, dans ce cas, il ne nous reste plus rien à consacrer aux autres choses, comme les loisirs, l'enseignement et le logement. Ceci signifie que le mécanisme d'assurance hypothétique fixe aussi bien une limite plafond qu'une limite plancher à ce que nous voulons consacrer aux soins de santé.

Si nous poursuivons l'exercice, plusieurs indicateurs intéressants en termes de contenu émergent. En effet, le fait est que si, dans la situation hypothétique, la plupart des gens venaient à opter pour une assurance contre certains risques, le degré d'équité de notre société réelle peut être mesuré en fonction de la quantité de gens qui ont effectivement cette couverture et le degré d'iniquité en fonction de la quantité de personnes qui ne l'ont pas. Et l'inverse est également vrai : si les gens optant pour certaines formes de soins de santé sont peu nombreux, il ne serait pas équitable d'obliger tout un chacun à être solidaire en la matière.

Par conséquent, nous pouvons utiliser le mécanisme hypothétique de l'assurance raisonnable comme une sorte de guide pour nous aider à déterminer pour quelles formes de soins de santé chacun accepte d'être solidaire et pour quelles formes pas du tout. À cet égard, argumente Dworkin, il est raisonnable d'admettre que la plupart des gens voudraient s'assurer pour des soins de base de qualité ayant une probabilité de succès raisonnable ainsi que pour des soins de longue durée de soutien et de soulagement de la douleur en cas de vieillesse ou de handicap.

Par ailleurs, il est également raisonnable de penser que nous serions beaucoup moins disposés à nous assurer pour des interventions prolongeant la vie très onéreuses mais spéculatives, par exemple, dans le cas d'un coma irréversible, durant les dernières phases d'une démence ou à un âge très avancé. Il est raisonnable de supposer que la plupart des gens penseraient que le coût de la prime de cette assurance devrait plutôt être consacré à des choses qui profiteraient à la vie avant la démence. Mieux encore, à une assurance couvrant des soins corrects aux personnes dépendantes, dispensés dans le respect de la dignité et garantissant une assistance suffisante et un soulagement nécessaire de la douleur. Mais pas pour certaines formes de soins expérimentaux à haute valeur technologique présentant une très faible probabilité de succès. Le fait est que, même si la plupart des gens souhaitent effectivement vivre le plus longtemps possible, cela n'est vrai qu'à condition que la qualité de vie soit suffisamment bonne, c'est-à-dire si on reste conscient et alerte, et si on dispose de suffisamment de soins d'assistance pour rendre la vie de la personne malade ou dépendante aussi confortable que possible. On ne veut pas cela à tout prix. Ce faisant, nous prenons nos distances par rapport à l'idéal cartésien moderne. S'il y a élargissement du fossé entre tout ce qui est possible d'un point de vue médico-technologique et ce à quoi nous pouvons tous avoir accès sur un pied d'égalité, la responsabilité morale de la société n'a pas tellement à voir avec le fait de faire le maximum au nom de la santé comme bien le plus précieux mais plutôt avec la mise en place d'un accès égal à des soins de base de qualité et corrects pour tout un chacun. De la même façon, nous pourrions examiner – dans une phase ultérieure – quelles formes de soins de base de qualité et quelles formes de technologie de pointe sont à classer dans ces deux catégories respectives.

**En appliquant le point de vue de l'égalitarisme à la problématique du financement des médicaments onéreux, nous voyons se manifester une tension entre d'une part le principe de l'égalité d'accès aux soins de santé sur la base de besoins identiques et, de**

l'autre, le problème que les possibilités diagnostiques et thérapeutiques actuelles dépassent la capacité de financement collectif (et qu'il peut donc être question d'un *unmet medical need*). Dans le modèle d'assurance hypothétique de Dworkin, l'aspect du rapport risque-bénéfice (preuves/ *evidence*) joue également un grand rôle par rapport à ce que l'on pourrait intégrer au modèle collectif. Cela signifie par conséquent que les médicaments orphelins pour lesquels il existe souvent ou majoritairement un manque de preuves du fait du nombre de patients, par définition réduit, n'auraient pas de place dans ce modèle, sauf si d'autres arguments venaient s'ajouter.

#### C.1.1.4. L'approche par capacités (*capabilities approach*)

Une autre variante spécifique de l'égalitarisme se retrouve dans l'approche par capacités, développée par Amartya Sen et Martha Nussbaum. Le point de départ de cette théorie réside dans l'idée des facultés ou capacités (*capabilités*) humaines, à savoir ce que les personnes peuvent faire et être en réalité. Il s'agit des possibilités réelles de développement et de réalisation qu'une personne possède. En l'occurrence, il s'agit, par exemple, de la possibilité de vivre, d'être en bonne santé, de pouvoir penser et ressentir, de pouvoir jouer, de pouvoir se détendre, manger, être heureux. Selon Nussbaum et Sen, il ne suffit pas, dans l'économie du développement, de considérer le produit intérieur brut. Il faut, par contre, considérer la mesure dans laquelle les personnes peuvent déployer ces capacités (ou 'capabilités') et ont la liberté de les transformer en *functionings* effectivement réalisés.

Ce qui est spécifique à Nussbaum, c'est le fait qu'elle développe davantage l'approche par capacités sur le plan du contenu en une liste de dix '**capabilités**' (**capacités**) **humaines essentielles**. En bref, cette liste équivaut aux questions suivantes. (1) Les personnes peuvent-elles survivre? (2) Peuvent-elles mener une existence saine sur le plan physique avec suffisamment de nourriture et un logement solide? (3) Sont-elles libérées d'une atteinte à leur intégrité physique? (4) Peuvent-elles élargir leurs horizons en utilisant leurs sens, en s'imaginant des choses et en réfléchissant et peuvent-elles le faire dans une atmosphère de liberté de religion et d'expression? (5) Peuvent-elles se développer au niveau émotionnel et nouer des liens avec d'autres personnes? (6) Sont-elles en mesure de se faire une opinion de ce qui est «bien» et de s'engager dans une réflexion critique sur la planification de leur vie? (7) Sont-elles en mesure de vivre avec d'autres dans une atmosphère d'engagement envers l'autre et avec le respect nécessaire de sa propre personne? (8) Peuvent-elles vivre en accordant de l'attention aux animaux, aux végétaux et à la nature? (9) Peuvent-elles jouer et profiter de la détente? Et enfin, (10) les personnes peuvent-elles s'organiser et ont-elles la possibilité de participer pleinement sur le plan tant politique qu'économique? Ces questions forment pour Nussbaum la pierre de touche d'une existence conforme à la dignité humaine et devrait servir la charte reprenant les points que chaque constitution de chaque pays devrait respecter. Une société qui ne peut garantir à tous ses citoyens, à un seuil adéquat, ces dix droits sociaux minimaux qui sont essentiels pour une vie digne est déficiente et n'est pas une société équitable. Concrètement, cela signifie que la société doit consacrer des

moyens suffisants pour rendre les capacités ou ‘capabilités’ susmentionnées accessibles à chaque citoyen.

Que pouvons-nous dire, à cet égard, sur le rôle et la signification des soins de santé dans la théorie de Martha Nussbaum? Pour commencer, nous constatons qu’il s’agit d’une condition sociale ou externe fondamentale pour la santé des personnes. À travers les piliers *prévention* et *cure*, elle apporte en effet une contribution fondamentale à la promotion et au maintien de la santé physique et mentale des personnes. Et, via le pilier *care*, à savoir les soins de soutien pour les handicapés, les malades chroniques et les personnes âgées, les soins de présence dans les cas de situations aiguës, les capacités ou ‘capabilités’ en termes de soutien moral (fût-il parfois minime), de développement émotionnel, de proximité avec d’autres personnes, de jeu et de détente, etc. sont stimulées.

Même si l’état de santé des personnes est en partie déterminé par le hasard (bagage génétique, classe sociale, conditions environnementales) et que l’on ne peut dès lors attendre des autorités qu’elles veillent à ce que toutes les personnes soient bien portantes, il s’agit par contre d’un devoir pour toute société équitable de remplir les conditions sociales de l’aptitude ou de la ‘capabilité’ à la santé. Cela implique un effort positif de la part des autorités et suppose qu’elles doivent établir de bons soins de santé qui soient accessibles à tous.

Il est particulièrement intéressant de noter que Nussbaum se concentre, depuis 2001, de manière explicite et systématique sur le rôle et la signification des soins (*care*) dans une société équitable, et ce essentiellement dans un dialogue critique avec la théorie rawlsienne de la justice.<sup>21</sup> L’ensemble comprend une forte critique de la tradition occidentale du contrat social, une tradition dont la théorie rawlsienne est l’une des plus puissantes représentantes actuelles.

Pour commencer, Nussbaum soutient que les soins sont une donnée omniprésente dans chaque société. Elle avance que chaque être humain, à différents moments de sa vie, est dépendant des soins donnés par d’autres. Pour la plupart d’entre nous, ces soins ont un caractère temporaire, tels que les soins dont nous avons besoin dans notre développement en tant que personnes adultes, ou les soins qui sont nécessaires pour pouvoir guérir lorsque nous sommes malades ainsi que les soins dont nous sommes entourés dans nos vieux jours. Pour d’autres personnes, les soins sont constants dans leur vie, comme dans le cas des personnes souffrant d’un handicap et d’une maladie chronique. En résumé, dans chaque société, il y a des personnes qui ont besoin de soins et des personnes qui dispensent ces soins. En tant que tels, les soins peuvent être considérés comme une caractéristique

---

21 Cela a commencé par un examen approfondi du livre d’Eva Kittay, *Love’s Labour: Essays on Women, Equality, and Dependency* de 1999 qui, d’une part, propose une critique fondamentale de la théorie rawlsienne de la justice parce que les soins (non seulement la dépendance du point de vue des soins, mais aussi l’offre de soins) ont une place insuffisante dans sa théorie, et qui, d’autre part, contient un récit émouvant de la vie quotidienne avec une fille lourdement handicapée (voir Nussbaum 2001, 2002, 2004, 2006).



essentielle de la vie humaine et un mode de vie des êtres humains. Les soins comprennent tous les actes que les personnes posent et dont elles ont besoin pour améliorer leur existence et la rendre plus humaine.

Néanmoins, argumente Nussbaum, les théories de la justice dans la tradition du contrat social, dont la théorie rawlsienne constitue la variante actuelle la plus influente, n'ont presque rien dit à ce sujet, un problème qui n'est pas facile à corriger, car la théorie du contrat ne peut lui laisser de place dans sa structure même. En effet, le point de départ de la théorie du contrat est la supposition que les citoyens sont des membres de la société normaux, actifs et qui coopèrent pleinement pendant toute leur vie (cf. *Normal range of opportunities* de Norman Daniels). Le modèle de société de cette théorie est fortement empreint de l'idée d'une réciprocité productive. Une société est considérée comme une collaboration coopérative entre citoyens qui sont à peu près semblables et qui disposent des mêmes capacités à la collaboration. Mais qu'en est-il, alors, de ceux qui ne participent pas, ne participent pas encore, ne participent plus ou ne participeront jamais à la logique économique de la coopération sociale et de la réciprocité productive, tels que les enfants, les malades chroniques, les handicapés, les personnes âgées? Tant Rawls que Daniels admettent que leur théorie des soins de santé équitables ne s'appliquent qu'aux besoins qui se situent dans les situations ordinaires (*the normal range*): "*The aim is to restore people by health care so that once again they can be fully cooperating members of society*" (Rawls 1996, p. 184) et "*No one suffers from unusual needs that are specifically difficult to fulfill, for example, unusual and costly medical requirements*" (Rawls 1996, p. 272).

Nussbaum fait valoir que son approche par capacités peut, mieux que la théorie rawlsienne, apporter une réponse à la problématique complexe des soins, notamment à la problématique des soins de longue durée ou *care*.

Si nous considérons la problématique des soins de longue durée ou *care*, nous constatons que son intérêt apparaît, sur différents points de la liste des capacités ou 'capacités' de Nussbaum, en tant que partie de ce qui est nécessaire pour garantir que les citoyens sont soutenus autant que possible dans le développement de leurs capacités. Il est dès lors raisonnable de considérer les soins comme un soutien essentiel pour pouvoir développer les capacités suivantes: la vie, la santé physique, l'intégrité physique, le développement mental et des sens, l'établissement de liens émotionnels avec les personnes, le fait de pouvoir se faire une idée du bien et de ce que l'on souhaite dans la vie, l'engagement envers les autres, le jeu et le fait de jouir de la détente. Bien que cette relation entre les soins et les capacités ou 'capacités' puisse paraître, à première vue, quelque peu élaborée et tirée par les cheveux, elle apparaît cependant très clairement lorsque nous considérons la façon dont les soins sont dispensés pour les handicapés mentaux et physiques, pour les personnes âgées et pour les malades chroniques. C'est précisément dans ces situations que les soins à la personne ne sont pas une question de *cure*, mais plutôt et essentiellement une question de la qualité de vie à réaliser dans une situation de dépendance persistante. Cela suppose un soutien des capacités ou 'capacités' susmentionnées. Une société qui veut réaliser des

soins de santé équitables, doit également tenir compte de l'importance de l'aspect *care* – outre celle de la prévention et de l'aspect *cure*.

Enfin, la théorie de Nussbaum nous éloigne de l'idée de la simple réciprocité productive et concentre l'attention sur la complexité des relations humaines et les nombreuses formes différentes que la réciprocité peut adopter. Au lieu de se concentrer exclusivement sur le rôle des autorités dans le soutien au fonctionnement normal, à l'activité, l'indépendance, la rationalité, il est d'une importance capitale que les autorités s'engagent dans le soutien de toutes les capacités ou 'capabilités' sur la liste. Même sur celles qui, à première vue, ne semblent peut-être pas si utiles pour la réalisation de la croissance économique et la promotion de la coopération productive entre les citoyens.

À cet égard, fait valoir Nussbaum, nous devons nous demander si l'idée de la société en tant que coopération sociale entre citoyens en vue d'un avantage mutuel offre bien une vision *complète* de ce qu'est une société. Lorsque nous considérons, par exemple, des initiatives de soutien à l'enseignement de personnes souffrant d'un grave handicap, ou d'autres formes de soutien par des soins adaptés, il est clair que nous ne pouvons les évaluer en termes d'avantage productif, ou économique, réciproque. Ce que "produisent" ces initiatives est beaucoup plus complexe. L'avantage qui en résulte est, par exemple, l'avantage du respect pour la dignité de personnes souffrant d'un handicap, du soutien à leur développement, etc.. Le fait que cela soit "utile" ou non, au sens restreint, productif qu'aurait l'avantage économique, importe peu. Il offre également une compréhension de l'humanité et de sa diversité sous toutes ses formes, ainsi que de la diversité avec laquelle les relations humaines prennent forme. Il offre également une connaissance de la valeur de la dépendance et de la dignité des personnes qui sont dépendantes. Dans l'ensemble, argumente Nussbaum, cela implique que par l'équité, nous comprenons également toute la valeur de l'insertion des plus vulnérables d'entre nous.

L'intérêt de l'approche de Nussbaum réside dans le fait qu'elle a interrompu la focalisation unilatérale sur le fonctionnement sain, normal et la contribution des soins de santé à celui-ci, en élaborant un contenu plus large des soins et de la dignité humaine. De la sorte, elle a montré l'importance des soins à long terme et de leur intégration nécessaire dans une théorie de la justice (au lieu de s'en remettre à la charité).

En même temps, nous pouvons avancer que son approche par capabilités (capacités) est une théorie riche et complexe qui suppose énormément de choses. La limitation de la théorie de Nussbaum apparaît également ici. Le fait de faire des choix, de mettre en balance, de fixer des priorités dans les soins de santé n'est pas pris en compte dans sa théorie. Et il n'est pas évident non plus d'extraire de sa théorie une réponse possible à ces questions. Son approche par capabilités revêt, en tant que "théorie minimale" de l'équité sociale et en tant que charte reprenant les points que chaque constitution de chaque pays devrait respecter et devrait garantir à tous ses citoyens, à un seuil adéquat, une importance particulièrement grande dans les théories de la justice actuelles. Toutefois, si nous sommes confrontés de

façon concrète à des macro-problèmes relatifs à la rareté dans les soins de santé, à des problèmes de choix, son approche par capacités n'a pas de limite supérieure. Tout ce qui est possible est-il obligatoire? Certes non. Toutefois, nous ne trouvons pas encore, dans sa théorie, de réponses aux questions concernant les choix à opérer et la manière de les arrêter.

**Appliquée à la problématique du financement des médicaments coûteux, la théorie par capacités (*capabilities approach*) implique que nous devrions aussi intégrer dans le système collectif les traitements qui ne sont pas immédiatement "utiles" au sens où ils sont strictement destinés à assurer la survie ou le fonctionnement normal, mais surtout considérer la qualité de vie au sens plus large. Ceci peut aller très loin et inclure tous les traitements axés sur l'amélioration de la qualité ou du confort. Bien que ce point soit évidemment très important, on doit se demander où se situe dans ce cadre la limite entre ce qu'il est juste de garantir à chacun et ce qui ne l'est pas.**

### C.1.1.5. L'approche communautariste

Le communautarisme est une cinquième théorie de la justice. Selon la théorie communautariste, nous devons nous garder de mettre trop l'accent sur des principes abstraits et formels (comme l'autonomie, la liberté, la rationalité). Selon cette théorie, l'essence d'une personne individuelle et de notre conception d'une société équitable ne réside pas dans des idéaux abstraits, formels, rationnels, universels et théoriques, mais bien dans des interprétations concrètes, en prise sur le contexte et la société de ce qu'implique le fait d'être humain. En effet, une personne n'est jamais totalement indépendante, mais est toujours intégrée dans la société, formée par les liens communautaires qui l'entourent et par les valeurs qui y sont présentes. Ces relations et valeurs sont fondées sur "*our shared understandings*" ou des compréhensions partagées, et sur des "*community-derived standards of justice*" ou des normes en matière d'équité issues de la société. De la sorte, elles constituent la base de la responsabilité interindividuelle et de la solidarité, cette dernière étant comprise comme étant "*both a personal virtue of commitment and a principle of social morality based on the shared values of a group*" (Beauchamp et Childress 2008, pp. 246-247).

Les principes et critères de l'approche communautariste sont, par définition, pluralistes, liés à la vie en société et issus de nombreuses conceptions différentes du bien-vivre. Ce faisant, les partisans de la théorie communautariste ne défendent jamais une théorie universelle de l'équité mais se concentreront sur des traditions normatives et des cadres de valeur dans des sociétés concrètes. Certains, comme Alisdair MacIntyre et Robert Bellah, remonteront à cet effet aux traditions normatives du passé. D'autres, comme Michael Walzer, avanceront que nous devons bien considérer les conceptions qui prévalent actuellement en matière d'éthique et de moralité dans la société afin d'examiner ce que renferment les conceptions communautaires du rôle et des responsabilités dans la réalisation du bien et de l'équité. En

ce sens, la théorie de Michael Walzer doit se comprendre dans un sens particulariste (par opposition à un 'sens universaliste') : *"Our shared understandings: the vision is relevant to the social world in which it was developed; it is not relevant, or necessarily, to all social worlds"* (Walzer 1983, p. xiv).

La perspective particulariste du communautarisme implique que notre conscience éthique et nos sensibilités morales sont enracinées et acquièrent une signification dans la société morale particulière où nous vivons. Ce particularisme implique que les besoins sont déterminés par des normes d'équité issues de la société. Appliqué aux soins de santé, cela signifie que les besoins sont liés aux cadres sociaux et sociétaux dans lesquels nous vivons, et ne peuvent être définis de façon complètement indépendante de ceux-ci. Strictement parlant, le communautarisme, en tant que tel, n'offre aucun fondement pour un droit moral universel aux soins de santé. Cela s'avère problématique lorsque ce point de vue se transforme en un relativisme absolu et, en tant que tel, échappe à toute forme de critique morale. Un exemple à cet effet est l'argument de l'esclave satisfait. Lorsqu'aucun fondement n'est proposé pour une critique morale à l'égard de formes d'oppression enracinées dans la culture, cela s'avère problématique au plan éthique: *"When forms of deprivations are culturally embedded, those who suffer them may be unable to imagine or hope for freedom and autonomy, but this would be a poor reason for us to accept that their circumstances are just and their needs adequately met"* (Wolf 1998, p. 344).

Il en va de même pour les soins de santé. Malgré le fait qu'un système de soins de santé donné soit toujours le résultat d'un consensus public dans une société concrète, il existe toutefois une sorte de base universelle et objective sous la forme d'un 'devoir' qui l'emporte sur la particularité d'une communauté concrète. Un exemple d'un tel 'devoir' pourrait être le moment de ce que l'on nomme 'l'expérience du contraste négatif': une forme de ressenti fondamental et universel que certaines choses sont inacceptables, telles que, par exemple, laisser mourir quelqu'un sur le trottoir ou ne pas donner à quelqu'un l'accès à des soins médicaux urgents à l'hôpital au motif qu'il n'a pas d'assurance-maladie. En ce qui concerne les soins de santé, l'idée de leur importance et de l'importance d'un accès égal à ces soins renvoie au ressenti universel de ce que nous considérons comme ayant une importance fondamentale dans la vie des personnes.

Il reste cependant très difficile, pour l'approche communautariste, de passer outre la multitude de conceptions de ce que renferment concrètement des soins de santé équitables. Aux États-Unis, il existe par exemple une compréhension partagée (*shared understanding*) d'une grande partie de la population selon laquelle les soins de santé devraient être organisés selon les principes du libre marché (Callahan 2008). Le fait est que l'approche communautariste ne peut, en raison de son propre particularisme, offrir de fondement pour indiquer la supériorité d'une compréhension partagée (*shared understanding*) sur une autre (Denier et Meulenbergs 2002).

Appliqué à la problématique du financement des médicaments onéreux, l'approche communautariste nous impose de nous interroger sur les *understandings* ou compréhensions très diversifiées des acteurs impliqués (les parties prenantes directes comme le patient, la famille, le médecin traitant et l'hôpital, et les parties prenantes indirectes comme le médecin-conseil, les experts dans des organes de décision, les autorités, les représentants d'associations de patients, etc.) et les divers niveaux de prise de décision (micro, méso et macro). De plus, les *shared understandings* ou compréhensions partagées, ne sont pas uniquement définies sur la base d'éléments rationnels et intellectuels : les émotions jouent également un rôle important dans le débat public (cf. l'importance du "visage du patient" dans les campagnes publiques et les interventions des médias). Bien qu'en soi, la théorie communautariste ne puisse servir de fondement pour affirmer que telle *shared understanding* est supérieure à telle autre, elle a une valeur ajoutée en ce qu'elle nous révèle l'existence objective de *shared understandings* divergentes à des niveaux différents (macro, méso, micro).

### C.1.2. Rareté

Le contexte des réflexions qui précèdent concernant des soins de santé équitables, plus particulièrement à la lumière de la problématique du financement des médicaments onéreux, est fondamentalement déterminé par la problématique de la rareté, à savoir par la limite des moyens. Nous ne disposons tout simplement pas de moyens en suffisance pour répondre à toutes les demandes et à tous les besoins.

Équité et rareté sont étroitement liées. Selon David Hume et John Rawls, la rareté est l'une des 'circonstances de justice'. Selon cette interprétation, les problèmes d'équité naissent précisément de la condition de rareté: "*Justice arises because of the scanty provision nature has made for [men's] wants*" (Hume 1978, p. 495).

Nous distinguons ici d'emblée la dualité de la dynamique liée à la rareté: la dynamique externe et la dynamique interne (Denier 2007, 2008).

La dynamique externe de la rareté renvoie à la rareté en tant que donnée naturelle et matérielle (une conséquence du fait que nous ne vivons pas au Paradis et que les moyens disponibles sont limités). En termes techniques, cette donnée de rareté renvoie à la donnée matérielle du coût d'opportunité, c'est-à-dire du coût de quelque chose en termes d'opportunité auquel on renonce du fait même de ce choix. Un euro affecté à un bien donné est par la même occasion un euro qui n'aura pu être affecté à un autre bien. Cette dynamique externe de la rareté renvoie donc à la donnée matérielle et naturelle de la limitation des biens et au fait que l'on ne peut dépenser le même euro qu'une seule fois.

Appliquée aux soins de santé, la dynamique externe de la rareté signifie que nous devons toujours mettre une limite à ce que nous voulons dépenser pour les soins de santé parce

qu'il existe aussi d'autres objectifs importants qui doivent être réalisés dans la société (enseignements, politique du logement, politique de la pauvreté, défense, trafic, ...) (voir A.2.1.). L'euro dépensé pour les soins de santé est aussi un euro qui ne pourra plus être affecté, par exemple, à l'enseignement.

La dynamique interne de la rareté renvoie à la rareté en tant que construction moderne anthropologique et sociale (Illich 1975; Calabresi et Bobbitt 1978; Achterhuis 1988). Ce qui implique que même en cas de surabondance de biens et de moyens, nous n'en éprouverons pas moins une certaine rareté parce que nos besoins et nos envies sont dans une très large mesure formés et renforcés par des mécanismes anthropologiques et sociaux. La dynamique interne renvoie à l'idée que la rareté naît aussi de l'impossibilité de remplir nos besoins et envies subjectifs qui ne connaissent pas de limites. La rareté est de ce faite aussi une condition éternelle.

Appliqué aux soins de santé, la dynamique interne de rareté signifie ce qui suit. Imaginons qu'une société décide de consacrer tous ses moyens exclusivement aux soins de santé. Ils n'en seraient pas moins insuffisants, précisément parce que nous sommes ici confrontés à l'argument dit *bottomless pit* (Arrow 1973): les moyens disponibles ne suffiront jamais à répondre à tous les besoins et désirs parce que ceux-ci sont infinis et épuiseront tous les moyens. Ce qui s'inscrit dans la possibilité infinie de la médecine de faire toujours davantage de choses – toujours plus coûteuses – pour les patients (Porter 1999). En matière de soins de santé, l'offre existante génère aussi toujours une demande spécifique et de nouveaux besoins. Une multiplication de l'offre implique alors aussi toujours une augmentation de la demande ou du besoin: *“Since to conquer one peak is merely reveal yet others to climb, we cannot assume that a doubling or even a trebling of the volume of resources allocated to [health care] would close the gap between supply and demand”* (Butler 1999).

### C.1.3. Possibilités exponentielles

Un autre élément important de la problématique du financement de médicaments onéreux, est la simple contradiction entre les possibilités cliniques infinies en matière de diagnostique et de thérapie d'une part et les capacités économiques (la faisabilité financière de tout cela) d'autre part. Les possibilités scientifiques et médico-technologiques des soins de santé sont immenses. L'histoire de la médecine présente d'ailleurs une augmentation exponentielle des possibilités thérapeutiques et de diagnostique (par exemple en matière de recherche sur le SIDA et le cancer, et les évolutions de la médecine personnalisée).

A quoi vient encore s'ajouter que chaque progrès réalisé dans les sciences médicales crée à son tour de nouveaux besoins qui n'existaient pas avant que les moyens et possibilités d'y répondre soient devenus réalité, ou à tout le moins de l'ordre du possible (comparez par exemple les évolutions en matière de procréation assistée).

Ce qui a des conséquences sur notre *compréhension* des soins de santé équitables ('Un accès identique à tous sur la base de besoins identiques', cf. supra) ainsi que sur notre *ressenti* collectif de ce qu'est l'équité (nous ne pourrions en effet pas financer collectivement tout ce qui est médicalement possible en termes de réponse aux besoins médicaux).

#### C.1.4. Responsabilité professionnelle et déontologique

Étant donné l'élargissement du fossé entre ce qui est médicalement possible et ce qui est financièrement envisageable au niveau public, les médecins sont questionnés de manière très spécifique concernant leur responsabilité professionnelle et déontologique par rapport au cadre dans lequel ils agissent. Non seulement à l'égard de leur patient, mais aussi à l'égard de la société et à l'égard de la solidarité qui peut y être réalisée.

Alors que le médecin pouvait depuis toujours agir selon le principe hippocratique classique (c'est-à-dire: Fait tout ton possible pour le bien de ton patient), le médecin est maintenant aussi questionné quant à la faisabilité financière du traitement, non seulement pour le patient mais aussi pour la société dans son ensemble (Garbutt et Davies 2011).

Ce qui signifie, si nous tenons compte de tout ce qui précède, que le bon vieux principe du sauvetage (c'est-à-dire, qu'il est inacceptable que des êtres humains doivent mourir alors que leur vie aurait pu être sauvée) est remis en question pour des motifs d'ordre financier (Dworkin 1993, 1994). Lorsque le médecin doit non seulement s'assurer de l'efficacité du traitement mais aussi de sa faisabilité financière, sa responsabilité professionnelle et déontologique s'en trouve fortement remise en question.

A cet égard, la pratique de l'engagement de paiement semble dès lors éthiquement problématique parce que le patient (ou son représentant) se trouve dans une position vulnérable et dépendante. Se pose ensuite aussi la question de savoir comment interpréter un refus de signature par le patient ou la famille? Déontologiquement, cette situation semble susciter des problèmes: le médecin ne donne dans ce cas pas les meilleurs soins au patient en raison de problèmes de faisabilité financière. Ici aussi, le principe du sauvetage est remis en question.

#### C.1.5. Optimisme et foi dans le progrès

Les possibilités croissantes sur le plan de la technologie médicale sont le catalyseur de la hausse des coûts dans les soins de ce qui est renforcé par la foi moderne dans le progrès et par les attentes optimistes qui en découlent à l'égard de la médecine et des soins de santé, lesquelles reposent à leur tour sur la conception généralisée que la vie et la santé sont le *Summum Bonum*: le bien souverain qu'il convient de protéger et de promouvoir à tout prix (Illich 1975, 1986; Foucault 1963; Karskens 1988).

Ce discours, selon lequel la science et la technologie concrétiseraient le progrès médical et permettraient de renforcer notre contrôle sur la nature humaine, la santé et la maladie, était déjà formulé en ces termes par Descartes (1637) :

*"[...] la conservation de la santé [...] est sans doute le premier bien et le fondement de tous les autres biens de cette vie; car même l'esprit dépend si fort du tempérament, et de la disposition des organes du corps que, s'il est possible de trouver quelque moyen qui rende communément les hommes plus sages et plus habiles qu'ils n'ont été jusqu'ici, je crois c'est dans la médecine qu'on doit le chercher. Il est vrai que celle qui est maintenant en usage contient peu de chose dont l'utilité soit si remarquable; mais, sans que j'aie aucun dessein de la mépriser, je m'assure qu'il n'y a personne, même de ceux qui en font profession, qui n'avoue que tout ce qu'on y sait n'est presque rien, à comparaison de ce qui reste à y savoir, et qu'on se pourrait exempter d'une infinité de maladies tant du corps que de l'esprit, et même aussi peut-être de l'affaiblissement de la vieillesse, si on avait assez de connaissance de leur causes, et de tous les remèdes dont la nature nous a pourvus."*

Cet optimisme s'exprime à l'heure actuelle dans nos attentes à l'égard, par exemple, de la recherche génétique et de la médecine personnalisée, du dépistage, par exemple, du cancer et de toutes les possibilités médico-technologiques de soutenir l'existence et de la prolonger (par exemple, la chirurgie robotique, les techniques opératoires cardiaques par l'aïne (catheter), etc.).

Cette dynamique fondamentalement humaniste de la foi dans le progrès a rendu beaucoup de choses possibles. Les acquis actuels dans les domaines médical et technologique témoignent de la croyance dans les possibilités humaines. Toutefois, cette conviction moderne dans le progrès a aussi ses côtés négatifs ; elle a en effet également soutenu une espèce d'activisme humain (s'attaquer aux problèmes, ne pas renoncer, chercher sans relâche des solutions, etc.) qui, en raison de sa propre attitude fondamentalement énergique, a instillé une **incapacité croissante** à faire face à l'issue fatale d'une situation tragique.

Appliqué à la problématique du financement et/ou du remboursement de médicaments ou thérapies innovantEs et très onéreux(SES), nous pouvons, dans ce cadre, souligner trois éléments.

- Le progrès scientifique repose sur la foi dans l'innovation et dans l'amélioration du *statu quo*, sur des expérimentations minutieusement contrôlées, sur un engagement inébranlable à vouloir réaliser certaines choses qui ne sont actuellement pas encore possibles, mais qui le seront peut-être demain. Il s'agit du facteur de **l'intérêt général** (le progrès scientifique).
- D'autre part, il convient cependant toujours de se demander, au cas par cas, comment et dans quelle mesure une expérimentation ou une innovation donnée sert



**l'intérêt individuel** d'un patient donné. Au regard de la médicalisation actuelle de la société, le 'shopping médical' ou le 'faux espoir' est un véritable facteur à risque.

- S'agissant des thérapies très onéreuses, il convient de se demander dans quelle mesure la société doit/peut intervenir (solidarité). Il convient de s'assurer à tout instant que les **critères** de remboursement soient clairs et généralement défendables.

## C.2. Concepts et critères essentiels

Dans le cadre de la problématique du financement/remboursement de traitements très onéreux, les concepts et critères ci-dessous jouent un rôle capital. Ils constituent ensemble des valeurs essentielles permettant de déterminer le caractère raisonnable d'un financement ou d'un remboursement de thérapies très onéreuses.

- *Efficacy, effectiveness, efficiency* (voir A.2.3.)
- *Equity*: la question de l'équité<sup>22</sup> et celle de la propension à payer de la collectivité (*willingness to pay*)<sup>23</sup> (voir C.1.1.)
- Utilité (ou futilité) d'un traitement déterminé

Les deux premiers concepts et critères essentiels ont déjà été abordés dans des passages précédents. Ci-après, nous nous arrêterons sur l'utilité/la futilité d'un traitement.

Quand un traitement est-il futile? Même quand le rapport risque/bénéfice d'un traitement destiné à prolonger légèrement la vie, a bien été documenté – ce qui n'est pas toujours le cas – les diverses parties prenantes répondront différemment, sur base des mêmes données "objectives", à la question de savoir si le traitement est futile. Ainsi, il existe pour le cancer de la prostate castration-résistant, un traitement qui a montré dans les études une survie de qualité de quatre mois en moyenne à un prix de plus de trois mille euros par mois. Certains trouveront le coût d'opportunité trop élevé. D'autres argumenteront que les quatre mois sont une moyenne et que, dans les études, certains patients ont survécu pendant une période significativement plus longue. Les membres de famille plaideront peut-être de "lui donner encore une chance". Le patient lui-même trouvera ou ne trouvera pas le surplus de quatre mois précieux. Il est clair que lors de telles discussions et décisions, la concertation entre les prestataires de soins et le patient et sa famille est essentielle. La difficulté de

---

22 Comment pouvons-nous intégrer des thérapies onéreuses dans un cadre de répartition équitable des moyens limités? Il y a des limites à ce que nous pouvons raisonnablement attendre des soins de santé équitables (Daniels 2000; 2001). Les soins de santé ne peuvent pas tout réaliser pour tout le monde. C'est ainsi que la rentabilité de certaines thérapies pourrait s'avérer nécessaire pour garantir la faisabilité financière de l'ensemble du système. Nous devons fixer des limites afin d'éviter l'implosion du système. Il va de soi que ces limites doivent aussi être justifiées par des critères légitimes et raisonnables.

23 'La 'Willingness to pay' (ou propension à payer) renvoie au mécanisme de solidarité et à la légitimité du système de sécurité sociale collectif (Schokkaert 2009, 1998), lesquels s'appuient sur la "propension à payer", c'est-à-dire sur l'inclination des gens à contribuer de manière solidaire au système d'assurance-maladie (Vandevelde 2000, 2001). Cette propension à payer est à son tour déterminée par des critères tels que l'efficacité, la rentabilité et la responsabilité (Schokkaert 2009).

décider si un traitement est oui ou non futile, ne peut toutefois pas servir comme excuse pour acharnement thérapeutique.

## C.3. Critères d'évaluation

Globalement, et basé sur la littérature éthique pertinente, le Comité estime que six critères formels et quatre critères de contenu sont déterminants pour pouvoir prendre une décision justifiée en matière d'application, de financement et de remboursement d'interventions et de thérapies très onéreuses (voir aussi le Tableau 1 figurant dans le résumé).

Les *critères formels* sont les suivants.

1. **Collectivité** : la décision n'est pas une décision purement individuelle. Elle est par contre le résultat d'un processus mené de concert et évalué par des experts.
2. **Caractère raisonnable** : la décision peut être sous-tendue par des motifs mûrement réfléchis, qui sont acceptables pour des intervenants raisonnables et impartiaux. Les décisions ne sont pas prises sur des motifs purement émotionnels.
3. **Pertinence** : les motifs et les procédures ayant abouti à la prise de la décision sont pertinents.
4. **Transparence** : toutes les personnes concernées peuvent prendre connaissance des décisions, des motifs, ainsi que des procédures qui y ont conduit.
5. **Possibilité de recours** : il est possible de déposer un recours à l'encontre de la décision et de revoir cette décision à la lumière de nouveaux éléments de preuve ou de nouveaux arguments.
6. **Force contraignante (critère global)** : ces critères formels ne sont pas facultatifs. Ils doivent être rencontrés pour garantir la prise d'une décision justifiée sur le plan éthique. Autrement dit, les personnes ou instances qui prennent la décision, en un mot les décideurs, doivent examiner chacun de ces critères et pouvoir y apporter une réponse.

Les *critères en termes de contenu* sont les suivants.

- Le **problème de l'équité** : comment est-il perçu et interprété par les acteurs concernés? Où se situe le champ de tension dans un cas particulier? Il est important que ceci soit formulé sur le plan du contenu. (De manière libertaire? Utilitaire? Égalitaire? Basée sur les capacités? Communautariste?)
- Les **éléments de preuve** : quelle est la solidité des éléments de preuve qui contribuent à la prise des décisions? Il existe, par exemple, des éléments de preuve évidents attestant de l'effet bénéfique du traitement des enfants souffrant de la maladie de Pompe ; en revanche, ces éléments font peu ou prou défaut en ce qui concerne le traitement des adultes ; un tel traitement coûte environ 450.000 euro par an par patient (van der Ploeg *et al.* 2010).

- Le *coût* : quel est le coût de la thérapie?
- Les *perspectives* : si les preuves sont suffisantes, quelle est l'importance ou la valeur ajoutée du traitement pour un patient spécifique? Une thérapie contre le cancer, par exemple, assorti d'une survie moyenne ou médiane d'un à deux mois VERSUS un traitement grâce auquel un enfant atteint d'une d'hémophilie grave, aura de bonnes chances de développement normal.

## D. Partie 4 : Recommandations aux parties prenantes

Les parties prenantes ont un rôle à jouer aux divers niveaux (macro, méso, micro). Pour tous, la transparence au niveau des intérêts et des conflits d'intérêts est essentielle. En effet, pour chaque partie prenante, il existe des intérêts susceptibles de mener à des conflits, et la transparence est donc indispensable pour pouvoir conclure que les conflits ne mènent pas à des conflits d'intérêts et ne surtout pas à des confusions d'intérêts.

### D.1. La société

La solidarité joue un rôle déterminant dans le financement des interventions coûteuses, des médicaments onéreux par exemple, et cela mérite réflexion de la part de chaque citoyen. En Belgique, environ 10 % du produit intérieur brut est consacré aux soins de santé, ce qui est comparable à nos pays voisins. Des études menées à l'étranger révèlent que la société est disposée à payer un prix plus élevé pour les soins de santé à condition que l'on explique bien pourquoi cette solidarité est nécessaire, à quoi cet argent est affecté, que les décisions soient prises en toute transparence et que l'on ait la garantie que l'argent sera utilisé à bon escient (Schokkaert 2009). A cet égard, il convient de noter qu'en Belgique, la contribution propre du patient représente environ 20% du coût total des soins de santé<sup>24</sup>, ce qui est nettement plus élevé que dans la plupart de nos pays voisins.

En Belgique, il n'existe pas de représentation directe des patients ou des citoyens dans les organes consultatifs. Au Royaume-Uni, la société est impliquée dans les décisions relatives aux soins de santé par ce que l'on nomme les *NICE Citizens' Panels*. Dans ces panels siègent des personnes issues de toutes les couches de la population, auxquelles sont posées un certain nombre de questions à propos de l'approche de la prise en charge. Un tel panel de citoyens est censé, après une mise au courant détaillée, formuler l'opinion de la société à cet égard. Un exemple par rapport aux médicaments onéreux est celui des avis des *Citizens' Panels* sur les médicaments orphelins : qu'est-ce que la société est et n'est pas disposée à payer ? (voir, par exemple, *Nice Citizen Council Report, Ultra Orphan Drugs*, novembre 2004). Une majorité des participants à ces *Citizens' Panels* estimait, par exemple, que la valeur seuil classique de £ 20.000 à £ 30.000 par QALY comme préconisée au Royaume-Uni, ne devrait pas être appliquée pour les médicaments orphelins. La question se pose de savoir dans quelle mesure les autorités jugent contraignant cet apport de la société.

---

<sup>24</sup> La contribution propre du patient se compose du ticket modérateur (pour les prestations partiellement remboursées par l'INAMI) et des dépenses propres (pour les prestations non remboursés par l'INAMI).

En Belgique, le rapport 195, partie 1<sup>25</sup>, du Centre fédéral d'expertise des soins de santé (KCE) a récemment été publié, dans le cadre duquel les parties prenantes actuellement impliquées ou non dans le processus décisionnel en matière de soins de santé en Belgique, ont été invitées à donner leur avis sur la valeur ajoutée potentielle de l'implication de citoyens et de patients dans ce processus décisionnel et leur éventuel degré de participation (consultation, droit de décision, ...). Une majorité estimait important d'impliquer des citoyens et des patients dans le processus décisionnel en matière de soins de santé en les informant et en les consultant avant de prendre les décisions relatives aux priorités en matière de soins de santé et au remboursement des produits et services. À cet égard, la consultation est interprétée comme étant un niveau d'implication élevé.

Le Comité recommande

- de mieux informer le citoyen sur les raisons de défendre la solidarité, sur le fonctionnement du système, sur la manière dont les décisions sont prises, à quoi l'argent est consacré, et que l'argent est utilisé à bon escient : ce processus d'information doit se dérouler dans la plus grande transparence;
- d'informer correctement le citoyen concernant les décisions sur des cas individuels faisant l'objet d'un débat public.

## D.2. Les autorités

Les autorités prennent des décisions au nom de la société et doivent tenir compte à cet égard de la dimension européenne.

Les autorités doivent être informées de la problématique éthique à laquelle sont confrontés les prestataires de soins et les patients dans des situations où l'on estime qu'il existe des possibilités de traitement utiles et judicieuses, mais qu'il existe souvent encore une part d'incertitude et que ce traitement est excessivement onéreux.

Dans ce cadre, le Comité recommande aux autorités de s'attaquer structurellement à certains obstacles.

### *Les essais cliniques*

Les autorités doivent stimuler la réalisation d'essais cliniques. Ceci peut avoir lieu en facilitant le recrutement par l'établissement, par exemple, des registres nationaux de patients présentant une maladie rare. Des initiateurs d'essais cliniques non commerciaux (les études dites académiques qui portent fréquemment sur des questions fondamentales), mais pour lesquels les chercheurs ne peuvent pas compter sur le soutien logistique et

---

25 Voir <https://www.kce.fgov.be/fr/publication/report/mod%C3%A8les-pour-l%E2%80%99implication-des-citoyens-et-des-patients-dans-les-politiques-de-so>.

financier d'une firme, doivent également être soutenus. Les autorités devraient prendre des initiatives visant à lancer et à sponsoriser eux-mêmes des essais, en vue de répondre aux questions de recherche inintéressantes d'un point de vue commercial.

Pour les traitements coûteux qui concernent souvent des maladies rares, il existe assurément un besoin d'études multinationales, et il faut souligner la dimension européenne. La création d'une structure coordonnant la recherche clinique concernant de tels traitements en Europe est souhaitable. Pour les médicaments coûteux, tout comme pour ceux qui sont moins onéreux, il convient d'examiner si la réglementation actuelle concernant les essais cliniques n'est pas exagérément complexe.

Si le patient entre en ligne de compte pour être inclus dans un essai clinique, l'investigateur et le médecin traitant doivent lui donner une idée réaliste de son objectif et des risques éventuellement associés à sa participation à l'essai et ce dans le but d'obtenir un consentement éclairé valable.

#### *Les programmes d'usage compassionnel ('Compassionate Use') et les programmes médicaux d'urgence ('Medical Need')*

Les autorités doivent stimuler la mise sur pied de programmes de ce genre, mais veiller aussi à ce que ces programmes ne compromettent pas le recrutement de sujets pour les essais cliniques.

Par rapport à ces programmes, il est souhaitable que la réglementation actuelle soit revue afin que les prestataires de soins et les patients sachent quels programmes existent. Il conviendrait aussi de prévoir un suivi des résultats chez les patients participant à ces programmes, ce qui permettrait éventuellement de renforcer les preuves de l'efficacité de certains médicaments. Le patient doit être également correctement informé concernant ces programmes.

#### *L'autorisation de mise sur le marché*

En ce qui concerne l'autorisation de mise sur le marché de médicaments onéreux, les décisions ne sont généralement pas prises par une autorité nationale, mais bien par la Commission européenne, sur avis de l'*European Medicines Agency* (EMA). Le prix et le remboursement ne font pas l'objet de discussions à l'échelon européen. On peut s'attendre à ce que les représentants de la Belgique auprès de l'EMA tiendraient compte des aspects éthiques et sociaux des interventions onéreuses. Une plus grande transparence concernant les dossiers soumis à l'EMA et les décisions qui y sont prises est souhaitable. Pour les médicaments orphelins, l'expérience de la législation en matière d'*orphan drug* doit être évaluée. Ainsi, on peut s'interroger à propos de certaines décisions par lesquelles des indications sont subdivisées dans plusieurs sous-types artificiels par laquelle la limite européenne de 5 patients sur 10.000 n'est pas dépassée (le « *slicing* ») et qui reçoivent ainsi l'*orphan designation*. Il est souhaitable d'examiner dans quelle mesure la réglementation européenne en matière de médicaments orphelins a abouti au résultat escompté.

Il faut enfin pointer la nécessité de rationaliser la procédure d'importation de médicaments à partir de l'étranger dans le cas où le traitement n'est pas possible avec des médicaments disponibles en Belgique.

### *Le remboursement*

En ce qui concerne le remboursement, qui est une matière nationale, la transparence est également nécessaire. Il existe déjà une certaine transparence des discussions au sein de la Commission du Remboursement des Médicaments (CRM), entre autres par la publication en ligne des rapports d'évaluation, et des discussions ultérieures avec l'entreprise, mais cette transparence doit encore être portée à un degré supérieur. Il faut également insister sur la transparence relative aux intérêts et conflits d'intérêts potentiels des membres de la CRM.

Sur quelle base les décisions sont-elles prises, en d'autres mots, quels sont les critères à cet effet ? La place de l'approche par les QALY (une mesure où les années de vie gagnées grâce à une intervention sont pondérées par la qualité de vie, liée à la santé, durant ces années<sup>26</sup>) dans les décisions doit être claire et doit être débattue au préalable, sans attendre qu'il soit nécessaire de prendre une décision pour tel produit ou tel patient. De la sorte, on favorisera la cohérence des décisions. Le débat sur les éventuels droits en termes de justice distributive (âge, gravité de l'affection, rareté...) ne pourra pas être esquivé.

Il convient de tenter d'accélérer la procédure de remboursement des nouveaux médicaments et des nouvelles indications. Dans ce cadre, il est utile de réglementer l'utilisation *off-label* : certains pays organisent déjà un remboursement provisoire anticipé (p. ex. l'ATU ou l'autorisation temporaire d'utilisation en France).

Le rapport 112 du KCE concernant les politiques relatives aux maladies rares et aux médicaments orphelins, met l'accent sur la nécessité d'une plus grande transparence à propos du coût. La nécessité de simplifier la procédure, par exemple au moyen d'un guichet unique pour les demandes de remboursement de ces médicaments, est également soulignée. La rapidité des décisions dans lesquelles les Collèges des Médicaments orphelins sont impliqués devrait aussi être améliorée.

Il convient de se demander comment gérer les situations dans lesquelles une firme menace de ne pas mettre un produit à disposition en Belgique parce que le prix demandé n'y est pas accepté. D'autres modèles de remboursement (comme les procédures d'attribution classiques pour les marchés publics, par exemple l'attribution par une procédure d'adjudication ouverte, de la fourniture à une seule firme pharmaceutique, comme c'est déjà le cas pour l'achat de vaccins par les Communautés) doivent être examinés. La possibilité d'un recours contre ces décisions doit également être clairement documentée.

---

26 Voir Rapport 100B du KCE, p. iii.

Il est recommandé que les citoyens et les patients participent d'une façon ou d'une autre aux décisions.

### *Le Fonds Spécial de Solidarité*

Pour ce qui est du Fonds Spécial de Solidarité, le KCE a formulé, dans son rapport 133, un nombre de propositions d'amélioration en ce qui concerne les critères, l'expertise lors de l'évaluation, la simplification et la transparence de la procédure. Il devrait être possible de prendre des décisions pour des cohortes de patients. La transparence et la possibilité d'un recours contre ces décisions doivent également être clairement documentées.

### *Divers*

Soulignons que les autorités doivent veiller à une harmonisation des différents maillons (pour la mise à disposition du médicament, y compris le niveau abordable de son prix) du processus dans sa globalité.

Les organes consultatifs doivent être pris au sérieux, mais ils doivent veiller à d'éventuels conflits d'intérêts. Ils doivent respecter les délais.

Les autorités doivent formuler des instructions précises en matière de publicité et d'incitants liés aux médicaments.

Il est important que les autorités prennent des initiatives visant à mettre systématiquement à l'ordre du jour les conflits d'intérêts dans les organes consultatifs et décisionnels<sup>27</sup>. Tout le monde a des intérêts, la question est de savoir à quel point ces intérêts peuvent mener à un conflit d'intérêts, et comment l'on peut écarter le risque de voir se poser une confusion d'intérêts. Ainsi, la transparence au sujet des intérêts est essentielle. Il appartient à la personne concernée de déclarer ses intérêts, mais à d'autres de juger s'il existe un conflit d'intérêts ou même une confusion d'intérêts. Naturellement, il est également essentiel que les responsables d'un organe consultatif aient la possibilité de prendre éventuellement des mesures (p. ex., en écartant une personne du processus de développement de l'avis)

Soulignons enfin que les autorités doivent trancher et ne pas déléguer les décisions difficiles aux acteurs de terrain, par exemple, par un rationnement sans critères bien définis.

## D.3. Les organismes assureurs

---

<sup>27</sup> Le 13 juin 2013, le projet de loi visant à renforcer la transparence, l'indépendance et la crédibilité des décisions prises et avis rendus dans le domaine de la santé publique, de l'assurance-maladie, de la sécurité de la chaîne alimentaire et de l'environnement a été adopté par la Chambre des représentants de Belgique en séance plénière et non évoqué par le Sénat, voir <http://www.lachambre.be> (> législation > projets et propositions de loi > 2041, Doc 53 2041/007 du 13 juin 2013).



Les organismes assureurs (mutualités) forment le maillon entre l'INAMI et le patient. Ils ont un rôle important à la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM), au sein de laquelle ils sont représentés, et au Fonds Spécial de Solidarité où siègent les directeurs médicaux des sept mutualités. S'agissant du remboursement des médicaments, surtout des médicaments onéreux (ledit "chapitre IV"), la décision incombe au médecin-conseil de l'organisme assureur du patient. Les organismes assureurs ont également un rôle important au niveau de l'information à leurs membres.

Le rôle des organismes assureurs en tant que représentants du patient est important, compte tenu en particulier qu'à ce stade, les patients ne sont pas impliqués dans la prise de décision sur le remboursement. Les organismes assureurs ne doivent pas non plus perdre de vue l'intérêt général.

Le Comité recommande que :

- les organismes assureurs, en plus de leur rôle important à la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM) et au Fonds Spécial de Solidarité, informent leurs membres et patients sur la nécessité de la solidarité, sur les coûts des soins à la société et à l'individu, sur la problématique du financement des médicaments onéreux en général, mais également appliquée à la situation particulière du patient (par exemple, les aider à vérifier la facture des prestations de soins fournies);
- les organismes assureurs mènent une réflexion sur le choix entre promouvoir la santé de quelques-uns et donner la priorité aux besoins de l'ensemble de la société ;
- la transparence sur leur attitude est garantie.

## D.4. L'industrie

Les entreprises ne sont pas des institutions caritatives et ne font pas d'investissement là où un rendement est a priori exclu. Étant donné la nécessité de développer des médicaments pour les maladies rares également, l'UE a mis en œuvre des procédures d'*orphan designation* et d'autorisation de mise sur le marché pour les médicaments orphelins. On peut espérer que ces incitants pour les entreprises entraîneront une plus grande mise à disposition des médicaments pour les maladies rares.

Aidées en cela par d'autres parties prenantes et en complément de la recommandation à l'attention des autorités, les entreprises doivent être encouragées, aussi quand il s'agit de maladies rares, à effectuer des essais cliniques mieux structurés, et à mettre en œuvre des programmes d'usage compassionnel et des programmes médicaux d'urgence.

Les entreprises doivent jouer le jeu correctement et ne pas abuser, par exemple, de la réglementation pour les médicaments orphelins par un *slicing* exagéré, à savoir la subdivision d'un état pathologique en plusieurs sous-types artificiels par laquelle la limite

européenne de 5 patients sur 10.000 n'est pas dépassée. Le *repurposing*, autrement dit le fait de demander un statut de médicament orphelin pour une indication précise alors que le médicament est fréquemment utilisé pour d'autres indications, peut mener également à un abus du système. Il existe de nombreuses critiques concernant le prix élevé des médicaments orphelins et on ne sait généralement pas très bien comment l'entreprise a fixé ce prix. Une plus grande transparence est exigée, sachant qu'il est malaisé de définir ce qu'est un prix correct.

L'influence exercée par l'industrie sur ceux qui prennent les décisions en matière d'autorisation et de remboursement, sur les membres des organes consultatifs, sur les médecins, les pharmaciens et les autres prestataires de soins, et sur les patients et leurs associations, fait l'objet de nombreux débats. Cette influence passe, entre autres, par la publicité : il faut espérer que la publicité repose, plus que ce n'est le cas à présent, sur une formulation correcte des conclusions des essais. Une influence est évidemment aussi exercée par le biais d'incitants offerts aux prescripteurs et hôpitaux : une observation correcte de la réglementation en la matière est souhaitable, en toute transparence. Il importe de mentionner que les incitants destinés à d'autres que les prescripteurs et les hôpitaux, par exemple, le personnel infirmier et les associations de patients, méritent plus d'attention. A cet égard, il est essentiel que les rapports entre l'industrie et les différentes parties prenantes soient transparents.

La société doit prendre conscience que réaliser des bénéfices est pour l'industrie un objectif raisonnable et acceptable. Par contre, l'objectif de l'industrie ne peut jamais être atteint au détriment des plus faibles. Le Comité recommande que l'industrie communique d'une façon claire et transparente sur les coûts.

## D.5. Le prescripteur

Dans le cas d'interventions coûteuses, plus encore que lors d'interventions moins coûteuses, le médecin doit s'interroger sur l'opportunité de la prescription. Il en va évidemment ainsi lorsque le remboursement est prévu, mais la problématique se pose avec acuité dans des situations où le financement par remboursement ou autre intervention de la société n'est pas garanti. Si, en âme et conscience, un médecin estime qu'un traitement onéreux qui n'est pas remboursé par l'assurance-maladie est nécessaire pour le patient, et à défaut d'autre alternative, il sera placé devant un dilemme par des considérations relevant de l'éthique médicale : d'une part, son devoir déontologique d'aider son patient au mieux et, d'autre part, les contraintes imposées par le cadre dans lequel il travaille.

En considérant ce champ de tension, le Comité formule les recommandations suivantes à l'attention des médecins.

- Le médecin s'engage vis-à-vis de son patient à le traiter le mieux possible en s'appuyant sur l'état actuel de la science. Il doit être informé des preuves (sur l'*efficacy*, l'*effectiveness* et la *cost-effectiveness*) et des incertitudes qui existent souvent à leur sujet.

Dans ce cadre, il est pertinent de faire la différence entre les diverses situations : des traitements pour lesquels il existe de preuves rigoureuses d'un avantage thérapeutique important, des traitements pour lesquels les preuves sont limitées ou pour lesquels les données sont contradictoires et des traitements qui offrent seulement un avantage au niveau du confort.

Le médecin doit être disposé à procéder à une analyse coûts/bénéfices du traitement: quelle est la solidité des éléments de preuve ?, quelle est la gravité de la conséquence d'une non-utilisation du médicament onéreux ?, quel est le coût de la thérapie ?

- Dans le cas où le médecin juge un médicament nécessaire, il doit réfléchir sur le **problème de l'équité** dans cette problématique<sup>28</sup>. Cela implique ce qui suit.
  - Le médecin s'interroge quant à son rôle à l'égard de la société. La question du véritable rôle du médecin doit être posée. Doit-il être le garant (*gatekeeper*) du système (Garbutt & Davies 2011; Hall 1997; Butler 1999) ? Certains estiment que non, car cela mettrait le médecin dans une position impossible (Veatch 1983). Le médecin doit s'en tenir, en premier lieu, à son devoir déontologique, qui précise qu'il doit faire le maximum pour son patient. Ce principe ne peut pas être bafoué, car, à défaut, la relation de confiance entre le médecin et le patient serait compromise. Le Comité estime que les autorités doivent veiller à ce que le rôle du *gatekeeper* économique n'incombe pas au médecin.
  - Cependant, eu égard à sa responsabilité sociale, le médecin doit être conscient de la nécessité de préserver la sécurité sociale et y être attentif. Le médecin doit toujours pouvoir justifier ses décisions à l'égard de l'ensemble de la société. Cela veut dire que le médecin tient compte du coût d'opportunité (on ne peut dépenser le même euro qu'une seule fois) du traitement.
  - Le médecin est conscient que son lien avec le patient influence sans doute ses décisions et ses actes. Le médecin devra parfois faire preuve de beaucoup de courage, dans ce contexte, pour informer clairement le patient, par exemple sur la futilité d'un traitement.
- Le médecin doit être informé des mécanismes et procédures de remboursement existants. Il doit dès lors recueillir les renseignements nécessaires, par exemple, auprès du service social de l'hôpital, de la mutualité, de l'INAMI, afin de se faire une idée précise des possibilités et des procédures existantes.

---

28 Concernant la problématique de l'accès aux soins critiques ('Access to critical care'), voir également l'avis n 7 du 13 juillet 1998 du Comité consultatif de Bioéthique relatif à l'accès aux soins de santé. Voir <http://www.health.belgium.be/bioeth> (rubrique 'Avis').

- Le Comité recommande au médecin le modèle de *duty to inform* (devoir d'informer), assorti du principe de proportionnalité raisonnable. Cela signifie qu'il inscrit son analyse dans un **contexte clinique prévenant et de qualité** afin de parvenir, **avec le patient**, à un **processus de prise de décision partagée** (*shared decision making*).

Cela implique

- que le médecin informe le patient de manière prévenante, en toute connaissance et en toute honnêteté
  - sur les possibilités médicales et thérapeutiques existantes;
  - sur le niveau de preuve et le degré d'efficacité du traitement;
  - sur ce que le patient peut attendre concrètement du traitement et où le médecin doit éviter de brosser un tableau trop optimiste;
  - sur le coût et le financement du traitement (Combien coûte-t-il? Est-il remboursé ou pas, ou seulement partiellement?);
  - sur le parcours à suivre à cet égard (mécanismes et procédures de financement; réflexion sur le risque que le patient est prêt à prendre s'il devait supporter le coût lui-même; informations sur le risque que l'hôpital est prêt à prendre pour assumer le coût, etc.);
  - et dans ce contexte, le médecin s'oppose, avec la nécessaire ténacité prévenante et professionnelle, aux affirmations en tous genres lancées sur Internet et à l'acharnement que cela pourrait provoquer chez le patient ou dans sa famille.
- que les informations sont **correctes, réalistes et fournies dans un contexte empathique** compte tenu d'un **timing correct et raisonnable** au sein du processus. Cela implique

- que le médecin (ou un autre prestataire de soins) consacre suffisamment de temps à cette discussion;
- que le volume d'information fourni est proportionnel à la faculté de compréhension (tant intellectuelle qu'émotionnelle) du patient;
- qu'au besoin, la discussion peut être répétée;
- que l'on peut décider ensemble dans un climat serein.
- qu'on ne peut donc pas présenter au patient ou à sa famille le formulaire reprenant les informations relatives aux coûts et aux engagements de paiement, à un moment où ceux-ci ne sont plus en mesure de refuser. Le fait qu'il s'agisse parfois d'un traitement urgent constitue une difficulté.

De cette façon, on peut espérer parvenir à une vraie décision partagée (*shared decision*) entre le médecin et le patient.

## D.6. L'hôpital

Le Comité recommande qu'une concertation élargie soit mise en place entre divers partenaires au sein de l'hôpital :

- la direction de l'hôpital;

- les prestataires de soins ;
- le Comité d'éthique médicale ou une commission d'experts spécifique : pour une évaluation conjointe éthique ou spécialisée du cas ;
- le Service social pour des renseignements à propos des mécanismes et des procédures de financement existants ;
- un éventuel Fonds interne pour financement alternatif au sein de l'hôpital.<sup>29</sup>

Les rôles et responsabilités de l'hôpital sont les suivantes :

- l'hôpital doit avoir soigneusement défini une politique sur l'ensemble de la problématique des interventions onéreuses et sur l'approche des cas individuels ;
- toutes les personnes concernées doivent être informées de cette politique ;
- les prestataires de soins doivent pouvoir accéder à tout moment à ces informations et pouvoir se concerter avec les responsables et avec les partenaires susmentionnés.

Selon la loi relative aux droits des patients, il est obligatoire d'informer le patient des coûts qu'il pourrait être amené à supporter. Mais il est contestable sur le plan éthique de lui faire signer un engagement de paiement : on ne peut pas mettre le patient ou ses représentants « au pied du mur », surtout dans les situations d'urgence. Il est évident qu'il faut se soucier de l'impact émotionnel que peut avoir l'entretien mené à ce sujet avec le patient ou sa famille.

Le Comité conseille donc aux hôpitaux de pratiquer une culture active de la concertation et de mener une politique de transparence de l'information, inspirée par une culture des soins étayée par des règles éthiques.

## D.7. Le patient ,sa famille et les associations de patients

Le rôle du patient et de son entourage se situe à trois niveaux différents.

- Tout d'abord, le patient souffrant d'une affection grave, souvent potentiellement fatale, est éminemment vulnérable face au médecin. Il est capital que le patient puisse, en toute connaissance de cause, prendre une décision libre et éclairée dans le cadre de cette problématique (*shared decision*). Quelle peut être la portée d'une décision éclairée dans pareilles situations?
  - Que la décision n'est pas dictée par des attentes erronées, très élevées ou irréelles (espoir irréaliste).
  - Que la décision n'est pas prise sous la pression (par exemple de la famille ou du médecin).

---

<sup>29</sup> Ce système est principalement organisé par les hôpitaux universitaires.

- Que, dans la mesure du possible, les émotions n'interfèrent pas avec la prise de décision (p. ex., chagrin, angoisse, etc.).

La transmission d'informations correctes et compréhensibles est une tâche malaisée assignée au médecin. Il doit tenir compte de la capacité individuelle du patient à supporter ces informations, mais celle du médecin traitant a aussi son importance. Combien de temps y a-t-il pour transmettre ces informations délicates ? La famille du patient occupe également une place importante. Dans ce cadre, les associations de patients peuvent jouer un rôle majeur : des patients présentant une même affection peuvent aider à informer. La traduction des informations en langage compréhensible pourra s'avérer très importante dans le cadre de ce processus émotionnel.

Il importe également que les patients, leur famille et les associations de patients comprennent et acceptent qu'il y ait des limites aux possibilités de traitement et de financement. En effet, la prise de conscience et la compréhension contribuent à une bonne évaluation de l'utilité d'un traitement

- Au niveau des hôpitaux ou centres de références, l'apport de patients et de leurs associations peut améliorer l'organisation des soins. Les patients peuvent aussi prêter leur concours à la mise sur pied et à l'élaboration d'essais cliniques, ce qui aura un effet bénéfique sur le recrutement et l'adhérence thérapeutique<sup>30</sup>.
- Il y a également l'apport des patients dans les discussions relatives à la politique générale des soins de santé. On a déjà évoqué le fonctionnement des *NICE Citizen Councils* plus haut (voir D.1.). En Belgique, la Fondation Roi Baudouin et le KCE mènent des études sur la participation des patients et des citoyens<sup>31</sup>. Le Comité soutient cette initiative de recherche.

---

30 Voir EMA, "Fourth report on the progress of the interaction with patients' and consumers' organisations (2010) and Results/analysis of the degree of satisfaction of patients and consumers involved in EMA activities during 2010", 6 October 2011, site web :

[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Report/2011/10/WC500116866.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2011/10/WC500116866.pdf)

Voir également <http://www.patientpartner-europe.eu/en/resources/active-involvement-in-the-process>

Voir également Smit, C., et al. "Fundamenteel onderzoek en patiëntenparticipatie: een verrassende combinatie!", ZonMw, Den Haag, 2011, site web :

[http://www.pgosupport.com/mailings/FILES/plugin\\_content/187/Fundamenteel\\_onderzoek\\_4.pdf](http://www.pgosupport.com/mailings/FILES/plugin_content/187/Fundamenteel_onderzoek_4.pdf)

31 En Belgique, la Fondation Roi Baudouin a formulé plusieurs avis à propos de la **participation des patients** et déclare notamment ce qui suit dans "Leviers pour une meilleure participation des patients":

*"Intégrer les patients en tant qu'interlocuteurs à part entière dans le processus décisionnel incitera aussi d'autres parties prenantes (responsables politiques, gestionnaires, plates-formes professionnelles, mutualités...) à prévoir des moyens pour que l'expertise des patients et de leurs représentants puisse s'exprimer à l'intérieur de leur domaine technique de compétence.*

[http://www.kbs-frb.be/uploadedFiles/KBS-FRB/05\\_Pictures\\_documents\\_and\\_external\\_sites/09\\_Publications/PUB\\_3006\\_LeviersMeilleureParticipationPatients\\_DEF2.pdf](http://www.kbs-frb.be/uploadedFiles/KBS-FRB/05_Pictures_documents_and_external_sites/09_Publications/PUB_3006_LeviersMeilleureParticipationPatients_DEF2.pdf) (p.55)

Le rapport 195 du KCE sur la participation des patients et des citoyens traite jusqu'à présent de ce que pensent les parties prenantes de cette participation et évaluera les principes formulés à un stade ultérieur.

- Les associations de patients doivent aussi veiller sur leur propre crédibilité en faisant preuve de transparence quant à leurs relations avec l'industrie pharmaceutique.

## D.8. Les médias

Les médias ont un rôle important dans la sensibilisation de l'opinion publique sur la nécessité de solidarité, et doivent expliquer pourquoi la solidarité est essentielle. Les médias tiennent également une place importante dans les débats plus concrets sur certains médicaments : ils influencent fortement l'opinion des patients, mais également des médecins, des pharmaciens et des autorités.

Il faut espérer que les médias répondent à la nécessité de comprendre la solidarité et les contraintes budgétaires. Il est à ce propos frappant de constater que le « public » et donc les médias qui transmettent l'information, accordent beaucoup plus d'attention aux situations concrètes d'un patient donné (*rule of rescue*, voir C.1.1.3.) qu'à la problématique générale des interventions onéreuses et de leur financement. Très souvent, les informations relayées par les médias – cf. la menace de suppression du remboursement des médicaments pour la maladie de Pompe aux Pays-Bas, et également le récent tumulte en Belgique autour d'un certain médicament orphelin – et plus encore la façon dont elles sont annoncées, par exemple, dans les titres des journaux, ne font pas dans la nuance : ou il s'agit soit de miracles, soit de catastrophes, ce qui ne représente pas une information responsable.

Il faut également sensibiliser les chercheurs à la manière dont ils présentent des résultats prometteurs dans les médias sans souligner la part d'incertitude dans l'application concrète de leurs recherches et sans indiquer de façon suffisamment claire que quel qu'en soit l'intérêt, cela ne conduit pas, en règle générale, à une aide immédiate pour les patients. Les médias comme les chercheurs ont une responsabilité éthique à exercer à cet égard. Il en va de même pour les *leaders* d'opinion qui sévissent dans les médias.

Le Comité estime que les informations diffusées par les médias, sur ces thèmes et sur des cas individuels doivent être fondées scientifiquement. La problématique ne doit pas être dépeinte dans une perspective à courte vue. Dans ce domaine non plus, le journalisme à sensation n'est pas défendable sous l'angle éthique. En effet, il faut éviter de susciter de faux espoirs par des manchettes racoleuses. Les informations diffusées en la matière devraient être prudentes, exactes et sobres.



# Références

- Achterhuis H, (1988), *Het rijk van de schaarste*, Baarn: Ambo.
- An., (2013), 'QALYs et DALYs: l'utilité en indicateurs', in *La Revue Prescrire* 33:381–383.
- Aristotle, *Nicomachean Ethics*, transl & ed. R. Crisp, (2000), Cambridge: Cambridge University Press.
- Arrow K, (1973), 'Some Ordinalist–Utilitarian Notes on Rawls's Theory of Justice', in *Journal of Philosophy* 70:245–263.
- Barry B, (1989), *Theories of Justice*, Berkeley: University of California Press
- Beauchamp T & Childress J, (2008), *Principles of Biomedical Ethics*, 6<sup>th</sup> ed., Oxford University Press.
- Beauchamp T & Childress J, (2013), *Principles of Biomedical Ethics*, 7<sup>th</sup> ed., Oxford University Press.
- Berlin , (1969), 'Two concepts of Liberty', in ID, *Four essays on Liberty*, Oxford: Oxford University Press.
- Buchanan A, (1997), 'Philosophic Perspectives on Access to Health Care: Distributive Justice in Health Care', in *Mount Sinai Journal of Medicine* 64:91–92.
- Butler J, (1999), *The Ethics of Health Care Rationing. Principles and Practices*, London: Cassell.
- Calabresi G & Bobbitt P, (1978), *Tragic Choices*, New York: Norton
- Callahan D, (2008),
- Callens S & Martens L, (2011), 'Europese regelgeving en geneesmiddelen', in *Tijdschrift voor Geneeskunde* 67:1083–1091.
- Daniels N, (2000, 2001)
- Daniels N, (1985), *Just Health Care*, Cambridge: Cambridge University Press.
- Daniels N, (1999), 'Enabling Democratic Deliberation: How Managed Care Organisations Ought to Make Decisions About Coverage for New Technologies', in S. Macedo (ed.), *Deliberative Politics: Essays on Democracy and Disagreement*, New York: Oxford University Press, 198–210.
- Daniels N & Sabin JE, (1997), 'Limits to health care: fair procedures, democratic deliberation and the legitimacy problem for insurers', in *Philosophy and Public Affairs* 26:303–502.
- Daniels N & Sabin JE, (1998), 'The Ethics of Accountability and the Reform of Managed Care Organisations', in *Health Affairs* 17:50–69.
- Dasgupta P, (1993), *An Inquiry into Well-Being and Destitution*, Oxford: Clarendon Press.
- Denier Y, (2007), *Efficiency, Justice and Care. Philosophical Reflections on Scarcity in health Care*, Dordrecht: Springer.
- Denier Y, (2008), 'Mind the Gap! Three Approaches to Scarcity in Health Care', in *Medicine, Health Care and Philosophy* 11:73–87.
- Denier Y & Meulenbergs T, (2002)
- Descartes R, *Discours de la Méthode, Sixième Partie*, 1637 in A. Bridoux (ed), (1952), *Descartes: Oeuvres et Lettres*, Paris: Gallimard.
- Dworkin R, (1977), 'Justice and Rights', in ID: *Taking Rights Seriously*, Cambridge: Harvard University Press.
- Dworkin R, (1993), 'Justice in the Distribution of Health Care', in *McGill Law Journal* 38: 883–898, repr. in M. Clayton; A. Williams (eds.) (2002), *The Ideal of Equality*, Basingstoke: Palgrave Macmillan, 203–222.

- Dworkin R, (1994), 'Justice and the High Cost of Health', first appeared as 'Will Clinton's Plan Be Fair?', in *New York Review of Books* 41:20–25, repr. in Dworkin R (2000), *Sovereign Virtue. The Theory and Practice of Equality*, Cambridge MA.: Harvard University Press, 307–319.
- Foucault M, (1963), *Naissance de la clinique*, Paris : Presses Universitaires de France.
- Garbutt G & Davies P, (2011), 'Should the Practice of Medicine be a Deontological or Utilitarian Enterprise?', in *Journal of Medical Ethics* 37:267–270.
- Hall MA, (1997), *Making Medical Spending Decisions. The Law, Ethics & Economics of Rationing Mechanisms*, Oxford; Oxford University Press.
- Hume D, (1978), *A Treatise of Human Nature*, ed. L.A. Selby–Bigge, 2<sup>nd</sup> ed., ed. P.H. Nidditch, Oxford: Clarendon Press.
- Illich I, (1975), *Medical Nemesis: the Expropriation of Health*, London: Calder & Boyars.
- Illich I, (1986), 'Body History', in *Lancet* 11:1325–1327.
- Jenkins VA, Trapala IS, Parlour L, Langridge CL, Fallowfield LJ, (2011), 'The views of patients and the general public about expensive anti-cancer drugs in the NHS: a questionnaire-based study', in *Journal of the Royal Society of Medicine Short Reports* 2:69. DOI 10.1258/shorts.2011.011050
- Karskens M, (1988), 'Biopolitiek en de gezonde mens', in J. Rolies (eds), *De gezonde burger: gezondheid als norm*, Nijmegen: Sun, 71–88.
- Nozick R, (1974), *Anarchy, State and Utopia*, New York: Basic Books.
- Nussbaum MC, (2001), 'Disabled Lives: Who Cares?' in *The New York Review of Books* 48:34–37.
- Nussbaum MC, (2002), 'Long–Term Care and Social Justice: A Challenge to Conventional Ideas of the Social Contract', in World Health Organization, *Ethical choices in Long–Term Care: What Does Justice Require?*, Geneva: World Health Organization, 31–65.
- Nussbaum MC, (2004), 'Beyond the Social Contract: Toward Global Justice,' in G.B. Peterson (ed.), *The Tanner Lectures on Human Values*, vol. 24, Salt Lake City: University of Utah Press, 413–507.
- Nussbaum MC, (2006), *Frontiers of Justice Disability, Nationality, Species Membership*, Cambridge: The Belknap Press of Harvard University Press, in het Nederlands vertaald als: *Grensgebieden van het recht. Over sociale rechtvaardigheid*, Amsterdam: Ambo, 2006.
- Porter R, (1999), *The Greatest Benefit to Mankind: a Medical History of Humanity*, New York: Norton.
- Rawls J, (1971), *A Theory of Justice*, Cambridge MA: Harvard University Press.
- Rawls J, (1999), *A Theory of Justice*, rev. ed., Cambridge MA: The Belknap Press of Harvard University Press.
- Rawls J, (1996), *Political Liberalism*, expanded paperback edition, New York: Columbia University Press.
- Schokkaert E, (2009), 'Willingness to Pay and Solidarity' in M Wynants (ed.) *In Sickness and in Health. The Future of Medicine: Added Value & Global Access*, Brussel: VUB Press.
- Schokkaert E, (1998), 'Warm en koud. Solidariteit en verantwoordelijkheid in de ziekte-verzekering', in *Ethische Perspectieven* 8: 135–146.
- van der Ploeg AT, Clemens PR, Corzo D, Escolar DM, Florence J, Groeneveld GJ, Herson S, Kishnani PS, Laforet P, Lake SL, Lange DJ, Leshner RT, Mayhew JE, Morgan C, Nozaki K, Park DJ, Pestronk A, Rosenbloom B, Skrinar A, van Capelle CI, van der Beek NA, Wasserstein M, Zivkovic SA, (2010), 'A Randomized Study of Alglucosidase Alfa in Late–Onset Pompe's Disease', in *The New England Journal of Medicine* 362:1396–1406.

- Vandevelde A, (2000), 'Motieven voor solidariteit', in: *Geef kleur aan solidariteit – Armoede uitsluiten*, Brussel: Welzijnszorg, 92–94.
- Vandevelde A, (2001), Solidariteit en belastingen, in Becker M. (Eds.), *Economie en ethiek in dialoog*, Assen: Van Gorcum, 143–153.
- Veatch R, (1983)
- Walzer M, (1983), *Spheres of Justice: A Defense of Pluralism and Equality*, New York: Basic Books,.
- Wolf C, (1998), 'Theories of Justice: Human Needs', in R. Chadwick (ed.), *Encyclopedia of Applied Ethics*, San Diego: Academic Press, 1998, 335–345.

L'avis a été préparé en commission restreinte 2010/1 composée de :

| Coprésidents    | Corapporteurs | Membres                 | Membre du Bureau |
|-----------------|---------------|-------------------------|------------------|
| Marc Bogaert    | Yvonne Denier | Mylène Botbol-Baum      | Paul Schotsmans  |
| André Herchuelz | Marc Bogaert  | Paul Cosyns             |                  |
|                 |               | Patrick Cras            |                  |
|                 |               | Martin Hiele            |                  |
|                 |               | Guy Lebeer              |                  |
|                 |               | Jean-Marie Maloteaux    |                  |
|                 |               | Marie-Geneviève Pinsart |                  |
|                 |               | Robert Rubens           |                  |

#### Membre du secrétariat

Veerle Weltens

#### Experts auditionnés

Chris Aubry, représentante de l'association de patients RaDiOrg – (experte permanente)

Antoon Vandevelde, philosophe et économiste, KU Leuven

Erik Schokkaert, économiste de la santé, KU Leuven

**Les documents de travail de la commission restreinte 2010/1** – question, contributions personnelles des membres, procès-verbaux des réunions, documents consultés – sont conservés sous formes d'Annexes 2010/1 au centre de documentation du Comité, et peuvent y être consultés et copiés.

Cet avis est disponible sur [www.health.belgium.be/bioeth](http://www.health.belgium.be/bioeth), sous la rubrique 'Avis'.