

ANALYSE COMPAREE DU FINANCEMENT DES MEDICAMENTS ONEREUX A L'HOPITAL EN EUROPE

La prise en charge des médicaments hospitaliers onéreux par un budget dédié dit « en sus des prestations d'hospitalisation » ou hors « Groupes Homogènes de séjour (GHS) »⁵⁵ est une constante dans la plupart des pays européens qui ont opté pour une tarification à l'activité (Allemagne, Belgique, Italie et Pays-Bas)⁵⁶. Seules la Suède et l'Angleterre intègrent le financement de ces dépenses dans leur budget global au niveau régional ou local.

La progression rapide des dépenses de médicament onéreux à l'hôpital rend la régulation nécessaire dans tous les pays européens

Le coût élevé des médicaments onéreux inscrits sur la liste en sus de la facturation à l'activité incite les autorités de santé à développer des dispositifs pour contenir la progression de ces dépenses. En France, les dépenses de médicaments inscrits sur la liste en sus au sein des établissements publics ont augmenté de près de 20% par an en moyenne au cours de ces deux dernières années (19,2 % en 2006 et 18,5% en 2007) pour un coût très conséquent de l'ordre de 2,2 Md€ en 2007, soit 40% de la consommation de médicaments à l'hôpital.

Quelles que soient les modalités de fixation des prix des médicaments (libres ou administrés), les médicaments onéreux sont souvent des médicaments innovants pour lesquels les laboratoires sont en situation de monopole. Les pharmaciens hospitaliers des pays étudiés constatent que les laboratoires ne négocient que très peu les prix et que les remises obtenues par les hôpitaux sont en général très limitées. Il existe toutefois de fortes disparités entre ces pays tant en matière de choix des médicaments financés en sus que de modalités de financement retenues. Dans tous les pays, la régulation des médicaments onéreux à l'hôpital s'effectue donc essentiellement par une action sur leur prise en charge.

L'admission (locale ou nationale) au remboursement s'appuie de plus en plus souvent sur l'évaluation du rapport coût-bénéfice thérapeutique des médicaments onéreux

Dans certains pays, comme en Italie, en Suède, en Allemagne et au Royaume-Uni où la gestion des dépenses de santé est décentralisée, la décision de prendre en charge ces produits se fait au niveau régional ou local (*cf.* tableau 1). Cela pose des problèmes en termes d'équité d'accès aux soins. Par exemple, en Italie, Avastin® (cancer du colon) est pris en charge uniquement en Lombardie. En Angleterre, Herceptin® (cancer du sein) n'était accepté que par certains organismes locaux financeurs avant sa généralisation sur l'ensemble du territoire. La Belgique et les Pays-Bas sont les seuls pays avec la France à assurer une prise en charge uniforme au niveau national.

La nécessité d'une évaluation médico-économique (rapport coût-bénéfice thérapeutique) positive dans les évaluations de type « *Health Technology Assessment* » (HTA)⁵⁷ apparaît comme l'un des meilleurs outils pour limiter la prise en charge des traitements onéreux.

⁵⁵L'introduction des médicaments particulièrement onéreux dans les tarifs forfaitaires à l'activité (*Diagnosis Related Groups (DRG)* appelés « Groupes Homogènes de séjour (GHS) » en France) destinés à financer l'ensemble des dépenses liées à la prise en charge du patient hospitalisé risquerait d'induire une trop grande hétérogénéité statistique, soit en raison d'une faible proportion de séjours concernés au sein du DRG, soit du coût très élevé de ces produits.

⁵⁶ Cette fiche s'appuie sur l'étude Eurostaf, « *Le financement des médicaments onéreux à l'hôpital – analyse comparée des systèmes européens alternatifs à la liste en sus de la T2A*, », déc. 2007.

⁵⁷ L'évaluation de type *Health technology assessment* (HTA) compare le coût pour la collectivité et l'apport thérapeutique d'un produit selon plusieurs critères (apport thérapeutique, rapport coût-bénéfice, stratégie d'utilisation recommandée, population cible...) qui varient selon les pays.

Tableau 1 : Les principales modalités d'inscription sur la liste des médicaments onéreux

Allemagne	<p>Décision d'inscription au niveau fédéral par l'InEK (<i>Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus</i>, Institut pour la tarification à l'activité). Liste actualisée une fois par an qui concerne les médicaments dispensés en hospitalisation complète uniquement. 32 molécules concernées en 2007 (spécialités anticancéreuses, facteurs de coagulation...).</p> <p>Evaluation de type HTA avec critère médico-économique (rapport coût-bénéfice thérapeutique) récente par l'IQWiG (<i>Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen</i>), organisme indépendant créé en 2004, pour les médicaments onéreux uniquement.</p>
Belgique	<p>Décision au niveau national. Inscription des médicaments onéreux au chapitre IV qui comprend entre 600 et 700 médicaments soumis à des conditions particulières de remboursement pour des raisons médicales et/ou budgétaires. 260 spécialités en 2007 (médicaments orphelins, agents cytostatiques, immunoglobulines, albumine, antirétroviraux, et radio-isotopes).</p> <p>Pas d'évaluation HTA avec critère médico-économique pour les médicaments innovants et onéreux.</p>
France	<p>Décision d'inscription sur la liste au niveau national par arrêté ministériel (« liste des médicaments facturables en sus des prestations d'hospitalisation » définie par l'article L162-22-7 du code de la sécurité sociale). La première liste établie par l'arrêté ministériel du 4 avril 2005 publié au Journal Officiel du 10 mai 2005 est modifiée au fil de l'eau par publication d'arrêtés au Journal Officiel. 101 spécialités (au 22 mai 2008) (anti-cancéreux, anti-hémorragiques, EPO, immunomodulateurs et médicaments pour maladies orphelines).</p> <p>Evaluation de type HTA par la Commission de transparence de la Haute autorité de santé (HAS) qui fournit un avis en s'appuyant notamment sur : le service médical rendu du médicament, l'amélioration du service médical rendu par rapport à ses comparateurs, le rapport bénéfice/risque. Mais cet avis ne comprend pas de critère médico-économique (rapport coût-bénéfice thérapeutique).</p>
Italie	<p>Décision d'inscription par les <i>Aziende Sanitarie Locali</i> (échelon local qui organise le système de soins pour des zones géographiques qui regroupent environ 300 000 personnes). Les médicaments onéreux sont inscrits dans un cadre plus large appelé « File F » qui est un dossier pharmaceutique contenant toutes les informations nécessaires à la dispensation d'un médicament à un patient. 12 catégories de médicaments sont soumises au « File F » dont au moins 3 peuvent contenir des médicaments onéreux (comme la catégorie 1 « Médicaments innovants de réserve hospitalière »).</p> <p>Evaluation de type HTA, avec critère médico-économique récente, par l'<i>Agenzia Italiana del Farmaco</i>, «AIFA») pour les médicaments onéreux.</p>
Pays-Bas	<p>Décision d'inscription au niveau national sur la liste des médicaments en sus. Depuis 2007, l'inscription est temporaire et soumise à évaluation de l'efficacité du médicament après 3 ans. Liste rédigée en dénomination commune internationale, qui ne comprend pas les médicaments très onéreux destinés à une faible population (médicaments orphelins) mais contient les génériques lorsqu'ils apparaissent. Aucun médicament n'a été retiré de cette liste depuis sa création.</p> <p>Evaluation de type HTA avec prise en compte du rapport efficacité clinique-coût depuis 2005 par le CVZ (<i>College Voor Zorgverzekering</i> ou National Health Care Insurance Board), organisme indépendant.</p>
Royaume-Uni^a	<p>Décision d'inscription au niveau national mais les <i>Primary Care Trusts</i> (structures locales d'organisation des soins pour des zones géographiques regroupant 200 000 personnes en moyenne) peuvent décider dans certaines circonstances particulières de financer certains traitements non recommandés ou n'ayant pas fait l'objet d'une approbation. La liste concerne 15 classes thérapeutiques.</p> <p>Evaluation de type HTA avec évaluation du rapport coût-bénéfice thérapeutique des médicaments depuis 1994 par le NICE (<i>National Institute for Clinical Excellence</i>).</p>
Suède	<p>Décision de prise en charge par les régions qui choisissent de les intégrer ou non dans leur budget</p> <p>Evaluation de type HTA quasi-inexistante car la régionalisation des décisions a entraîné l'absence d'évaluation au niveau national. Mais la Suède a la volonté de mettre en place une évaluation de ce type avec critère médico-économique pour les spécialités en forte croissance.</p>

^aAngleterre et Pays de Galles uniquement. Source : D'après Eurostaf (2007) et DDS/6B.

Cela peut conduire à des restrictions d'usage : ainsi, Erbitux®, recommandé aux Pays-Bas pour le traitement du cancer de la tête et du cou, a été refusé au remboursement pour le cancer du colon. La Suède a aussi la volonté de mettre en place des évaluations médico-économiques pour les spécialités en forte croissance. En France, il existe une évaluation de type HTA *via* la Commission de transparence (cf. tableau 1) qui a un impact sur le prix des médicaments onéreux mais l'évaluation ne prend pas en compte le rapport coût-efficacité thérapeutique du médicament. Les contrats de partage des risques (dits de « *risk sharing* »)⁵⁸ du type de ceux qui viennent d'être signés en Italie et en Angleterre pour des anticancéreux récents pourraient favoriser le développement de ce type d'évaluation.

Un contrôle strict de la prise en charge de ces médicaments dans les pays européens

Dans tous les pays, la possibilité de financer des traitements coûteux en dehors des indications de l'autorisation de mise sur le marché (AMM)⁵⁹ est très rare (cf. tableau 2). En règle générale, les organismes de financement contrôlent les dépenses en vérifiant la prescription avant le remboursement de chaque patient sur des dossiers individuels (Italie et Belgique) ou au moyen d'une autorisation préalable par patient (Belgique et Allemagne). En Suède, les référentiels établis pour encadrer la prescription des médicaments onéreux sont souvent plus limitatifs que le libellé des AMM européennes. Seule la France a un nombre de prescriptions de traitements onéreux hors AMM élevé *via* les protocoles thérapeutiques temporaires (PTT) et les autorisations temporaires de mise sur le marché (ATU)⁶⁰. De plus, il n'existe pas en France, contrairement à d'autres pays (Belgique, Italie) de contrôle au moment du remboursement ni en amont lors des prescriptions qui sont plus élevées qu'ailleurs en Europe, y compris pour des médicaments dont l'évaluation peut être considérée comme négative comme Erbitux® pour le traitement du cancer du colon.

Les enveloppes limitatives (Royaume-Uni, Suède, Allemagne) et le remboursement partiel des établissements de soins (Pays-Bas, Belgique, France) sont d'autres moyens de maîtrise de la dépense. Aux Pays-Bas, au moins 20% de la dépense de médicaments hospitaliers onéreux reste à la charge des établissements afin d'encourager la bonne gestion. En Suède, le rationnement imposé par les conseils régionaux a parfois été dénoncé par les cliniciens, mais ceux-ci s'accordent souvent sur un objectif d'économie et de « juste prescription ». Ces contraintes incitent parfois à favoriser les soins ambulatoires où la dépense en médicaments onéreux est moins encadrée qu'à l'hôpital, comme en Allemagne, en Italie et aux Pays-Bas.

En Allemagne, d'après une étude récente⁶¹, la liste des médicaments cancéreux financés en tant que médicaments onéreux est beaucoup plus limitée qu'en France car il existe une volonté d'intégrer ces médicaments au sein des DRG ou bien de créer de nouveaux DRG spécifiques pour les financer. Ces médicaments représentent une part limitée du budget de l'hôpital (environ 5%) et des paiements additionnels inférieurs à ceux observés en France.

⁵⁸ Selon ces contrats, si le médicament n'a pas les effets thérapeutiques attendus, le laboratoire s'engage à en diminuer le prix ou à rembourser le financement du traitement sur un nombre prédéterminé de patients aux autorités.

⁵⁹ « *Un médicament ne peut être commercialisé sur le marché français que s'il dispose d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) délivrée au niveau national par l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (AFSSAPS) ou au niveau européen par l'European Medicines Agency (EMA). L'AMM repose sur une évaluation du rapport bénéfice/risque à partir des résultats d'essais cliniques. [...]* » (Source : HCAAM, Avis sur le médicament, juin 2006)

⁶⁰ Ces dispositifs uniques en Europe permettent à des patients de bénéficier de médicaments avant leur AMM. Les PTT permettent la prescription sans attendre l'AMM et sans négocier le financement avec les organismes de prise en charge. Les ATU permettent un accès à des médicaments de traitement de maladies graves (lutte contre le Sida) et de certaines maladies orphelines, en l'absence d'autre traitement, avant l'AMM en France (médicaments en cours de développement ou ayant obtenu une AMM à l'étranger). Le coût de ces derniers est financé par la dotation de financement des missions d'intérêt général et de l'aide à la contractualisation (MIGAC).

⁶¹ Mission T2A, « Modalités de financement de l'activité d'oncologie dans le système allemand de tarification à la pathologie », Rapport, oct. 2007, 20 p.

Tableau 2 : Les différents systèmes de financement des médicaments onéreux

	Contrainte budgétaire	Fixation du prix	Contrôle de la prescription	Restriction du remboursement
Allemagne	Le budget est limité par service bénéficiaire et défini au niveau fédéral par l'Inek puis réparti sur la base de négociations entre hôpitaux et caisses publiques d'assurance maladie. Le financement est restreint à l'hospitalisation complète, ce qui incite au transfert vers l'ambulatoire des soins correspondant à l'hospitalisation de jour (notamment en oncologie) avec la création de centres médicaux spécialisés dont les contrats avec les caisses d'assurance maladie des Länder sont moins contraignants que le financement à l'hôpital.	La négociation du prix se fait directement par les pharmacies hospitalières avec les laboratoires ou grossistes (les prix sont libres en Allemagne). Ce pays est souvent choisi par les laboratoires pour entrer sur le marché européen car la commercialisation y est très rapide, dès l'AMM.	Des pénalités financières peuvent concerner les médecins spécialistes. Les caisses d'assurance maladie contrôlent les dépenses en exigeant une justification médicale de l'état du patient.	Le contrôle des indications de l'AMM est strict (mais la prescription hors AMM possible au cas par cas après demande d'accord préalable) et il existe des possibilités de restrictions des indications par rapport à l'AMM. Le montant remboursé pour chaque molécule est fonction des quantités cumulées exprimées en mg administrées à un patient pendant son séjour.
Belgique	Le financement relève de la responsabilité des autorités fédérales et des médecins conseils « superviseurs » de l'assurance maladie (Inami).	Le prix maximum est fixé administrativement par les autorités (Comité permanent pour les spécialités pharmaceutiques) en fonction du coût d'importation, de la structure de coût du laboratoire, des prix dans les autres pays, du prix des équivalents thérapeutiques.	Une demande d'autorisation préalable par le médecin conseil de l'assurance maladie et pour 80 spécialités fourniture d'un formulaire standardisé spécifique à chaque médicament (AMM, conditions de remboursement, éléments permettant de vérifier que la prescription est justifiée) rempli par le médecin spécialiste et le pharmacien sont nécessaires pour obtenir le remboursement.	Le contrôle des indications de l'AMM (mais prescription hors AMM possible au cas par cas) est strict mais il existe des possibilités de restrictions des indications par rapport à l'AMM.
France	Il n'existe pas de contrainte stricte, mais le remboursement intégral des médicaments coûteux est depuis 2005 soumis à la signature d'accords de bon usage par les établissements de santé, et peut être réduit jusqu'à 70 % de la part prise en charge par l'assurance maladie (le reste devant être financé sur le budget de l'hôpital).	Depuis 2004, le prix fait l'objet d'un dépôt auprès du Comité économique des produits de santé (CEPS) qui fixe un prix maximum en fonction des prix pratiqués dans certains autres pays européens (Allemagne, Royaume-Uni, Espagne et Italie) et des spécialités équivalentes. Le remboursement de ces médicaments est ensuite effectué à hauteur de ce prix dit « tarif de responsabilité ».	Les contrats de bon usage des médicaments et produits de prestations en vigueur depuis 2005 fixent des engagements aux établissements de santé en matière de pertinence des prescriptions médicamenteuses.	Pas de contrôle strict des indications de l'AMM, mais prescription hors AMM possible (PTT et ATU) et aucune restriction des indications par rapport à l'AMM.
Italie	Il n'existe pas de contrainte stricte, même si les autorités de santé (ASL) souhaitent voir respecté un taux de croissance fixé a priori. Les pharmaciens hospitaliers sont responsabilisés via la conformité du « File F » ou dossier pharmaceutique individuel transmis à l'ASL. Une partie de son salaire dépend du taux de dossiers refusés par l'ASL.	La négociation du prix se fait entre le laboratoire et l'Etat. Le prix des médicaments innovants ne doit pas dépasser le prix moyen dans les autres pays européens, ni le « prix défini » de la classe si le médicament est inclus dans une classe homogène. La loi exige que les laboratoires proposent aux hôpitaux leurs médicaments à un prix inférieur de 50% au prix public dans les pharmacies de ville, d'où une incitation spécifique à la rétrocession (dispensation de médicaments disponibles en ville par la pharmacie hospitalière).	Le « File F » rempli par le pharmacien de l'établissement est contrôlé par l'ASL. Si le dossier est refusé, le coût des médicaments est imputé au budget de l'établissement.	Le contrôle des indications de l'AMM est très strict et la prescription hors AMM est proscrite.
Pays-Bas	Le remboursement de l'hôpital (80 % du prix net des médicaments) par les compagnies d'assurance est partiel afin de favoriser les bonnes pratiques budgétaires. La dispensation par les pharmacies hospitalières notamment en oncologie est pénalisée par rapport à la dispensation en ambulatoire par les nouvelles sociétés pharmaceutiques (<i>pharmacy care</i>), en raison de la contrainte budgétaire forte qui s'exerce à l'hôpital et non en ville.	Les prix sont fixés librement entre hôpitaux et firmes pharmaceutiques.	Un contrôle budgétaire mensuel détaillé des dépenses est effectué par les autorités de santé (ministère et assurance santé) au cas par cas.	La prescription hors AMM est examinée au cas par cas et quasi-inexistante.
Royaume-Uni¹	Les financeurs de soins locaux (<i>Primary Care Trusts</i>) et la direction de l'hôpital sont les seuls régulateurs des dépenses hospitalières. Les pharmaciens hospitaliers n'ont aucune implication dans la gestion du budget.	La négociation des prix se fait au niveau local entre les hôpitaux et les laboratoires. Les prix peuvent donc varier selon les régions.	L'hôpital doit vérifier pour chaque patient que le PCT dispose des fonds nécessaires pour bénéficier d'un médicament en sus de la facturation à l'activité.	Le contrôle des indications de l'AMM est strict mais la prescription hors AMM est possible au cas par cas et il existe des possibilités de restrictions des indications par rapport à l'AMM.
Suède	Le budget est limité.	Les 21 régions négocient séparément avec les laboratoires.	Le contrôle de la prescription est partagé entre médecins et conseils régionaux (registres de patients).	Le contrôle des indications de l'AMM est strict mais la prescription hors AMM est possible au cas par cas et il existe des possibilités de restrictions des indications par rapport à l'AMM.

¹Angleterre et Pays de Galles uniquement. Source: D'après Eurostaf (2007) et DSS/6B.