



Berne, le 20 août 2025

Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer II

Rapport complémentaire du Conseil fédéral
donnant suite au postulat 18.4098 CSSS-N du
25 octobre 2018

Table des matières

Résumé	3
1 Contexte	4
1.1 Analyse de la situation par BSS du 4 mars 2022.....	5
1.2 Rapport du Conseil fédéral du 7 septembre 2022 « Remboursement de médicaments destinés aux enfants atteints du cancer »	5
1.3 Complément à l'analyse initiale de la situation	5
2 Éléments centraux de la révision, notamment par rapport aux demandes classées dans la catégorie de bénéfice C et aux essais thérapeutiques	7
3 Résumé des principaux résultats de l'analyse complémentaire du 11 mars 2025	8
4 Conclusion du Conseil fédéral	9

Résumé

Le 25 octobre 2018, la Commission de la sécurité sociale et de la santé publique du Conseil national (CSSS-N) a déposé un postulat 18.4098 « Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer » demandant une analyse portant sur le remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer. Elle a estimé que le rapport du Conseil fédéral du 7 septembre 2022 n'abordait pas une question centrale du postulat, à savoir la proportion des garanties de prises en charge acceptées en oncologie pédiatrique après une demande fondée sur les art. 71a à 71d de l'ordonnance sur l'assurance-maladie (OAMal). Une analyse complémentaire était donc nécessaire.

Le complément se rapporte à l'année 2019, soit avant l'entrée en vigueur de la révision de l'OAMal le 1^{er} janvier 2024. L'enquête menée auprès d'assureurs-maladie et de centres spécialisés en oncologie pédiatrique montre que l'assurance obligatoire des soins (AOS) a directement pris en charge au moins deux tiers des traitements en oncologie pédiatrique demandés en vertu des art. 71a à 71d OAMal. Les assureurs et les centres spécialisés ont des avis divergents sur le reste des demandes. Les premiers estiment accepter 23 % d'entre elles, classées dans la catégorie de bénéfice C et débouchant sur un essai thérapeutique, et n'en refuser que 0,2 %. Les seconds, eux, arrivent à la conclusion que les assureurs refusent 17 % des demandes et n'acceptent un essai thérapeutique avec la catégorie de bénéfice C que dans 13 % des cas. L'analyse a donc mis en lumière une divergence d'opinions quant à la proportion des garanties de prises en charge en oncologie pédiatrique acceptées après une demande fondée sur les art. 71a à 71d OAMal. Tant les assureurs que les centres spécialisés ont relevé qu'il était compliqué de répondre à l'enquête : le nombre de cas était limité, les données n'étaient pas toutes centralisées et les questions se rapportaient à une situation passée.

Les oncologues pédiatriques ont particulièrement critiqué les obstacles administratifs liés aux essais thérapeutiques et mentionné l'importante charge administrative pour les thérapies établies.

Suite à l'entrée en vigueur des dispositions révisées le 1^{er} janvier 2024, le Conseil fédéral prévoit de continuer à accompagner la mise en œuvre de l'ordonnance et à encourager l'échange entre assureurs-maladie, experts et entreprises pharmaceutiques dans divers groupes de travail suivis par l'Office fédéral de la santé publique (OFSP). Il sera ainsi possible d'identifier et de prendre rapidement les mesures requises. La révision visait aussi à réduire les obstacles administratifs. Une nouvelle évaluation prévue pour 2027 permettra de déterminer si des actions supplémentaires sont nécessaires. En conséquence, le Conseil fédéral estime qu'il n'y a actuellement pas besoin d'engager d'autres mesures.

1 Contexte

Le 25 octobre 2018, la CSSS-N a déposé le postulat 18.4098 « Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer » avec le texte déposé :

« Le Conseil fédéral est chargé d'établir un rapport, dans lequel il exposera la situation relative à la prise en charge des coûts des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer. Il devra également identifier les champs d'action possibles

Ce rapport devra notamment apporter des précisions sur les points suivants :

- les conditions auxquelles les assureurs-maladie prennent en charge les médicaments destinés aux enfants atteints du cancer ;
- les solutions envisageables en vue d'un remboursement des médicaments autorisés à l'étranger, mais pas encore en Suisse ;
- les solutions permettant d'éviter l'inégalité de prise en charge pour les médicaments utilisés hors étiquette (*off label use*)¹. »

Le postulat a été justifié comme suit : « Les cas de caisses-maladie refusant de prendre en charge les coûts de médicaments destinés à des enfants ou des jeunes atteints du cancer se sont multipliés ces derniers temps. Sont en particulier concernés les médicaments utilisés hors étiquette et les médicaments qui sont déjà autorisés à l'étranger mais ne le sont pas encore en Suisse. En raison du faible pourcentage d'enfants parmi les personnes atteintes du cancer, seul un petit nombre de médicaments spécifiques sont développés et mis sur le marché pour ce groupe de patients. Par conséquent, on a souvent recours, pour traiter des enfants atteints du cancer, à des médicaments qui ne seraient en fait autorisés que pour des adultes et qui sont en l'occurrence utilisés hors étiquette. La prise en charge de ces médicaments par l'assurance est fonction de la caisse-maladie choisie et les coûts auxquels doivent faire face les familles d'enfants atteints du cancer peuvent donc être très élevés ; ces dernières dépendent alors de l'aide de tiers. »

Le 21 novembre 2018 le Conseil fédéral a proposé d'accepter le postulat.

Le 7 septembre 2022, le Conseil fédéral a publié le rapport « Remboursement de médicaments destinés aux enfants atteints du cancer »². Toutefois, le Conseil national a décidé le 12 juin 2023 que ce rapport ne suffisait pas pour classer le postulat. Selon sa commission compétente, il manquait encore certaines informations. La CSSS-N a estimé que le rapport n'abordait pas une question centrale du postulat, à savoir la proportion des garanties de prises en charge en oncologie pédiatrique acceptées après une demande fondée sur les art. 71a à 71d OAMal. Constatant à regret que seuls huit assureurs-maladie sur un total d'environ 50 y avaient répondu, elle a remis en question l'affirmation du rapport selon laquelle les assureurs acceptaient pratiquement 100 % des demandes de garanties de prise en charge en oncologie pédiatrique. Il faut ici préciser que ces 100 % se répartissent comme suit : 77 % en catégorie de bénéfice A ou B (prise en charge directe) et 23 % en catégorie de bénéfice C (essai thérapeutique). La commission s'est aussi référée à un courrier d'oncologues pédiatriques indiquant que, selon leur expérience, les assureurs n'acceptaient pas 100 % des demandes de garantie de prise en charge dans des cas particuliers. Pour les raisons susmentionnées, la commission a demandé un rapport complémentaire.

Ce rapport visait à compléter l'analyse de la situation publiée le 4 mars 2022, qui se référait à la situation en 2019. En raison du manque de données concrètes, il s'est avéré difficile de compléter l'enquête. De plus, le nombre relativement faible de demandes en oncologie pédiatrique implique une grande hétérogénéité des résultats. Il faut en outre signaler qu'une version révisée de l'OAMal est entrée en

¹ Cf. www.parlament.ch > Travail parlementaire > Recherche Curia Vista > 18.4098.

² Cf. www.ofsp.admin.ch > Services > Publications > Rapports du Conseil fédéral.

Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer II

vigueur le 1^{er} janvier 2024. Les résultats et les conclusions se réfèrent donc à la situation *avant* la révision, dont les éléments centraux, en particulier les dispositions relatives aux essais thérapeutiques, sont présentés au chapitre 2.

1.1 Analyse de la situation par BSS du 4 mars 2022

Dans le cadre de l'analyse initiale de la situation, l'équipe chargée de l'étude a mené des discussions avec six oncologues pédiatriques travaillant dans quatre hôpitaux différents. Elle a également contacté par écrit 21 assureurs-maladie³, dont 18 ont participé à l'enquête. Au total, ces derniers couvraient 89 % de l'effectif des personnes au bénéfice de l'AOS au 1^{er} janvier 2021. Le taux de couverture pour les enfants assurés (0 à 18 ans) était aussi de 89 %. Parmi ces assureurs, seuls dix avaient reçu des demandes de garantie de prise en charge en oncologie pédiatrique pour l'année 2019, couvrant au total 87 % de l'effectif des assurés AOS.

L'analyse initiale réalisée auprès des assureurs-maladie et des oncologues pédiatriques a montré que le taux d'acceptation des demandes déposées en vertu des art. 71a à 71d OAMal était très élevé. Selon les huit assureurs⁴ ayant fourni des réponses plausibles, il était de pratiquement 100 % : plus précisément, ces assureurs ont déclaré avoir accepté 77 % des demandes avec classement dans la catégorie de bénéfice A ou B (prise en charge directe) et 23 % avec classement dans la catégorie de bénéfice C (essai thérapeutique). On qualifie d'essai thérapeutique les cas particuliers où il n'existe pas assez de données probantes pour un *rating* positif (catégorie A ou B) mais où l'on peut s'attendre à un bénéfice élevé et donc à un succès thérapeutique.

Les oncologues pédiatriques interrogés se sont montrés satisfaits du taux d'acceptation, indiquant que les assureurs acceptaient, à la fin, presque toutes leurs demandes. Les deux parties s'accordaient sur le fait que les refus étaient très rares et que l'on trouvait alors le plus souvent une autre source de financement. Pour les oncologues pédiatriques, la principale difficulté était l'importante charge administrative pour obtenir la prise en charge des médicaments. Le rapport présentait ici des possibilités d'amélioration dans le processus de garantie de prise en charge visé aux art. 71a à 71d OAMal, par exemple l'élaboration d'une liste des thérapies standard.

1.2 Rapport du Conseil fédéral du 7 septembre 2022 « Remboursement de médicaments destinés aux enfants atteints du cancer »

Le rapport du Conseil fédéral du 7 septembre 2022, fondé sur l'analyse initiale de la situation du bureau d'études BSS, parvenait à la conclusion que les assureurs-maladie acceptaient pratiquement 100 %⁵ des demandes de garantie de prise en charge en oncologie pédiatrique et que les spécialistes interrogés étaient satisfaits de ce taux. Selon ce rapport, on pouvait partir du principe que la problématique générale de l'inégalité de traitement des personnes assurées selon la loi fédérale sur l'assurance-maladie (LAMal) pour la prise en charge de médicaments utilisés hors étiquette (prise en charge dans des cas particuliers) ne s'appliquait pas à l'oncologie pédiatrique (pour plus d'informations, voir l'évaluation de la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers selon les articles 71a à 71d OAMal en 2019-2020⁶).

1.3 Complément à l'analyse initiale de la situation

Afin d'augmenter la valeur informative de la première analyse, BSS a mené une nouvelle enquête auprès des assureurs-maladie et des oncologues pédiatriques.

³ Total : 95 % de l'effectif des assurés AOS

⁴ Total : 51 % de l'effectif des assurés AOS

⁵ Tant les auteurs de l'analyse que l'OFSP, dans le rapport du 7 septembre 2022, ont interprété la réalisation d'un essai thérapeutique comme une prise en charge par l'AOS et, partant, comme une acceptation de la demande.

⁶ Cf. www.ofsp.admin.ch > Services > Publications > Rapports d'évaluation > Assurance maladie et accidents > Aperçu.

Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer II

D'une part, cette analyse complémentaire visait à revenir sur le taux d'acceptation des demandes déposées en vertu des art. 71a à 71d OAMal, et ce auprès des deux groupes. D'autre part, il s'agissait de mettre l'accent sur la mise en œuvre des essais thérapeutiques. Lors de discussions préliminaires, les oncologues pédiatriques avaient en effet signalé à l'OFSP la lourde charge administrative qui pouvait en découler. De plus, l'évaluation de la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers en 2019-2020 a montré que les essais thérapeutiques étaient trop peu réglementés avant la révision et que divers aspects restaient peu clairs.

Le chapitre 2 détaille les principaux éléments de la révision de l'OAMal, en particulier en ce qui concerne les essais thérapeutiques et leurs enjeux. Le chapitre 3 résume les résultats de l'analyse complémentaire du 12 mars 2025, qui figure en annexe.

L'analyse initiale du 4 mars 2022, qui fournit un tableau complet du remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer, se trouve également en annexe.

2 Éléments centraux de la révision, notamment par rapport aux demandes classées dans la catégorie de bénéfice C et aux essais thérapeutiques

Avant la révision du 22 septembre 2023⁷, les modalités de mise en œuvre des essais thérapeutiques manquaient de clarté. L'évaluation du 24 juillet 2020 sur la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers en 2019-2020 a montré que les essais thérapeutiques étaient trop peu réglementés et que l'obligation de prise en charge (classement en tant que garantie de prise en charge vs refus) et les questions de financement étaient particulièrement peu claires. Avant même le début d'un traitement, les assureurs décidaient de prendre en charge les coûts si, dans un cas particulier, il était possible de prouver le succès du traitement après ou pendant celui-ci. Les assureurs et les titulaires des autorisations devaient au préalable conclure un contrat à ce sujet, ce qui menait à des variations dans les procédures effectives. La révision de l'ordonnance visait donc à créer une base juridique claire.

Un des éléments centraux de la révision était d'uniformiser, pour toutes les demandes de prise en charge dans des cas particuliers, l'évaluation du bénéfice et le contrôle de l'économicité selon les abattements de prix fixés (cf. art. 38e, al. 1 à 4, de l'ordonnance sur les prestations de l'assurance des soins [OPAS]). Évaluer le bénéfice implique maintenant de classer l'essai thérapeutique dans la bonne catégorie, en s'appuyant sur les données probantes disponibles et à l'aide des modèles développés par les médecins-conseils. Il est désormais aussi possible que plusieurs assureurs-maladie collaborent à cet égard. Les évaluations communes et la fixation uniforme des prix améliorent l'égalité de traitement et réduisent la charge administrative. L'OFSP accompagne l'application des nouvelles dispositions dans des groupes de travail et publie les réponses aux questions fréquentes (FAQ) concernant la prise en charge dans des cas particuliers en lien avec les modifications de l'OAMal et de l'OPAS au 1^{er} janvier 2024⁸.

La révision a également créé des bases juridiques claires pour les demandes classées dans la catégorie de bénéfice C. Lorsqu'un médicament permet d'escompter un grand progrès thérapeutique (catégorie C), ce progrès n'est pas encore attesté avant le début du traitement, mais escompté en vertu de l'évaluation du bénéfice dans le cas particulier. Puisque la preuve de l'efficacité d'un médicament dont on escompte un grand bénéfice thérapeutique n'est pas encore apportée, la prise en charge par l'AOS ne peut avoir lieu qu'après la réponse au traitement, conformément à la LAMal. Les coûts du médicament reviennent donc au titulaire de l'autorisation jusqu'à la réponse au traitement, puis aux assureurs-maladie par la suite. En règle générale, on considère qu'il y a réponse au traitement si celui-ci dure plus de deux mois. Cette hypothèse sert également à éviter les retards et les longues négociations entre entreprises et assureurs. Par la suite, les abattements de prix visés à l'art. 38e, al. 1 à 4, OPAS s'appliquent.

En résumé, on peut en conclure que, si les dispositions de l'ordonnance sont respectées et que l'entreprise pharmaceutique accepte les abattements de prix et les conditions, le classement dans la catégorie de bénéfice C et la réalisation d'un essai thérapeutique impliquent toujours que l'assureur-maladie accepte la demande. De plus, les nouvelles formulations ont permis d'uniformiser et d'optimiser l'évaluation et de réduire la charge administrative.

⁷ Cf. www.ofsp.admin.ch > Politiques & lois > Bases juridiques > Législation Assurances > Bases légales Assurance-maladie > Projets législatifs terminés.

⁸ Cf. www.ofsp.admin.ch > Assurances > Assurance-maladie > Prestations et tarifs > Médicaments > Prise en charge de médicaments dans des cas particuliers.

3 Résumé des principaux résultats de l'analyse complémentaire du 11 mars 2025

Pour les besoins de l'analyse complémentaire, le bureau d'études BSS a convié les responsables des neuf centres suisses spécialisés en oncologie pédiatrique à une enquête en ligne. Il a également mené un complément d'enquête auprès des assureurs-maladie. Avant de présenter les résultats, il faut préciser que, concernant le taux d'acceptation, les assureurs n'ont pas apporté de nouvelles données par rapport à celles fournies en 2022.

Taux de retour : six centres spécialisés sur neuf ont répondu à l'enquête et indiqué un taux d'acceptation, alors que huit assureurs sur douze⁹ ont participé. Il n'a donc pas été possible d'augmenter le taux de couverture, en particulier car huit des assureurs qui avaient pris part à l'enquête précédente n'avaient pas reçu de demande en oncologie pédiatrique pour l'année 2019. Il n'y avait alors que 250 à 300 demandes chaque année dans ce secteur, raison pour laquelle il est plausible que certains assureurs – en particulier les plus petits – n'en aient pas reçu en 2019. De plus, tant les centres spécialisés que les assureurs-maladie ont trouvé compliqué de répondre à l'enquête, car les réponses devaient se référer à la situation en vigueur *avant* la révision de l'OAMal et de l'OPAS et que les chiffres concrets faisaient parfois défaut.

Les résultats se résument comme suit :

- Acceptation directe et prise en charge par l'AOS :
 - Centres spécialisés : 69 %
 - Assureurs-maladie : 77 %
- Catégorie de bénéfice C et essai thérapeutique :
 - Centres spécialisés : 13 %
 - Assureurs-maladie : 23 %
- Refus :
 - Centres spécialisés : 17 %
 - Assureurs-maladie : 0,2 %

Ces résultats montrent que les assureurs maladie acceptent directement au moins deux tiers des demandes, que l'AOS prendra donc en charge. Certains d'entre eux soulignent même examiner les dossiers soumis en oncologie pédiatrique avec une bienveillance particulière. Les résultats illustrent le désaccord entre les centres, qui font état de davantage de refus, et les assureurs, qui n'en signalent guère. Il est important de mentionner à cet égard que les centres spécialisés ont fourni des réponses hétérogènes. Les petits centres (une à dix demandes par an) déclaraient un taux d'acceptation très variable (de 11 à 99 %), tandis que le taux indiqué par les grands centres s'élevait en moyenne à 69 %.

Les discussions préliminaires avec les oncologues pédiatriques ont révélé que ces derniers perçoivent la charge administrative lors de prise en charge dans des cas particuliers comme particulièrement lourde. La dernière enquête en ligne indique que c'est également le cas pour les médicaments reconnus.

En outre, l'analyse complémentaire indique que les clarifications liées aux essais thérapeutiques et à leur prise en charge impliquent elles aussi un important travail administratif supplémentaire. Elle a permis de constater que les assureurs-maladie suivent des procédures différentes pour clarifier les essais thérapeutiques avec les entreprises pharmaceutiques. Certains d'entre eux se chargent eux-mêmes de la communication, tandis que d'autres délèguent ce travail aux oncologues pédiatriques, ce

⁹ Parmi les 22 assureurs maladie, BSS a exclu les huit qui avaient indiqué, dans l'enquête en ligne de 2022, ne pas avoir reçu de demande en oncologie pédiatrique en 2019. Le bureau a encore exclu deux assureurs qui n'avaient pas participé à l'enquête de 2022 et qui, entre-temps, avaient fusionné avec un autre assureur ou quitté l'association faitière. Il restait ainsi 22-8-2 = 12 assureurs, que BSS a invités à participer au complément d'enquête de 2024.

Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer II

qui augmente encore la charge administrative des fournisseurs de prestations et peut rallonger les délais.

4 Conclusion du Conseil fédéral

Les résultats montrent que la prise en charge des coûts pour les enfants atteints du cancer est en principe garantie, cependant au prix d'une charge de travail parfois importante pour les oncologues pédiatriques. Ces derniers mentionnent aussi les obstacles administratifs pour les thérapies établies. L'analyse complémentaire a encore révélé que les centres spécialisés font une estimation plus élevée du nombre de refus que les assureurs-maladie.

Accent sur les essais thérapeutiques : depuis la révision de l'ordonnance entrée en vigueur le 1^{er} janvier 2024, le processus en cas de classement dans la catégorie de bénéfice C (avec essai thérapeutique) devrait être uniforme chez tous les assureurs. Pour autant que les dispositions de l'ordonnance soient respectées (financement de l'essai thérapeutique et garantie des abattements de prix par le titulaire de l'autorisation, cf. art. 38c ss OPAS), le classement dans la catégorie de bénéfice C et la réalisation d'un essai thérapeutique impliquent que l'assureur-maladie accepte la demande. La FAQ publiée invite ces derniers à traiter les demandes de manière uniforme, afin de réduire autant que possible la charge administrative, en particulier celle des fournisseurs de prestations. L'OFSP organise divers groupes de travail pour accompagner la mise en œuvre de la prise en charge dans des cas particuliers et examine dans ce cadre la possibilité de simplifier les processus pour les thérapies standard établies qui ne sont pas autorisées par Swissmedic. Dans ce contexte, il est prévu que les médicaments cités par les centres spécialisés puissent aussi profiter d'un processus simplifié. Il n'est actuellement pas possible d'estimer quand et comment cette simplification aura lieu, la question dépendant aussi des demandes des sociétés de discipline médicale. Le changement visera à alléger la charge administrative des fournisseurs de prestations, des médecins-conseils et, en fin de compte, des assureurs-maladie aussi.

Quatre grandes séances réunissant toutes les parties prenantes, dont les oncologues pédiatriques, ont eu lieu en 2024 dans le but d'encourager l'échange et la compréhension mutuelle. Elles ont permis d'identifier rapidement des besoins importants et de prendre les mesures adaptées. Il ne faut pas oublier que, par comparaison avec les traitements classiques figurant dans la LS, la prise en charge dans des cas particuliers représente un surplus de travail pour toutes les parties impliquées, y compris les assureurs-maladie. En conséquence, il est souhaitable que les thérapies standard établies soient, autant que possible, admises dans la LS ou, au moins, que les processus soient fixés de manière aussi uniforme que possible.

En raison de la première évaluation de la prise en charge dans des cas particuliers en 2019-2020 et de la révision consécutive en 2024, une nouvelle évaluation est prévue en 2027 afin d'identifier tout besoin d'action. C'est pourquoi le Conseil fédéral estime qu'il n'y a actuellement pas besoin de prendre d'autres mesures. Il souhaite toutefois garder la porte ouverte à de nouvelles réflexions une fois que les résultats de la prochaine évaluation seront disponibles.



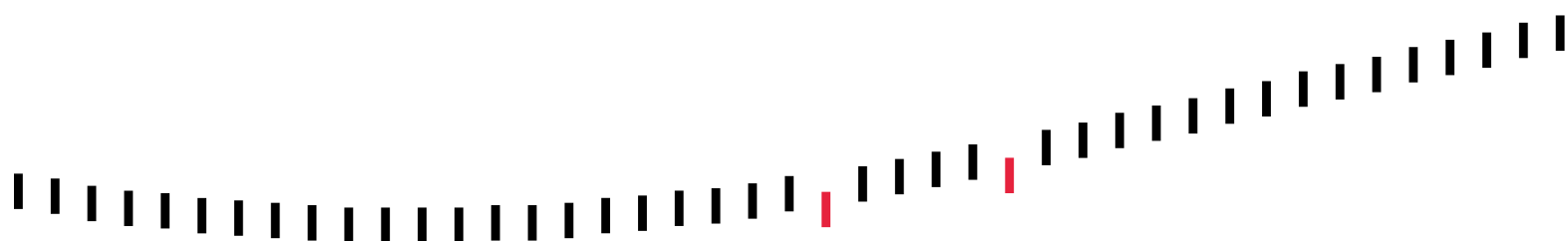
Volkswirtschaftliche
Beratung

Rapport succinct

Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer

Complément à l'analyse de la situation du 4 mars 2022,
pour les enfants atteints du cancer, concernant la prise
en charge des médicaments dans des cas particuliers
selon les art. 71a à 71d OAMal

Bâle , 12.03.2025



Impressum

Complément à l'analyse de la situation du 4 mars 2022, pour les enfants atteints du cancer, concernant la prise en charge des médicaments dans des cas particuliers selon les art. 71a à 71d OAMal »

Rapport succinct

12.03.2025

Mandant : Office fédéral de la santé publique

Auteurs : Wolfram Kägi et Thomas Möhr

Responsables pour le mandant : Beatrice Bolinger et Angela Mugglin

Direction de projet du mandataire : Wolfram Kägi

BSS Volkswirtschaftliche Beratung AG

Aeschengraben 9

CH-4051 Basel

T +41 61 262 05 55

contact@bss-basel.ch

www.bss-basel.ch

© 2025 BSS Volkswirtschaftliche Beratung AG

Table des matières

1. Contexte et objectif de l'étude.....	1
2. Focus sur le taux d'acceptation.....	1
2.1 Résultats de l'analyse de la situation de 2022.....	1
2.2 Nouvelles connaissances résultant des enquêtes en ligne (2024).....	3
3. Focus sur les essais thérapeutiques (notation C)	7
3.1 Description de l'essai thérapeutique	7
3.2 Qui procède aux clarifications nécessaires ?	8
3.3 Charge de travail liée aux clarifications	9
3.4 Durée des clarifications	9
3.5 Autres sources de financement	9
4. Résumé	10

1. Contexte et objectif de l'étude

Le 25 octobre 2018, la Commission de la sécurité sociale et de la santé publique du Conseil national (CSSS-N) avait déposé un postulat sur le thème du remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer. Le Conseil fédéral y était chargé d'établir un rapport, dans lequel il exposerait la situation relative à la prise en charge des coûts des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer. Il devait également identifier les champs d'action possibles afin d'éviter toute inégalité de traitement. Par la suite, l'Office fédéral de la santé publique (OFSP) avait chargé le bureau d'études économiques BSS d'établir une analyse de la situation (« Prise en charge des médicaments dans des cas particuliers selon les art. 71a à 71d OAMal : analyse de la situation pour les enfants atteints du cancer »). L'analyse de la situation s'est achevée le 4 mars 2022. Le Conseil fédéral a publié sur cette base, le 7 septembre 2022, son rapport en réponse au postulat de la CSSS-N¹.

Le Conseil national a toutefois décidé le 12 juin 2023 de ne pas classer le postulat. Selon sa commission compétente, certains compléments devaient encore être apportés au rapport du Conseil fédéral. À cet effet, l'OFSP a chargé le bureau BSS d'élaborer le présent rapport succinct.

Il convient de noter que l'OAMal a été révisée au 1^{er} janvier 2024. Le présent rapport succinct n'est toutefois pas consacré à la situation actuelle, mais vise uniquement à compléter l'analyse de la situation du 4 mars 2022. Par conséquent, toutes les informations qu'il renferme se réfèrent à la situation *antérieure* à la révision de l'OAMal.

2. Focus sur le taux d'acceptation

2.1 Résultats de l'analyse de la situation de 2022

La question du taux d'acceptation des demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a à 71d OAMal dans le domaine de l'oncologie pédiatrique était au cœur de l'analyse de la situation du 4 mars 2022. En plus de faire l'objet d'une enquête en ligne auprès des assureurs, elle avait été discutée avec six oncologues pédiatriques issus de quatre centres spécialisés. Le présent sous-chapitre résume les principaux résultats de cette analyse.

Taux de couverture de l'enquête en ligne

Parmi les 21 assureurs invités, 18 avaient participé à l'enquête en ligne. Leurs tailles respectives varient fortement : alors que les plus petits assureurs ont un effectif de moins de 500 personnes assurées de 0 à 18 ans (ci-après : « enfants »), les grands assureurs comptent plus de

¹ Lien vers le rapport du Conseil fédéral, comportant en annexe l'analyse de la situation du bureau BSS datée du 4 mars 2022 : <https://www.news.admin.ch/news/message/attachments/73012.pdf>

200 000 enfants dans leur effectif². Par conséquent, le taux de couverture des assurés (« effectif d'assurés ») est plus important que le nombre d'assureurs. Il est d'ailleurs élevé : les 18 assureurs ayant participé à l'enquête en ligne couvrent ensemble près de 90 % de l'effectif des enfants assurés dans l'AOS. Ces assureurs n'ont cependant pas tous reçu de demandes en oncologie pédiatrique, et tous n'ont pas non plus donné de réponse plausible à la question portant sur le taux d'acceptation. Le tableau ci-après donne un aperçu du taux de couverture de l'enquête en ligne.

Tableau 1 : Taux de couverture de l'enquête en ligne

	Taux de couverture de l'effectif des personnes assurées	Nombre d'assureurs
Tous les assureurs	100 %	plus de 30
Assureurs contactés par écrit (sur la base des adresses reçues)	95 %	22
Participants à l'enquête	89 %	18
Demandes reçues en 2019 dans le domaine de l'oncologie pédiatrique	87 %	10
Réponse plausible à la question du taux d'acceptation des demandes	51 %	8

Parmi les 18 assureurs ayant participé à l'enquête, huit avaient indiqué n'avoir reçu en 2019 *aucune* demande dans le domaine de l'oncologie pédiatrique. Il s'agissait à chaque fois de petits assureurs. Nous considérons ces indications comme plausibles : chaque année, entre 250 et 300 demandes sont déposées en oncologie pédiatrique (voir chap. 3 de l'analyse de la situation du 4 mars 2022). Au moment de l'enquête, l'AOS comptait 1,56 million d'enfants dans son effectif d'assurés. Autrement dit, on compte en moyenne une demande pour 6000 enfants assurés. Or beaucoup d'assureurs comptent moins de 6000 enfants dans leur effectif d'assurés AOS. Il est donc plausible qu'en 2019, les petits assureurs en question n'aient reçu aucune demande en oncologie pédiatrique.

Les dix assureurs restants couvrent 87 % des enfants assurés dans l'AOS. Tous n'ont cependant pas répondu correctement à la question du taux d'acceptation : outre qu'un assureur n'a pas été en mesure de fournir une réponse, il nous a fallu exclure deux réponses après un contrôle de plausibilité³. Par contre, un assureur de petite taille n'ayant reçu aucune demande en 2019 a pu estimer le taux d'acceptation en oncologie pédiatrique à partir des demandes des années précédentes. Autrement dit, la question du taux d'acceptation des demandes en oncologie pédiatrique a reçu une réponse plausible de la part de huit assureurs, couvrant ensemble 51 % de l'effectif des enfants assurés dans l'AOS.

² Les chiffres se réfèrent à l'effectif des assurés dans l'AOS au 1.1.2023. Source : OFSP (2024), Statistique de l'assurance-maladie obligatoire, Tableau 5.05.

³ Dans un cas, la somme des pourcentages était égale à 200 % et non 100 %, alors que dans l'autre les réponses concernant le taux d'acceptation étaient en contradiction avec celles données à une autre question.

Résultat concernant le taux d'acceptation

Les données des huit assureurs ont été à chaque fois pondérées par le nombre d'enfants assurés dans leur AOS, de façon à refléter autant que possible le taux d'acceptation au niveau national. Résultat : durant l'année de référence 2019, 77 % des demandes déposées ont abouti à une prise en charge par l'AOS (notation A ou B⁴), 23 % ont donné lieu à un essai thérapeutique (notation C) et moins de 1 % des demandes ont essuyé un refus (notation D). La figure 4 de l'analyse de la situation du 4 mars 2022 illustre ce résultat à l'aide d'un graphique en secteurs.

Résultats des discussions avec des professionnels

Les oncologues pédiatriques interrogés à l'époque avaient également signalé qu'une écrasante majorité des demandes de prise en charge des coûts sont approuvées directement par l'AOS ou donnent lieu à un essai thérapeutique. Des refus interviennent toutefois, dans de très rares cas.

La principale critique des oncologues pédiatriques interrogés ne portait donc pas sur le taux d'acceptation, mais sur la *lourde charge administrative* qu'impliquent les demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal et sur la procédure à suivre dans chaque cas d'espèce. Ils ont jugé particulièrement gênant de devoir s'acquitter de cet effort administratif même pour les thérapies standard bien reconnues dans les milieux spécialisés⁵.

2.2 Nouvelles connaissances résultant des enquêtes en ligne (2024)

Pour les besoins du présent complément d'analyse, nous avons convié les responsables des neuf centres de Suisse spécialisés en oncologie pédiatrique à participer à une enquête en ligne. Nous avons par ailleurs refait une enquête en ligne auprès des assureurs (« complément d'enquête de 2024 »)⁶.

2.2.1 Données clés de l'enquête en ligne auprès des centres spécialisés

Disposition à participer

Les centres spécialisés ont trouvé difficile de répondre à l'enquête en ligne, notamment parce qu'il leur fallait décrire la situation antérieure à la révision de l'OAMal/OPAS, en se référant si possible à l'année 2019 (voir la remarque figurant au chap. 1). D'où une disposition à collaborer variable :

⁴ La notation se réfère au résultat d'un examen basé sur « OLU-Tool ». Pour en savoir plus sur cet outil, voir l'évaluation de la prise en charge des médicaments dans des cas particuliers (art. 71a à 71d OAMal) ([lien](#)).

⁵ Voir les explications à ce sujet des chapitres 6.4 et 7 de l'analyse de la situation du 4 mars 2022.

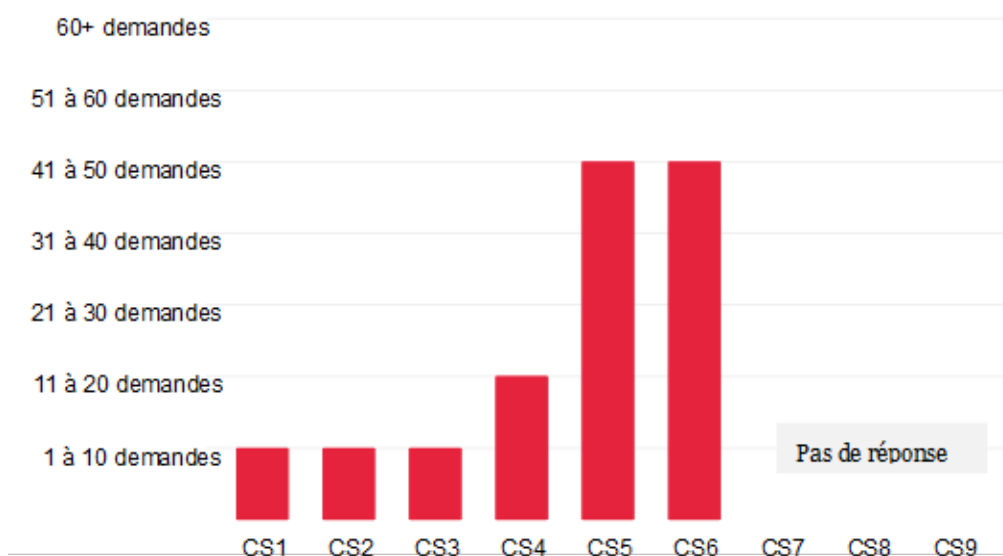
⁶ Nous avons exclu à cette occasion les huit assureurs qui avaient indiqué, dans l'enquête en ligne faisant partie de l'analyse de la situation, n'avoir reçu en 2019 aucune demande dans le domaine de l'oncologie pédiatrique. Nous avons encore exclu deux assureurs qui n'avaient pas participé à l'enquête de 2019 et qui, entre-temps, ont fusionné avec un autre assureur ou quitté l'association faitière. Il reste ainsi 22-8-2 = 12 assureurs, qui ont été invités à participer au complément d'enquête de 2024.

- Six des neuf centres spécialisés en oncologie pédiatrique ont été en mesure de participer à l'enquête en ligne et de répondre à la question relative au taux d'acceptation.
- Deux autres centres ont fait savoir qu'ils ne pouvaient pas répondre. Outre que les données demandées n'étaient pas disponibles de manière centralisée dans leurs établissements, il y avait eu des changements de personnel depuis la révision de l'OAMal/OPAS.
- Un centre ne s'est pas manifesté.

Nombre de demandes déposées par centre spécialisé

Les six centres spécialisés en oncologie pédiatrique ayant participé à l'enquête ont signalé avoir déposé en 2019, dans leur secteur d'activité, des demandes de prise en charge des coûts fondées sur les art. 71a à 71d OAMal. Si aucun n'a pu fournir le nombre exact de demandes déposées, tous ont procédé à des estimations sur la base des catégories indiquées par le bureau BSS (nombre de demandes exprimé par tranches de dix). Trois personnes ont ainsi indiqué que leur centre avait déposé en 2019 « 1 à 10 demandes », la catégorie « 11 à 20 demandes » n'a été choisie qu'une seule fois et la catégorie « 41 à 50 demandes » deux fois (voir figure 1). Ces indications nous paraissent plausibles, étant donné la différence de taille des centres spécialisés.

Figure 1 : Nombre de demandes traitées par centre spécialisé en 2019



Source : enquête en ligne réalisée auprès des neuf centres spécialisés en oncologie pédiatrique (CS) de Suisse.

Cinq des six centres spécialisés estiment que le nombre de demandes augmentera à l'avenir, sous l'effet notamment des progrès de la médecine.

2.2.2 Données clés du complément d'enquête auprès des assureurs

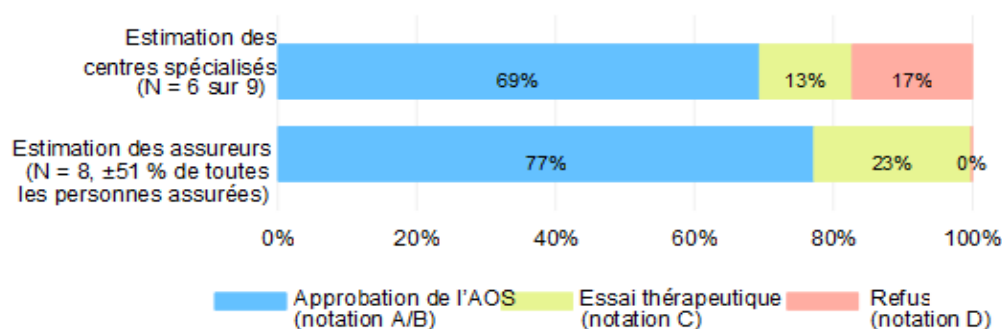
Disposition à participer

Huit des douze assureurs contactés par écrit ont participé au complément d'enquête de 2024. Nous n'avions posé à cette occasion la question du taux d'acceptation qu'aux assureurs n'ayant rien indiqué à ce sujet ou ayant fourni une réponse non plausible lors de l'enquête menée dans le cadre de l'analyse de la situation de 2022. Or ces derniers n'ont pas participé à la nouvelle enquête, ou ont répondu ne pas pouvoir répondre à la question posée. Nous avons donc puisé dans l'analyse de la situation de 2022 les données du graphique ci-dessous se rapportant au taux d'acceptation, faute d'en avoir appris davantage à ce sujet de la part des assureurs.

2.2.3 Évaluation du taux d'acceptation

La figure 2 représente le taux d'acceptation des demandes déposées au titre des art. 71a à 71d OAMal en oncologie pédiatrique, d'abord selon les indications des centres spécialisés puis sur la base des données des assureurs. L'analyse ci-dessous doit toutefois être interprétée avec prudence. Outre qu'une partie des centres et certains assureurs n'ont pas participé à l'enquête, bien des assureurs n'ont pas été en mesure de répondre à la question du taux d'acceptation.

Figure 2 : Taux d'acceptation avant la révision de l'OAMal/OPAS



Remarques : les données de l'enquête en ligne ont été pondérées par le nombre de demandes déposées (centres spécialisés) ou par le nombre d'enfants assurés dans l'AOS (assureurs), de façon à refléter autant que possible le taux d'acceptation au niveau suisse. Source : Données des enquêtes en ligne. Calculs : BSS.

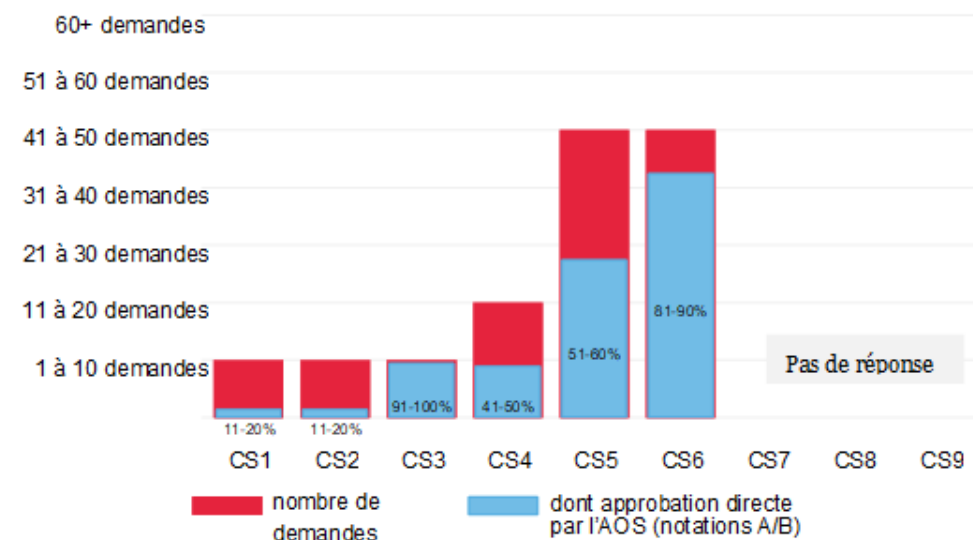
De l'avis des auteurs, l'évaluation menée permet de tirer trois grandes conclusions :

- Tant les centres spécialisés que les assureurs indiquent que l'AOS a approuvé plus des deux tiers des demandes (69 % ou 77 %).
- Les centres spécialisés et les assureurs ont des opinions divergentes sur le reste des demandes :
 - Selon les centres spécialisés, 17 % des demandes auraient été refusées.

- À en croire les assureurs, il n’y aurait presque jamais eu de refus. Six assureurs ont indiqué n’avoir refusé aucune demande fondée sur les art. 71a à 71d OAMal en oncologie pédiatrique. Deux autres n’ont classé qu’une infime partie des demandes parmi les refus. Après pondération par le nombre d’enfants assurés dans l’AOS, il en résulte que 0,2 % seulement de toutes les demandes ont été classées comme refus. La figure 1 a arrondi cette proportion à 0 %. Un tel bilan rejoint les indications de deux assureurs ayant participé à l’enquête en ligne sans parvenir à répondre quantitativement à la question du taux d’acceptation. Bien qu’ils n’aient avancé aucun chiffre, ils ont signalé n’avoir « refusé aucune demande en oncologie pédiatrique » ou rappelé que « les demandes concernant des enfants sont examinées avec une bienveillance particulière ».
- Tant les centres spécialisés que les assureurs ont trouvé difficile de répondre à la question du taux d’acceptation des demandes relevant de l’oncologie pédiatrique. D’autant plus que l’enquête se référait à une situation passée. Nous considérons quant à nous qu’il n’est *pas* possible d’améliorer encore le taux de couverture des centres spécialisés et/ou des assureurs, et donc la pertinence des résultats de l’enquête.

Les taux d’acceptation apparaissant dans la figure 2 sont des valeurs moyennes. Or un examen plus approfondi des données révèle que les six centres ayant participé à l’enquête font apparaître une image très différente de la situation. C’est frappant dans le cas des trois centres n’ayant soumis que 1 à 10 demandes en 2019 : alors que deux d’entre eux signalent que seules « 11 à 20 % » des demandes ont été approuvées par l’AOS, le troisième indique qu’elle les a presque toutes acceptées (catégorie « 91 à 99 % », voir figure 3)⁷. Les trois plus grands centres affichent des valeurs intermédiaires, ce qui aboutit à un taux moyen d’acceptation des demandes par l’AOS de 69 %.

Figure 3 : Hétérogénéité des centres spécialisés



Source : enquête en ligne réalisée auprès des neuf centres spécialisés en oncologie pédiatrique (CS) de Suisse.

⁷ Comme pour le nombre de demandes reçues, les assureurs n’ont pas fourni de chiffres exacts à la question du taux d’acceptation et ont opté pour les catégories de réponses proposées en tranches de 10 %. Il convient de noter qu’avec un aussi faible nombre de cas, une légère différence quant au nombre absolu de cas approuvés risque déjà d’aboutir à des différences significatives au niveau du taux d’acceptation.

Un centre spécialisé a encore fait remarquer, à propos du taux d'acceptation, que la manière de traiter les cas diffère d'un assureur à l'autre. Alors que certains se montrent coopératifs, d'autres ne laissent aucune possibilité de communiquer avec la personne responsable du dossier.

En outre, les centres spécialisés ont à nouveau été plusieurs à signaler, dans le champ de texte libre figurant dans la présente enquête en ligne, à quel point il est frustrant de devoir rédiger à chaque fois une demande de prise en charge des coûts et répondre aux éventuelles demandes de précisions des assureurs même pour des médicaments reconnus⁸. Cette question et les éventuelles possibilités d'optimisation avaient été discutées en détail dans l'analyse de la situation de 2022 (voir chap. 6.4 et 7).

3. Focus sur les essais thérapeutiques (notation C)

Les essais thérapeutiques peuvent entraîner de lourdes charges administratives pour les centres spécialisés en oncologie pédiatrique, comme l'ont montré les entretiens préliminaires entre l'OFSP et les oncologues pédiatriques. Sur cette base, le présent chapitre se concentre sur les essais thérapeutiques et leur mise en œuvre.

Il est important de noter ici que nous avons affaire à un domaine comportant un très petit nombre de cas. Avant la révision de l'OAMal, une écrasante majorité des assureurs recevaient chaque année entre 0 et 10 demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal relevant de l'oncologie pédiatrique, dont l'AOS acceptait le plus souvent la prise en charge (voir chap. 2). Il ne restait par conséquent que très peu d'essais thérapeutiques par assureur. La question des essais thérapeutiques a néanmoins été approfondie dans le complément d'enquête de 2024, dans le but d'enrichir l'état des connaissances en la matière.

3.1 Description de l'essai thérapeutique

Un « essai thérapeutique » est lancé quand le médecin-conseil n'a pas attribué une notation suffisante pour qu'un remboursement par l'AOS soit possible, mais que le médicament peut être d'une grande utilité dans un cas d'espèce. En cas de réponse à la thérapie, l'assureur s'engage à en couvrir les coûts (prise en charge dans le cadre de l'AOS selon les art. 71a à 71d OAMal). Lors d'un essai thérapeutique, les coûts des médicaments sont généralement pris en charge *au début de la thérapie* par l'entreprise pharmaceutique.

⁸ L'asparaginase/Erwinase s'employant en cas de leucémie lymphoblastique aiguë (LLA) et l'actinomycine D destinée au traitement du néphroblastome et des sarcomes ont été mentionnées, entre autres exemples de tels médicaments reconnus.

Lors de tout essai thérapeutique, il faut déterminer qui contrôlera si l'entreprise pharmaceutique veut bien couvrir les coûts en début de traitement. Deux cas de figure se présentent ici :

- L'assureur vérifie lui-même avec l'entreprise pharmaceutique si elle accepte de prendre en charge les coûts au début de l'essai thérapeutique (« vérification par l'assureur »).
- L'assureur signale aux oncologues pédiatriques qu'ils ont droit à un essai thérapeutique – en leur laissant le soin de procéder aux clarifications d'usage (« vérification par l'oncologue pédiatrique »).

3.2 Qui procède aux clarifications nécessaires ?

Dans le complément d'enquête de 2024, cinq assureurs ont indiqué avoir évalué en 2019 des demandes d'essais thérapeutiques. À eux tous, ils couvrent 58 % de l'effectif des enfants assurés dans l'AOS. Quatre d'entre eux ont déclaré avoir eux-mêmes procédé aux clarifications décrites ci-dessus pour tous les essais thérapeutiques (« vérification par l'assureur »). Le cinquième, un grand assureur, a par contre signalé *ne pas* s'en être chargé, mais avoir informé les oncologues pédiatriques de manière proactive qu'il leur était possible, grâce à la notation C obtenue, de s'adresser à l'entreprise pharmaceutique en lui proposant de prendre en charge les coûts de l'essai thérapeutique. Autrement dit, le travail administratif lié à ces vérifications était à la charge des oncologues pédiatriques.

Alors que quatre des cinq assureurs affirment avoir procédé eux-mêmes aux clarifications d'usage, les centres spécialisés interrogés sont d'un avis différent sur la question. Seuls quatre sur six ont toutefois été en mesure de répondre à la question des clarifications nécessaires.

- Deux de ces quatre centres spécialisés ont indiqué que les assureurs avaient procédé eux-mêmes aux concertations nécessaires avec l'entreprise pharmaceutique pour 80 à 90 % des essais thérapeutiques. Dans les deux cas, il s'agit de centres recevant peu de demandes.
- Les deux autres centres spécialisés ont souligné avoir dû procéder eux-mêmes aux clarifications avec l'entreprise pharmaceutique pour tous leurs essais thérapeutiques. Il s'agit d'un centre recevant peu de demandes et d'un centre qui en traite beaucoup. Les assureurs les avaient informés « dans la majorité des cas » de la manière de procéder pour que leur essai thérapeutique puisse être financé.

Les centres spécialisés ont été unanimes à déclarer que quand ils avaient dû prendre contact avec l'entreprise pharmaceutique, celle-ci leur avait « toujours » (deux mentions) accordé le financement initial, ou du moins « dans la majorité des cas » (deux mentions)⁹.

⁹ Un autre centre spécialisé s'est montré plus critique, signalant que les entreprises pharmaceutiques avaient accordé le financement initial « dans la moitié des cas environ ». Ce centre a néanmoins reconnu que seule une petite partie de ses demandes avaient été approuvées comme essais thérapeutiques, et n'a pas su indiquer dans combien de cas il avait dû lui-même tirer la situation au clair avec l'entreprise pharmaceutique.

3.3 Charge de travail liée aux clarifications

Les clarifications susmentionnées prennent du temps. Les assureurs évaluent de manière très différente leurs efforts, entre « maximum 30 minutes » et « 4 à 8 heures » par demande. Un assureur a précisé que la charge de travail variait considérablement, selon la complexité du cas. Mais comme quatre assureurs seulement ont répondu à la question de la charge de travail et qu'il s'agit à chaque fois d'assez grands assureurs, il n'est pas possible de déterminer si les grands assureurs sont plus expéditifs que les petits.

De leur côté, les centres spécialisés ont indiqué avoir eu besoin en moyenne d'une à cinq heures par demande reçue pour les clarifications nécessaires (sans compter le travail initial lié à l'établissement de la demande de garantie de prise en charge des coûts). Ces valeurs se situent dans le même ordre de grandeur que la charge de travail signalée par les assureurs.

3.4 Durée des clarifications

Les assureurs et les centres spécialisés étaient priés d'indiquer combien de jours s'étaient écoulés jusqu'à la décision définitive de l'entreprise pharmaceutique. Trois assureurs ont répondu à la question, en évaluant ce laps de temps à « 1 jour », « 1 à 5 jours » ou « 2 jours ». Il s'agit ici du nombre de jours séparant celui où l'assureur a reçu la demande de celui où la décision définitive est rendue. L'entreprise pharmaceutique avait à chaque fois accordé une garantie de prise en charge initiale des coûts de l'essai thérapeutique, comme l'a confirmé un quatrième assureur n'ayant pas répondu à la question du nombre de jours.

Les clarifications avec les sociétés pharmaceutiques ont duré nettement plus longtemps pour les centres spécialisés. Quand ces derniers ont dû procéder eux-mêmes à celles-ci, il s'est écoulé entre 5 et 30 jours entre la décision de l'assurance (notation C) et le jour où l'entreprise pharmaceutique s'était engagée à financer l'essai thérapeutique. Cinq centres spécialisés ont répondu à la question : la moyenne non pondérée du temps écoulé entre la première prise de contact avec la société pharmaceutique et la décision de cette dernière avoisine 18 jours. Les clarifications entre les centres spécialisés et les entreprises pharmaceutiques ont par conséquent pris beaucoup plus de temps que celles entre les assureurs et les entreprises pharmaceutiques. Cette conclusion doit toutefois être interprétée avec prudence, sachant qu'avec un aussi petit nombre d'occurrences, une poignée de cas d'espèce peuvent avoir un impact majeur sur les valeurs moyennes.

3.5 Autres sources de financement

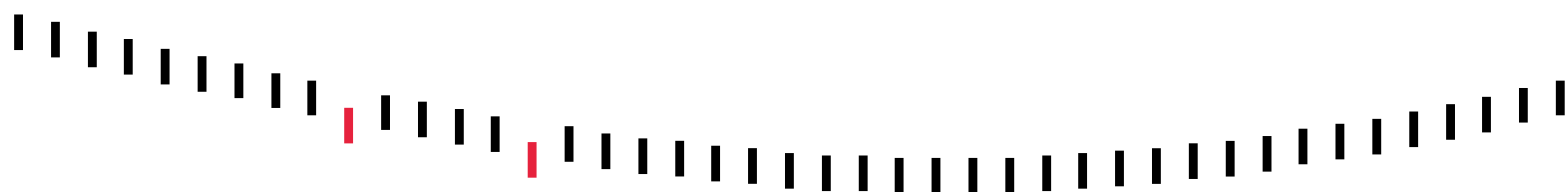
Que se passe-t-il si tant l'assureur (notation D) que l'entreprise pharmaceutique refusent de financer le traitement ? D'après les centres spécialisés, un tel cas de figure est rare. Deux centres ont indiqué que cela ne s'était jamais produit. D'autres centres ont expliqué qu'en pareil cas, le financement était assuré par les parents eux-mêmes ou par une fondation. Mais il fallait parfois plusieurs jours pour obtenir une telle source de financement. Par ailleurs, deux centres spécialisés ont mentionné des cas où il leur avait fallu se contenter d'une thérapie qui n'était pas optimale : un centre spécialisé a ainsi mentionné plusieurs cas où, au lieu d'administrer une suspension orale (« sirop ») à de jeunes enfants, il avait fallu casser un comprimé. L'autre centre a signalé avoir

« très rarement » dû renoncer au traitement souhaité. La personne en question a elle aussi relevé que la forme galénique imposée était souvent à l'origine de problèmes.

4. Résumé

Le présent rapport succinct complète l'analyse de la situation du 4 mars 2022. Deux enquêtes en ligne ont été réalisées à cette occasion, à savoir une enquête auprès des neuf centres spécialisés en oncologie pédiatrique et un complément d'enquête auprès des assureurs. Tant les centres spécialisés que les assureurs ont trouvé difficile de répondre à l'enquête. Car en fin de compte, elle ne comportait qu'un très petit nombre de cas, pas toujours disponible de manière centralisée, en plus de se référer à une situation passée (*avant* la révision de l'OAMal/OPAS).

Selon les indications des centres spécialisés aussi bien que des assureurs, l'AOS a approuvé plus des deux tiers des demandes (évaluations A ou B). Les cas restants ont donné lieu au lancement d'un essai thérapeutique (notation C) ou ont été refusés (notation D). En cas d'essai thérapeutique, il importe encore de savoir si les clarifications avec les entreprises pharmaceutiques étaient du ressort des assureurs ou des centres spécialisés. La question a été traitée différemment d'un assureur à l'autre. Selon les résultats de l'enquête en ligne, les clarifications entre les centres spécialisés et les entreprises pharmaceutiques ont apparemment exigé beaucoup plus de temps que celles entre les assureurs et les entreprises pharmaceutiques. Il est à noter cependant qu'on a affaire ici à un petit nombre de cas, et donc qu'il n'est pas possible de savoir si cet écart est dû au hasard (différences de complexité des cas à examiner). Dans les très rares cas de refus, les coûts de traitement ont été couverts soit par des fonds de tiers, soit par les parents. Enfin, selon les centres spécialisés interrogés, il a parfois fallu renoncer à la thérapie qui aurait été optimale d'un point de vue médical.





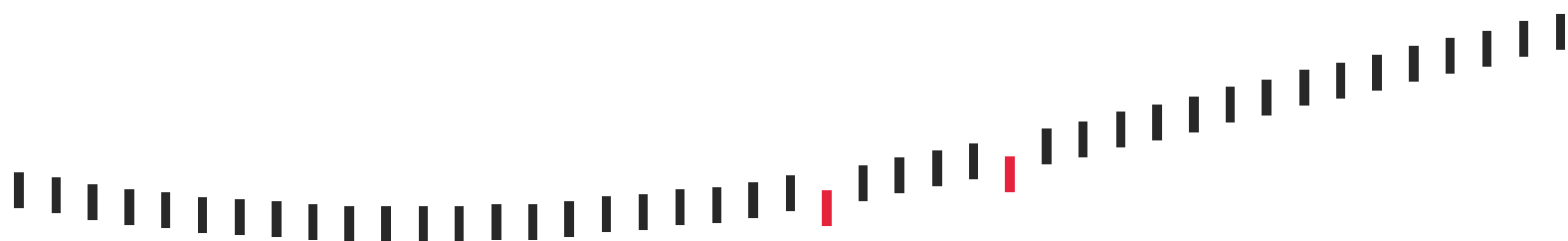
Volkswirtschaftliche
Beratung

Rapport final

Remboursement des médicaments destinés aux enfants atteints du cancer

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

Bâle | 04.03.2022



Impressum

**Prise en charge de médicaments dans des cas particuliers selon les art. 71a à 71d
OAMal : analyse de la situation pour les enfants atteints du cancer
04.03.2022**

Mandant : Office fédéral de la santé publique

Auteurs : Wolfram Kägi et Thomas Möhr

Responsables pour le mandant : Beatrice Bolinger et Raphaela Kocher

Direction de projet du mandataire : Wolfram Kägi

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

BSS Volkswirtschaftliche Beratung AG

Aeschengraben 9

4051 Basel

T +41 61 262 05 55

contact@bss-basel.ch

www.bss-basel.ch

© 2022 BSS Volkswirtschaftliche Beratung AG

Table des matières

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

Figures

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

Condensé

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

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

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

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

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

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

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

1. Introduction

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

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

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

La structure de ce document est la suivante : son chapitre 2 décrit les méthodes utilisées pour répondre aux questions de recherche. Le chapitre 3 traite du taux d'incidence et du taux de survie des enfants atteints du cancer en Suisse. Le chapitre 4 offre un bref aperçu des différents systèmes de prise en charge des médicaments en oncologie pédiatrique. Le fonctionnement du système de remboursement fondé sur les art. 71a à 71d OAMal est expliqué en détail au chapitre 5. Le chapitre 6 porte sur les résultats des enquêtes menées et aborde les processus du système de prise en charge, la répartition des demandes entre les art. 71a, 71b et 71c OAMal, leur taux d'acceptation et les défis posés par le système de prise en charge. Le chapitre 7 présente les idées susceptibles d'optimiser le système de prise en charge des médicaments administrés aux enfants atteints du cancer. Le chapitre 8 enfin résume les principaux résultats de l'analyse de la situation.

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

2. Méthodologie

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

2.1 Analyse documentaire

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

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

2.2 Discussions avec des professionnels

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

2.3 Enquête en ligne

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

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

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

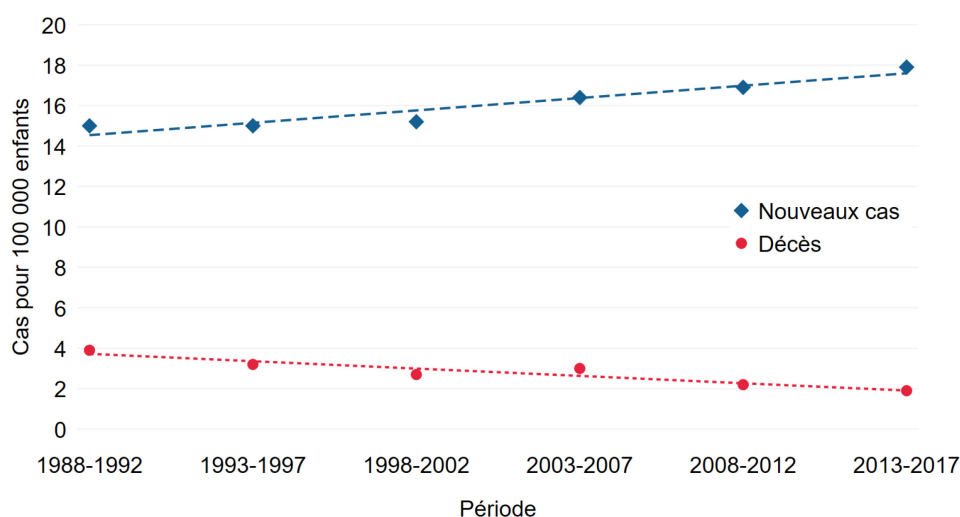
³ Ce nombre inclut les assurances-maladie n'ayant pas pu répondre à toutes les questions.

3. L'oncologie pédiatrique en Suisse

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

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

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



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

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

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

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

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

4. Aperçu des systèmes de rémunération

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

4.1 Domaine ambulatoire

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

4.2 Domaine stationnaire

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

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

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

4.3 Infirmités congénitales

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

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

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

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

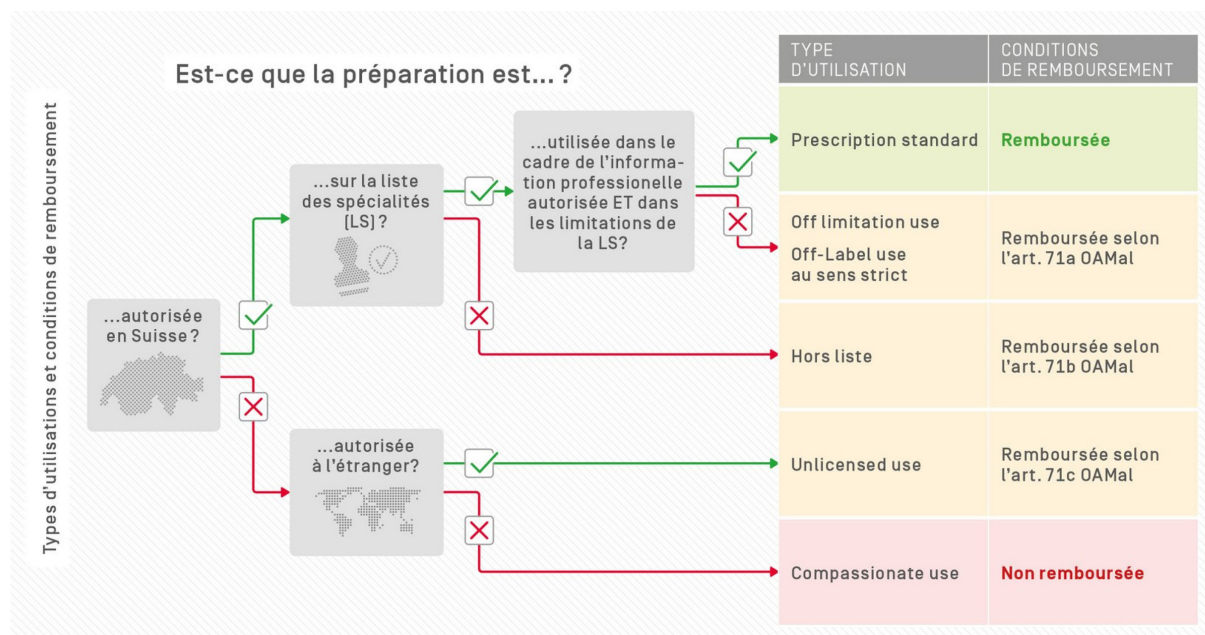
5. Rémunération des médicaments dans le domaine ambulatoire

5.1 Système général de rémunération

5.1.1 Aperçu

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

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



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

5.1.2 Prescription standard

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

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

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

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

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

Dans le quotidien médico-thérapeutique, il y a toutefois bien des situations où il faut utiliser un médicament qui ne satisfait pas (encore) aux conditions susmentionnées. L'al. 5.2 explique par ailleurs comment de telles situations peuvent apparaître en oncologie pédiatrique. Ces cas peuvent faire l'objet d'une dérogation fondée sur les art. 71a à 71d OAMal : moyennant une demande de prise en charge des coûts, l'AOS peut les couvrir. Un remboursement devient possible si le médicament fait partie d'un « complexe thérapeutique »⁶ ou si « l'usage du médicament permet d'escompter un bénéfice élevé contre une maladie susceptible d'être

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

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

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

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

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

5.1.4 Usage compassionnel (*compassionate use*)

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

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

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

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

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

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

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

⁹ Comme indiqué au chapitre 3, près de 220 nouveaux cas sont enregistrés par année dans le groupe d'âge des 0 à 14 ans. Si l'on retire de ces 220 cas les 30 % d'infirmités congénitales (voir ch. 4.3) et qu'on y ajoute les 120 cas concernant les 15 à 19 ans, on obtient près de 270 cas pour lesquels une demande de prise en charge des coûts fondée sur les art. 71a à 71d OAMal est probable. Soit une part de 0,7 % de toutes les demandes de prise en charge des coûts reposant sur les art. 71a à 71d OAMal. Il est vrai qu'un même enfant peut faire l'objet de plusieurs demandes fondées sur les art. 71a à 71d OAMal, et donc que ce pourcentage est susceptible d'être quelque peu supérieur. Il n'existe pas de données exactes sur le nombre de demandes de prise en charge des coûts en oncologie pédiatrique.

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

6. Résultats des enquêtes

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

6.1 Processus

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

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

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

6.2 Répartition des demandes entre les trois articles

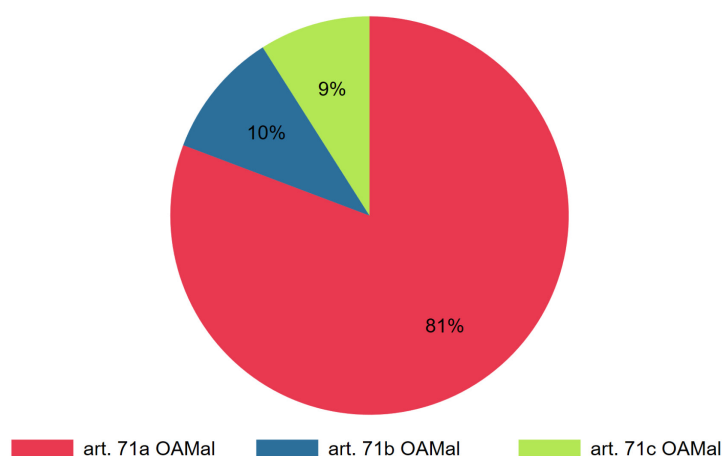
Les assurances-maladie devaient dire dans l'enquête en ligne comment les demandes de prise en charge des coûts reçues se répartissent entre les art. 71a, 71b et 71c OAMal. Une simple estimation en pourcentages leur était ici demandée, le nombre exact de demandes ne pouvant être déterminé¹⁰. Afin de tenir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

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

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

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

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



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

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

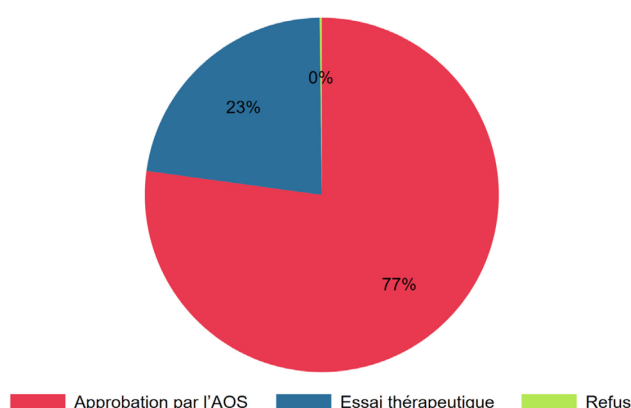
6.3 Taux d'acceptation

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

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

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

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



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

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

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

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

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

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

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

6.4 Défis

6.4.1 Temps nécessaire aux oncologues pédiatriques

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

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

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

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

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

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

6.4.2 Éventuelle inégalité de traitement

L'évaluation portant sur la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers fondée sur les art. 71a à 71d OAMal a certes montré que l'égalité de traitement n'est pas suffisamment garantie entre tous les assurés LAMal (Kägi et al, 2020). Mais comme indiqué au ch. 5.2, les conclusions portant sur la prise en charge globale des cas particuliers ne sont pas directement applicables au domaine restreint de l'oncologie pédiatrique. On le voit notamment au taux d'acceptation : aucune différence n'a été découverte en la matière entre les assurances-maladie. La part des autorisations (prise en charge par l'AOS ou essai thérapeutique) avoisine 100 % dans toutes les assurances ayant participé à l'enquête en ligne. Comme indiqué au ch. 6.3, les oncologues pédiatriques confirment que les demandes finissent presque toujours par être acceptées.

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

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

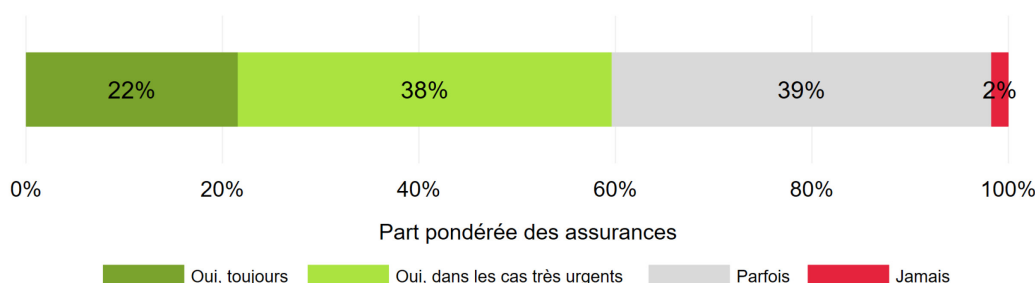
répondre aux questions des assurances-maladie. Ce n'est pas directement vérifiable, mais le taux élevé des demandes acceptées tend à le confirmer (voir point 6.3).

6.4.3 Caractère urgent des demandes

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

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

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



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

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

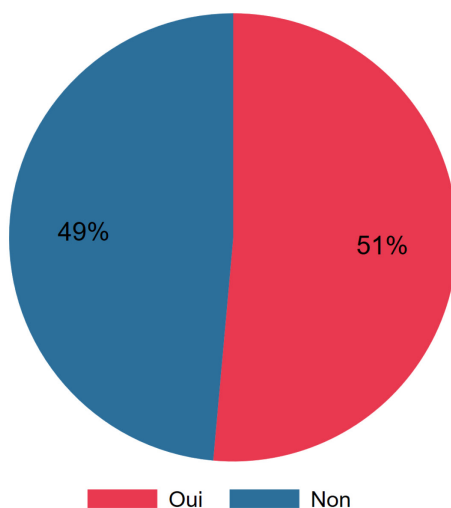
7. Possibilités d'optimisation

7.1 Informations sur l'urgence des demandes

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

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

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



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

Avis de l'équipe chargée de l'étude

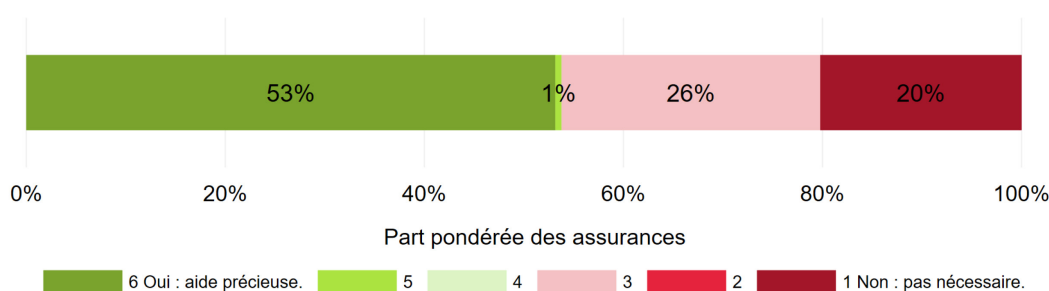
Les oncologues pédiatriques pourraient aisément indiquer le degré d'urgence d'une demande de prise en charge des coûts. L'équipe chargée de l'étude recommande par conséquent à tous les demandeurs de le faire. À supposer qu'on décide d'optimiser à l'avenir le processus de demande à l'aide d'un formulaire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

7.2 Liste des thérapies standard

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

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

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



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

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

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

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

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

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

Avis de l’équipe chargée de l’étude

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

Variantes

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

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

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

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

7.3 Avis du médecin-conseil : procédure centralisée

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

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

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

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

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

Avis de l'équipe chargée de l'étude

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

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

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

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

Avis de l'équipe chargée de l'étude

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

8. Résumé

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

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

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

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

9. Réponse aux questions du postulat

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

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

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

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

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

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

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

10. Bibliographie

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

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

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

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

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

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

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

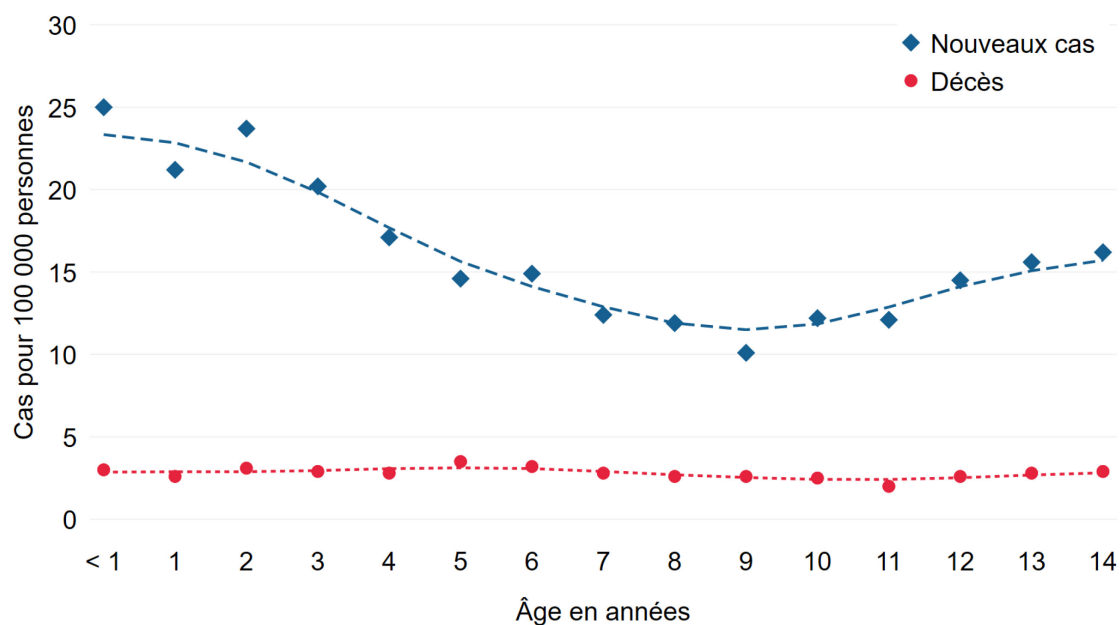
swissmedic. (2019b). Pédiatrie. Disponible en ligne à l'adresse : <https://www.swissmedic.ch/swissmedic/fr/home/medicaments-a-usage-humain/besondere-arzneimittelgruppen--ham-/pediatrie.html> (lien consulté le : 22.12.2021).

Annexe 1 : Questions du cahier des charges

Question	Réponse
Question 1 : Comment se déroule en oncologie pédiatrique la prise en charge de médicaments dans des cas particuliers prévue aux art. 71a à 71d OAMal ?	chap. 5 et 6
Processus et procédures	chap. 4, 5.1, 5.2 et 6.1
À quelles vérifications procèdent les assureurs et comment prennent-ils leur décision sur les demandes de prise en charge de médicaments dans des cas particuliers en oncologie pédiatrique ?	chap. 5.1, 5.2, 6.1 et 6.3
Y a-t-il des différences entre la probabilité de prise en charge de médicaments utilisés en oncologie pédiatrique et celle d'autres thérapies, notamment celles à base de médicaments anticancéreux (év. établir une comparaison avec les données de l'évaluation déjà réalisée) ?	chap. 6.3
Y a-t-il des différences entre assureurs au niveau des processus et procédures, des évaluations et de la prise en charge, etc. ? Si oui, lesquelles ?	chap. 6.1 et 6.4.2
Égalité des droits, égalité de traitement et qualité de l'évaluation de l'utilité : – L'égalité d'accès aux thérapies est-elle garantie ? – L'évaluation et la prise en charge des coûts dans des cas particuliers ont-elles un caractère uniforme [entre assureurs-maladie et au sein d'un même assureur] ? – De nouveaux modèles sont-ils utilisés en vue d'une évaluation uniforme, par exemple le formulaire standardisé de demande de garantie de prise en charge des coûts (OLUtool), et sont-ils adéquats ?	chap. 6.1, 6.3 et 6.4
Quelles sont les raisons à l'origine d'un refus (qualité des demandes, montant de la prise en charge, rapport coût-bénéfice, protocoles d'étude ou infirmités congénitales, etc.) ? Et un tel refus a-t-il pour effet de priver les patients de traitement ?	chap. 6.3
Question 2 : Y a-t-il un potentiel d'optimisation ? Si oui, dans quels domaines ?	chap. 7
Quelles mesures de mise en œuvre doivent-elles être poursuivies ou améliorées et de quelle manière ?	chap. 7
Quel besoin concret d'agir découle-t-il des réponses aux questions portant sur l'analyse de la situation pour : – la Confédération, soit l'OFSP (au niveau de la réglementation ou de la mise en œuvre) ? – les assurances ? – les fournisseurs de prestations ? – les titulaires d'autorisation ?	chap. 7

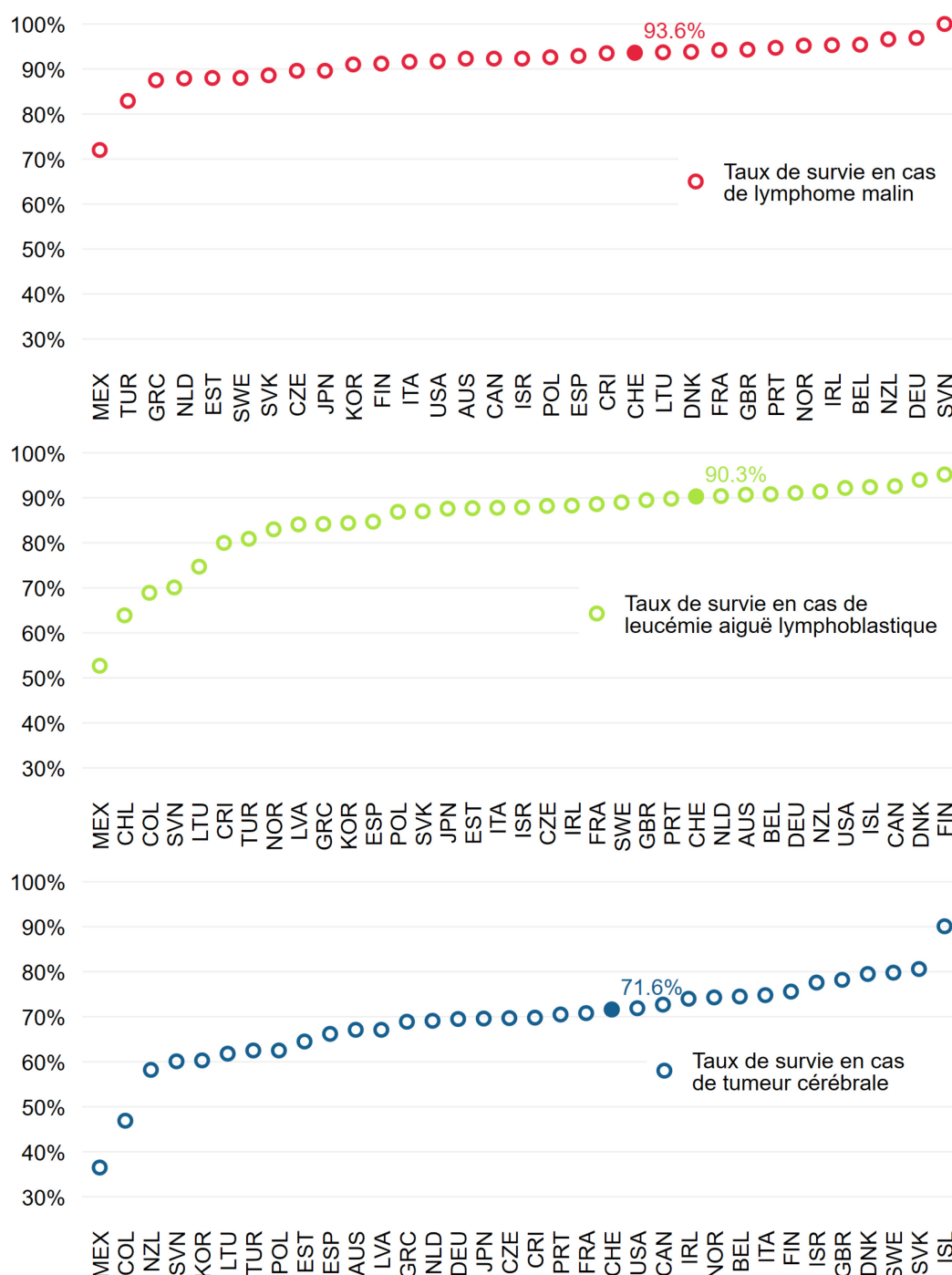
Annexe 2 : Compléments concernant l'oncologie pédiatrique en Suisse

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



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

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



Annexe 3 : Discussions avec des professionnels

Les personnes indiquées ci-après ont participé aux discussions.

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

