

Mécanismes d'accès aux médicaments

Réglementation classique

Médicaments orphelins

Règlement (CE) n° 141/2000 : médicaments destinés à des indications concernant moins de 5 patients sur 10.000 en Europe. Demande auprès de l'EMA pour obtenir une *orphan designation*.

Autorisation de mise sur le marché (AMM) (*marketing autorisation*) délivrée par

Ministre belge de la santé ou Commission européenne

Après :

- Tests intensifs : essais cliniques, y compris sur les personnes humaines
- Evaluation du rapport risque/bénéfice par

Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS)

ou European Medicines Agency (EMA)

Les avantages de l'*orphan designation* :

- Aide lors de la demande d'AMM ;
- Exclusivité sur le marché.

=> **Demande d'autorisation comme médicament orphelin**

Fixation du prix par

Ministre belge de l'économie en négociation avec les firmes pharmaceutiques. Justification du prix par « les éléments de coûts de production, d'importation, d'analyse, de transfert, de recherche et de développement, appelés PR1 et les éléments relatifs aux charges salariales, aux frais de publicité et d'information, aux frais de vente et aux frais généraux, appelés PR2 ». En cas de production en Belgique, la marge sur ces éléments est de 10% et elle est de 5% en cas d'importation du médicament.

Évaluation des **demandes individuelles de remboursement** par un Collège d'experts qui assiste le médecin-conseil de l'organisme assureur du patient.

Remboursement par

Commission de Remboursement des Médicaments (CRM) au sein de l'INAMI
Composition : représentants des universités, des fédérations professionnelles de médecins et de pharmaciens, d'organismes assureurs (mutualités) et des ministres des Affaires sociales, de la Santé publique et de l'économie ; des représentants de l'industrie pharmaceutique sont présents en qualité d'observateurs.

Évaluation sur la base de plusieurs critères comme l'importance du médicament en fonction des besoins thérapeutiques et sociaux, le prix et l'impact budgétaire pour l'assurance soins de santé, la relation entre le coût et la valeur thérapeutique (*efficiency*).

NB : La directive 89/105/CEE détermine les principes de base en matière de politique de remboursement. Les décisions de remboursement doivent être prises par les États membres dans un délai déterminé et se fonder sur des critères objectifs.

Accès hors réglementation classique

Essais cliniques

Directive européenne 2001/20/CE transposée par la Loi du 7 mai 2004 relative aux expérimentations sur la personne humaine.

Accès précoce avant AMM

Évaluation par l'AFMPS de la qualité du médicament et du dossier préclinique et par le Comité d'éthique médicale du protocole d'étude.

NB : Déclaration d'Helsinki prévoit un accès du patient au médicament jusqu'à l'AMM.

Après AMM : phase IV
Études post-marketing

Médicaments onéreux

Contribution propre des patients et/ou de leur assurance

Initiatives volontaires

Fonds caritatifs ou d'hôpitaux
Initiatives *ad hoc*

Fonds spécial de solidarité (FSS) au sein de l'INAMI

Examen individuel de la demande :

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

Mise à disposition
Mesure temporaire

Programme d'usage compassionnel

Règlement CE/726/2004
AR belge du 14 déc. 2006
Mise à disposition de médicament n'ayant pas (encore) obtenu d'AMM

Programmes médicaux d'urgence

AR belge du 14 déc. 2006
Mise à disposition d'un médicament qui a une autorisation dans l'Union européenne pour une autre indication (application off-label).

Considérations éthiques liées aux mécanismes d'accès aux médicaments coûteux

Réglementation classique

Médicaments orphelins

Règlement (CE) n° 141/2000 : médicaments destinés à des indications concernant moins de 5 patients sur 10.000 en Europe. Demande auprès de l'EMA pour obtenir une *orphan designation*.

Autorisation de mise sur le marché (AMM) (*marketing autorisation*) délivrée par

Ministre belge de la santé ou Commission européenne

Après :

- Tests intensifs : essais cliniques, y compris sur les personnes humaines
- Evaluation du rapport risque/bénéfice par

Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS)

ou European Medicines Agency (EMA)

Les avantages de l'*orphan designation* :

- Aide lors de la demande d'AMM ;
- Exclusivité sur le marché.

=> **Demande d'autorisation comme médicament orphelin**

Fixation du prix par

Ministre belge de l'économie en négociation avec les firmes pharmaceutiques. Justification du prix par « les éléments de coûts de production, d'importation, d'analyse, de transfert, de recherche et de développement, appelés PR1 et les éléments relatifs aux charges salariales, aux frais de publicité et d'information, aux frais de vente et aux frais généraux, appelés PR2 ». En cas de production en Belgique, la marge sur ces éléments est de 10% et elle est de 5% en cas d'importation du médicament.

Remboursement par

Commission de Remboursement des Médicaments (CRM). Composition : représentants des universités, des médecins et de pharmaciens, d'organismes de santé, des Affaires sociales, de la Santé publique et de l'économie ; des représentants de l'industrie pharmaceutique sont présents en qualité d'observateurs.

Évaluation sur la base de plusieurs critères comme l'importance du médicament en fonction des besoins thérapeutiques et sociaux, le prix et l'impact budgétaire pour l'assurance soins de santé, la relation entre le coût et la valeur thérapeutique (*efficiency*).

NB : La directive 89/105/CEE détermine les principes de base en matière de politique de remboursement. Les décisions de remboursement doivent être prises par les États membres dans un délai déterminé.

Problématique : Comment gérer les situations dans lesquelles il est impossible d'offrir des soins car ceux-ci sont hors de prix tant pour l'individu que pour la société ?

Accès hors réglementation classique

Essais cliniques

Directive européenne 2001/20/CE transposée par la Loi du 7 mai 2004 relative aux expérimentations sur la

Inégalités d'accès aux médicaments lors des essais cliniques.

Évaluation par l'AFMPS de la qualité du médicament et du dossier préclinique et par le Comité d'éthique médicale du protocole d'étude.

NB : Déclaration d'urgence prévoit un accès du patient au médicament jusqu'à l'AMM.

Après AMM : phase IV
Études post-marketing

Mise à disposition
Mesure temporaire

Programme d'usage compassionnel

Règlement CE/726/2004
AR belge du 14 déc. 2006
Mise à disposition de médicament n'ayant pas (encore) obtenu d'AMM

Programmes médicaux

Mise à disposition d'un médicament qui a une autorisation dans l'Union européenne pour une autre indication (application off-label).

Manque d'articulation des maillons de la mise à disposition.

Médicaments onéreux

Contribution propre des

Initiatives volontaires

Fonds caritatifs ou initiatives *ad hoc*

Fonds spécial de solidarité (FSS) au sein de

Examen individuel de la demande :

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

**Solution = Harmonisation :
Prise de décisions pour des cohortes ;
Intervention par des organisations caritatives.**

Aspects éthiques liés à la répartition équitable des moyens. Les théories de la justice

Réglementation classique

Médicaments orphelins

Règlement (CE) n° 141/2000 : médicaments destinés à des indications concernant moins de 5 patients sur 10.000 en Europe. Demande auprès de l'EMA pour obtenir une *orphan designation*.

Autorisation de mise sur le marché (AMM) (marketing autorisation) délivrée par

Ministre belge de la santé ou Commission européenne

Après :

- Tests intensifs : essais cliniques, y compris sur les personnes humaines
- Evaluation du rapport risque/bénéfice par

Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS)

ou European Medicines Agency (EMA)

Les avantages de l'*orphan designation* :

- Aide lors de la demande d'AMM ;
- Exclusivité sur le marché.

=> **Demande d'autorisation comme médicament orphelin**

Fixation du prix par

Ministre belge de l'économie en négociation avec les firmes pharmaceutiques. Justification du prix par « les éléments de coûts de production, d'importation, d'analyse, de transfert, de recherche et de développement, appelés PR1 et les éléments relatifs aux charges salariales, aux frais de publicité et d'information, aux frais de vente et aux frais généraux, appelés PR2 ». En cas de production en Belgique, la marge sur ces éléments est de 10% et elle est de 5% en cas d'importation du médicament.

Évaluation des **demandes individuelles de remboursement** par un Collège d'experts qui assiste le médecin-conseil de l'organisme assureur du patient.

Remboursement par

Commission de Remboursement des Médicaments (C.R.M.)
Composition : représentants des universités, des médecins et de pharmaciens, d'organismes

Affaires sociales, de la Santé publique et de l'économie ; des représentants de l'industrie pharmaceutique sont présents en qualité d'observateurs.

Évaluation sur la base de plusieurs critères comme l'importance du médicament en fonction des besoins thérapeutiques et sociaux, le prix et l'impact budgétaire pour l'assurance soins de santé, la relation entre le coût et la valeur thérapeutique (*efficiency*).

NB : La directive 89/105/CEE détermine les principes de base en matière de politique de remboursement. Les décisions de remboursement doivent être prises par les États membres dans un délai de 90 jours.

Problématique : Comment gérer les situations dans lesquelles il est impossible d'offrir des soins car ceux-ci sont hors de prix tant pour l'individu que pour la société ?

Accès hors réglementation classique

Essais cliniques

Directive européenne 2001/20/CE transposée par la Loi du 7 mai 2004 relative aux expérimentations sur la

Inégalités d'accès aux médicaments lors des essais cliniques.

Évaluation par l'AFMPS de la qualité du médicament et du dossier préclinique et par le Comité d'éthique médicale du protocole d'étude.

NB : Déclaration d'urgence prévoit un accès du patient au médicament jusqu'à l'AMM.

Après AMM : phase IV
Études post-marketing

Mise à disposition
Mesure temporaire

Programme d'usage compassionnel

Règlement CE/726/2004
AR belge du 14 déc. 2006
Mise à disposition de médicament n'ayant pas (encore) obtenu d'AMM

Programmes médicaux

2006
mise à disposition d'un médicament qui a une autorisation dans l'Union européenne pour une autre indication (application off-label).

Manque d'articulation des maillons de la mise à disposition.

Médicaments onéreux

Contribution propre des

Inégalités d'accès car absence de remboursement pour certains médicaments ou certaines indications.

Initiatives volontaires

Fonds
Initiatives *ad hoc*

**Solution = Harmonisation :
Prise de décisions pour des cohortes ;
Intervention par des organisations caritatives.**

Fonds spécial de solidarité (FSS) au sein de

- Examen individuel de la demande :
- en cas d'indication rare/maladie rare;
 - en cas de maladie rare qui nécessite des soins continus et complexes;
 - pour des dispositifs médicaux et/ou prestations qui sont des techniques médicales innovantes; pour les enfants malades chroniques;