

Priorités dans les soins de santé

Dossier pédagogique sur l'avis n°58 relatif à la problématique du financement de médicaments onéreux

Ce dossier pédagogique est mis gratuitement à la disposition du public qui peut le citer en tout ou partie moyennant la mention suivante :

« Source : Comité consultatif de Bioéthique de Belgique, 2016, Priorités dans les soins de santé (dossier pédagogique sur l'avis n° 58 relatif à la problématique du financement de médicaments onéreux).

Voir www.health.belgium.be/bioeth, rubrique « Dossiers pédagogiques »

PREAMBULE.....	6
I. OBJECTIF DE L'AVIS N°58 RELATIF A LA PROBLEMATIQUE DU FINANCEMENT DE MEDICAMENTS ONEREUX.....	7
II. CONTEXTE GENERAL.....	8
1. Le droit à la santé.....	8
A. Le droit à la santé au niveau mondial.....	8
B. Le droit constitutionnel à la protection de la santé.....	8
C. L'existence d'inégalités sociales et territoriales de santé.....	9
Figure 1 - L'espérance de vie féminine et masculine par commune en Belgique.	10
Tableau 1 - les espérances de vie par type d'espace et par quintile de revenu ...	11
2. Une organisation du financement des soins.....	11
A. Les régimes de sécurité sociale.....	11
B. Des dépenses de santé élevées par habitant.....	12
Tableau 2 - Les dépenses de santé et ressources en Belgique.....	13
C. La détermination du budget de la santé.....	13
3. L'augmentation des dépenses en santé.....	14
A. L'augmentation des dépenses pharmaceutiques.....	14
a. Une tendance générale au sein de l'OCDE.....	14
i. Augmentation des dépenses pharmaceutiques.....	14
Figure 2 - Les dépenses en produits pharmaceutiques au détail par habitant et en part du PIB, 2013 (ou année la plus proche).....	16
ii. Augmentation de la part du financement privé des médicaments	16
Figure 3 - Dépenses en produits pharmaceutiques au détail par type de financement, 2013 (ou année la plus proche).....	17
b. Le développement de nouveaux médicaments.....	17
i. Les médicaments onéreux : l'exemple de l'hépatite C.....	17
ii. Les médicaments orphelins.....	20
iii. Le développement de la médecine personnalisée.....	21
Figure 4 - La médecine personnalisée.....	22
B. L'extension du domaine des soins.....	22
i. L'exemple de la prévention de la transmission du VIH.....	22

ii. L'exemple de la médecine de la reproduction	24
4. Positions des parties prenantes	25
A. Industries pharmaceutiques	25
B. Prestataires de soins	25
C. L'INAMI.....	27
III. FORMULATION DES PROBLEMES ETHIQUES.....	28
1. Les mécanismes d'accès aux médicaments.....	28
A. La réglementation classique	28
a. L'autorisation de mise sur le marché du médicament	28
b. La fixation du prix maximum	28
c. La décision de rembourser le médicament	29
B. Les médicaments orphelins	30
a. La désignation en tant que médicaments orphelins	30
b. La demande d'autorisation des médicaments orphelins	30
c. Le remboursement des médicaments orphelins.....	31
C. Les accès hors de la réglementation classique	31
a. Contribution du patient	31
b. Les essais cliniques	32
Figure 5 - Les différentes phases des essais cliniques	34
c. Les programmes d'usage compassionnel et programmes médicaux d'urgence	34
i. Programme d'usage compassionnel (<i>Compassionate Use</i>)	35
ii. Programmes médicaux d'urgence (<i>Medical Need</i>)	35
d. Le Fonds spécial de solidarité (FSS).....	35
e. Les initiatives volontaires	36
2. Les problèmes éthiques posés.....	36

IV. LES CRITERES ET CONSIDERATIONS ETHIQUES	37
1. Les théories de la justice	37
A. L'approche libertarienne (R. Nozick) : la maximisation de la liberté... 37	
a. Aucune redistribution	37
b. Une approche fondée sur la charité	38
c. Pas de dilemme pour le médecin.....	38
d. Une théorie mal reçue en Europe	38
B. La perspective utilitariste (J. Bentham, J. Stuart Mill) : la maximisation de l'utilité.....	39
a. La maximisation de l'utilité globale	39
b. Inconvénient d'une approche agrégée de l'utilité	39
c. Les Qaly : évaluation du rapport efficacité/coût d'un traitement	39
d. Les avantages de l'approche utilitariste	40
i. L'importance des compromis.....	40
ii. La possibilité d'un sauvetage	41
iii. Illustrations	41
- Le dilemme du tramway	41
- Les voitures autonomes	42
- Le cannibalisme : pas légal ou pas éthique ?	44
- Poule mouillée (chicken game).....	46
- Dilemme du prisonnier	47
C. L'égalitarisme (J. Rawls, N. Daniels, R. Dworkin)	48
Figure 6 - Les théories égalitaristes	48
a. Le voile d'ignorance comme expérience pour penser une société juste	48
b. Le modèle de l'égalité des chances dans la gamme normale d'opportunités	49
c. Une limitation de l'accès aux soins de base ?	49
d. Le modèle procédural de Daniels	50
e. Le modèle de l'assurance prudente (Dworkin)	51

D. L'approche par les capacités (M. Nussbaum, A. Sen) (<i>capabilities approach</i>).....	52
E. L'approche communautariste (C. Taylor).....	53
a. Le droit des communautés (minoritaires)	53
b. L'exemple des refus des transfusions sanguines par les Témoins de Jéhovah.....	53
2. Les critères d'évaluation	54
A. Les critères formels	54
B. Les critères en termes de contenu	54

PREAMBULE

En 2011, à l'occasion de son 15^{ème} anniversaire, le Comité consultatif de Bioéthique a interrogé des citoyens sur ce qu'ils pensaient de diverses problématiques éthiques et sur ce que devrait être, à leurs yeux, le Comité et ses missions. Les vidéos de ces micro-trottoirs peuvent être consultées sur le site du Comité (www.health.belgium.be/bioeth, sous la rubrique «Events»).

Bien que chacun puisse être régulièrement confronté, directement ou indirectement, à des questions ou des situations qui touchent à la bioéthique, il semble que la nécessité d'une réflexion plus explicite et approfondie ne soit pas toujours évidente. C'est pourquoi le Comité a décidé de rendre ses réflexions plus accessibles par la publication de supports/dossiers pédagogiques destinés à tous et en particulier aux étudiants en licence et en maîtrise en soins de santé. Ces derniers seront en effet confrontés dans leur future vie professionnelle à des questions éthiques fréquentes, intenses ou délicates, concernant les soins de santé.

Ces dossiers pédagogiques aideront toutes les parties intéressées et plus spécifiquement les étudiants, à se familiariser avec les enjeux et les situations complexes qui ne manqueront pas de se présenter dans le contexte actuel de développement des sciences et technologies et de leur application aux soins de santé ; chacun pourra y puiser les fondamentaux indispensables à une démarche éthique critique et réfléchie.

Plus concrètement, le Comité souhaite que ses avis puissent servir de support à cet apprentissage. Il initie ainsi cette série de dossiers par l'exploitation de son avis n°58 relatif à la problématique du financement de médicaments onéreux.

I. OBJECTIF DE L'AVIS N°58 RELATIF A LA PROBLEMATIQUE DU FINANCEMENT DE MEDICAMENTS ONEREUX

L'objectif principal de l'avis n°58 du Comité consultatif de bioéthique de Belgique est de réfléchir aux aspects éthiques de l'accès aux médicaments onéreux, ce qui nécessite de réfléchir en particulier au financement de ceux-ci. Au-delà de la question du financement des médicaments onéreux se pose celle de l'accès à toutes les interventions coûteuses. Cela concerne les soins de santé au sens strict mais également leur dispensation à domicile ou encore les déplacements des patients.

Plusieurs problématiques éthiques ont été explicitement formulées par le Comité consultatif de Bioéthique de Belgique concernant l'accès aux médicaments onéreux.

D'abord, une problématique générale se pose au niveau de la société.

Un accès inégal aux traitements très coûteux est-il éthiquement acceptable ? Est-il éthiquement acceptable que la société décide, pour des motifs purement financiers, de ne pas mettre à disposition certains traitements estimés indispensables ? Quels sont les éléments à prendre en considération pour raisonner d'un point de vue éthique sur cette question et apporter une réponse satisfaisante.

Au niveau des différentes parties-prenantes, à savoir les citoyens, les patients et les associations qui défendent leurs droits, les médecins, les hôpitaux, l'Institut national d'assurance maladie invalidité (INAMI), les mutualités et les autorités au sein de la société, quelles sont les implications lorsque le patient ne peut pas assurer lui-même ses frais de santé ?

Est-ce éthiquement acceptable que le médecin informe son patient de l'existence d'un traitement efficace mais inabordable ? Est-ce éthiquement acceptable de laisser le patient dans l'ignorance de ce traitement auquel il ne peut pas avoir accès pour des raisons financières ? Si le traitement est mis en œuvre, est-il éthiquement acceptable de présenter au patient un engagement de paiement à signer avant le début du traitement ? Cela fait-il partie du droit du patient à être informé d'avance du prix (estimé) du traitement ?

L'objectif de l'avis n'est pas de répondre à ces questions directement mais de permettre aux parties prenantes de le faire. Pour cela, trois objectifs sont poursuivis :

1. L'information des parties prenantes sur la manière de mettre à disposition d'une façon financièrement acceptable les médicaments coûteux (à travers des structures, mécanismes et fonds).
2. La mise en lumière des aspects éthiques relatifs à la problématique des traitements très coûteux dont l'accès n'est pas aujourd'hui assuré pour tous les patients.
3. La présentation des responsabilités et rôles des parties prenantes, d'un point de vue éthique.

II. CONTEXTE GENERAL

La Belgique, comme les autres pays de l'OCDE, est confrontée à une augmentation des dépenses de santé, avec notamment l'arrivée de médicaments et traitements onéreux. Comment est-il alors possible de faire en sorte que le système de soins soit financièrement accessible, viable et de qualité ? Il existe en effet une tension entre les progrès de la médecine et les ressources disponibles pour rendre accessible à toute la population ces possibilités diagnostiques et thérapeutiques. Est-il possible de fournir à chacun et chacune un accès égal aux soins de santé les plus innovants ?

1. Le droit à la santé

A. Le droit à la santé au niveau mondial

La Constitution de l'Organisation Mondiale de la santé définit la santé comme « un état de complet bien-être physique, mental et social, et ne consiste pas seulement en une absence de maladie ou d'infirmité » et reconnaît ensuite que « la possession du meilleur état de santé qu'il est capable d'atteindre constitue l'un des droits fondamentaux de tout être humain, quelles que soient sa race, sa religion, ses opinions politiques, sa condition économique ou sociale »¹. Le droit à la santé nécessite d'avoir accès à des soins de santé de qualité et à un coût abordable.

B. Le droit constitutionnel à la protection de la santé

En Belgique, il est inscrit à l'Article 23 de la Constitution du 17 février 1994 que « Chacun a le droit de mener une vie conforme à la dignité humaine.

À cette fin, la loi, le décret ou la règle visée à l'article 134 garantissent, en

¹ La [Constitution](#) a été adoptée par la Conférence internationale de la Santé, tenue à New York du 19 juin au 22 juillet 1946, signée par les représentants de 61 Etats le 22 juillet 1946 (Actes off. Org. mond. Santé, 2, 100) et est entrée en vigueur le 7 avril 1948, préambule alinéas 1er et 2ème.

tenant compte des obligations correspondantes, **les droits économiques, sociaux et culturels**, et déterminent les conditions de leur exercice.

Ces droits comprennent notamment :

1° le droit au travail et au libre choix d'une activité professionnelle dans le cadre d'une politique générale de l'emploi, visant entre autre à assurer un niveau d'emploi aussi stable et élevé que possible, le droit à des conditions de travail et à une rémunération équitables, ainsi que le droit d'information, de consultation et de négociation collective;

2° le droit à la sécurité sociale, à la protection de la santé et à l'aide sociale, médicale et juridique;

3° le droit à un logement décent;

4° le droit à la protection d'un environnement sain;

5° le droit à l'épanouissement culturel et social ;

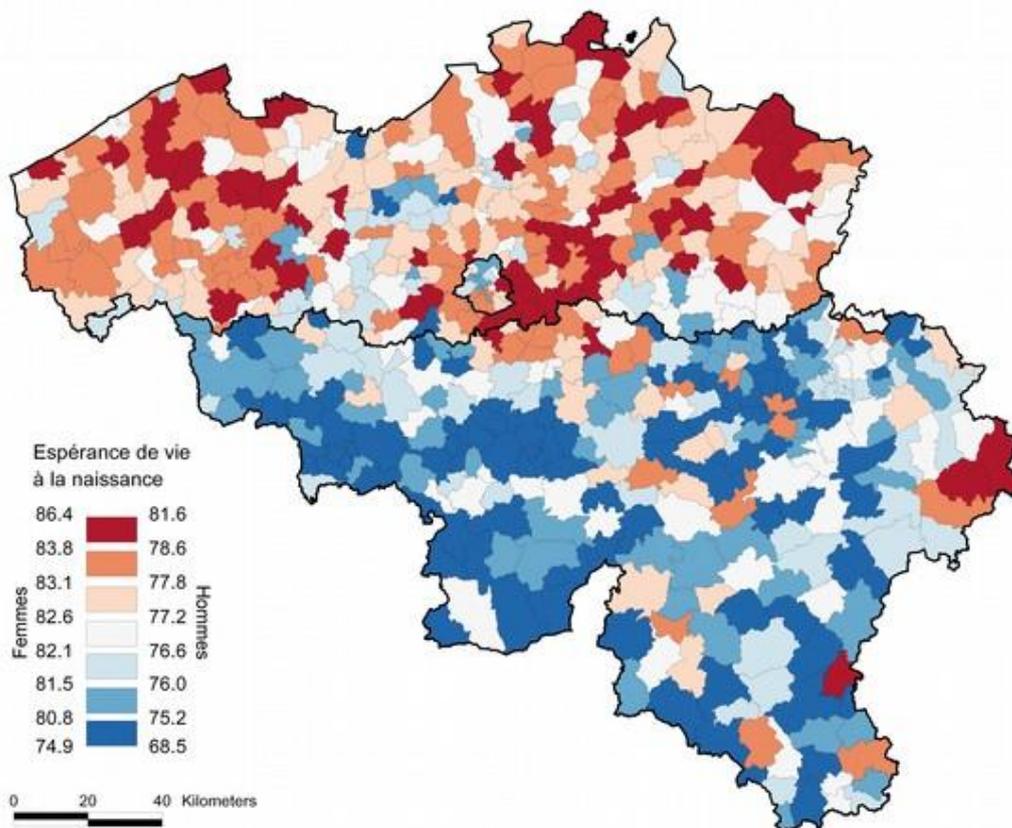
6° le droit aux prestations familiales ».

La proclamation de l'importance d'un droit à la santé au niveau mondial et de l'existence constitutionnelle d'un droit à la sécurité sociale, à la protection de la santé et à l'aide médicale au niveau de la Belgique ne suffit pas à mettre fin à l'existence d'inégalités importantes en matière de santé. La situation sociale et économique d'une personne à une influence importante sur sa santé et son espérance de vie.

C. L'existence d'inégalités sociales et territoriales de santé

Selon l'Observatoire belge des inégalités, les inégalités en matière de santé illustrent les inégalités sociales et territoriales en terme d'espérance de vie.

Figure 1 - L'espérance de vie féminine et masculine par commune en Belgique



Source : Statbel, SPF économie, à partir de Grimmeau J.-P., Decroly J.-M. et Wertz I. (2012), "La démographie des communes belges de 1980 à 2010", *Courrier hebdomadaire*, CRISP, 2162-2163, 89p.

En Belgique, il y a des variations importantes de l'espérance de vie selon les communes et le revenu de ses habitants : ainsi, « l'espérance de vie féminine varie de 78,5 années à Anderlues, dans la banlieue industrielle de Charleroi, à 86,4 années à Sint-Martens-Latem, dans la banlieue très aisée du sud de Gand. Si de nombreux facteurs, d'ordre comportemental en particulier (habitudes alimentaires, exercices physiques etc.), ont un impact sur l'espérance de vie, notamment pour expliquer le contraste Flandre/Wallonie, les facteurs socio-économiques n'en restent pas moins un facteur décisif. En effet, si l'on réunit les communes en cinq classes selon le revenu médian par déclaration (Tableau 1), l'espérance de vie varie de 75,4 pour les communes les plus pauvres à 78,2 pour les plus riches, et de 81,6 à 83,1 pour les femmes »².

² Gilles VAN HAMME, Isaline WERTZ, Taïs GRIPPA, « Les inégalités d'espérance de vie », publié sur le site de *L'observatoire belge des inégalités.be* le 3 août 2015 et consulté le 22 janvier 2017, <http://inegalites.be/Les-inegalites-d-esperance-de-vie>

Tableau 1 - les espérances de vie par type d'espace et par quintile de revenu

Niveau de revenus des communes*	Espérance de vie 2007-2009		
	Homme	Femme	Différence
Pauvre	75.4	81.6	6.1
Moyen pauvre	76.8	82.4	5.6
Moyen	77.5	82.7	5.2
Moyen riche	78.0	82.9	4.8
Riche	78.2	83.1	4.9
Belgique	76.9	82.3	5.4

* Les communes sont classées en cinq groupes équivalent des plus pauvres aux plus riches
Données : SPF Economie, Direction générale Statistique et Information économique.

Les inégalités sociales et territoriales de santé témoignent du fait que les individus ne peuvent pas tous accéder aux soins de la même manière. Par exemple, la souscription d'une assurance hospitalisation coûte chère et son prix varie en fonction de critères comme l'âge de la personne...

Afin de réduire ces inégalités et de permettre à toute la population d'accéder à un niveau de santé satisfaisant, la société peut intervenir. Ces interventions sont particulièrement nécessaires lorsque les traitements sont coûteux : il serait en effet discutable que seules les personnes les plus riches puissent accéder aux traitements les plus chers lorsqu'ils se sont avérés efficaces.

L'organisation du système de santé belge repose sur la mutualisation des cotisations des travailleurs, à travers la mise en place d'un système de remboursement des soins.

2. Une organisation du financement des soins

A. Les régimes de sécurité sociale

L'organisation du système de sécurité sociale belge est articulée autour de trois régimes différents :

Le régime des travailleurs salariés, l'Office national de sécurité sociale (ONSS), est le plus grand des trois. Il perçoit les cotisations de sécurité sociale des employeurs et des travailleurs d'un côté et assure le paiement des prestations de l'autre. Pour la branche santé, c'est l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI) qui assure le remboursement des prestations de soins.



Le régime des travailleurs indépendants permet à ces derniers d'être assurés pour cinq branches de la sécurité sociale. Les Caisses d'assurances sociales sont alors chargées de percevoir le paiement de leur cotisation et de l'octroi des prestations dans le cadre de l'assurance maladie.

Le régime des fonctionnaires ne concerne à proprement parler que le personnel local et provincial qui relève de l'Office des régimes particuliers de sécurité sociale (l'ORPSS). Pour les autres, les cotisations de soins de santé sont affectées au régime régulier des travailleurs salariés.

Le financement est différent au sein de chacun des régimes mais pour tous, l'enjeu principal consiste à assurer la pérennité du système.

B. Des dépenses de santé élevées par habitant

Au sein des autres pays de l'OCDE, la Belgique se situe dans le premier tiers des pays en termes de dépenses de santé ou de ressources, plus précisément en 11ème positionnement (Tableau n°2).

Tableau 2 - Les dépenses de santé et ressources en Belgique

■ Premier tiers en termes de dépenses de santé ou de ressources
■ Tiers moyen en termes de dépenses de santé ou de ressources
■ Dernier tiers en termes de dépenses de santé ou de ressources

Note : Les pays sont présentés par ordre alphabétique. Le chiffre dans les cellules indique la position de chaque pays parmi l'ensemble des pays pour lesquels les données sont disponibles. Bien que les pays soient classés des plus hautes dépenses de santé ou disponibilités de ressources aux plus faibles, cela ne reflète pas forcément une meilleure performance.

Indicateur	Dépenses de santé par habitant	Médecins par habitant (actifs)	Infirmiers par habitant (actifs)	Lits d'hôpital par habitant	Unités d'IRM par habitant*	CT scanners par habitant*
Allemagne	6	5	6	3	15*	16*
Australie	13	14	10	18	12*	2*
Autriche	8	2	21	4	9	10
Belgique	11	21	15	9	19*	11*
Canada	10	28	16	29	22	23
Chili	30	33	27	32	26	26
Corée	26	31	29	2	4	6
Danemark	7	11	3	23	10	5
Espagne	21	9	30	24	11	18
Estonie	31	18	23	12	17	15
États-Unis	1	27	12	25	2	3
Finlande	17	20	5	13	6	13
France	12	16	17	8	21	24
Grèce	25	1	32	14	5	8

Source : OCDE (2015), *Panorama de la santé 2015: Les indicateurs de l'OCDE*, Éditions OCDE, Paris. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2015-fr, p. 30

C. La détermination du budget de la santé

La définition du budget en matière de santé n'est pas un exercice facile puisqu'il s'agit de concilier l'accès à des soins de qualité et le financement pérenne du système. Afin de remplir cet objectif, il faut réaliser des économies sans que cela se fasse au détriment des patients.

Lors de la discussion du budget des soins de santé 2017, le gouvernement fédéral proposait une économie totale de 902 millions euros. Cette proposition a été rejetée par les unions nationales des mutualités (chrétienne, socialiste, libre, libérale et neutre) et les syndicats.

« Les mutualités pointent "la répartition inégale" des nouvelles économies à réaliser. "Un tiers des trois milliards d'économies prévues se font sur le dos de la sécurité sociale, des patients, des prestataires et des allocataires sociaux. Les épaules les plus larges devraient porter la plus grande partie des efforts et pas l'inverse", affirment-elles. Selon les mutualités, "une norme de croissance aussi limitée ne permettra pas de dégager de marge pour investir dans l'avenir et conduire une politique de santé offrant des réponses innovantes aux nouveaux besoins de la population" ».



Source : « Les mutualités rejettent le budget 2017 des soins de santé », rtbf.be, publié le lundi 17 octobre 2016 à 15h59 et consulté le 22 janvier 2017, https://www.rtbf.be/info/belgique/detail_les-mutualites-rejettent-le-budget-2017-des-soins-de-sante?id=9432498

La volonté de réaliser des économies s'inscrit dans un contexte global d'augmentation des soins et en particulier des dépenses pharmaceutiques.

3. L'augmentation des dépenses en santé

Une part importante des dépenses de santé est consacrée aux dépenses pharmaceutiques, c'est-à-dire aux médicaments. Toutefois, ce n'est pas le seul élément qui explique l'augmentation des dépenses de santé. Le progrès des sciences biomédicales conduit en effet à offrir de nouvelles perspectives préventives, diagnostiques ou thérapeutiques et à étendre les domaines d'intervention de la médecine.

A. L'augmentation des dépenses pharmaceutiques

L'augmentation des dépenses pharmaceutiques concerne l'ensemble des pays de l'OCDE. Cela s'explique notamment par le développement de nouveaux médicaments.

a. Une tendance générale au sein de l'OCDE

Au sein de l'OCDE, l'augmentation des dépenses pharmaceutiques s'accompagne d'une augmentation de la part du financement privé de ces dépenses. Autrement dit, les médicaments sont de plus en plus chers et ce sont les patients qui payent, à travers leurs mutuelles ou directement.

i. Augmentation des dépenses pharmaceutiques

Selon le Panorama santé 2015 de l'OCDE, « les dépenses pharmaceutiques ont atteint environ 800 milliards USD en 2013 dans les pays de l'OCDE, soit environ 20 % en moyenne des dépenses totales de santé lorsque l'on ajoute la consommation hospitalière de produits pharmaceutiques à l'achat de

médicaments au détail ». Les chiffres présentés montrent que « la consommation de médicaments continue d'augmenter et de pousser à la hausse les dépenses pharmaceutiques. Les politiques de maîtrise des coûts et l'expiration des brevets d'un certain nombre de produits les plus vendus ont mis la pression à la baisse sur les prix des médicaments au cours des dernières années. Cela a entraîné un ralentissement de la croissance des dépenses au cours de la dernière décennie »³.

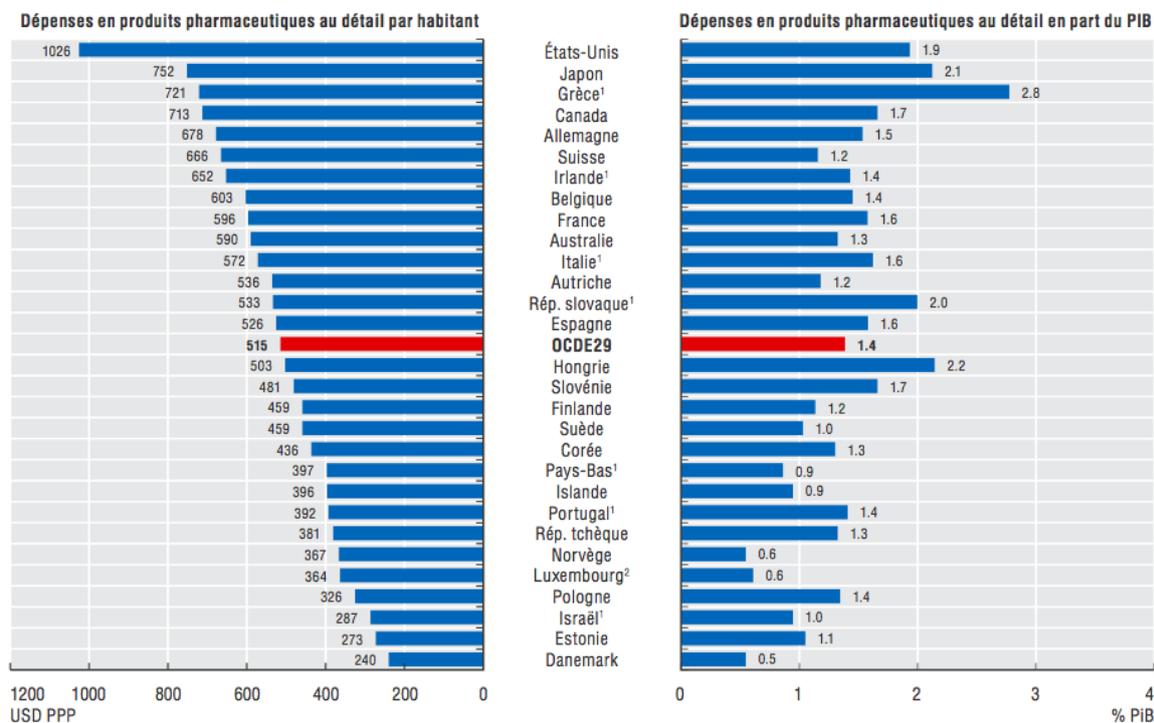
La gestion des dépenses pharmaceutiques représente des défis émergents pour les décideurs politiques dans la mesure où « la prolifération de médicaments de spécialité à coût élevé sera un moteur important de la croissance des dépenses de santé dans les années à venir »⁴. Il est enfin souligné l'apport contrasté de ces médicaments onéreux : « alors que certains de ces médicaments apportent de grands bénéfices aux patients, d'autres ne fournissent que des améliorations marginales. Cela remet en question l'efficacité des dépenses pharmaceutiques »⁵.

³ OCDE (2015), *Panorama de la santé 2015: Les indicateurs de l'OCDE*, Éditions OCDE, Paris. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2015-fr, p. 33

⁴ *Ibidem*.

⁵ *Ibid.*

Figure 2 - Les dépenses en produits pharmaceutiques au détail par habitant et en part du PIB, 2013 (ou année la plus proche)



1. Inclut les produits médicaux non-durables.

2. Exclut les médicaments sans ordonnance.

Source : Statistiques de l'OCDE sur la santé 2015, <http://dx.doi.org/10.1787/health-data-fr>.

StatLink  <http://dx.doi.org/10.1787/888933281560>

Source : OCDE (2015), *Panorama de la santé 2015: Les indicateurs de l'OCDE*, Éditions OCDE, Paris. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2015-fr, p. 35.

ii. Augmentation de la part du financement privé des médicaments

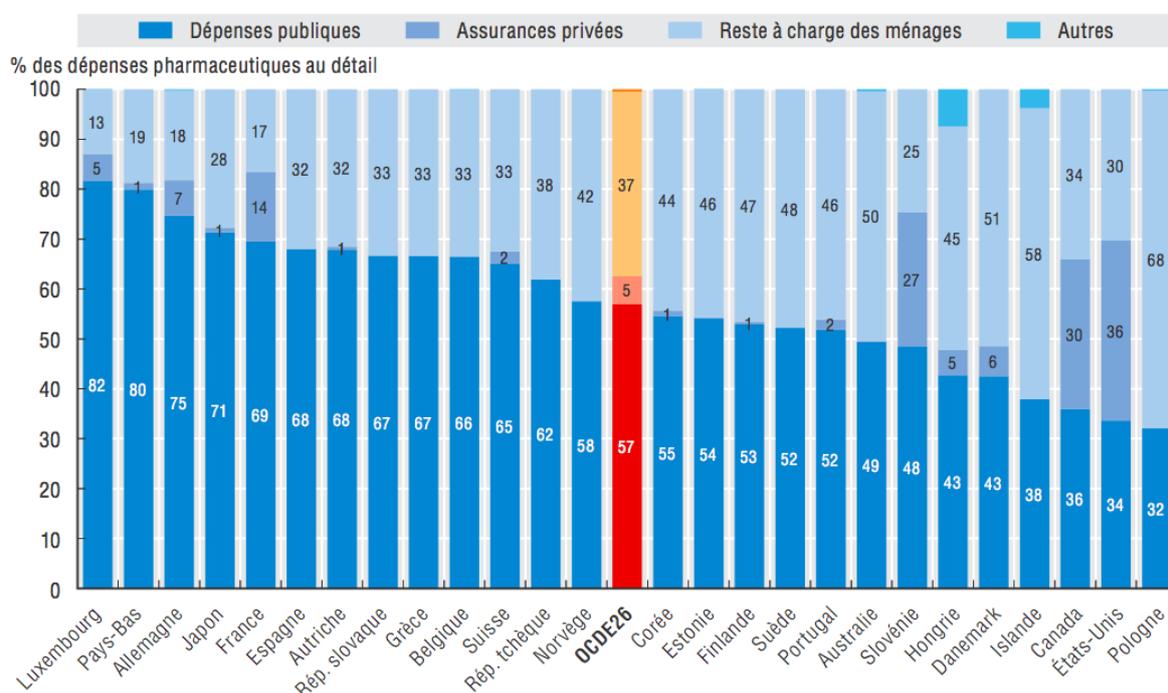
Outre, l'augmentation des dépenses pharmaceutiques, l'OCDE souligne le fait que la part du financement privé dans l'achat de produits pharmaceutiques est en augmentation et plus importante que dans les autres catégories de soins de santé.

« En moyenne, dans les pays de l'OCDE, 43 % des dépenses consacrées aux produits pharmaceutiques au détail sont financées par des sources privées (assurances privées ou dépenses directes des ménages) contre 21 % pour les soins hospitaliers et ambulatoires. La plupart des dépenses privées consacrées aux médicaments (37 %) sont financées directement par les ménages, ce qui reflète à la fois l'importance de la participation aux frais et l'ampleur de

l'autoconsommation de médicaments en vente libre »⁶.

Comme l'illustre la figure 3, en Belgique, le reste à charge des ménages s'élève à 33% des dépenses pharmaceutiques au détail. Cela conduit à accentuer les inégalités sociales de santé et peut être responsable de renoncement aux soins des personnes les plus pauvres.

Figure 3 - Dépenses en produits pharmaceutiques au détail par type de financement, 2013 (ou année la plus proche)



Source : Statistiques de l'OCDE sur la santé 2015, <http://dx.doi.org/10.1787/health-data-fr>.

StatLink  <http://dx.doi.org/10.1787/888933281610>

Source : OCDE (2015), *Panorama de la santé 2015: Les indicateurs de l'OCDE*, Éditions OCDE, Paris. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2015-fr, p. 38.

b. Le développement de nouveaux médicaments

Ces hausses des dépenses s'expliquent par une demande croissante de médicaments mais aussi par la mise sur le marché de nouveaux produits, parfois coûteux.

i. Les médicaments onéreux : l'exemple de l'hépatite C

Au cours de ces dernières années, la mise sur le marché de médicaments

⁶ OCDE (2015), *Panorama de la santé 2015: Les indicateurs de l'OCDE*, Éditions OCDE, Paris. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2015-fr, p. 37.

coûteux a contribué à la croissance des dépenses pharmaceutiques. Outre les anticancéreux, d'autres traitements comme celui contre l'hépatite C illustrent cette tendance.

Comme l'explique le Panorama santé 2015 de l'OCDE, la mise sur le marché de nouveaux traitements de l'hépatite C en 2013-2014 a causé des problèmes sans précédent dans de nombreux pays membres de l'OCDE : « ces médicaments représentent une avancée médicale majeure : ils sont bien mieux tolérés par les patients et permettent d'obtenir des taux de guérison de 95 % ou plus dans certaines populations cibles. Pour ces groupes cibles, ces traitements présentent même un bon rapport coût-efficacité. L'impact budgétaire immédiat de la prise en charge de l'ensemble de la population affectée s'est révélé insoutenable pour les pays de l'OCDE, en raison des prix élevés et de la forte prévalence de la maladie. En réaction, de nombreux pays ont cherché à passer des accords avec les fabricants afin de limiter l'impact budgétaire, et ont recommandé de réserver le traitement en priorité aux patients les plus gravement atteints, engendrant une frustration des médecins, des patients et des décideurs »⁷.

Quelques extraits d'articles publiés par RTBF.BE permettent de retracer de quelle manière le prix du sofosbuvir, un traitement innovant contre l'hépatite C, a été accueilli en Belgique. Le prix élevé du traitement a conduit à la mise en place d'un remboursement progressif qui n'a d'abord concerné que les patients les plus gravement touchés.

RTBF.be, [Publié le mardi 10 février 2015](#) :

« **Médecins du Monde** déposera mardi une opposition au brevet sur le sofosbuvir auprès de l'Office Européen des Brevets (OEB). Dans un communiqué, l'ONG dénonce "le prix exorbitant" de ce traitement contre l'hépatite C, jugeant que la molécule brevetée n'est "pas assez innovante". C'est la première fois en Europe qu'une ONG médicale utilise cette voie pour améliorer l'accès des patients aux médicaments.

"Même la sécurité sociale d'un pays 'riche' comme la Belgique, ne pourra satisfaire à toute la demande", s'inquiète Pierre Verbeeren, le directeur-général de Médecins du Monde. "C'est la raison pour laquelle nous avons déposé une opposition au brevet sur le sofosbuvir auprès de l'Office Européen des Brevets. Nous devons veiller à ce que ce traitement soit disponible dans sa forme générique, pour tous les patients".

⁷ OCDE (2015), *Panorama de la santé 2015: Les indicateurs de l'OCDE*, Éditions OCDE, Paris. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2015-fr, p. 44.

D'après l'ONG, le laboratoire Gilead commercialise 12 semaines de traitement à 41.000 euros en France, 44 000 euros au Royaume-Uni et 57 000 euros en Belgique, "*alors que le coût de production ne revient qu'à une centaine d'euros*".

Ce prix est "*exorbitant*", d'autant plus que "*80% des nouvelles contaminations surviennent au sein de publics multi-fragilisés qui accèdent difficilement aux soins*" ».

RTBF.be, [Publié le mardi 15 novembre 2016 à 14h05](#)

« Il est nécessaire de rembourser le traitement contre l'hépatite C à tous les patients infectés par le virus, estime mardi le Centre fédéral d'Expertise des soins de santé (KCE) dans un communiqué. Un traitement entamé encore plus tôt entraîne des "*bénéfices importants*" pour la santé, écrit le KCE.

Le remboursement des nouveaux médicaments antiviraux contre l'hépatite C ne concerne actuellement que les patients victimes de lésions avancées du foie et de transplantation hépatique (phase 3 de la maladie) mais sera élargi dès 2017 à ceux qui se trouvent dans la deuxième phase, avait annoncé fin septembre la Ministre de la Santé Maggie De Block (Open Vld).

Ces médicaments sont plus efficaces que les précédents, ont moins d'effets secondaires mais leur prix peut dépasser les 40 000 euros. Quelque 2600 patients bénéficieront d'un remboursement à partir de l'année prochaine contre 1400 pour le moment, selon la ministre.

Élargissement "*par paliers*"

Le KCE plaide cependant pour le remboursement de toutes les personnes porteuses du virus. Il évoque la piste d'un élargissement "*par paliers*" en raison de la situation budgétaire difficile, tout en surveillant l'augmentation du nombre de patients traités.

"*Chaque étape d'élargissement devrait également aller de pair avec une renégociation des prix des médicaments*", ajoute le centre d'expertise. S'associer avec d'autres pays pour lancer un appel d'offres conjoint permettrait par exemple d'obtenir une réduction des prix, analyse-t-il.

On ne connaît pas le nombre exact de personnes contaminées par l'hépatite C en Belgique, qui peut aboutir à une cirrhose ou même un cancer du foie. De nombreux porteurs du virus, qui se transmet principalement par le sang, ne sont pas au courant de leur contamination, car ils ne souffrent parfois d'aucun symptôme ».

Cet exemple illustre la position et les intérêts des différentes parties prenantes :

- les industries pharmaceutiques consacrent des budgets importants en recherche et développement pour développer des médicaments onéreux pour lesquels ils négocient ensuite des prix élevés aux pays développés ;
- les associations de patients et organisations non gouvernementales font valoir un égal accès aux soins autant que la recherche d'un bénéfice médical important pour le patient ;
- les organismes de sécurité sociale cherchent à trouver un équilibre entre un impact budgétaire limité et un accès à ce traitement qui a démontré une grande efficacité.

Il apparaît également que le traitement contre l'hépatite C, bien que coûteux, apporte des résultats importants. Qu'en est-il lorsque les traitements coûteux sont utilisés de manière palliative, en allongeant l'espérance de vie de quelques mois, années ?

La question de l'efficacité du traitement est en effet importante pour justifier un coût élevé.

ii. Les médicaments orphelins

Les médicaments sont appelés orphelins lorsqu'ils sont élaborés pour traiter des maladies rares. Le faible nombre de personnes concernées par la maladie décourage les entreprises pharmaceutiques d'investir dans la recherche et le développement afin de développer de nouvelles molécules. C'est pourquoi des politiques ont été mises en place aux États-Unis et au sein de l'Union européenne pour encourager les investissements privés, en offrant par exemple une exclusivité accrue sur le marché ensuite. Pour être qualifié de médicament orphelin au sein de l'Union européenne, plusieurs critères doivent être remplis : sévérité de la maladie, réponse à un besoin actuellement non satisfait, prévalence de la maladie inférieure à 1 sur 2 000 ou retour sur investissement attendu négatif.

Ces médicaments sont généralement très onéreux dans la mesure où les frais de développement sont répercutés sur un petit nombre de patients. Selon l'OCDE, « le coût médian par patient et par an d'un médicament orphelin est 19 fois supérieur à celui d'un médicament non orphelin »⁸. Plus les indications sont rares et plus le surcoût est élevé.

Les mesures visant à encourager le développement des médicaments orphelins ont par ailleurs conduit à une augmentation du nombre de molécules

⁸ OCDE (2015), *Panorama de la santé 2015: Les indicateurs de l'OCDE*, Éditions OCDE, Paris. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2015-fr, p. 44.

nouvellement approuvées. Les molécules classées parmi les médicaments orphelins « représentent désormais un tiers des nouvelles molécules approuvées par la FDA »⁹.

Les médicaments orphelins posent la question de la prise en charge médicale de peu de personnes, à des coûts parfois très importants, dans un système de santé qui devrait assurer la prise en compte des besoins en santé de l'ensemble de la population à partir de ressources limitées.

iii. Le développement de la médecine personnalisée

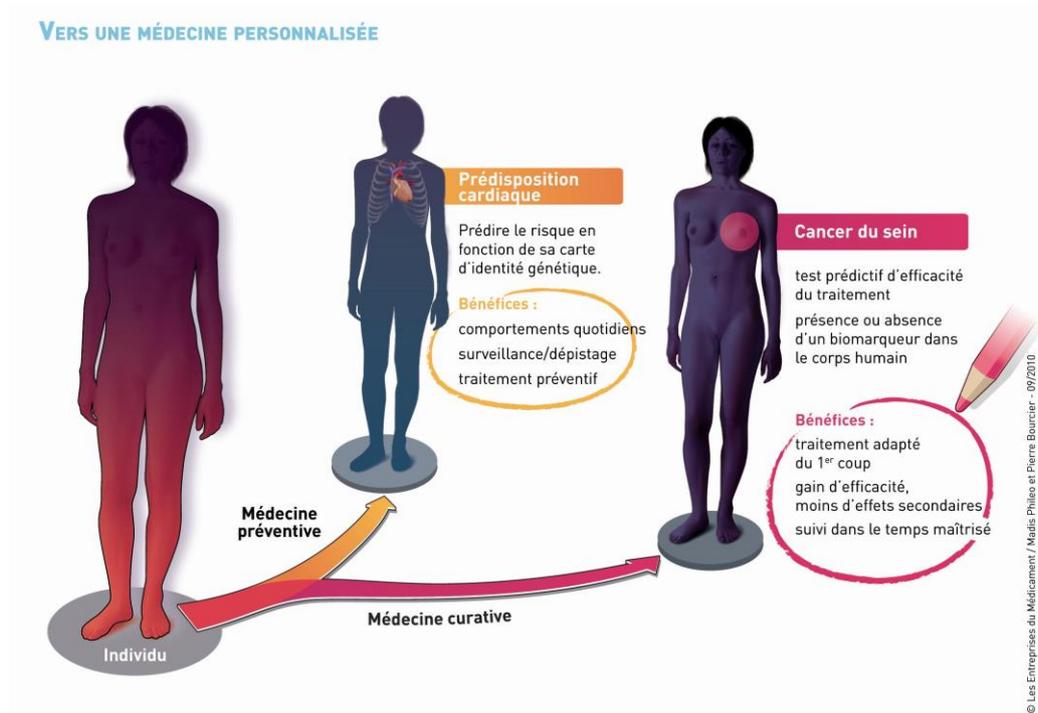
Outre les médicaments onéreux, il existe une autre tendance forte en médecine qui est la personnalisation des soins, par la prise en compte des caractéristiques individuelles (notamment génétiques) du patient.

Dans le cadre du traitement contre le cancer, il est ainsi possible de déterminer quelle est la meilleure stratégie thérapeutique en réalisant une analyse génétique des cellules cancéreuses. Cela permet alors de proposer des traitements plus efficaces selon le sous-type de tumeur, dans le traitement du cancer du sein par exemple. Alors qu'il n'existait avant qu'un traitement, plusieurs traitements sont désormais possibles en fonction de la femme et des caractéristiques de sa tumeur. La multiplication et la personnalisation des traitements conduit à l'augmentation des coûts, diagnostiques et thérapeutiques. Ce phénomène de stratification des patients s'étend à d'autres branches de la médecine et contribue à la hausse des coûts des dépenses pharmaceutiques.

La médecine personnalisée peut intervenir de manière curative mais également en amont, de manière préventive (Figure 4).

⁹ OCDE (2015), *Panorama de la santé 2015: Les indicateurs de l'OCDE*, Éditions OCDE, Paris. http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2015-fr, p. 44.

Figure 4 - La médecine personnalisée



Source : Les entreprises du médicament, <http://www.leem.org/vers-une-medecine-personnalisee-semaines-2010-0>

B. L'extension du domaine des soins

De plus en plus de domaines relèvent désormais de la médecine : ils en étaient auparavant exclus car il n'existait pas de possibilités, diagnostique ou thérapeutique, ou parce que cela n'était pas une préoccupation sociale.

i. L'exemple de la prévention de la transmission du VIH

En matière de prévention du VIH, un nouveau traitement a été mis au point et permet de réduire les risques de contamination en cas d'exposition au virus. Ce traitement innovant, le Truvada, a fait l'objet d'études afin d'évaluer son efficacité avant une éventuelle utilisation en Belgique.

RTBF.be, [Publié le mercredi 09 septembre 2015 à 21h46](#)

L'Institut de médecine tropicale (IMT) va initier jeudi le premier projet de recherche belge chargé d'évaluer la faisabilité du traitement préventif anti-VIH, annonce l'institution basée à Anvers. L'IMT recherche 200 homosexuels à risque accru de VIH pour participer à l'étude.

La "*Prophylaxie Pré-exposition*" (PrEP) est une pilule contenant des inhibiteurs du VIH. Elle est destinée à prévenir une infection par le virus chez des personnes à risque accru de contamination, comme complément aux

stratégies habituelles de prévention.

Avec le soutien de l'Agence pour l'innovation en science et technologie (IWT), l'IMT va suivre 200 homosexuels sous traitement pendant 18 mois. L'institut examinera si ces personnes prennent systématiquement le médicament, comment son utilisation est perçue et s'il amène des changements dans l'utilisation du préservatif.

C'est la première fois que la PrEP est évaluée en Belgique. "*Diverses études dans des pays comme les Etats-Unis, la Grande-Bretagne et la France montrent que son utilisation rigoureuse offre une haute protection contre l'infection à VIH*", indique l'IMT. La PrEP n'est en revanche pas efficace contre les autres maladies sexuellement transmissibles.

"*La PrEP est prometteuse mais les conséquences d'un traitement préventif devront être étudiées avant que cette stratégie puisse éventuellement être introduite dans notre pays*", explique le professeur Marie Laga, la coordinatrice du projet de recherche.

Chaque jour, trois nouveaux cas de VIH sont diagnostiqués en Belgique. "*Plus de 80% des contaminations chez les hommes belges sont transmises au cours d'un rapport homosexuel*", relève l'IMT.

L'éventuelle prise en charge du traitement préventif contre le VIH repose sur la démonstration de l'efficacité du médicament. C'est pourquoi, une étude vise à déterminer la faisabilité de ce traitement préventif en Belgique.

En effet, le **facteur d'incertitude** est un élément important lors de la prise de décision au niveau individuel (pour la prescription d'un médicament au sein de la relation patient-médecin) et au niveau collectif (pour la prise en charge d'un médicament et la détermination du public cible).

Lors du développement du médicament, les essais cliniques ont été réalisés afin d'évaluer le rapport bénéfices/risques du produit. Toutefois, les tests sont limités aussi bien en termes de personnes que dans le temps : seul un petit nombre de patients sont concernés et le médicament est testé sur une durée relativement courte. Il est difficile d'extrapoler par la suite au niveau de la population. En outre, les résultats présentent des moyennes collectives : les effets peuvent être plus ou moins importants au niveau de chaque personne et il n'est pas facile de déterminer si la personne réagira bien au traitement.

L'efficacité du traitement doit également être évaluée en fonction de son coût. Or les deux éléments sont difficiles à mesurer : l'efficacité du traitement préventif contre le VIH doit-il être mesuré au niveau des personnes dans l'essai ou au niveau de la société, en constatant un recul des nouveaux cas d'infection au VIH ?

Quant aux coûts pour la société, ils doivent inclure le coût du traitement mais également d'autres coûts comme celui du suivi médical par exemple.

ii. L'exemple de la médecine de la reproduction

La prise en charge de l'infertilité remonte aux années 1970 : le premier « bébé-éprouvette », c'est-à-dire à la suite d'une fécondation *in vitro* est née le 25 juillet 1978.

Les personnes qui ont des difficultés à procréer peuvent depuis lors se faire aider des médecins, en procédant à une insémination (avec le sperme du conjoint ou d'un donneur) ou à une fécondation *in vitro*.

Les femmes célibataires et les couples de personnes de même sexe peuvent demander de bénéficier de don de sperme ou réaliser une gestation pour autrui.

Les femmes peuvent aussi faire conserver leurs ovules : elles pourront alors bénéficier d'une meilleure fertilité tout en réalisant leur projet parental à un âge avancé.



Le champ d'intervention de la médecine de la reproduction est croissant et concerne un nombre de plus en plus important de personnes, du fait du développement des techniques mais aussi des pratiques sociales nouvelles (homoparentalité, conciliation du travail et de la vie privée pour les femmes...). Autrement dit, ce ne sont pas uniquement les progrès de la science mais aussi les évolutions de la société qui conduisent à augmenter les dépenses de santé.

Le Comité consultatif de Bioéthique a émis plusieurs avis à ce sujet, disponibles sur son site internet (www.health.belgium.be/bioeth - avis n° 27-30-46-57-68).

Cela conduit à distinguer les motifs du recours à la médecine de la reproduction entre ce qui relèverait d'une part, d'une indication médicale et d'autre part, d'un motif social. Alors que dans le premier cas, la prise en charge financière par la sécurité sociale serait justifiée, dans l'autre, pas.

4. Positions des parties prenantes

Comme l'ont montré les exemples précédents, les parties prenantes ont des intérêts et des positions distinctes sur la question de l'accès aux médicaments onéreux.

A. Industries pharmaceutiques

Les industries pharmaceutiques sont dans une logique concurrentielle et de profit. Les entreprises cherchent à développer des nouveaux médicaments en investissant de l'argent et la vente de ces derniers doit être profitable. Pour cela, le prix est fixé afin de rendre compte de la production du produit mais aussi des coûts importants en termes de recherche et de développement.

Certaines pratiques commerciales sont toutefois discutables et témoignent de cette recherche de profit.

Ricardo Gutierrez, « [Médicaments en hausse dès janvier](#) », publié sur [lesoir.be](#) le vendredi 7 décembre 2012

« Gros conditionnement : un gaspillage organisé

Plus question de proposer à la vente des médicaments dont la taille du conditionnement est largement supérieure à la dose utile. Le budget 2013 des soins de santé prévoit d'économiser 13,3 millions (26,6 millions sur base annuelle), en imposant, dès le 1^{er} juillet, des adaptations du conditionnement ou du remboursement de certains médicaments.

Exemple cité par les autorités sanitaires : le Lucentis, utilisé pour traiter la dégénérescence maculaire liée à l'âge. Le produit est injecté dans l'œil, mais le seul conditionnement remboursable est une ampoule à usage unique de 0,23 ml, alors que la firme recommande elle-même une dose de 0,05 ml.

Autrement dit, les trois quarts de l'ampoule sont gaspillés... Malgré le prix extrêmement élevé de ce médicament : 935 euros pour l'ampoule de 0,23 ml. Soit la firme prévoit un conditionnement plus adapté à la dose utile, soit le remboursement est revu à la baisse ».

B. Prestataires de soins

Quant aux prestataires de soins, ils sont dans une position délicate dans la mesure où ils sont directement en lien avec le patient et sont soumis à des obligations professionnelles et déontologiques.

Depuis l'adoption de la [loi relative aux droits du patient datant du 22 août 2002](#), plusieurs droits ont été reconnus aux patients.

Un droit à des prestations de qualité - Article 5 : « le patient a droit, de la part du praticien professionnel, à des prestations de qualité répondant à ses besoins et ce, dans le respect de sa dignité humaine et de son autonomie et **sans qu'une distinction d'aucune sorte ne soit faite** ».

Un droit à l'information - Article 8 : « § 1^{er}. Le patient a le droit de consentir librement à toute intervention du praticien professionnel moyennant information préalable.

Ce consentement est donné expressément, sauf lorsque le praticien professionnel, après avoir informé suffisamment le patient, peut raisonnablement inférer du comportement de celui-ci qu'il consent à l'intervention.

À la demande du patient ou du praticien professionnel et avec l'accord du praticien professionnel ou du patient, le consentement est fixé par écrit et ajouté dans le dossier du patient.

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

Autrement dit, les prestataires de soins ne doivent pas traiter différemment un patient en fonction de sa classe sociale et ils doivent lui fournir une information complète sur le traitement y compris les répercussions financières de celui-ci.

Lorsque des médicaments onéreux pourraient être utilisés pour le traitement, deux hypothèses peuvent être envisagées :

- le médicament coûteux est pris en charge par la société : cela signifie que le coût est supporté collectivement. Le médecin peut alors opérer une sélection au niveau individuel afin de s'assurer que le traitement prescrit répond bien aux indications présentées par son patient et que ce dernier le suivra pour en tirer les bénéfices (= compliance). Le médecin est alors mis en position de juge de l'opportunité du coût d'un tel traitement pour la société, au regard du patient.

- le médicament n'est pas remboursé : cela pose alors la question de l'accessibilité financière du traitement qui repose sur les capacités du patient à le payer. Le professionnel de santé est-il tenu de présenter une option

thérapeutique à un patient qui ne pourra pas en bénéficier ? Dans le cas où la personne choisit d'y recourir, est-il acceptable de présenter au patient, qui se trouve dans une situation de vulnérabilité et de dépendance, un engagement de paiement avant de le lui administrer ?

C. L'INAMI

Au niveau des organismes de sécurité sociale, la question de l'accès aux médicaments onéreux est également importante et des politiques en faveur de la maîtrise budgétaire des dépenses sont mises en place (génériques, négociation des prix...).



À travers la présentation de ces éléments de contexte, plusieurs critères pertinents ont été mis en exergue afin de juger de l'acceptabilité éthique :

- de manière fondamentale, il y a le principe de non-nuisance : cela ne présente pas de risque grave pour la santé et le niveau de sécurité est acceptable.

Il y a également des critères d'admissibilité éthique pris en compte au regard de principes relevant de l'économie de la santé, en termes d'efficacité du traitement (probabilité de succès, bénéfice/risque, coût/bénéfice et accessibilité financière).

Les procédures d'accès aux médicaments actuellement existantes visent à répondre à ces objectifs.

III. FORMULATION DES PROBLEMES ETHIQUES

1. Les mécanismes d'accès aux médicaments

Après avoir présenté les mécanismes d'accès aux médicaments (figure 5.1= DIA 1), nous montrerons quelles difficultés cela pose d'un point de vue éthique (figure 5.2= DIA 2) et les éventuelles solutions (figure 5.3= DIA 3). Ces diapositives figurent comme annexes de ce dossier.

Comme le montre la figure 5.1, il existe actuellement trois principaux moyens d'accéder aux médicaments : par le biais de la réglementation classique (A), grâce à l'existence de médicaments considérés comme orphelins (B) ou par différents accès hors de la réglementation classique (C). Les différentes parties prenantes du système de santé jouent un rôle dans les différents mécanismes d'accès.

A. La réglementation classique

La réglementation classique comprend trois étapes principales : l'autorisation de mise sur le marché (a), la fixation du prix du médicament (b) et enfin la décision de son remboursement (c).

a. L'autorisation de mise sur le marché du médicament

La mise sur le marché d'un médicament intervient lorsque celui-ci a été autorisé par une **autorisation de mise sur le marché (AMM)** ou *marketing authorisation*. Elle peut être délivrée au niveau national, par le ministre belge compétent en matière de santé publique ou au niveau de l'Union européenne, par la Commission européenne.

L'AMM est délivrée après des tests visant à démontrer l'absence de dangerosité et l'efficacité du médicament. À partir des résultats des essais cliniques, les autorités -l'*European Medicines Agency* au sein de l'Union européenne et l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé- évaluent le **rapport risque/bénéfice** de la molécule mais ne raisonnent pas en réalisant une comparaison avec les médicaments existants. C'est pourquoi, certains médicaments peuvent avoir une valeur ajoutée limitée.

b. La fixation du prix maximum

Une fois que le médicament a été autorisé, le ministre belge de l'Économie définit le **prix maximum** s'il s'agit d'un médicament remboursable. Il s'agit d'une négociation avec la firme pharmaceutique qui justifie son prix au regard de deux séries de critères :

- les coûts de recherche et développement, de production, d'importation, d'analyse et de transfert d'une part ;
- et d'autre part, les éléments relatifs aux charges salariales, frais de publicité et d'information, frais de vente et autres frais généraux.

Bien que des critères précis aient été définis, les entreprises pharmaceutiques ne sont pas très transparentes dans le calcul du prix de leur médicament. Les coûts de recherche et de développement sont particulièrement difficiles à évaluer : pour une molécule développée et bénéficiant d'une AMM, de nombreuses ont pu être testées sans succès. Autrement dit, il y a eu de nombreux investissements qui ont eu lieu pour d'autres molécules.

De manière générale, le prix demandé par l'industrie pharmaceutique est jugé élevé et les débats avec le ministère de l'Economie visent à le réduire afin que le remboursement du médicament soit supportable pour l'assurance maladie.

Le traitement contre l'hépatite C est un bon exemple des prix parfois exorbitants d'un nouveau médicament innovant : les 12 semaines de traitement coûtent 57 000 euros en Belgique alors que la production du *sofosbuvir* ne reviendrait qu'à une centaine d'euros (cf. II.3.A.B.i).

c. La décision de rembourser le médicament

Comme pour la fixation du prix, la **décision de rembourser les médicaments** revient aux États Membres de l'Union européenne. Le droit de l'Union européenne impose toutefois aux États Membres de rendre leur décision quant au remboursement d'un médicament dans un délai déterminé et de fonder celle-ci sur des critères objectifs (Directive 89/105/CEE).

En Belgique, c'est la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM) au sein de l'INAMI qui rend un avis au ministre des Affaires sociales et au ministre du Budget quant à l'opportunité de rembourser le médicament en question. La CRM réunit les principales parties prenantes : représentants des universités, des fédérations professionnelles de médecins et de pharmaciens, des organismes assureurs et des ministères des Affaires sociales, de la Santé publique et de l'Économie. Les firmes pharmaceutiques ont uniquement la qualité d'observateurs mais pas le droit de vote contrairement aux autres membres.

L'évaluation de la CRM prend en compte des critères différents de ceux qui ont conduit à l'AMM du médicament : il est ainsi jugé de l'importance du médicament en fonction des besoins thérapeutiques et sociaux, de son prix et de son impact budgétaire pour l'assurance soins de santé et du rapport entre le coût du médicament et la valeur thérapeutique, c'est-à-dire son **efficacité (efficiency)**. L'efficacité du traitement peut faire l'objet d'une évaluation à partir des QALYs, dans une optique utilitariste (cf. IV.1.B.c).

L'efficacité de la molécule peut être incertaine et c'est pourquoi les autorités disposent de deux procédures afin de réviser éventuellement leur décision :

- d'une part, le ministre des Affaires sociales peut demander à l'entreprise qui a obtenu une autorisation de remboursement de sa molécule de produire un

rapport sur les résultats des patients traités en Belgique. Cette étude permet de juger de la pertinence de la décision avec des résultats concrets, dans un contexte d'incertitude moindre. Par ailleurs, la procédure de révision peut concerner un groupe de médicaments destinés à une même indication : il s'agit alors de comparer l'efficacité des différents médicaments au sein de ce groupe ;

- d'autre part, lorsque les éléments sont insuffisants pour autoriser le remboursement du médicament, le ministre des Affaires sociales, sur avis de la CRM, peut mettre en place un « *risk sharing* programme » en attendant d'obtenir plus de preuves : une convention est alors mise en place entre l'entreprise et l'INAMI pour une durée maximale de trois ans. Les patients peuvent ainsi avoir un accès facilité aux médicaments et celui-ci sera pérennisé en fonction des nouvelles données collectées si le médicament s'avère suffisamment efficace.

B. Les médicaments orphelins

Au sein de la procédure classique, il existe un ensemble de règles particulières qui concernent les médicaments orphelins. Elles ont été mises en place par le droit de l'Union européenne (Règlement CE n°141/2000) afin de favoriser la recherche et le développement de médicaments qui ne seront pas nécessairement rentables dans la mesure où ils sont destinés à un petit nombre de malades.

La désignation d'un médicament comme médicaments orphelins (a) permet par la suite de bénéficier de règles avantageuses d'une part, pour les entreprises pharmaceutiques lors de leur demande d'autorisation de mise sur le marché (b) et d'autre part, pour les personnes malades lors de leur demande de remboursement (c).

a. La désignation en tant que médicaments orphelins

Lors du développement du médicament, l'entreprise pharmaceutique peut demander à l'*European Medicines Agency* à ce que son médicament soit désigné comme médicament orphelin (*orphan designation*). Cette désignation comme médicament orphelin permet de bénéficier d'avantages : notamment une assistance de l'EMA lors de la préparation de la demande de mise sur le marché (*marketing authorisation*) et l'exclusivité sur le marché pendant plusieurs années.

b. La demande d'autorisation des médicaments orphelins

La demande de désignation doit être préalable à la demande d'autorisation sur le marché. Cette demande d'autorisation ne peut intervenir, pour les médicaments ayant obtenu la désignation de médicaments orphelins, que devant la EMA. La demande est alors évaluée par le Comité pour les

médicaments à usage humain, à partir des travaux préparatoires des rapporteurs et de leur équipe. L'avis rendu par le CHMP permet ensuite à la Commission européenne de se prononcer sur l'autorisation de mise sur le marché pour l'indication rare.

Sur le sujet, il est possible de lire le rapport rendu par le Centre fédéral d'expertise des soins de santé de 2009 et intitulé [« Politiques relatives aux maladies rares et aux médicaments orphelins »](#).

c. Le remboursement des médicaments orphelins

La procédure de remboursement des médicaments coûteux repose sur une autorisation délivrée par le médecin-conseil de l'organisme assureur du patient. À chaque demande, le médecin conseil prend en compte une série de critères définis par le ministre des Affaires sociales, comme l'indication du médicament, la limite d'âge du patient, la médication antérieure...

Pour les médicaments ayant obtenu au niveau de l'Union européenne la désignation comme médicament orphelin et dont le remboursement a été décidé en Belgique, le ministre des Affaires sociales peut mettre en place un Collège spécifique pour assister le médecin-conseil. En pratique, le Collège (qui regroupe des experts du domaine et des médecins des différents organismes assureurs) reçoit l'ensemble des demandes même si la décision finale revient au médecin-conseil de l'organisme assureur de chaque patient. Cela permet notamment d'harmoniser les décisions et d'aider dans leur décision des médecins conseils qui sont confrontés -par définition- à un très petit nombre de dossiers.

C. Les accès hors de la réglementation classique

À côté de la réglementation classique et des règles spécifiques visant à favoriser le développement de médicaments orphelins, il est possible pour les patients d'accéder aux médicaments onéreux par d'autres biais :

a. Contribution du patient

Les personnes malades peuvent payer eux-mêmes pour leur traitement lorsque celui-ci n'est pas remboursé. Cela est toutefois délicat lorsque le médicament est très onéreux et seules les personnes les plus fortunées peuvent se le permettre. Cela contribue à renforcer les inégalités sociales de santé.



L'accès peut également se faire par le biais des assurances privées souscrites par le malade ; cela permet à un plus grand nombre de personnes d'avoir accès aux médicaments coûteux mais pas à toutes et la prise en charge n'est pas toujours totale.

Il ne s'agit pas d'une solution satisfaisante.

b. Les essais cliniques

Une autre possibilité pour la personne malade est d'être incluse dans les essais cliniques dont font l'objet les médicaments coûteux dont elle a besoin. Les essais cliniques peuvent avoir lieu avant l'autorisation de mise sur le marché (afin de l'obtenir) mais également après l'obtention de cette dernière (lors des études post-marketing, phase IV). L'inclusion dans un essai clinique permet d'avoir un accès précoce aux médicaments.



Pour en savoir plus, vous pouvez regarder la vidéo de présentation réalisée par une association française de malades et proches concernés par la maladie de Crohn et la rectocolite hémorragique.

Les essais cliniques représentent une opportunité pour les malades dont les traitements ne sont pas encore existants ou en constante amélioration (maladie de Crohn, certains types de cancers...).

En outre, cet accès est assorti de garantie quant à la sécurité du patient : en effet, les protocoles des études de médicaments doivent faire l'objet d'une évaluation par l'Agence fédérale des médicaments et produits de santé (pour la qualité du médicament et le dossier pré-clinique) et d'un Comité d'éthique médicale (pour évaluer le protocole d'étude).

Les patients qui ont réagi positivement au médicament devraient, en application des stipulations de la déclaration d'Helsinki, pouvoir obtenir celui-ci jusqu'à ce qu'il soit disponible autrement.

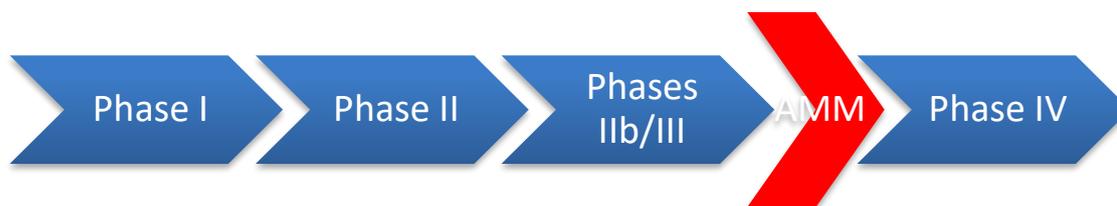
<https://www.wma.net/fr/policies-post/declaration-dhelsinki-de-lamm-principes-ethiques-applicables-a-la-recherche-medicale-impliquant-des-etres-humains>

§34. Conditions de l'accès à l'intervention testée après l'essai clinique :

« En prévision d'un essai clinique, les promoteurs, les chercheurs et les gouvernements des pays d'accueil devraient prévoir des dispositions pour que tous les participants qui ont encore besoin d'une intervention identifiée comme bénéfique dans l'essai puissent y accéder après celui-ci. Cette information doit également être communiquée aux participants au cours du processus de consentement éclairé ».

Cet accès aux médicaments onéreux présente des limites : aucun patient ne peut exiger d'intégrer un essai clinique ; ils doivent répondre aux critères d'inclusion définis par le protocole. En outre, une fois dans l'essai clinique, le patient peut être dans le groupe contrôle et recevoir un placebo ou recevoir le médicament et ne pas bien y réagir.

Figure 5 - Les différentes phases des essais cliniques



Phase	I	II	IIb/III	Autorisation de mise sur le marché (AMM)	IV	
Durée moyenne	Plusieurs mois	Plusieurs mois à 2 ans	1 à 4 ans			1 à 4 ans
Volontaires	20 à 100 volontaires sains	100 à 300 volontaires malades	1000 à 3000 volontaires malades			Plusieurs 1000
Évaluation	Évaluation de l'action du candidat-médicament sur l'organisme (tolérance/toxicité) et de l'action de l'organisme sur le médicament.	Évaluation à petite échelle, de l'action du candidat-médicament sur l'organisme en termes d'efficacité et de tolérance	Évaluation à grande échelle, de l'action du médicament en termes d'efficacité et d'effets indésirables			Évaluation, à très grande échelle, de la tolérance et des effets indésirables (pharmacovigilance).

c. Les programmes d'usage compassionnel et programmes médicaux d'urgence¹⁰

Deux programmes spéciaux permettent un accès temporaire à des médicaments qui n'ont pas encore obtenu d'autorisation de mise sur le marché ou de remboursement. Il s'agit dans le premier cas de l'usage compassionnel de médicaments (i) et d'un programme médical d'urgence (ii).

Ces deux programmes sont mis en œuvre à l'initiative des entreprises pharmaceutiques et doivent être approuvés par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de santé et par une Commission d'Éthique Médicale.

¹⁰ Voir avis n°47 du CCB du 9 mars 2009 relatif aux implications éthiques de la législation concernant les programmes d'usage compassionnel (compassionate use) et les programmes médicaux d'urgence (medical need).

i. Programme d'usage compassionnel (*Compassionate Use*)

Ce programme (prévu par le droit de l'Union européenne (Règlement européen CE/726/2004) et repris en droit belge (AR du 14 décembre 2006) permet d'accéder à des médicaments qui n'ont pas encore obtenu leur AMM.

La mise à disposition répond à deux critères cumulatifs :

- il faut que les patients souffrent d'une maladie invalidante, chronique ou grave ou d'une maladie considérée comme les mettant en danger ;
- et il faut qu'il n'existe aucun traitement satisfaisant pour les traiter.

ii. Programmes médicaux d'urgence (*Medical Need*)

L'usage de médicaments en cas d'exécution de programmes médicaux d'urgence est une initiative belge (AR du 14 décembre 2006) et permet la mise à disposition de médicaments ayant obtenu une AMM dans l'Union européenne. Deux hypothèses sont alors envisageables :

- la mise à disposition du médicament répond à une autre indication médicale que celle ayant été autorisée ;
- il s'agit d'une mise à disposition précoce du médicament en Belgique qui correspond à l'indication autorisée dans l'Union européenne.

Ces deux programmes sont mis en place à l'initiative des entreprises pharmaceutiques ; elles peuvent également décider d'y mettre fin et priver ainsi les patients d'un accès au médicament en question.

d. Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

Le Fonds spécial de solidarité intervient au sein de l'Institut nationale d'assurance-maladie et invalidité (INAMI) et permet de couvrir les frais de prestations médicales qui ne sont pas encore remboursés par l'assurance régulière.

Le FSS intervient dans plusieurs situations :

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

Pour que le FSS finance ces soins, il faut que toutes les autres possibilités de financement aient été épuisées. Il faut également, au niveau individuel, que la demande réponde à certains critères et le FSS ne peut pas se prononcer sur un ensemble d'individus souffrant par exemple de la même pathologie.

Le Centre fédéral d'expertise des soins de santé a rendu un rapport en 2010 visant à l' « [Optimisation du fonctionnement du Fonds Spécial de Solidarité](#) ». Il rappelait alors que « Le Fonds Spécial de Solidarité (FSS) a été créé en 1990 dans le but d'assurer un filet de sécurité permettant d'éviter que des personnes puissent manquer de soins indispensables qui, bien que très chers, ne sont pas remboursés par l'assurance maladie obligatoire ».

e. Les initiatives volontaires

Les initiatives volontaires permettent la mise en place de fonds caritatifs sur des thématiques données : par exemple, il existe l'association BOKS pour les enfants et adultes atteints d'une maladie métabolique.

Ces initiatives peuvent également être le fait de certains hôpitaux qui financent des interventions ou traitements coûteux à partir de leurs fonds propres.

Enfin, il est de moins en moins rare de voir un cas individuel être médiatisé au niveau local afin de permettre le financement de l'intervention coûteuse d'un proche. Cette médiatisation de la personne malade permet d'obtenir davantage de dons.

2. Les problèmes éthiques posés

La présentation des mécanismes d'accès met en lumière les difficultés qui subsistent : tout le monde n'a pas accès aux médicaments onéreux, c'est-à-dire qu'il existe des inégalités d'accès à ces médicaments.

Les **inégalités d'accès** se situent à plusieurs niveaux :

- certains médicaments ne sont pas remboursés ou ne le sont pas pour toutes les indications ;
- certaines personnes malades ne peuvent pas être intégrées dans un essai clinique ;
- les entreprises pharmaceutiques peuvent ne pas avoir mis en place de programmes d'usage compassionnel ou de programmes médicaux d'urgence.

En dépit d'un ensemble de possibilités visant à faciliter l'accès aux médicaments onéreux, aucune ne permet de mettre fin, de manière durable, aux inégalités d'accès aux médicaments.

En effet, les inégalités d'accès sont corrigées, au niveau individuel uniquement, par le biais du Fonds Spécial de Solidarité ou encore des initiatives caritatives privées. Il est encore possible d'améliorer ces dispositifs : par exemple, le Fonds Spécial de Solidarité pourrait se prononcer pour des cohortes d'individus, qui sont dans la même situation.

La problématique du financement des médicaments onéreux nécessite de mobiliser des critères éthiques.

IV. LES CRITERES ET CONSIDERATIONS ETHIQUES

Le système de soins de santé et l'accès aux médicaments onéreux sont construits sur la base de choix politiques et de consensus publiques. Pour parvenir à définir un système légitime dans lequel les inégalités d'accès aux médicaments onéreux ne paraissent pas problématiques, plusieurs critères peuvent être utilisés.

En particulier, les théories de la justice permettent de concevoir dans quelle mesure une société est jugée équitable, en termes de répartition des droits (accès aux soins) et des devoirs (contribution et consommation de soins) entre ses membres (1).

Ces théories sont expliquées dans l'avis n° 58 du Comité, avis à la base du présent dossier pédagogique. Ce dossier fournit aussi quelques situations qui pourront servir de base de discussion à leur application.

Les critères *in fine* retenus apparaissent d'ailleurs en filigrane dans les théories de la justice (2).

1. Les théories de la justice

Il existe cinq théories philosophiques majeures de la justice : le libéralisme (A) l'utilitarisme (B), l'égalitarisme (C), l'approche par capacités (D) et le communautarisme (E).

Ces théories fournissent des critères susceptibles d'être utilisés dans les discussions portant sur la problématique du financement des médicaments onéreux et plus particulièrement, sur celles portant sur le contenu d'un système équitable de soins de santé.

A. L'approche libertarienne (R. Nozick) : la maximisation de la liberté

a. Aucune redistribution

L'approche libertarienne -ou libérale- de la justice prône le respect absolu de la liberté individuelle et du droit de propriété. Aussi, la redistribution des moyens entre les individus est légitime que dans la mesure où elle se fait volontairement, sur une base caritative.

En matière de santé, cette théorie conduit à ne pas juger équitable une contribution obligatoire au système de soins. La redistribution entre les assurés ne devrait intervenir que sur une base volontaire, par le biais d'une

assurance maladie privée. Les besoins des individus qui ne pourraient être satisfaits dans ce système pourraient ponctuellement être pris en charge par d'autres individus, au titre de la charité.

b. Une approche fondée sur la charité

Appliquée plus précisément à la problématique du financement des médicaments onéreux, l'approche libertarienne conduit à promouvoir la perspective d'appels au soutien financier de cas individuels, par le biais des réseaux sociaux ou à l'occasion d'événements médiatiques importants. Ces initiatives permettent de faire appel à la participation volontaire et à la solidarité des citoyens afin de financer la recherche contre le cancer ou des traitements ponctuels, au niveau individuel.

c. Pas de dilemme pour le médecin

Dans l'hypothèse où le médecin adhère à l'approche libertarienne, il n'y aurait pour lui aucun dilemme déontologique quant à proposer le traitement et à informer le patient. Il proposera en effet uniquement le médicament onéreux nécessaire au traitement du patient lorsque celui-ci pourra se l'offrir directement ou par le biais de son assurance. Au contraire, lorsqu'aucun financement ne sera possible, il ne se sentira pas obligé ne serait-ce que d'informer le patient sur l'existence du traitement.

Dans cette perspective, il se peut toutefois que le médecin ait une appréciation erronée des capacités financières de la personne ou de sa capacité à réunir les fonds nécessaires, à travers la mobilisation de sa famille, de proches ou de personnes charitables.

d. Une théorie mal reçue en Europe

Cette théorie n'est pas particulièrement bien reçue en Europe, notamment dans les pays où le rôle reconnu à l'Etat est important en matière de politiques sociales et de santé. L'Etat providence n'est pas remis en cause et il paraît légitime d'aider les personnes handicapées ou qui n'ont pas les ressources suffisantes. Toutefois, les mécanismes d'accès aux médicaments onéreux n'étant pas entièrement satisfaisants, des initiatives volontaires ont lieu afin de favoriser l'accès et le remboursement à ces traitements. Les concerts et initiatives de bienfaisance destinés à lever des fonds –comme le téléthon– témoignent des insuffisances du système actuel dans le financement de la recherche ou la mise à disposition de traitements innovants et coûteux.

Au contraire, aux Etats-Unis, la pensée libertaire est moins dépassée comme le montre l'opposition d'une partie de la population à l'Obamacare. Pour les Américains, les soins de santé sont soumis à l'économie de marché et les inégalités, importantes qui existent, ne sont pas jugées inacceptables.

B. La perspective utilitariste (J. Bentham, J. Stuart Mill) : la maximisation de l'utilité

a. La maximisation de l'utilité globale

En opposition directe au libertarisme, la perspective utilitariste appréhende l'équité en termes de maximisation des effets utiles d'une règle ou d'un acte. L'utilité (le bien-être, la santé, le plaisir, le bonheur) est appréciée au niveau global (*aggregate utility*) comme la somme des expériences utiles individuelles ou, en moyenne, au niveau de l'individu (*average utility*).

Il est toutefois délicat d'appliquer la pensée utilitariste à l'organisation du système de soins et au financement de l'accès aux médicaments onéreux. En effet, avec ce raisonnement, les besoins en soins de santé sont appréciés à partir de leur capacité à maximiser l'utilité globale, c'est-à-dire que l'appréciation se fait au niveau du groupe. Cela peut alors conduire à exclusion, au niveau individuel, l'accès de personnes malades à des médicaments onéreux car l'efficacité du médicament est faible ou son coût particulièrement élevé.

b. Inconvénient d'une approche agrégée de l'utilité

Contrairement à l'approche libertarienne, la pensée utilitariste, en donnant la priorité au groupe sur l'individu, permet une redistribution des ressources socio-économiques. Toutefois, cette amélioration n'est qu'apparente parce qu'en réalité, l'individu est négligé chaque fois que l'utilité totale n'est pas maximisée. Ce qui est utile pour certaines personnes ou un groupe d'individus (comme les nourrissons prématurés, les patients atteints d'Alzheimer, les patients dans un état végétatif permanent, les patients souffrant d'une maladie très rare) ne l'est pas toujours pour le groupe. L'accès à un médicament peut être considérablement réduit si l'utilité globale n'en est pas augmentée.

En raisonnement de manière utilitariste, on peut se demander quel est l'intérêt de la société à soigner des personnes âgées ou des personnes dont la maladie -un cancer par exemple- est très avancée et cette question prend une dimension particulière lorsque le traitement est particulièrement coûteux. Pour répondre à ces questions de manière concrète, il est possible d'évaluer le rapport efficacité/coût d'un traitement avec les QALYs.

c. Les Qaly : évaluation du rapport efficacité/coût d'un traitement

Dans la perspective utilitariste, il est possible d'avoir recours à l'approche par les QALYs pour analyser la rentabilité -comprise comme efficacité en fonction du coût (*cost-effectiveness*)- d'un traitement. Le QALY, 'Quality Adjusted Life Year', est une mesure du nombre d'années de vie gagnées grâce à une intervention et ajustée en fonction de la qualité de vie liée à la santé durant ces années.

Cette mesure permet d'apprécier l'utilité d'un traitement donné et l'opportunité de son remboursement. En effet, l'utilité du traitement -qui correspond à une vie plus longue et plus agréable- peut s'exprimer par l'augmentation moyenne du QALY. Il est alors possible de réaliser une pondération économique de la pertinence et de l'efficacité d'un traitement en calculant le coût par QALY gagné.

En Angleterre et aux Pays de Galles, la méthode des QALYs est utilisée. Ainsi, une valeur seuil y est fixée respectivement à 20 000 et à 30 000 £ par QALY. Par dérogation, il est possible d'admettre un dépassement de ce seuil, par exemple, pour les médicaments orphelins. Cela ressort d'ailleurs des avis des *NICE Citizens' Panels* qui s'étaient interrogés pour savoir ce que la société était disposée à payer afin de permettre l'accès aux médicaments orphelins¹¹.

En Belgique, des efforts sont faits pour rationaliser le processus décisionnel quant aux demandes de remboursement en utilisant des preuves scientifiques, comme l'efficacité clinique réelle. Ce critère est en effet le plus important au sein de la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM) et du Conseil Technique des Implants (CTI). La CRM peut avoir recours également au rapport coût-efficacité mais cela est plutôt rare pour le CTI. Les considérations budgétaires ne sont pas entièrement étrangères mais sont prises en compte à travers l'impact budgétaire plutôt qu'en termes de QALY¹².

Il est important qu'une discussion publique ait lieu quant aux critères dont il faut tenir compte pour prendre les décisions de remboursement des médicaments, y compris ceux très onéreux. L'approche par les QALY pourrait être utilisée mais elle doit être débattue au préalable, en dehors de toute question concrète relative à un médicament ou un patient en particulier. Un tel débat permettrait d'assurer la cohérence des décisions et de définir la place de la justice distributive (en fonction de l'âge, de la gravité de l'affection, de la rareté...) dans ces décisions.

d. Les avantages de l'approche utilitariste

i. L'importance des compromis

Une des caractéristiques de l'utilitarisme est le conséquentialisme, c'est-à-dire que l'appréciation de l'utilité d'une action dépend des conséquences de celle-ci. Aussi, l'utilitarisme a pour avantage de nous pousser à anticiper et à évaluer les conséquences de nos choix. Cela conduit plus particulièrement à faire des compromis, entre équité et efficacité par exemple ou encore entre accès étendu aux soins et financements limités de ceux-ci. Dans le contexte actuel où les ressources financières ne sont pas assez abondantes pour

¹¹ Voir not. Nice Citizen Council Report, *Ultra Orphan Drugs*, novembre 2004.

¹² Voir not. sur le sujet CENTRE FEDERAL D'EXPERTISE DES SOINS DE SANTE, *Valeurs seuils pour le rapport coût-efficacité en soins de santé*, KCE reports 100B, 2008, https://kce.fgov.be/sites/default/files/page_documents/d20081027395.pdf

prendre en charge l'ensemble des besoins, il est indispensable de sélectionner ceux qui sont prioritaires.

ii. La possibilité d'un sauvetage

La pensée utilitariste présente un autre aspect qui est de permettre d'apporter une réponse dans des situations particulières où le choix consiste à limiter les dégâts. En effet, il y a des situations où la prise en compte de la communauté dans son ensemble conduirait à des effets catastrophiques alors qu'il est possible de réduire ces derniers en sacrifiant certains individus. La maximisation de l'utilité passe alors par le sacrifice d'une partie de la communauté au profit du reste de celle-ci. Cela doit être strictement nécessaire à la survie du groupe.

Un exemple est celui d'un radeau de naufragés surchargé qui risque de couler. Afin de sauver la majorité de ceux-ci, il convient d'en abandonner certains dans l'eau. Le sacrifice des uns permet ainsi le sauvetage des autres.

iii. Illustrations

- *Le dilemme du tramway*

Une autre illustration de l'approche utilitaire est donnée par le dilemme du tramway. Il s'agit d'une expérience de pensée qui permet de questionner la pensée utilitariste.

<https://www.youtube.com/watch?v=bOpf6KcWYyw>



Comme le montre la vidéo, il y a deux situations prévues :

- D'abord, le tramway se dirige très vite vers un groupe de 5 personnes. Il est possible de dévier sa route en actionnant un levier qui le conduira ainsi sur

une autre voie où se trouve également une personne. Aussi, actionner le levier permet qu'une seule personne meure au lieu de 5.

♣ Questions - Que feriez-vous et pourquoi ?

- La variante qui suit prévoit que l'arrêt du tramway, qui fonce sur 5 personnes, se fasse en jetant d'un pont un homme obèse. L'action qui permet de sauver la vie de 5 personnes est alors directement responsable de la mort d'un autre.

♣ Que feriez-vous et pourquoi ?

Dans ces deux hypothèses, la pensée utilitariste conduit à justifier à chaque fois l'intervention humaine : il est en effet toujours préférable de sauver 5 personnes en en sacrifiant une seule. Le résultat, à savoir l'utilité globale est plus important que le principe moral de ne pas tuer. Si la plupart d'entre nous comprend et serait d'accord dans le premier cas pour actionner le levier, cela n'est pas le cas dans le second où il faut pousser l'homme sur les voies.

Quelle est la limite de la pensée utilitaire mise en avant à travers cet exemple et comment y remédier ?

- Les voitures autonomes

Cette expérience classique est aujourd'hui renouvelée par l'émergence de voitures sans conducteur. Ces voitures autonomes utilisent l'intelligence artificielle pour faire des choix dans des situations qui peuvent impliquer la vie de personnes humaines.

Un site web a été créé par des étudiants du Massachusetts Institute of Technology (MIT) pour approfondir la discussion sur l'éthique des machines. Il montre des situations présentant des dilemmes moraux dans lesquelles les machines doivent prendre des décisions et permet aux internautes de tester leurs propres choix.

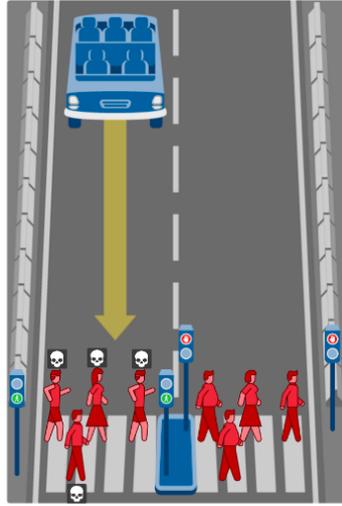
Qu'est-ce-que la voiture autonome devrait faire?

4 / 13

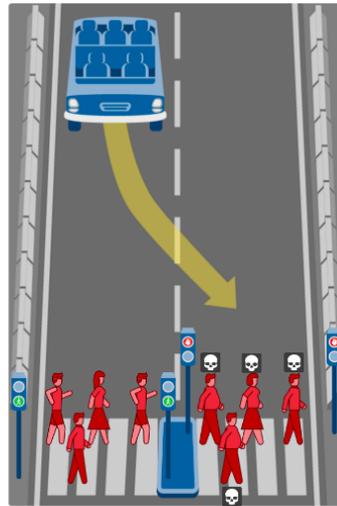
Dans ce cas, la voiture autonome avec défaillance soudaine de freins va continuer vers l'avant et conduire vers un piéton traversant devant. Ceci conduira à la mort de:

- 2 Hommes athlètes
- 1 Femme
- 1 Homme

Notez que les piétons affectés traversaient au feu vert, respectant la loi.



Cacher la description



Cacher la description

Dans ce cas, la voiture autonome avec défaillance soudaine de freins va s'écarter de l'obstacle et conduire vers un piéton traversant l'autre voie. Ceci conduira à la mort de:

- 2 Hommes en surpoids
- 1 Femme en surpoids
- 1 Homme

Notez que les piétons affectés traversaient au feu rouge, bafouant la loi.

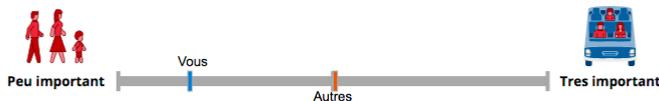
Cliquez ci-dessous pour rejoindre le site internet de <http://moralmachine.mit.edu/hl/fr>.

Les simulations réalisées en ligne (onglet juger) permettent ensuite de définir quels sont les critères de décision utilisés par l'individu, notamment par rapport aux autres utilisateurs du site.

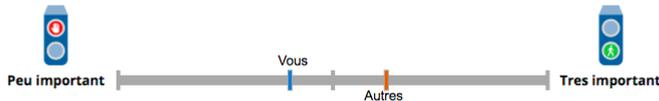
Sauver le plus de vies



Protéger les passagers



Respecter la loi



Les critères qui apparaissent dans la synthèse sont : sauver le plus de vies, protéger les passagers (plutôt que les piétons), respecter la loi (le code de la route), éviter l'intervention (en déviant la voiture de sa route initiale), préférence des sexes (sauver une femme plutôt qu'un homme), préférences sur l'espèce (sauver un humain plutôt qu'un animal), préférence d'âge (sauver

un jeune ou un enfant plutôt qu'une personne âgée), préférences athlétiques (sauver un sportif plutôt qu'une personne obèse) et préférences sociales (sauver une personne diplômée plutôt qu'un délinquant).

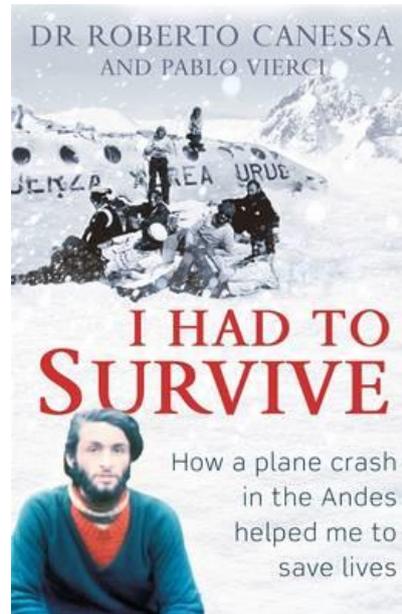
- Le cannibalisme : pas légal ou pas éthique ?

Une autre illustration de la pensée utilitariste peut être donnée par une histoire vraie, qui a fait l'objet d'un livre (Piers Paul Read, *Alive : The Story of the Andes*, 1974) et d'une adaptation cinématographique (voir le film *Les survivants*, 1993).

Le 13 octobre 1972, le vol 571 Fuerza Aérea Uruguaya, qui reliait Montevideo en Uruguay et Santiago au Chili, s'écrase dans la cordillère des Andes, sur un glacier à 3 600 mètres d'altitude. Sur les 45 personnes présentes dans l'avion (passagers et membres de l'équipage), 12 meurent lors du crash et 17 décèdent par la suite, notamment lors d'une avalanche. Pour rester en vie alors que les recherches ont été arrêtées, les survivants décident de manger le corps des personnes mortes qui a été préservé par le froid. Les 16 personnes qui ont survécu sont finalement secourues plus de deux mois après l'accident grâce au périple de deux d'entre eux qui ont donné l'alerte et indiqué leur emplacement. Lorsque le cannibalisme des survivants a été révélé, il a fait l'objet d'une médiatisation importante.

Un des survivants a publié un livre sur le sujet :

Roberto CANESSA, *Je devais survivre*, 2016



Dans une interview donnée au journal Ouest France, il explique que l'épreuve la plus difficile a été le recours au cannibalisme :

« Notre objectif commun était de survivre, mais nous manquions de nourriture. Nous avons depuis longtemps épuisé les maigres rations trouvées dans l'avion et il n'y avait pas de vie végétale ou animale à proximité. Après quelques jours, nous sentions nos propres corps se consumer. Nous avons peur de devenir trop faibles pour nous remettre de la famine. »

« Nous savions ce qu'il fallait faire, mais c'était trop dur à admettre. Les corps de nos amis et coéquipiers, conservés dehors dans la neige et la glace, contenaient les protéines qui pourraient nous aider à survivre. Mais pourrions-nous le faire ? »

« Je suis sorti dans la neige et j'ai prié Dieu pour qu'il m'oriente. Sans son consentement, je sentais que je devrais violer la mémoire de mes amis ; que je risquais de voler leurs âmes. Nous nous sommes demandés si nous étions en train de nous transformer en bêtes sauvages. En vérité, nous étions en train de repousser les limites de notre peur. »

Source : Cédric Rousseau, « 44 ans après le crash, un survivant raconte l'horreur », publié le vendredi 26 Février 2016 sur ouest-france.fr

♣ **Question - Était-il légitime de manger le corps des autres passagers pour survivre et ainsi augmenter l'utilité générale alors que le cannibalisme est interdit par la loi et moralement réprimé ?**

- *Poule mouillée (chicken game)*

La théorie des jeux permet de mieux comprendre les comportements humains, individuels et en groupe.

Dans l'exemple de la poule mouillée, deux automobilistes se font face sur une route à une seule voie : les deux se foncent ainsi dessus et le jeu consiste à tenir le plus longtemps possible sur la route. Il suffit qu'un seul des deux automobilistes se détourne pour éviter de percuter l'autre automobiliste pour que les deux évitent la collision : celui qui prend cette initiative a toutefois perdu (la poule mouillée) alors que celui qui ne dévie pas de sa trajectoire bénéficie de la situation.

Il s'agit du plus célèbre des jeux à somme non nulle, c'est-à-dire que la somme des gains des joueurs n'est pas la même. En effet, la coopération des deux est profitable aux deux et surtout la non-coopération, c'est-à-dire la trahison de l'un est, elle aussi, profitable aux deux ! En outre, celui qui a choisi l'attitude de coopération (en déviant de sa trajectoire) peut reconnaître comme légitime l'attitude de non-coopération de l'autre automobiliste.

♣ **Question - Au regard de l'article suivant, quelle pourrait être l'application de l'exemple de la poule mouillée à la problématique de l'accès aux médicaments onéreux ?**

Ne serait-il pas possible d'imaginer que les deux automobilistes qui s'affrontent sont d'une part les autorités qui négocient le prix du médicament et d'autre part les firmes pharmaceutiques ?

Ce mardi, la ministre de la Santé Laurette Onkelinx (PS) a annoncé un accord avec la firme pharmaceutique Alexion pour le remboursement du Soliris, utilisé comme traitement du syndrome hémolytique et urémique atypique. C'est ce médicament - très coûteux - que doivent prendre Viktor, Antoine et une vingtaine d'autres enfants et adultes en Belgique.

(...)

Si les modalités de l'accord - « concernant des secrets commerciaux » - restent confidentielles, le communiqué précise que la procédure de remboursement entrera en application le 1er juillet 2013 et que, « dans l'intervalle, tenant compte de la nécessité pour les patients d'avoir accès à Soliris (...), il a également été convenu que tous les nouveaux traitements éventuels seront

gracieusement pris en charge par la firme Alexion ».

Les parents de Viktor satisfaits

Interrogés par l'agence Belga, les parents du petit Viktor se sont dit satisfaits qu'une solution ait pu être trouvée pour le remboursement du Soliris. «Nous sommes très heureux», a réagi le père du petit Viktor, Geert Ameys. Les parents espèrent désormais que l'attention médiatique autour de leur fils va retomber. «Après des semaines d'incertitude, nous pouvons enfin reprendre le cours de notre vie.»

Une médiatisation orchestrée par la firme ?

Cet accord tombe alors que, depuis ce week-end, Alexion est mis en cause par les médias. Cette firme qui produit le Soliris a-t-elle orchestré la médiatisation de patients belges et de leurs parents, via la société de relations publiques G+ Europe, afin de faire pression sur les pouvoirs publics pour qu'ils remboursent le médicament au coût astronomique de 400 à 500.000 euros par an? En tout cas, Geert Ameys, le père de Viktor, confirme : «À aucun moment cette entreprise (G+ Europe) ne nous a indiqué qu'elle travaillait pour Alexion. Cette méthode n'est pas correcte ». « Ceci dit », a-t-il ajouté, « notre but est le même: sauver Viktor. Et c'est tout ce qui compte.»

Source : Gil DURAND, Frédéric SOUMOIS et Violaine JADOUL, « Le Soliris, qui permet de soigner le petit Viktor, sera remboursé dès juillet », Mis en ligne mardi 7 mai 2013, 11h46, sur www.lesoir.be/

- Dilemme du prisonnier

Le dilemme théorique du prisonnier est un autre exemple de jeu à somme non nulle, qui permet d'illustrer, grâce à la théorie des jeux, les difficultés posées par la coopération.

Un crime grave a été commis : deux hommes sont arrêtés car ils sont suspects mais il n'y a aucune preuve contre eux. Ils sont emprisonnés séparément sans possibilité de communiquer. Plusieurs possibilités s'offrent à eux :

1. Si aucun des deux ne parle, ils seront condamnés chacun à une amende.
2. Si l'un avoue et l'autre se tait, celui qui a avoué sera libéré tandis que son complice sera condamné à 10 ans de prison.
3. Si les deux avouent leur crime, ils sont condamnés à cinq ans de prison chacun.

La meilleure option est qu'aucun ne parle (coopération), mais chacun des deux suspects peut penser tirer un avantage individuel en avouant. Mais si les deux parlent, ils en retirent un profit limité...

Toutefois, en raisonnant en termes individuels, il est toujours avantageux de

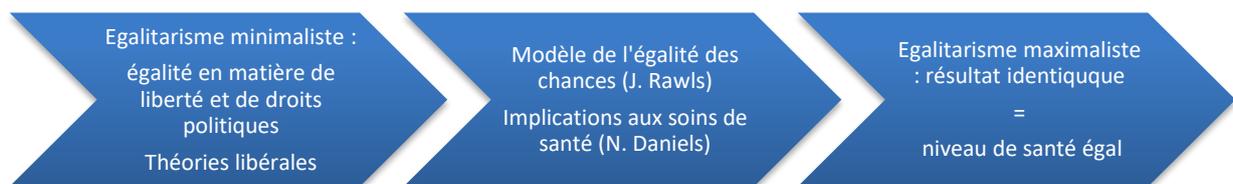
trahir l'autre dans le jeu du prisonnier. En effet, dans l'hypothèse où l'autre se tait : si je me tais, je suis condamné à une amende et si je dénonce, je serai libéré. Dans l'hypothèse où l'autre me dénonce : si je me tais, je suis condamné à 10 ans de prison et si je dénonce, je suis condamné à 5 ans de prison. Dans les deux hypothèses, j'ai intérêt à dénoncer l'autre personne.

♣ **Question - Comment pourrait-on appliquer le dilemme du prisonnier en matière de financement des médicaments onéreux (coopération entre les entreprises pharmaceutiques et les autorités nationales) ?**

C. L'égalitarisme (J. Rawls, N. Daniels, R. Dworkin)

Au contraire du libéralisme classique qui prend la liberté pour point de départ, l'égalitarisme se concentre sur la notion d'égalité : il y a alors plusieurs manières de considérer l'égalité (voir figure 6).

Figure 6 - Les théories égalitaristes



a. Le voile d'ignorance comme expérience pour penser une société juste

Dans son ouvrage majeur de philosophie politique, Théorie de la justice, John Rawls utilise une expérience de pensée, c'est-à-dire une situation théorique dite du « voile d'ignorance » pour fonder une société juste.

Il s'agit en effet de penser la situation où des personnes raisonnables décident ensemble de définir les principes qui gouverneront la société qu'ils vont fonder : comment s'assurer que la justice sociale et économique soit garantie dans cette société ?

Pour répondre à cette problématique, il faut, selon Rawls, que les personnes ignorent leur situation future dans la société (riche ou pauvre)(= position originelle). En effet, ils feront alors en sorte que les plus pauvres se retrouvent dans une situation acceptable. Ce voile d'ignorance/originel permet ainsi de faire abstraction de la situation actuelle, de ses idées et de ses propres intérêts dans le système actuel.

b. Le modèle de l'égalité des chances dans la gamme normale d'opportunités

L'égalitarisme de John Rawls met l'accent sur la procédure, à travers le concept de liberté positive. Concrètement, cela signifie que tout le monde devrait avoir la possibilité de réaliser leur choix de vie, de se développer personnellement et d'avoir en somme une chance équitable dans l'éventail normal des opportunités de la société. Pour cela, il faut que les institutions distribuent équitablement les opportunités et les moyens, indépendamment des résultats.

Appliqué aux questions de santé, cela signifierait que les institutions sociales doivent intervenir pour compenser les entraves de la maladie ou du handicap. Il faudrait également que les personnes malades puissent avoir accès aux soins dont elles ont besoin. Cet égal accès aux soins ne permet pas à toutes les personnes d'accéder à un traitement, ni à un résultat positif. La question du coût du traitement n'est pas résolue.



c. Une limitation de l'accès aux soins de base ?

La pensée égalitariste définit une société juste lorsqu'elle permet un accès égal pour les personnes ayant des besoins de santé similaires et un accès inégal lorsque les personnes ont des besoins de soins de santé différents. Autrement dit, il existe un accès prioritaire des personnes qui présentent les plus gros besoins. Néanmoins, cela peut conduire à la mise en place d'une médecine à deux vitesses, avec d'un côté le socle de base de soins de santé fondé sur les besoins et accessible à tous et un niveau supérieur de soins de santé fondé sur la capacité financière individuelle ou l'assurabilité privée du risque.

Cette distinction peut par exemple être appliquée selon le degré d'acceptabilité des soins de santé : alors qu'il ne fait pas de doute que le traitement contre le cancer doit être pris en charge, d'autres soins ou usages médicaux peuvent paraître plus discutables, comme la réalisation de séances de méditation ou encore la conservation « sociétale » des ovocytes.¹³

Quels sont les soins auxquels toutes les personnes doivent pouvoir accéder ?

Par ailleurs, d'autres facteurs sociaux ont une influence déterminante sur la santé des personnes, comme le logement, la nutrition... Quel est le degré de redistribution nécessaire pour que le système soit équitable ? Quelle est la limite de la redistribution ?

d. Le modèle procédural de Daniels

Norman Daniels, professeur d'éthique et de santé des populations à l'Université de Harvard, développe un modèle formel pour étendre la théorie de la justice à la santé et aux soins de santé et répondre à la question suivante :

Comment pouvons-nous répondre aux besoins de santé de manière juste quand nous ne pouvons pas tous les satisfaire ?

« Quelle priorité devrions-nous donner à ceux qui sont les plus désavantagés ? Leur donner une priorité absolue crée un puits sans fond et cela ne semble pas raisonnable. Ne pas les privilégier du tout semble injuste. Il n'y a pas de principe permettant de décrire des positions intermédiaires que la plupart des gens adopteraient ».

Source : Daniels NORMAN, « L'extension de la justice comme équité à la santé et aux soins de santé », *Raisons politiques*, 2/2009 (n° 34), pp. 9-29.

Pour répondre à cette problématique, Norman Daniels a identifié quatre conditions :

« 1. *Condition de publicité* : Les décisions concernant les limites à la fois directes et indirectes à la satisfaction des besoins de santé et leurs raisons doivent avoir un caractère public.

2. *Condition de pertinence* : les raisons posées en faveur de ces limites viseront à apporter une explication *raisonnable* sur la manière dont l'organisation cherche à garantir « un bon rapport qualité/prix » en satisfaisant les divers besoins de santé d'une population donnée avec des ressources raisonnablement limitées. Plus précisément, une raison sera « raisonnable » si

¹³ Pour la conservation des ovocytes pour des raisons sociétales : voir les avis n° 57 et 68 du Comité consultatif de Bioéthique (www.health.belgium.be/bioeth).

elle s'appuie sur des données, des raisons et des principes acceptés comme pertinents par des gens disposés à trouver des termes de coopération mutuellement justifiables. Si possible, la pertinence des raisons sera examinée par les parties prenantes, obligation plus facilement mise en œuvre dans les institutions publiques que privées.

3. *Condition d'appel et de révision* : Il doit y avoir des mécanismes permettant de débattre et de critiquer les résolutions prises sur les limites posées et, plus généralement, des opportunités de révision et d'amélioration des politiques à la lumière de nouveaux faits ou arguments.

4. *Condition régulatrice* : Il doit y avoir une régulation, soit volontaire soit publique, du processus visant à assurer que les conditions 1-3 sont remplies ».

Source : Norman DANIELS, « L'extension de la justice comme équité à la santé et aux soins de santé », *Raisons politiques*, 2/2009 (n° 34), pp. 9-29.

e. Le modèle de l'assurance prudente (Dworkin)

Dans sa théorie, Norman Daniels donne les lignes directrices pour déterminer des limites aux dépenses de santé et les grandes lignes concernant les soins de base. Toutefois, il s'agit uniquement d'éléments procéduraux et formels et aucun élément n'est précisé à propos du contenu. Ronald Dworkin, philosophe américain, apporte sur cette question une réponse en proposant de rationner les dépenses de santé toute en respectant l'égalité morale des individus, à travers le « *prudent insurance test* » (PIT).

Le PIT permet de déterminer combien nous sommes prêts à investir dans les soins de santé (en plus des politiques d'investissement dans d'autres secteurs tels que le logement, l'environnement, lutte contre la pauvreté, l'éducation, etc.). Il s'agit donc de définir l'investissement financier global. Selon le « *prudent insurance test* » (PIT), la structure d'un plan d'assurance santé national devrait être dérivée de l'ensemble des assurances santé que les individus achèteraient, s'ils avaient tous un accès égal à l'assurance privée.

Après avoir répondu à la question **combien**, il s'agit de répondre à la question à **quoi** consacrer le budget des soins de santé. Autrement dit, il faut ensuite déterminer de quelle manière le budget global de santé doit être réparti entre les trois piliers : la prévention, le traitement et les soins.

Le test repose sur plusieurs idées :

1. Chaque individu dans la situation idéale court le même risque de tomber malade ou d'être invalide, sans pour autant savoir si il sera éventuellement malade ou invalide, ni quand, il le sera ;
2. Il existe un marché de l'assurance qui serait complètement libre avec une certaine transparence sur les données afférentes aux différents traitements, notamment leurs rapports coûts-efficacité respectifs ;

3. Tout le monde va s'assurer dans cette situation « de façon raisonnable ».

De cette façon, l'expérience d'assurance hypothétique permet de définir la couverture idéale qui est déterminée en fonction des préférences moyennes de chaque personne qui s'est assurée.

La pensée de Dworkin suppose que la maladie est un état temporaire et que par la suite, la personne peut à nouveau contribuer au financement, à travers ses impôts. Une des critiques qui peut alors être adressée à Dworkin est de ne pas nécessairement s'appliquer suffisamment bien aux soins de santé. En effet, une part importante des dépenses de santé présente un rapport coût-efficacité nul ou à peine positif alors que rationnellement, ces dépenses sont exclues *a priori* par les individus lorsqu'ils souscrivent une assurance... Par exemple, les médicaments orphelins, pour lesquels le nombre réduit de patients ne permet pas toujours de prouver leur efficacité, seraient exclus du budget global en application de la pensée de Dworkin.

Un auteur résume ainsi cette critique : « ce n'est pas parce que le cumul des préférences individuelles produit une distribution de couvertures assurantielles justes dans la situation idéale qu'en retour, la couverture idéale moyenne, comme critère collectif, sera juste pour les individus réels »¹⁴.

D. L'approche par les capacités (M. Nussbaum, A. Sen) (*capabilities approach*)

Martha Nussbaum est une philosophe américaine qui a développé une contre-théorie qui critique le fait que ce soit la richesse qui mesure de la qualité de vie. Il lui paraît en effet plus pertinent d'avoir une approche par les capacités, c'est-à-dire de se demander « Qu'est-ce que cette personne est capable de faire et d'être ? ». Chaque personne dispose alors de capacités -entendues comme des possibilités ou encore des libertés de choisir et d'agir- internes (ses caractéristiques) et externes (conditions sociales, politiques et économiques). Nussbaum précise le contenu de cette théorie par une liste de capacités. Il existe une liste de dix capacités essentielles, liste qui équivaut aux 10 questions suivantes : (1) Les personnes peuvent-elles survivre? (2) Peuvent-elles mener une existence saine sur le plan physique avec suffisamment de nourriture et un logement solide? (3) Sont-elles libérées d'une atteinte à leur intégrité physique? (4) Peuvent-elles élargir leurs horizons en utilisant leurs sens, en s'imaginant des choses et en réfléchissant et peuvent-elles le faire dans une atmosphère de liberté de religion et d'expression? (5) Peuvent-elles

¹⁴ Pascal SOLIGNAC, « [L'injustice inhérente à la maladie. Assurance et prix de la santé chez R. Dworkin](#) », Revue Ithaque, N°1, Automne 2007, p. 136

se développer au niveau émotionnel et nouer des liens avec d'autres personnes? (6) Sont-elles en mesure de se faire une opinion de ce qui est «bien» et de s'engager dans une réflexion critique sur la planification de leur vie? (7) Sont-elles en mesure de vivre avec d'autres dans une atmosphère d'engagement envers l'autre et avec le respect nécessaire de sa propre personne? (8) Peuvent-elles vivre en accordant de l'attention aux animaux, aux végétaux et à la nature? (9) Peuvent-elles jouer et profiter de la détente? Et enfin, (10) les personnes peuvent-elles s'organiser et ont-elles la possibilité de participer pleinement sur le plan tant politique qu'économique?

Ces questions forment pour Nussbaum la pierre de touche d'une existence conforme à la dignité humaine et pour être équitable, une société doit consacrer des moyens suffisants pour rendre les 'capabilités' accessibles à chaque citoyen.

Une des principales critiques qui peut être adressée à cette théorie est de ne pas limiter les dépenses de santé, ni de définir concrètement la manière de les optimiser. Cette théorie bien que très intéressante reste très vague en termes de décisions concrètes.

♣ **Question - Avec l'approche par les capacités, quel serait le sort des maladies orphelines ou chroniques ?**

E. L'approche communautariste (C. Taylor)

a. Le droit des communautés (minoritaires)

Le communautarisme est une doctrine politique critique à l'égard des principes du libéralisme. Le philosophe canadien Charles Taylor dénonce ainsi le fait que l'universalité de l'approche libérale ne permet pas de reconnaître les identités particulières de certains groupes comme expression d'une forme culturelle spécifique. L'approche communautariste vise alors à penser l'attribution à certains groupes, définis par des critères socioculturels, des droits particuliers. Cela répond à une exigence de reconnaissance morale et juridique des communautés, qui serait une violence politique inavouée du système libéral.

b. L'exemple des refus des transfusions sanguines par les Témoins de Jéhovah

Une illustration concrète de cette théorie peut être donnée avec l'exemple le refus de la transfusion sanguine des Témoins de Jéhovah. Le Comité consultatif de bioéthique de Belgique s'est d'ailleurs prononcé dans son avis n°16 sur cette question : comment un médecin doit-il réagir face au refus de la transmission sanguine d'un témoin de Jéhovah qui met sa vie en danger ?

En raison de leur foi, les Témoins de Jéhovah refusent la transfusion sanguine

car ils ne peuvent pas se permettre un mélange de sang. Le médecin doit-il respecter leur refus ? Jusqu'où va le droit à l'autodétermination ?

Le droit peut connaître des limites, notamment lorsque le refus de transfusion sanguine cause des dommages à d'autres personnes, à des tiers. Qu'en est-il lorsque le refus émane de parents dont l'enfant, s'il ne reçoit pas de transfusion sanguine, va décéder ? Ou lorsque le patient est incapable d'exprimer sa volonté ?

Quels sont en outre les critères formels qui permettent aux médecins de s'assurer que la volonté exprimée par la personne est libre et éclairée ?

Voir sur cette question, l'avis n°16 du 25 mars 2002 relatif au refus de transfusion sanguine par les Témoins de Jéhovah (www.health.belgium.be/bioeth).

2. Les critères d'évaluation

À partir des différentes théories de la justice et au regard des problématiques éthiques posées par la question de l'accès aux médicaments onéreux, le Comité a retenu six critères formels (A) et quatre critères relatifs au contenu (B) pour prendre une décision justifiée sur cette question.

A. Les critères formels

Les critères formels sont :

- collectivité du processus de décision avec le recours à des experts ;
- motifs de la décision acceptables car raisonnables et impartiaux ;
- pertinence des motifs et des procédures adoptées ;
- transparence des décisions, motifs et procédures (de chaque partie prenante) ;
- possibilité de recours à l'encontre de la décision ;
- force contraignante des critères.

B. Les critères en termes de contenu

Les critères relatifs au contenu sont :

- la prise en compte de l'équité et sa perception en fonction des acteurs et de leurs intérêts ;
- la prise en compte des éléments de preuve et de leur solidité ;
- la prise en compte du coût du traitement ;
- une mise en perspective du traitement au regard de son importance ou de sa valeur ajoutée pour un patient donné.
