

## Chapitre 6

# Optimiser les dépenses de médicaments

*Les politiques pharmaceutiques des pays de l'OCDE sont généralement centrées sur trois grands objectifs : favoriser l'accès des patients à des médicaments d'un coût abordable, contenir la progression des dépenses publiques et mettre en place des incitations destinées à l'innovation future. Ce chapitre présente un bref aperçu des politiques actuelles de fixation des prix et de remboursement des produits pharmaceutiques dans les pays de l'OCDE, ainsi que des mesures à court terme adoptées face à la crise économique. Il met ensuite l'accent sur deux aspects importants : les décisions de couverture des nouveaux produits au coût élevé et/ou aux bénéfices incertains, et le développement des marchés des produits génériques.*

## 1. Introduction

Dans leurs politiques pharmaceutiques, les pays de l'OCDE s'efforcent de trouver un équilibre entre trois grands objectifs : favoriser l'accès des patients à des médicaments d'un coût abordable, contenir la progression des dépenses publiques et mettre en place des incitations aux fins de l'innovation future.

Les pays ont adopté des approches différentes pour concilier ces objectifs en fonction de l'organisation générale de leurs systèmes de santé. Dans la grande majorité des pays de l'OCDE, la couverture des médicaments est réglementée à l'échelon central de façon à offrir à la population un ensemble de prestations standardisées, comme pour les autres prestations de santé. Les prix (ou les prix remboursés) des produits pharmaceutiques couverts par le système public sont aussi réglementés. Dans d'autres pays, les assureurs privés ou publics définissent les conditions de prise en charge des médicaments pour leurs assurés, dans un environnement plus ou moins réglementé. Dans tous les cas, les organismes payeurs doivent décider quels sont les médicaments qui seront couverts et à quel prix (pour l'assureur et pour le patient).

Pour encourager l'innovation dans le secteur pharmaceutique, les pays ont recours à toute une série de mesures, comme les investissements publics dans la recherche fondamentale, l'octroi de crédits d'impôt pour les dépenses privées de R-D, l'éducation et la formation d'une main-d'œuvre hautement qualifiée et la protection des droits de propriété intellectuelle. Comme il est souligné dans la stratégie de l'OCDE pour l'innovation (OCDE, 2010b), les pays pourraient faire plus pour renforcer l'innovation, qui est un facteur essentiel contribuant à la croissance économique et au bien-être des sociétés. Cependant, les politiques en matière d'innovation proprement dites ne sont pas abordées dans ce chapitre, qui traite principalement des politiques en matière de prix et de remboursement.

Le principal objectif de ce chapitre est de décrire l'évolution récente des politiques pharmaceutiques. La première section présente des données actualisées sur les dépenses de médicaments et les sources de financement. La deuxième section décrit brièvement les politiques de fixation des prix et de remboursement des médicaments dans les pays de l'OCDE. La troisième section examine les expériences récentes d'accords innovants sur les prix et la dernière section présente des initiatives publiques récentes visant à obtenir une meilleure efficacité des sommes dépensées sur le marché des produits hors brevet.

## 2. Les dépenses pharmaceutiques dans les pays de l'OCDE

Les dépenses pharmaceutiques<sup>1</sup> représentent 17% de l'ensemble des dépenses de santé et, en moyenne, 1,5 % du PIB des pays de l'OCDE (graphique 6.1). Toutefois, on observe une forte dispersion autour de ces moyennes : les dépenses pharmaceutiques représentent seulement 8 % du total des dépenses de santé en Norvège, alors qu'elles absorbent 32% des dépenses de santé en Hongrie et plus de 25% en Turquie, en République slovaque et au Mexique. Le montant des dépenses par habitant (en USD PPA) s'échelonne entre 132 au Chili et 897 aux États-Unis, reflétant en cela les différences importantes qui existent entre pays en termes de volume et de prix des médicaments (graphique 6.2).

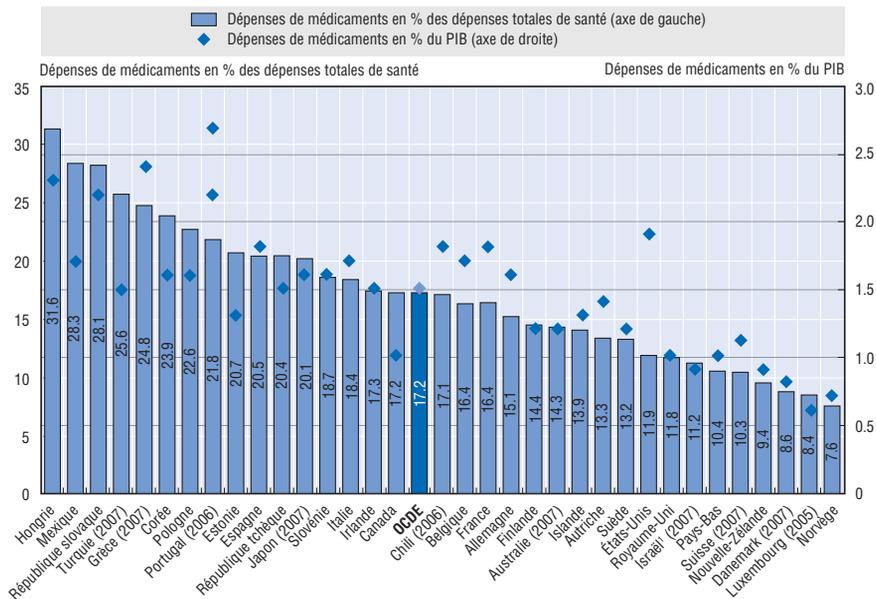
Les dépenses de médicaments dans le secteur ambulatoire sont financées principalement par les régimes publics dans tous les pays sauf sept (Italie, Islande, Estonie, Canada, Pologne, États-Unis et Mexique). Les financements publics se montent à plus des trois quarts des dépenses de médicaments dans un petit nombre de pays : Allemagne, Grèce, Pays-Bas, Royaume-Uni et Luxembourg (voir graphique 6.3). Les assurances privées jouent un rôle important dans le financement des médicaments aux États-Unis (37 %), au Canada (30 %), en Slovénie (26 %) et en France (17 %), par le biais de mécanismes différents toutefois. Aux États-Unis et au Canada, l'assurance privée offre une couverture primaire pour les médicaments à une proportion significative de la population (voir encadré 6.2), tandis qu'en France, elle ne couvre que le ticket modérateur à payer après prise en charge par l'assurance sociale maladie.

Dans le passé, les dépenses de médicaments progressaient à un rythme plus rapide que les dépenses totales en santé des pays développés. Cette tendance s'est aujourd'hui inversée : entre 2003 et 2008, les dépenses de médicaments réelles ont augmenté, en moyenne, de 3.1 % par an dans les pays de l'OCDE, alors que les dépenses totales en santé se sont accrues de 4.5 % (voir graphique 6.4). Pendant cette période, la croissance des dépenses de médicaments n'a dépassé celle des dépenses totales en santé que dans neuf pays de l'OCDE : la Grèce, l'Irlande, le Mexique, le Japon, l'Australie, le Portugal et l'Allemagne. En Norvège, au Luxembourg, en Italie et au Chili, la croissance réelle des dépenses de médicaments a même été négative.

La crise qui a frappé l'économie mondiale en 2008 affecte d'ores et déjà le marché pharmaceutique. Les données IMS sur l'évolution du marché trimestre par trimestre, suivie du premier trimestre 2008 au quatrième trimestre 2009 pour l'Organisation mondiale de la santé<sup>2</sup>, font apparaître une baisse significative de la consommation (de l'ordre de 12 % à 25 %) pendant au moins un trimestre (en comparaison avec le trimestre correspondant de l'année précédente) dans plusieurs pays : en République tchèque, en Estonie, en Slovénie et dans le cadre des programmes publics en Russie. Cependant, la baisse de la consommation ne peut pas être imputée sans aucun doute possible à la crise. En République tchèque, par exemple, la baisse résulte probablement de réformes qui ont précédé la récession.

Certains gouvernements, confrontés à de fortes contraintes budgétaires, ont adopté en 2009 ou 2010 des mesures vigoureuses pour réduire la progression des dépenses de médicaments. En Irlande et en Grèce, par exemple, où les dépenses de médicaments augmentaient à un rythme très rapide, les gouvernements ont appliqué des mesures d'urgence – principalement de fortes réductions des prix – et ont annoncé la mise en œuvre de politiques plus structurelles (voir encadré 6.1). Dans d'autres pays, comme la France, l'Allemagne ou le Royaume-Uni, les réductions de prix ou les rabais sur les médicaments ont souvent été utilisés comme variables d'ajustement pour contenir la progression des dépenses de santé (France), combler les déficits de l'assurance maladie (Allemagne) ou plafonner les profits des sociétés pharmaceutiques sur les ventes au National Health service (Royaume-Uni).

**Graphique 6.1. Dépenses de médicaments en 2008 en proportion des dépenses totales de santé et du PIB, 2008**

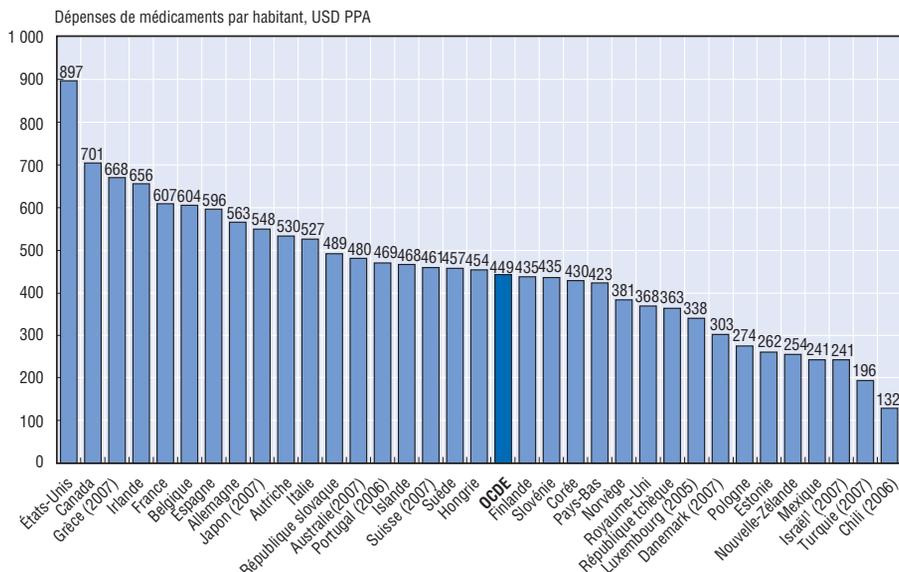


1. Les données statistiques concernant Israël sont fournies par et sous la responsabilité des autorités israéliennes compétentes. L'utilisation de ces données par l'OCDE est sans préjudice du statut des hauteurs du Golan, de Jérusalem Est et des colonies de peuplement israéliennes en Cisjordanie aux termes du droit international.

Source : OCDE (2010a), base de données OMS-CNS et estimations du Secrétariat.

StatLink <http://dx.doi.org/10.1787/888932331733>

**Graphique 6.2. Dépenses de médicaments par habitant, 2008**

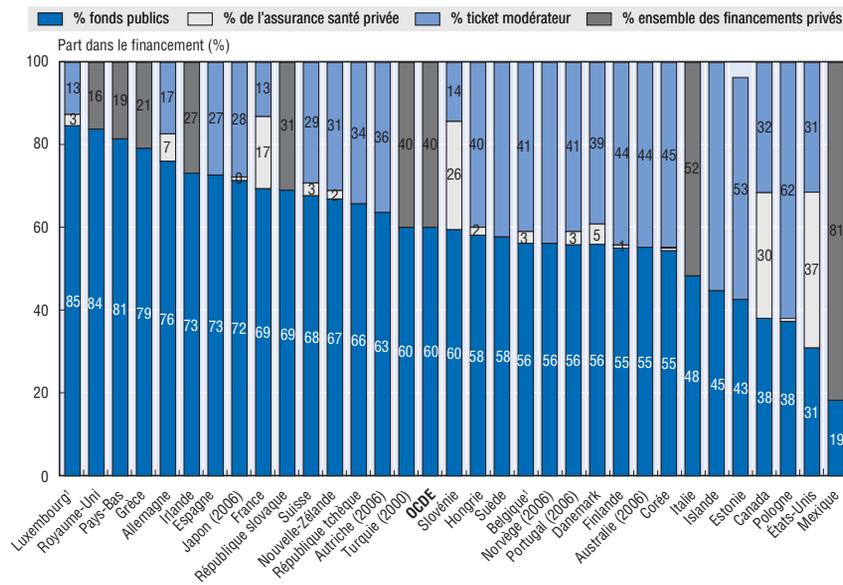


1. Les données statistiques concernant Israël sont fournies par et sous la responsabilité des autorités israéliennes compétentes. L'utilisation de ces données par l'OCDE est sans préjudice du statut des hauteurs du Golan, de Jérusalem Est et des colonies de peuplement israéliennes en Cisjordanie aux termes du droit international.

Source : OCDE (2010a), base de données OMS-CNS et estimations du Secrétariat.

StatLink <http://dx.doi.org/10.1787/888932331752>

**Graphique 6.3. Dépenses de médicaments par source de financement, 2007**



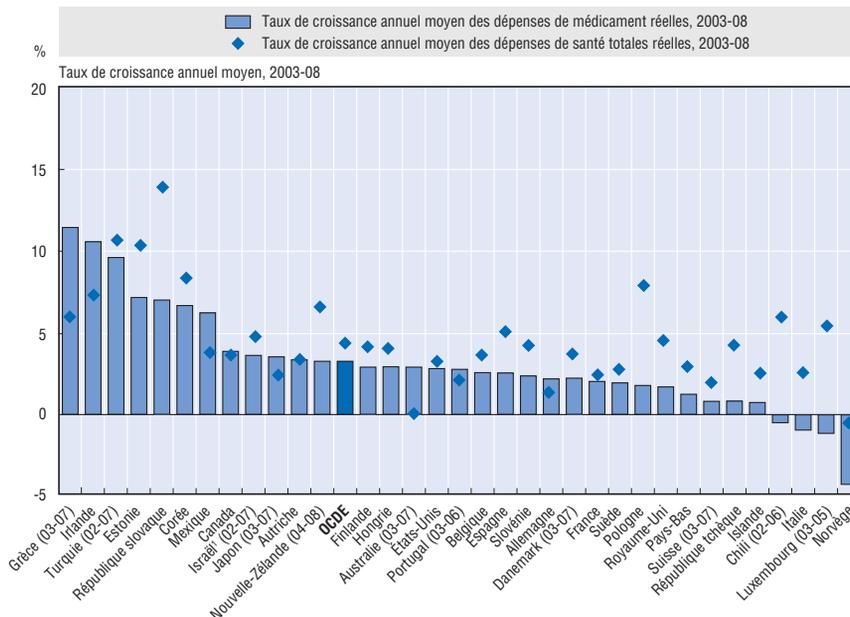
Note : En Estonie, 4 % des dépenses de médicaments sont financés par des sociétés du secteur privé (autres que l'assurance santé).

1. Le Luxembourg et la Belgique n'ont fourni aucune estimation pour les médicaments en vente libre – autrement dit les chiffres concernent uniquement les médicaments de prescription.

Source : *Système des comptes de la santé 2009*, OCDE (2010a) et estimations du Secrétariat.

StatLink <http://dx.doi.org/10.1787/888932331771>

**Graphique 6.4. Croissance des dépenses de médicaments, 2003 à 2008**



1. Les données statistiques concernant Israël sont fournies par et sous l'autorité des autorités israéliennes compétentes. L'utilisation de ces données par l'OCDE est sans préjudice du statut des hauteurs du Golan, de Jérusalem Est et des colonies de peuplement israéliennes en Cisjordanie aux termes du droit international.

Source : OCDE (2010a), base de données OMS-CNS et estimations du Secrétariat.

StatLink <http://dx.doi.org/10.1787/888932331790>

D'un autre côté, certains pays ont réagi à la crise en prenant des mesures pour assurer l'accès aux soins de santé et aux médicaments. L'Autriche, par exemple, a ramené de 20 à 10% le taux de la TVA sur les produits pharmaceutiques et l'Italie a décidé de distribuer des bons d'aide sociale aux personnes vulnérables (40 EUR par mois) pour l'achat de biens de première nécessité ou de médicaments (Conseil de l'Union européenne, 2009).

### Encadré 6.1. Exemples d'évolutions récentes des politiques de prix des médicaments

En **Allemagne**, le ministre de la Santé a annoncé en avril 2010 un ensemble de mesures à court terme et structurelles. Les rabais consentis par les fabricants sur les prix pharmaceutiques (pour les médicaments ne faisant pas l'objet de prix de référence) ont été relevés de 6 % à 16 % et les prix ont été gelés jusqu'en décembre 2013. À partir de 2011, les sociétés pharmaceutiques seront tenues de fournir des informations à la Fédération conjointe des médecins et des fonds d'assurance maladie (GBA) sur les bénéfices thérapeutiques des nouveaux médicaments, en les comparant aux produits concurrents existants. La GBA évaluera le produit, avec l'aide de l'Institut pour la qualité et l'efficacité des soins de santé (IQWiG) si nécessaire. Si le produit n'a pas de valeur thérapeutique ajoutée, il sera classé dans un groupe de médicaments soumis aux prix de référence. S'il en a une, le fabricant sera invité à négocier un rabais avec l'organisme de tutelle des fonds d'assurance maladie. Si les deux parties ne trouvent pas d'accord, une autorité centrale fixera la remise, en recourant au *benchmarking* international des prix. Les fonds d'assurance santé sont autorisés à négocier d'autres rabais avec le fabricant, individuellement ou de façon groupée.

En **Espagne**, le gouvernement a proposé deux modifications de la Loi sur la garantie médicaments (Loi 29/2006) de manière à modifier le prix des médicaments. En premier lieu, le prix des médicaments génériques sera réduit de 25 %. En second lieu, une remise générale de 7.5 % est applicable depuis juillet 2010 à tous les médicaments prescrits par les médecins du Service national de santé et à tous les produits pharmaceutiques achetés par les hôpitaux du Service.

Aux **États-Unis**, la réforme de la santé a abouti à l'introduction de plusieurs mesures destinées à étendre la couverture des médicaments et à contenir les dépenses connexes. Une série de mesures vise à éliminer progressivement le défaut de couverture<sup>1</sup> pour les adhérents au plan de couverture des médicaments de Medicare (Partie D) en instituant des prestations standard d'ici à 2020. Depuis janvier 2010, les bénéficiaires en « défaut de couverture » (c'est-à-dire devant payer l'intégralité des coûts de leurs médicaments) ont droit à une réduction de 250 USD de la part de leur assureur et, à partir de juillet 2010, ils devraient bénéficier de remises obligatoires de 50 % sur les coûts de leurs médicaments de la part des fabricants qui veulent que leurs produits figurent sur la liste des médicaments couverts par la Partie D de Medicare. Le taux de remise sur les médicaments pour Medicaid a été porté à 23.1 % du prix fabricant moyen pour les médicaments de marque, à 17.1 % pour les agents coagulants et les médicaments approuvés exclusivement pour usage pédiatrique et à 13 % pour les médicaments multisource non innovants. La réforme impose également aux fabricants et importateurs de médicaments de marque le paiement d'une redevance annuelle. Le montant de cette redevance a été fixé à 2.5 milliards USD pour 2010 et il est réparti entre les sociétés en fonction de leur volume de ventes. Il doit atteindre 4.1 milliards USD en 2018, puis décroître ensuite.

En **Grèce**, les prix des médicaments ont été abaissés en mars 2010, dans une fourchette de 3 à 27 %, en fonction de leur prix initial. Indépendamment de cette mesure d'urgence, la Grèce revoit sa politique de remboursement et de fixation des prix : une liste positive a été établie ; les trois prix les plus bas dans l'Union européenne serviront de référence pour établir le prix lors de l'entrée sur le marché ; on recourra à la « fixation dynamique des prix » après l'entrée sur le marché (une augmentation annuelle des ventes supérieure à 5 % entraînera une baisse des prix de 2.5 %) ; et un modèle de prix dégressif sera utilisé pour fixer le prix des médicaments génériques.

En **Irlande**, le gouvernement et l'Association irlandaise représentant l'industrie pharmaceutique (entreprises internationales investissant en R-D) sont convenus de baisses de prix de 40 % sur près de 300 médicaments largement prescrits ainsi que d'une augmentation de la remise annuelle consentie par les fabricants au Health Service Executive sur les ventes au secteur public (de 3.53 à 4 %, et davantage pour une commande plus importante). Le gouvernement a décidé d'introduire une franchise (0.50 EUR par prescription, plafonnée à 10 EUR

par mois et par famille) ; il a annoncé l'adoption de prix de référence (montants des remboursements maximum pour des groupes de produits) et le droit pour les pharmaciens de remplacer les produits prescrits par des produits moins chers mais équivalents lorsque possible.

En **République tchèque**, les prix et les remboursements ont été réduits de 7 % en 2009 pour tous les médicaments non affectés par les révisions intervenues en 2008.

Au **Royaume-Uni**, le nouveau Pharmaceutical Pricing Regulation Scheme (PPRS) signé en décembre 2008 pour cinq ans vise à introduire un mode de fixation des prix en fonction de la valeur pour les médicaments achetés par le NHS. Le gouvernement et l'industrie sont tombés d'accord sur le principe de fixation flexible des prix, qui signifie que les entreprises seront autorisées à augmenter le prix de leurs produits après leur entrée sur le marché. De nouveaux éléments démontrent les bienfaits de leur produit (conformément à l'évaluation du NICE, voir section 4 de ce chapitre). Le NHS a mis en place des accords afin de donner accès aux patients à des médicaments qui ne sont pas jugés coût-efficaces par le NICE. Entre-temps, le PPRS a imposé des réductions de prix de 3.9 % en 2009 et de 1.9 % en 2010, ainsi que des mesures en vue de développer l'utilisation des médicaments génériques.

En **Suisse**, les prix des médicaments remboursés ont été réexaminés en les comparant à ceux de six pays de référence (Autriche, Danemark, France, Allemagne, Pays-Bas et Royaume-Uni), avec une marge de tolérance de 4 % destinée à compenser les variations des taux de change. Ce changement devrait permettre d'économiser environ 400 millions CHF. Parmi les mesures récemment adoptées figurent la révision des prix tous les trois ans ainsi que la révision systématique du prix des produits pour lesquels une nouvelle indication a été approuvée par l'Agence du Médicament suisse.

1. En ce qui concerne la couverture standard des médicaments dans le cadre de Medicare, au-delà d'un certain seuil de dépenses restant à la charge de l'assuré – 2 850 USD en 2010 – les patients doivent payer l'intégralité du coût des médicaments de prescription jusqu'à ce que leur ticket modérateur atteigne 4 550 USD. Au-delà de cette somme, ils sont à nouveau couverts.

Source : Communication des autorités nationales ; Allemagne : [www.bmg.bund.de](http://www.bmg.bund.de) (communiqué de presse du 28 avril 2010) ; Grèce : [www.sfee.gr/en/price-determination](http://www.sfee.gr/en/price-determination) ; États-Unis : [www.kff.org/healthreform/upload/8061.pdf](http://www.kff.org/healthreform/upload/8061.pdf) ; Irlande : <http://debates.oireachtas.ie/DDebate.aspx?F=DAL20100119.xml&Node=3052#N3052>, consulté le 29 juin 2010 ; Royaume-Uni : [www.dh.gov.uk/en/Publicationsandstatistics/DH\\_091825](http://www.dh.gov.uk/en/Publicationsandstatistics/DH_091825).

Outre ces mesures à court terme, les pays de l'OCDE continueront à poursuivre l'objectif à long terme visant à améliorer l'efficacité des sommes dépensées sans décourager l'innovation. On trouvera dans les paragraphes qui suivent une brève description des politiques actuelles en matière de fixation des prix et de remboursement ainsi que des développements récents en ce domaine.

### 3. Les politiques de fixation des prix et de remboursement dans les pays de l'OCDE

Dans la majorité des pays de l'OCDE, toute la population a droit à une couverture santé (régimes financés par l'impôt) ou est couverte par une assurance santé obligatoire (régimes d'assurance sociale). Dans ces cas, les droits aux prestations santé sont le plus souvent définis au niveau central de façon plus ou moins explicite et détaillée (Paris *et al.*, 2010). Les médicaments prescrits aux patients externes sont le plus souvent inclus dans le « panier » des biens et services couverts par les régimes publics ou sociaux.<sup>3</sup> Dans quelques pays, les médicaments prescrits en ambulatoire sont pris en charge par le biais de multiples dispositifs, avec d'éventuelles variations dans l'éventail des prestations couvertes (voir encadré 6.2).

Les pays où la couverture est universelle et uniforme établissent généralement une liste des médicaments remboursables ou (« liste positive ») au niveau national, à l'exception de l'Allemagne<sup>4</sup> et du Royaume-Uni, où sont établies des « listes négatives » ;

et de la Grèce, où une liste positive est en préparation. La couverture pharmaceutique entraîne généralement des charges pour l'utilisateur, des exemptions étant prévues pour certaines catégories de personnes et/ou classes de médicaments.

### **Encadré 6.2. Pays où les médicaments sont pris en charge par plusieurs dispositifs**

Dans quelques pays de l'OCDE, les médicaments prescrits en ambulatoire sont pris en charge par de multiples dispositifs et l'éventail des prestations couvertes n'est pas uniforme, à savoir : Canada, Chili, Mexique, Turquie et États-Unis.

Au **Canada**, bien que les médicaments administrés dans les hôpitaux soient entièrement pris en charge par le programme Medicare universel financé sur fonds publics, les médicaments prescrits aux patients externes ne sont pas inclus dans les prestations couvertes garanties par la Loi canadienne sur la santé. Les provinces et les territoires et le gouvernement fédéral offrent une couverture à environ un tiers des résidents canadiens par le biais de programmes financés publiquement et visant certains groupes de population (personnes âgées, bénéficiaires d'aide sociale, autochtones, anciens combattants, etc.). Les provinces et les territoires et le gouvernement fédéral décident de la couverture et établissent des formulaires pour chacun des programmes publics qu'ils gèrent. Près des deux tiers des résidents canadiens bénéficient d'une couverture pour les médicaments de prescription par l'entremise d'un plan d'assurance privé (proposé par l'employeur ou dans le cadre d'un contrat individuel). Les régimes privés établissent leurs propres formulaires et ils couvrent généralement plus de prestations que les régimes publics, bien que certains d'entre eux calquent leur couverture sur celle offerte par les régimes publics. Au Québec, tous les régimes sont tenus d'offrir une couverture au moins égale à celle du secteur public (Paris et Docteur, 2006).

Au **Mexique**, plus de la moitié de la population est couverte par la sécurité sociale ; 20 % par le Seguro Popular, régime volontaire subventionné par l'État s'adressant aux personnes qui n'ont pas accès à la sécurité sociale, et 1 % par des plans d'assurance volontaire privés. Tous ces dispositifs assurent une couverture pour les médicaments prescrits aux patients externes, souvent avec un partage des coûts. Les personnes non assurées peuvent obtenir des services de soins de santé par l'intermédiaire du Ministère de la santé ou des autorités sanitaires des États. Les organismes de sécurité sociale et les autorités publiques achètent des médicaments en utilisant deux formulaires (un pour les soins primaires et un pour les niveaux de soins secondaires et tertiaires), tels que définis au niveau central (Moïse et Docteur, 2007).

Aux **États-Unis**, une assurance médicaments peut être obtenue auprès de diverses sources. En 2008, 58 % des résidents américains avaient accès à une assurance pour les médicaments de prescription par l'intermédiaire de programmes privés proposés par l'employeur, 9 % par le biais de plans privés souscrits individuellement. Un autre pourcentage de 9 % adhère au régime de la Partie D de Medicare, programme volontaire accessible aux seniors qui est subventionné par le gouvernement fédéral et administré par des assureurs santé privés. Un pourcentage de 20 % environ de la population est couvert par *Medicaid*, le programme subventionné conjointement par le gouvernement fédéral et les États s'adressant aux personnes à faible revenu. Les assureurs santé privés peuvent proposer plusieurs plans d'assurance médicaments, pour lesquels les formulaires, la répartition des coûts et les primes sont différents. Seuls les plans d'assurance médicaments relevant de la Partie D de Medicare sont relativement encadrés par la législation pour ce qui est des formulaires. Dans le cadre de Medicaid, l'assurance médicaments de prescription est une option facultative, mais tous les programmes des États prennent en charge les médicaments, avec de grandes différences entre les États dans les formulaires, les co-paiements et le plafonnement du nombre de prescriptions qui peuvent être délivrées (Kaiser Family Foundation, 2010).

### ***Tous les pays de l'OCDE ont recours à une forme ou une autre de réglementation des prix pour au moins certains segments de marché***

En matière de réglementation des prix des médicaments, deux règles générales s'appliquent à la majorité des pays de l'OCDE. En premier lieu, en général les pays ne réglementent pas les prix des médicaments d'automédication (en vente libre) non couverts par l'assurance santé, soit parce qu'ils ne considèrent pas les médicaments en

vente libre comme des biens d'intérêt social, dont on devrait garantir l'accès à tous les résidents, soit parce qu'ils comptent sur la sensibilité de la demande des consommateurs aux prix pour stimuler la concurrence par les prix. En second lieu, la plupart des pays de l'OCDE réglementent en revanche le prix ou le prix de remboursement des médicaments prescrits aux patients externes couverts par l'assurance santé pour corriger les défaillances bien connues du marché<sup>5,6</sup>.

Il y a toutefois plusieurs exceptions à ces règles générales. Le Canada et le Mexique, par exemple, réglementent les prix de *tous* les médicaments sous brevet (qu'ils soient couverts ou non) pour protéger les consommateurs d'un éventuel abus de pouvoir monopolistique de la part des vendeurs et faire en sorte que le prix des médicaments sous brevet ne soit pas excessif : le Canada fixe des prix départ usine maximums, bien que les prix d'achat puissent être négociés ultérieurement par les acheteurs, tandis que le Mexique limite les prix de détail payés par les consommateurs qui achètent les médicaments en pharmacie sans bénéficier de la couverture d'assurance sociale.

En outre, quelques pays autorisent les fabricants à fixer leurs prix à l'entrée sur le marché, pour les médicaments prescrits aux patients externes : Danemark, Allemagne, Royaume-Uni et États-Unis. Au Danemark, les fabricants peuvent fixer librement leurs prix à l'entrée sur le marché. Toutefois, le prix d'un produit, en relation avec sa valeur thérapeutique, est un critère prépondérant dans la décision de couverture (PPRI, 2008a).

En Allemagne, les entreprises pharmaceutiques étaient libres de fixer leurs prix à l'entrée sur le marché jusqu'à l'adoption récemment de réformes, même pour les médicaments remboursés par l'assurance sociale. Un système général de prix de référence (voir plus loin) tire les prix vers le bas lorsqu'il existe des alternatives thérapeutiques car même les nouveaux médicaments sous brevet peuvent être groupés dans une classe de produits bon marché, incluant des génériques. Jusqu'à présent les caisses d'assurance santé ont cependant été principalement des « preneurs de prix » pour les médicaments vraiment innovants. Suite à la réforme de 2007, l'Institut pour la qualité et l'efficacité dans les soins de santé (IQWiG) a donc été chargé d'évaluer l'efficacité des nouveaux produits innovants par rapport à leur coût pour aider les caisses à fixer les prix de remboursement maximums. Cette mesure sera applicable à partir de 2011.

Au Royaume-Uni, les entreprises pharmaceutiques peuvent librement fixer les prix à l'entrée pour leurs produits, y compris ceux pris en charge par le Health National Service. Elles ont cependant certaines contraintes : en premier lieu, le Pharmaceutical Pricing Regulation Scheme (PPRS) impose un plafond annuel aux profits que les entreprises réalisent sur leurs ventes au NHS et celles-ci sont tenues de moduler les prix de leurs produits pour ne pas dépasser ce plafond. En second lieu, les augmentations de prix sont soumises à autorisation et elles doivent être justifiées. En troisième lieu, le National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) évalue le rapport coût-efficacité des médicaments onéreux ou ayant un fort impact budgétaire et/ou produisant des bénéfices incertains ou faibles pour décider si le produit en question doit ou non être subventionné par le NHS. Bien que ce dernier mécanisme ne soit pas une forme de réglementation directe des prix, il peut néanmoins exercer une pression sur les prix, en particulier lorsqu'il existe des alternatives thérapeutiques.

Aux États-Unis, les prix des médicaments ne sont pas soumis à une réglementation directe. Les entreprises pharmaceutiques peuvent fixer le prix de leurs médicaments à l'entrée sur le marché. Dans le secteur privé, les gestionnaires de prestations pharmaceutiques et les plans d'assurance santé négocient les prix avec les fabricants lorsqu'ils établissent les « formulaires » (ou listes de médicaments pris en charge).

Lorsque des alternatives thérapeutiques sont disponibles, les tiers payants sont en mesure d'obtenir des remises ou de rabais auprès des fabricants en échange de l'inscription de leurs produits sur leur liste ou de l'octroi du statut de médicament « préféré » à ces produits (qui entraîne une baisse du ticket modérateur). Dans d'autres cas, leur pouvoir d'achat est faible. Les prix des médicaments achetés par les autorités fédérales (par exemple, la Veterans Health Administration) ou pour les programmes Medicaid sont davantage réglementés. Ainsi, les fabricants sont tenus de conclure des accords nationaux avec les autorités fédérales pour accorder des remises s'ils veulent que leur produit soit inscrit sur les formulaires de Medicaid. Le prix facturé à Medicaid ne peut être excéder le prix fabricant moyen (le prix payé au fabricant pour le médicament dans tous les États par les grossistes pour les médicaments vendus en pharmacie, après remise) minoré du pourcentage de la remise, récemment porté à 23 % pour les médicaments sous brevet.

Les pays de l'OCDE qui réglementent les prix ou les prix de remboursement des médicaments prescrits à des patients externes ont recours à trois types d'instruments : le *benchmarking* international, la référence thérapeutique et l'évaluation économique. Certains d'entre eux, en fait, combinent ces différents instruments en les appliquant à différents segments du marché (par exemple le Canada, la France et la Suisse ont recours à la fois au *benchmarking* international et à la référence thérapeutique bien que dans des buts différents). Le rapport de l'OCDE sur les prix des médicaments, publié en 2008, décrit plus en détail les politiques mises en place par les pays membres et met en lumière leur impact sur les prix et la disponibilité des médicaments (OCDE, 2008).

### ***Benchmarking international***

Vingt-quatre pays de l'OCDE appliquent la méthode du *benchmarking* international pour fixer le prix (ou le prix maximum) des médicaments : pour établir le prix maximum d'un nouveau médicament, ils examinent les prix pratiqués dans un ensemble de pays servant de référence.

La liste des « pays de référence » constitue évidemment un élément essentiel de cet outil de régulation. Les pays membres de l'Union européenne prennent généralement comme pays de référence d'autres pays de l'UE en constituant le plus souvent un sous-ensemble de pays présentant un niveau de revenu comparable. La République tchèque, par exemple, utilise comme pays de référence l'Estonie, la France, la Grèce, la Hongrie, l'Italie, la Lituanie, le Portugal et l'Espagne, tandis que la France prend comme pays de référence l'Allemagne, l'Italie, l'Espagne et le Royaume-Uni. Au Canada, le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB), organisme fédéral, recourt entre autres au *benchmarking* international pour s'assurer que les prix des médicaments brevetés ne sont pas excessifs (qu'ils soient remboursés ou non). Le CEPMB prend en compte un ensemble de pays de référence qui ont été sélectionnés en partie pour leur apparente détermination à promouvoir l'innovation pharmaceutique (Allemagne, États-Unis, France, Italie, Royaume-Uni, Suède et Suisse), dans l'idée d'apporter une « contribution équitable » aux coûts de R-D mondiaux. Le Mexique se réfère aux prix pratiqués dans les six pays où le produit examiné obtient les parts de marché les plus importantes.

Le *benchmarking* international a lieu, en général, pendant le processus de fixation du prix et du taux de remboursement, avant l'entrée d'un produit sur le marché. Au Canada, cependant, le CEPMB réglemente *a posteriori* les prix départ usine des médicaments brevetés, souvent en les limitant au prix médian pratiqué dans les pays de référence. En outre, le CEPMB veille à ce que le prix de chaque produit breveté ne dépasse pas le prix

le plus élevé au niveau international dans les pays de référence. Si le prix canadien est jugé excessif, le Conseil peut ordonner au laboratoire de compenser les recettes excédentaires accumulées en réduisant le prix de son médicament ou le prix d'un autre médicament ou en versant des paiements au gouvernement fédéral. La réglementation de certains pays exige strictement que le prix soit « égal au prix le plus bas » pratiqué dans les pays de référence ou inclut une disposition similaire (en République slovaque, par exemple, le prix est plafonné à 10 % au-dessus du prix moyen des trois pays de référence où sont pratiqués les prix les plus bas), tandis que, dans d'autres pays, la réglementation n'est pas aussi prescriptive (en France, le prix doit être « cohérent » avec les prix pratiqués dans les pays de référence).

Le *benchmarking* international présente plusieurs inconvénients. Premièrement, il est probable qu'il influe sur les stratégies de lancement des entreprises, et retarde, voire compromet, le lancement d'un produit dans les pays à bas prix (afin d'éviter que ces pays ne servent de pays de référence). Deuxièmement, il a favorisé une déconnexion entre le prix « catalogue » et le prix effectif réglé par les tiers payants qui résulte souvent d'une remise consentie par le fabricant dans un accord confidentiel. Ce fait peut, à son tour, nuire à l'exactitude des comparaisons de prix et du *benchmarking*. Les économistes et les décideurs considèrent généralement que la différenciation des prix des médicaments sous brevet d'un pays à l'autre crée une situation « gagnant-gagnant » en permettant aux entreprises d'obtenir les revenus dont elles ont besoin pour investir dans la R-D et aux habitants des pays à bas revenu d'avoir accès à des médicaments auxquels ils ne pourraient pas avoir accès en raison de leur prix élevé. Du point de vue du payeur, la valeur d'un médicament varie en fonction de facteurs comme la capacité et la volonté de payer, le contexte épidémiologique du pays et le coût d'autres entrants. Toutefois, le *benchmarking* international ne garantit pas, en tant que tel, que le prix fixé reflète effectivement la valeur spécifique d'un produit pharmaceutique dans un pays.

En fait, plusieurs pays n'appliquent le *benchmarking* international qu'à un segment réduit du marché – les produits les plus innovants – et préfèrent recourir à la référence thérapeutique pour d'autres segments du marché.

### ***Référence interne ou thérapeutique***

Les pays qui utilisent la méthode des références thérapeutiques fixent les prix des médicaments nouveaux par comparaison avec les prix des médicaments concurrents sur le marché. Ils commencent par évaluer l'apport thérapeutique du nouveau médicament par rapport aux médicaments concurrents existants, puis déterminent une prime en fonction du degré d'innovation du nouveau produit. Avec cette méthode, le prix d'un produit ne présentant aucune valeur ajoutée sur le plan thérapeutique est fixé à un niveau équivalent ou à un niveau inférieur à celui des produits concurrents existants. Cette pratique est conforme aux stratégies de prix appliquées par les entreprises sur les marchés à prix libres où les produits non innovants sont positionnés à un niveau de prix inférieur à celui des produits concurrents lors de l'entrée sur le marché afin de conquérir des parts de marché.

Le Canada, la Belgique, la France, l'Italie, le Japon et la Suisse appliquent le système des références thérapeutiques pour les produits qui ne constituent pas des innovations radicales. Cependant, l'évaluation de l'apport thérapeutique du nouveau médicament prend des formes différentes : en France, par exemple, une Commission de la transparence évalue l'intérêt thérapeutique nouveau sur une échelle de 1 à 5, tandis qu'en Suisse, le processus correspondant ne présente pas un caractère aussi formel et laisse plus de place à la négociation. En Italie, un algorithme a été établi pour évaluer le degré

d'innovation d'un produit. Dans tous les cas, la prime est fixée ou négociée au cas par cas, sans règles prédéfinies, en prenant souvent en compte d'autres paramètres comme le volume de ventes escompté.

Les politiques de « *prix de référence* », qui fixent un montant de remboursement maximum pour des groupes de produits présentant des propriétés identiques, peuvent être considérées comme une variante de la référence thérapeutique, avec cette différence essentielle que, dans ce cas, le prix du produit – que celui-ci ait été fixé librement par l'entreprise ou après négociation avec les pouvoirs publics – peut demeurer supérieur au prix de remboursement maximum si les patients consentent à payer pour la « valeur ajoutée » s'attachant à ce produit, même s'il s'agit uniquement de fidélité à une marque. Plus d'un tiers des pays de l'OCDE ont adopté des politiques de prix de référence mais la portée de ces politiques est extrêmement variable (Habl *et al*, 2008). La plupart des pays définissent des groupes de produits bio-équivalents (contenant le même principe actif ou la même association de principes actifs et administrés de la même façon) mais quelques pays définissent des groupes plus larges d'« équivalents thérapeutiques » (Allemagne, République tchèque, Pays-Bas, Nouvelle-Zélande et République slovaque). Par suite, la part de marché soumise à l'application de prix de remboursement maximum varie énormément, allant de 5 % de l'ensemble du marché pharmaceutique en France à 60 % en Allemagne (en volume).

Avec la méthode de référence thérapeutique, le prix d'un nouveau produit dépend fortement de la valeur que l'autorité régulatrice attache à l'innovation marginale (la « valeur ajoutée » du nouveau produit). L'expérience montre que les critères adoptés pour évaluer les avantages liés à un nouveau médicament varient très fortement d'un pays à l'autre. De plus, le prix d'un nouveau produit est déterminé par les prix établis auparavant pour les produits concurrents et ceux-ci n'ont pas toujours été révisés sur la base de la valeur actuelle au plan thérapeutique. Enfin, bien qu'elle assure la cohérence des prix à l'intérieur des différentes classes de produits thérapeutiques, la référence thérapeutique ne garantit pas la cohérence des prix d'une classe à l'autre. Certains outils économiques, dont il sera question dans la section suivante, pourraient être à même de résoudre ce problème.

### ***Évaluation pharmaco-économique***

Plus de la moitié des pays de l'OCDE prennent en compte l'évaluation pharmaco-économique pour statuer sur la prise en charge du produit au prix proposé par le fabricant. L'évaluation pharmaco-économique n'est donc pas utilisée directement pour réglementer les prix mais elle peut inciter les fabricants à abaisser leurs prix afin de satisfaire aux critères de remboursement. Seuls quelques pays appliquent systématiquement l'évaluation pharmaco-économique à tous les produits candidats à la prise en charge publique : Australie, Pays-Bas, Nouvelle-Zélande et Suède. Au Royaume-Uni, seuls les produits très onéreux, à fort impact budgétaire et/ou à efficacité incertaine, sont évalués afin de déterminer s'ils doivent bénéficier ou non d'un financement du NHS. Au Canada, le Programme commun d'évaluation des médicaments, programme intergouvernemental relevant de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé, évalue systématiquement le rapport coût-efficacité des produits contenant de nouvelles substances actives pour éclairer les décisions de prise en charge des régimes publics d'assurance-médicaments. En Italie, on a recours à l'évaluation pharmaco-économique dans le processus de négociation afin d'étayer les décisions en matière de prix et de remboursement. En Allemagne et en France, de nouvelles dispositions (adoptées en 2007

et 2008) prévoient que les nouveaux médicaments innovants doivent faire l'objet d'une évaluation économique mais les modalités de cette évaluation restent à préciser. La Corée a introduit récemment l'évaluation pharmaco-économique dans les processus décisionnels relatifs à la couverture des médicaments.

Dans la plupart des cas, les organes chargés de l'évaluation économique établissent un ratio coût-efficacité incrémental (RCEI) pour mesurer le coût supplémentaire par QALY (*quality adjusted life year* ou année de vie ajustée par la qualité) gagnée en comparaison avec les alternatives thérapeutiques. Ils adoptent généralement le point de vue du payeur public en ce sens qu'ils analysent uniquement les coûts et les économies potentielles pour un régime de couverture public. La Suède et la Norvège, par contre, ont adopté une approche sociétale permettant d'estimer les bénéfices et les coûts au niveau de la société (pour les tiers payants mais aussi pour les patients, leurs familles, les employeurs et le gouvernement). Les seuils de RCEI (au-dessus desquels un médicament a peu de chances d'être financé) ne sont généralement pas définis de façon explicite mais peuvent être déduits des décisions passées.

L'évaluation pharmaco-économique est, par bien des aspects, l'outil le plus rationnel pour arrêter les décisions en matière de remboursement puisqu'elle garantit que le coût d'un nouveau médicament pour la société est proportionné à ses bénéfices cliniques. Elle donne aussi à l'industrie des indications sur les types de bénéfices les plus valorisés ainsi que sur le consentement à payer des organismes de paiement. Cependant, la réalisation de telles évaluations requiert des compétences spécialisées et des moyens qui n'existent pas dans tous les pays de l'OCDE. En outre, l'évaluation pharmaco-économique n'est pas bien acceptée par le public, l'industrie et la profession médicale, surtout lorsqu'elle est perçue comme un outil de rationnement plutôt que comme un instrument contribuant à améliorer l'efficacité des dépenses pharmaceutiques. Enfin, les pays appliquant des seuils de RCEI ont été confrontés à des problèmes d'ordre éthique, notamment dans le cas des médicaments onéreux de fin de vie et des médicaments orphelins<sup>7</sup> (moins susceptibles de satisfaire aux critères de coût-efficacité) et ont dû adapter leurs politiques de façon à tenir compte des particularités de ces produits.

Outre les trois outils principaux présentés ci-dessus, les pays de l'OCDE ont recours à divers autres instruments pour réguler les prix des médicaments. Par exemple, l'Italie négocie les prix ainsi que les plafonds individuels applicables à chaque société pharmaceutique sur les recettes qu'elle tire de ses ventes au service national de santé, au-delà desquels les entreprises auront à accorder des remises. L'Espagne applique une méthode de coût majoré ; le Royaume-Uni plafonne les profits des entreprises pharmaceutiques ; et plusieurs pays ont passé des accords pour la fixation des prix de certains produits. Ces accords, qui suscitent l'intérêt des décideurs en tant que moyen intéressant de promouvoir l'efficacité des dépenses pharmaceutiques, sont examinés dans la section 4 de ce chapitre.

### ***Régulation des prix et niveaux de prix***

Dans les pages précédentes, nous avons décrit brièvement les avantages et les éventuels inconvénients qui s'attachent aux principaux instruments de politique employés par les pays de l'OCDE pour réguler les prix des médicaments. Il convient toutefois de souligner un point important : la régulation des prix ne se traduit pas nécessairement par des prix plus bas (OCDE, 2008). En 2005, les prix de détail des médicaments s'échelonnaient de -68 % à +185 % par rapport à la moyenne de l'OCDE et, dans certains pays où les prix sont régulés (Suisse, Canada), les prix étaient élevés, tandis que dans

d'autres pays sans régulation directe des prix à l'entrée sur le marché comme le Royaume-Uni, les prix étaient relativement bas. Le niveau des prix pharmaceutiques est en partie corrélé au PIB par habitant, bien que les variations de revenus n'expliquent apparemment qu'un cinquième des variations des prix de détail, ainsi qu'au niveau des prix dans l'ensemble de l'économie (dont les variations expliquent plus de 50 % des variations des prix des médicaments). Cela ne devrait guère surprendre : le fait est que les régulateurs ne cherchent pas toujours à obtenir le prix le plus bas et n'exploitent pas au maximum le pouvoir dont ils disposent en tant qu'acheteurs. Leur volonté d'améliorer l'efficacité statique des dépenses pharmaceutiques est contrebalancée par leur désir de maintenir des incitations en faveur de l'investissement de R-D et de l'innovation future (efficacité dynamique). En outre, les prix ne sont pas tout : l'efficacité des dépenses pharmaceutiques dépend aussi de la prescription et de l'utilisation adéquates des médicaments et du développement d'un circuit de distribution efficient.

Il ne faudrait toutefois pas en déduire que les politiques actuelles des prix des médicaments sont parfaites et assurent l'efficacité des dépenses pharmaceutiques. Des efforts ont été réalisés pour établir un lien plus étroit entre le prix des médicaments et leur « valeur », et certains pays ont déjà pris des mesures pour améliorer l'efficacité de leurs dépenses en ce domaine. Les initiatives récentes sont examinées ci-dessous.

#### 4. Développements récents des politiques de fixation des prix et de remboursement

Les responsables de l'élaboration des politiques ont parfois des décisions difficiles à prendre, en particulier lorsqu'un fabricant propose un nouveau produit coûteux pour le traitement d'une maladie mortelle ou handicapante. Confrontés à des contraintes financières, ils doivent mettre en balance, d'un côté, le coût et les bénéfices du nouveau traitement et, de l'autre, les services de santé auxquels il faudra renoncer pour financer le nouveau traitement.

L'écho donné par les médias à certaines décisions de remboursement négatives, par exemple les décisions du National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) en Angleterre et au pays de Galles, montre à quel point la population est prompte à réagir aux « refus de traitement ». Les opposants à la récente réforme du système de santé aux États-Unis ont agité vigoureusement le spectre du rationnement des soins, alors même que le système actuel aux États-Unis est loin d'assurer l'accès de toutes les personnes qui en ont besoin aux médicaments les plus chers (Faden *et al.*, 2009). En Angleterre, en Australie et en Nouvelle-Zélande, il s'est souvent révélé politiquement difficile par le passé de refuser le financement de médicaments jugés d'un faible rapport coût-efficacité et les gouvernements de ces pays ont été forcés de trouver un moyen de contourner leurs propres seuils de coût-efficacité (Raftery, 2008).

Les décideurs, en effet, se trouvent face à un véritable dilemme. Les études de coût-efficacité fournissent une information scientifique sur les bénéfices et les coûts (y compris les coûts d'opportunité) des nouveaux traitements. Cependant, le grand public n'est pas toujours convaincu par cette forme de rationalité. Certains traitements ne répondant pas aux seuils d'efficacité peuvent être perçus comme désirables parce qu'ils permettent de prolonger la vie ou de soulager des symptômes graves. Dans certains cas, le « choix rationnel », tel que le conçoivent les économistes, ne semble pas coïncider avec les préférences collectives.

On pourrait avancer, à ce propos, le fait que les citoyens sont mal informés du coût et des bénéfices réels des traitements, de leurs effets secondaires potentiels, de l'incertitude

liée à leur utilisation et des coûts de substitution. Ou bien on pourrait faire valoir que les citoyens qui s'opposent au rationnement ne sont pas nécessairement prêts à accroître leur contribution au système de santé ou à voir disparaître des prestations existantes. Comment parvenir dans ces conditions à un bon compromis pour déterminer les traitements à financer ?

Les médicaments qui s'adressent à un nombre réduit de patients comme les médicaments orphelins et les médicaments de fin de vie sont ceux qui risquent le plus de soulever de telles questions : d'un côté, en effet, les fabricants établissent un prix de réserve très élevé (afin de compenser le faible volume des ventes) ; de l'autre, les décideurs hésitent à refuser un traitement pour des raisons économiques alors qu'ils souhaitent réellement mettre en place des mesures d'incitation pour la mise au point de médicaments s'adressant à certaines catégories réduites de population atteintes de maladies graves.

Pour tenter de répondre à ces diverses préoccupations, les responsables de l'élaboration des politiques ont adapté certains de leurs outils d'intervention et de leurs critères de décision. Les paragraphes qui suivent présentent quelques-unes de ces adaptations, en mettant principalement l'accent sur les politiques publiques puisque, dans presque tous les pays de l'OCDE, les prix et le remboursement des médicaments couverts par un régime public sont réglementés à l'échelon central. Les autres systèmes, cependant, ne sont pas à l'abri des problèmes que soulèvent les médicaments les plus chers. Aux États-Unis, par exemple, les organismes de paiement tant publics que privés ont été conduits à adopter des stratégies pour faire face aux problèmes liés à ce type de médicaments (encadré 6.3).

### **Encadré 6.3. Stratégies utilisées par les assureurs privés à l'égard des médicaments onéreux**

Aux États-Unis, certains assureurs publics et privés se servent de l'évaluation pharmaco-économique pour définir les prestations liées aux médicaments. Dans la plupart des cas, l'évaluation pharmaco-économique est utilisée pour établir des comparaisons avec d'autres traitements afin de pouvoir négocier les prix avec les fabricants, développer les incitations à l'utilisation de produits de remplacement moins coûteux par le biais d'une différenciation des co-paiements ou, plus rarement, exclure un médicament des formulaires de médicaments remboursés dans les plans les plus restrictifs. De nombreux assureurs, cependant, se refusent à exclure un traitement de leurs formulaires en l'absence d'une alternative. Le financement des nouveaux traitements coûteux est donc assuré en augmentant les primes ou en faisant supporter le coût aux patients.

Certains assureurs de santé privés ont récemment introduit un quatrième niveau de co-paiement. Traditionnellement, les assureurs privés appliquent un système de co-paiements à trois niveaux pour encourager l'utilisation des médicaments les moins chers : un co-paiement mensuel de 5 USD à 10 USD s'applique en général aux médicaments génériques ; il est de 20 USD à 30 USD pour les médicaments de marque à prix modérés et de 50 USD pour les médicaments de marque à prix élevé. Pour alléger la tension sur les coûts liée aux médicaments onéreux, les assureurs privés ont introduit un « quatrième niveau » sous forme d'une coassurance de 20 à 30 %. Ce niveau a été intégré à 86 % des plans d'assurance médicaments de Medicare et à 10 % des plans d'assurance commerciaux incluant des prestations de médicaments (Lee and Emanuel, 2008). Pour les médicaments dont le prix peut dépasser 50 000 USD par an, le système de coassurance se traduit par des versements directs aux patients de plus de 10 000 USD.

Source : Lee et Emanuel (2008) ; Faden *et al.* (2009).

### *Évaluation économique et médicaments d'un faible rapport coût-efficacité*

Dans de nombreux pays de l'OCDE, l'efficacité clinique est le critère principal pris en compte pour décider de l'opportunité d'un financement public. Même les médicaments nouveaux de coût élevé finissent généralement par être remboursés par les régimes publics dès lors que leur efficacité est établie et que les prestations sont généreuses, bien que parfois avec de sérieuses restrictions et/ou l'exigence d'une autorisation préalable afin de réduire les répercussions budgétaires. En Australie, par exemple, un organisme fédéral (le Pharmaceutical Benefits Advisory Committee) peut recommander l'utilisation de certains médicaments dans le cadre de programmes spéciaux en en restreignant l'accès aux patients les plus susceptibles de tirer profit du traitement (Nikolentzos *et al.*, 2008).

La réglementation des prix et les règles de remboursement sont en général moins contraignantes pour les médicaments prescrits en milieu hospitalier que pour les médicaments servant à traiter des patients externes. Dans la plupart des cas, les médicaments sont achetés par les hôpitaux et financés par les paiements provenant des tiers payants et des patients. Les hôpitaux sont généralement soumis à des contraintes budgétaires et leur capacité à prescrire des médicaments coûteux dépend des modes de paiement existants. Les budgets globaux et les paiements par cas, aujourd'hui largement utilisés dans les pays de l'OCDE, n'offrent guère d'incitations à l'utilisation de nouveaux médicaments à prix élevé, surtout lorsque le coût de ces médicaments n'est pas encore intégré aux coûts moyens standards par cas servant à établir les prix. Pour surmonter cette difficulté, plusieurs pays (notamment l'Allemagne et la France) ont mis en place des programmes spéciaux de financement des médicaments les plus chers en sus du paiement par cas. Dans d'autres pays, l'accès aux médicaments coûteux pour patients hospitalisés est inégal et dépend, en fait, de la capacité et de la volonté des hôpitaux à payer.

Les pays qui prennent en compte le rapport coût-efficacité dans leurs décisions de remboursement ont cherché à expliciter les critères sur lesquels doit se fonder le compromis entre les résultats de l'évaluation économique et les attentes du public. Tout d'abord, la caractéristique commune des décisions de couverture basées sur l'évaluation du rapport coût-efficacité est qu'aucun pays n'a défini de seuil explicite et permanent de RCEI au-delà duquel un médicament n'a aucune chance de bénéficier d'un financement. Les pays reconnaissent, au contraire, qu'il est nécessaire de prendre en compte d'autres critères et ils appliquent des seuils flexibles au-delà desquels un médicament a simplement moins de chances d'être remboursé.

La Suède a explicité les critères à prendre en compte en sus du rapport coût-efficacité dans les décisions de prise en charge. Le « principe de besoin et de solidarité » repose sur l'idée que les maladies graves doivent bénéficier d'un niveau élevé de priorité lors de la prise de décisions (encadré 6.3). Pour se conformer à ce principe, la Commission des prestations pharmaceutiques applique différents seuils de coût-efficacité en relation avec la gravité de la maladie visée par un traitement. En conséquence, elle a autorisé dans le passé le financement de traitements d'un coût par QALY supérieur à 90 000 EUR (Garau et Mestre-Ferrandiz, 2009). D'autre part, en Suède, la prise en considération de l'impact budgétaire au cours du processus d'évaluation joue en faveur des médicaments à coût élevé s'adressant à une catégorie réduite de population comme les médicaments orphelins : les décideurs sont, en effet, mieux à même d'autoriser le financement de médicaments dont le coût par QALY est élevé lorsque l'impact budgétaire demeure raisonnable.

Au Royaume-Uni, les organes responsables de l'évaluation économique ont adapté leurs directives afin de tenir compte de ces problèmes. En Angleterre et au pays de

Galles, le NICE a révisé ses directives sur l'évaluation des traitements allongeant la durée de vie et de fin de vie en juillet 2009 (voir encadré 6.4). De même en Écosse, le Scottish Medicines Consortium prend en compte d'autres critères que le RCEI dans ses décisions, notamment si un médicament vise à traiter une maladie potentiellement mortelle, accroît substantiellement l'espérance de vie ou la qualité de vie ou permet de faire le lien jusqu'à un traitement « définitif » (Garau et Mestre-Ferrandiz, 2009).

Outre l'adaptation des critères de décision, ces pays ont recouru à des accords spécifiques pour les médicaments d'un faible rapport coût-efficacité ou dont l'impact budgétaire est élevé.

### Encadré 6.4. Évaluation économique et valeurs sociales

Le ratio coût-efficacité incrémental (RCEI) est largement utilisé pour déterminer la valeur d'un nouveau produit et recommander ou prendre des décisions de prise en charge. En général, cependant, la prise en considération du RCEI ne s'effectue pas indépendamment des « valeurs sociales ».

#### Valeurs sociales et critères de prise en charge en Suède

La Commission des prestations pharmaceutiques<sup>1</sup> est responsable des décisions de prise en charge des médicaments servant au traitement de patients externes. Ses décisions reposent sur trois critères :

- *Le principe de la valeur humaine* : l'égalité entre les êtres humains et l'intégrité de chaque individu doivent être respectées. Les décisions de couverture doivent exclure toute discrimination entre individus sur la base notamment de l'âge, du sexe ou de la race.
- *Le principe de besoin et de solidarité* : les individus dont les besoins sont les plus importants doivent avoir la priorité dans les décisions de remboursement ; autrement dit, les personnes atteintes de maladies plus graves doivent être prioritaires sur les personnes souffrant de troubles moins graves.
- *Le principe coût-efficacité* : le coût d'utilisation d'un médicament doit être raisonnable d'un point de vue médical, humanitaire et socio-économique.

En Suède, le rapport coût-efficacité est envisagé d'un point de vue sociétal, ce qui veut dire que la totalité des coûts et des bénéfices sont pris en compte, indépendamment du fait de savoir qui paie (tiers payants et patients) et qui bénéficie des gains de santé (patients, employeurs, État ou collectivités locales).

#### Nouvelles directives du NICE sur l'évaluation des traitements de prolongation de vie et de fin de vie

Depuis 1999, le National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) évalue le rapport coût-efficacité des stratégies de santé afin de recommander ou non leur utilisation dans les systèmes de santé en Angleterre et au pays de Galles. En 2008, le NICE a publié un rapport sur la prise en considération de certaines valeurs sociales dans le processus d'évaluation et explicitement exclu le principe général d'assistance à personne en danger<sup>2</sup> comme critère de décision pertinent (NICE, 2008). Plus récemment, cependant, le NICE a révisé ses directives sur l'évaluation des traitements de prolongation de vie et de fin de vie de façon à autoriser le financement de traitements de ce type dont le RCEI dépasse la norme habituelle de 30 000 GBP/QALY. Les directives complémentaires s'appliquent dans les cas suivants :

- le traitement est indiqué pour des patients dont l'espérance de vie est courte, normalement de moins de 24 mois ;
- des données suffisantes montrent que le traitement permet de prolonger la vie, normalement d'au moins trois mois supplémentaires par rapport aux traitements actuellement appliqués par le NHS ;

### Encadré 6.4. Évaluation économique et valeurs sociales (suite)

- le traitement est homologué ou indiqué d'une manière ou d'une autre pour une catégorie restreinte de patients.

En pareils cas, la commission d'évaluation doit examiner l'impact sur le RCEI d'une surpondération des années de vie gagnées en phase terminale d'une maladie à issue fatale et déterminer l'importance de la surpondération nécessaire pour rester en-deçà des seuils en vigueur. Toute décision prise sur la base de ces directives supplémentaires doit être réexaminée dans un délai de deux ans.

1. Créée en 2002, la Commission des prestations pharmaceutiques (LFN) fait maintenant partie de l'Agence des prestations pharmaceutiques et dentaires (acronyme suédois TLV).

2. Le principe d'assistance à personne en danger (*rule of rescue*) désigne l'obligation d'employer tout moyen existant pour sauver un individu d'un danger grave, quel qu'en soit le coût (comme dans le cas des sauvetages en montagne). Certains analystes mentionnent ce principe pour justifier l'utilisation sans restriction de médicaments très coûteux dans le traitement des maladies graves.

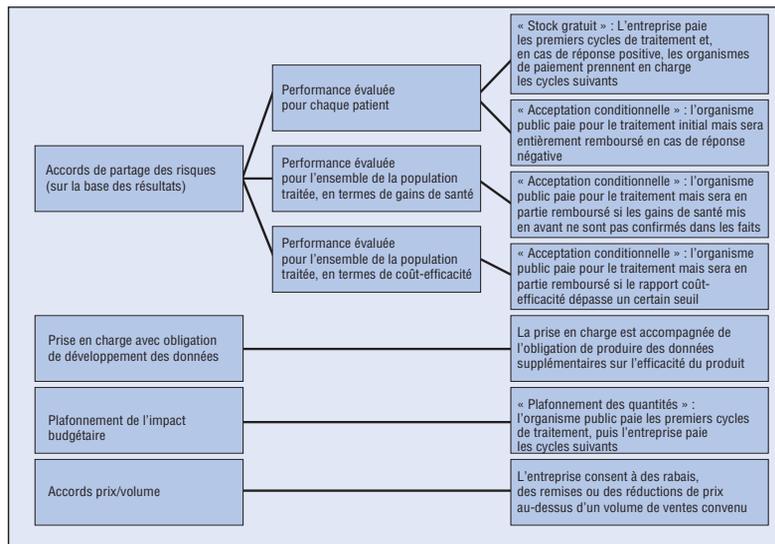
Source: LFN (2007) ; Mason et Drummond (2009) ; NICE (2008, 2009).

### Accords de fixation des prix de produits spécifiques

Les organismes de paiement et les entreprises pharmaceutiques ont établi des *accords de prix* par produit afin d'améliorer l'accès aux médicaments très coûteux ou ayant de fortes répercussions budgétaires (IMS, 2009 ; Carlson *et al.*, 2010). Ces accords entre tiers payants et compagnies pharmaceutiques visent soit à établir un lien entre la « valeur » apportée par un nouveau produit en termes de gains de santé et le prix à l'unité, soit plus simplement à réduire l'impact budgétaire. Plusieurs typologies ont déjà été mises au point pour classer ce type d'accords (IMS, 2008 ; Carlson *et al.*, 2010). Nous employons ici une typologie différente distinguant les accords en fonction de leurs objectifs, à savoir : capter une part de la rente des entreprises au-dessus d'un certain niveau de recettes ; réduire l'impact sur les budgets publics ; améliorer les données relatives à l'efficacité ou au rapport coût-efficacité ; ou partager les risques en cas d'incertitude sur les résultats (voir graphique 6.5).

Dans les *accords prix/volume*, le prix d'un produit à l'unité dépend du volume des ventes et diminue au fur et à mesure que celui-ci augmente. Ces accords reposent sur l'idée qu'un vendeur est prêt à réduire le prix de réserve dès lors que le volume des ventes augmente. Les réductions de prix prennent dans ce cas le plus souvent la forme de rabais ou de remises confidentielles convenues entre un fabricant et des tiers payants. Les accords prix/volume sont largement utilisés par les assureurs privés et les gestionnaires de prestations pharmaceutiques aux États-Unis qui s'en servent pour négocier des rabais ou des remises en échange de l'inscription d'un produit sur leurs formulaires ou de l'octroi du statut de médicament « préféré » (avec un co-paiement plus faible pour le consommateur). En France, les accords prix/volume sont signés par l'autorité de régulation lorsqu'il y a un risque d'usage inapproprié susceptible de générer un volume de ventes supérieur au volume prévu au moment de la négociation sur le prix. L'Australie a recours à deux types d'accords répondant à la même logique, des réductions de prix intervenant au-delà d'un volume convenu de ventes ou des remises étant accordées par les fabricants au-delà d'un certain plafond de dépenses. Les accords prix/volume ne permettent pas vraiment aux tiers payants de maîtriser les dépenses mais seulement de capter une part de la rente des entreprises.

Graphique 6.5. Typologie des remboursements de produits spécifiques et accords de prix



Source : Secrétariat de l'OCDE.

Les accords visant à limiter l'impact budgétaire d'un médicament consistent simplement à plafonner le montant que les organismes publics acceptent de dépenser par patient. De tels accords ont été conclus entre le NICE et des entreprises pharmaceutiques dans le cadre de systèmes de plafonnement des quantités (voir encadré 6.4). Le NHS, par exemple, a accepté de prendre en charge les deux premières années de traitement du myélome multiple à l'aide du lénalidomide à la condition que le coût ultérieur du traitement soit supporté par le fabricant.

Des accords de prise en charge avec obligation de produire des études supplémentaires (CED, « Coverage with Evidence Development) ont été adoptés en Italie, au Royaume-Uni, aux États-Unis et en Suède (Carlson *et al.*, 2010) et seront utilisés dans certaines circonstances en Australie à partir de 2011. Ce type d'accord fait dépendre la prise en charge de la collecte par l'entreprise de données pour informer les organismes de paiement des résultats obtenus dans de nouveaux essais cliniques ou dans « la vie réelle ». Cette option est adoptée en cas de forte incertitude sur les données cliniques présentées par le fabricant avec sa demande de financement. Au Royaume-Uni, ces accords prévoient en général uniquement la couverture des patients qui participent aux essais cliniques. En Suède, ils assurent la prise en charge du médicament en échange d'informations sur son utilisation (par exemple dans le traitement de l'obésité), sur ses effets à long terme du point de vue de la morbidité et de la mortalité (par exemple dans le cas des produits anti-cholestérol) ou de la qualité de vie (par exemple dans le cas de l'insuline Detemir), et/ou sur le rapport coût-efficacité (par exemple dans le cas du traitement de la maladie de Parkinson ou de la vaccination contre le cancer du col de l'utérus). En Italie, des « Registres » en ligne ont été constitués, par exemple pour les médicaments oncologiques et les médicaments orphelins innovants, dans le but de rassembler dans une seule base de données des informations sur l'utilisation rationnelle et appropriée de médicaments déterminés ; de suivre la consommation et les dépenses correspondantes ; et de fournir les informations nécessaires pour les accords de partage des risques. Par conséquent, les accords avec obligation de développer les données ont pour objectif général d'améliorer les connaissances relatives aux effets d'un produit sur la santé.

Les *accords de partage des risques* sont également signés en cas de forte incertitude à propos des bénéfices mis en avant par le fabricant. Lorsque ces bénéfices paraissent potentiellement élevés, le tiers payant accepte de financer le nouveau traitement mais en conservant la possibilité de demander à être (au moins en partie) remboursé par l'entreprise si les bénéfices annoncés ne sont pas confirmés dans les faits. L'accord établi en Angleterre en 2002 entre le NHS et plusieurs fabricants sur les traitements de la sclérose en plaques est l'exemple le plus connu de ce type d'accords.

Les accords de partage des risques peuvent prendre plusieurs formes. Les résultats à évaluer peuvent être définis en termes de *bénéfices cliniques* (réaction clinique, amélioration de la qualité de vie) ou en termes de *coût-efficacité* (le ratio coût/QALY ne devant pas excéder un certain seuil). Les résultats peuvent être évalués au *niveau individuel* (c'est-à-dire pour chaque patient ayant reçu le traitement) ou au *niveau collectif*, en prenant en compte l'ensemble de la population traitée. En Allemagne, par exemple, un fonds d'assurance-santé a signé un accord avec Novartis lui permettant d'obtenir le remboursement du traitement pour l'ostéoporose dans le cas où un patient en cours de traitement est victime d'une fracture due à cette maladie. En Angleterre, Janssen Cilag a accepté de rembourser le traitement du myélome multiple dans le cas des patients qui ne répondent pas positivement au traitement après quatre cycles. Également en Angleterre, les entreprises qui produisent des traitements de la sclérose en plaques ont accepté d'abaisser le prix de leurs produits afin de maintenir le ratio coût/QALY moyen à 36 000 GBP (IMS, 2009). En France, la prise en charge d'un traitement de la schizophrénie censé améliorer l'adhésion aux soins a été approuvée à la condition que l'entreprise contrôle l'observance du traitement dans la vie réelle et rembourse une partie des dépenses de sécurité sociale si les objectifs en ce domaine n'ont pas été atteints. En Italie, il existe deux types d'accord : dans les accords dits de « partage des risques », les fabricants sont tenus de rembourser un pourcentage des dépenses du service national de santé pour les patients qui ne répondent pas au traitement, tandis que dans ceux de « paiement en fonction des résultats », les fabricants rembourseront l'intégralité des dépenses aux patients qui ne répondent pas au traitement.

Un grand nombre de ces accords sont encore trop récents pour se prêter à une évaluation. En termes de mise en œuvre, ils se traduiront probablement par une augmentation des coûts administratifs et des coûts de R-D (ne serait-ce que les coûts encourus pour la production des données) mais on espère que les coûts de ces accords seront compensés par leurs bénéfices. Carlson *et al.* (2010) ont passé en revue les données disponibles sur les accords CED et les accords basés sur les performances conclus pendant la dernière décennie. Ils ont constaté que plusieurs des médicaments initialement couverts dans le cadre d'un accord CED ont ensuite été approuvés et ont obtenu une prise en charge générale ou limitée après la période couverte par l'accord, mais tel n'a pas toujours été le cas. D'autre part, ils n'ont recensé que deux études d'évaluation des accords de partage de risques. En Angleterre, un accord signé entre Pfizer et l'administration de la santé de la région du North Staffordshire sur un produit anti-cholestérol a abouti à des résultats de santé positifs (les objectifs en termes de niveau de cholestérol ont été atteints dans la population traitée) et n'a donc pas donné lieu à un remboursement de la part de l'entreprise pharmaceutique. Les résultats de l'accord signé par le NHS au Royaume-Uni sur la sclérose en plaques sont encore mitigés : malgré des résultats de santé positifs, le rapport coût-efficacité du traitement n'a pu être évalué avec certitude.

### Encadré 6.5. Dispositifs mis en place au Royaume-Uni pour assurer l'accès des patients à certains médicaments

L'accord État-Industrie signé en 2009 (PPRS) a introduit des dispositifs (*patient access schemes* ou PAS) qui visent à améliorer l'accès des patients à certains traitements innovants d'un rapport coût-efficacité trop élevé pour satisfaire aux normes du National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) et ainsi bénéficier d'un financement de l'administration publique de la santé (NHS). Les dispositifs PAS peuvent prendre plusieurs formes :

- Avec les accords de « *stock gratuit* », l'entreprise fournit les premiers cycles de traitement gratuitement et le NHS prend en charge le coût des cycles suivants lorsque la réponse clinique aux premiers cycles est positive. UCB, par exemple, a accepté de fournir gratuitement les douze premières semaines de traitement de la polyarthrite rhumatoïde modérée ou grave à l'aide du certolizumab pegol ; le NHS continuera ensuite à payer le traitement si la réponse clinique est positive.
- Dans les accords de *plafonnement des doses*, le NHS paie les premiers cycles de traitement et l'entreprise prend en charge le coût de la poursuite du traitement. Le NHS, par exemple, paie les premières quatorze doses (par œil) de ranibizumab pour le traitement de la dégénérescence maculaire exsudative aiguë et Novartis couvrira le coût des injections suivantes pour la période allant jusqu'à trois ans.
- Les accords de *rabais*, qui garantissent simplement un rabais minimum au NHS (pouvant en outre être renégocié par les acheteurs locaux), diffèrent des accords confidentiels généralement signés dans d'autres pays de l'OCDE entre les entreprises pharmaceutiques et les organismes de paiement publics ou privés dans la mesure où il s'agit d'accords publics qui, dans certains cas, plafonnent le coût total du traitement pour un individu. Roche, par exemple, a accepté de pratiquer une remise de 14,5 % sur le prix du médicament (erlotinib) pour le traitement du cancer bronchique non à petites cellules, afin de ramener ce prix au niveau de celui d'un produit concurrent moins cher jusqu'à la publication des résultats définitifs des essais cliniques de comparaison directe des deux traitements et une nouvelle évaluation du NICE.

Une enquête récente sur la mise en œuvre des dispositifs PAS aux Royaume-Uni conclut que les sommes remboursées aux hôpitaux dans le cadre de deux de ces accords ne sont pas transmises aux groupements de soins primaires (Primary Care Trusts) qui paient en définitive les services de soins fournis à leurs patients. En outre, les hôpitaux se plaignent du manque de personnel pour gérer les PAS et récupérer les sommes dues par les entreprises. Le service de liaison créé récemment au sein du NICE devrait faciliter la mise en œuvre des PAS, qui devrait bénéficier aussi de l'établissement de formulaires standards pour les accords de PAS établis au niveau local (Williamson, 2010).

Source : NICE, site internet ; Williamson (2010) ; Pharmaceutical Price Regulation Scheme (2009 ; see [www.dh.gov.uk/en/Publicationsandstatistics/Publications/DH\\_091825](http://www.dh.gov.uk/en/Publicationsandstatistics/Publications/DH_091825)).

Les accords spécifiques par produit pourraient se révéler un nouveau moyen utile de promouvoir l'accès des patients aux traitements innovants, en faisant dépendre le financement public de l'intérêt thérapeutique du médicament. Toutefois, on ne dispose pas encore de données suffisantes et convaincantes sur leur efficacité. Ce type d'accords se développant rapidement dans les pays de l'OCDE, il est nécessaire d'en évaluer l'impact en termes de bénéfices et de coûts. Cette évaluation devrait porter sur leur conception générale (tous les accords peuvent-ils fonctionner en pratique ?) ainsi que sur leurs résultats ultimes.

## 5. Efforts engagés pour développer le marché des génériques

Tous les pays de l'OCDE considèrent le développement du marché des génériques comme un bon moyen d'accroître l'efficacité des dépenses pharmaceutiques en offrant des produits moins chers que les médicaments sous brevet et en permettant la réallocation de ressources financières rares au profit des médicaments innovants. La plupart des pays de l'OCDE ont mis en œuvre des politiques visant à promouvoir l'utilisation des génériques (voir tableau 6.1). Néanmoins, au sein de l'OCDE, la part des génériques dans les ventes de produits pharmaceutiques varie fortement selon les pays (graphique 6.6).

Comme l'arrivée sur le marché de produits génériques entraîne très souvent un effondrement des revenus tirés des produits princeps, les entreprises pharmaceutiques ont conçu diverses stratégies pour prolonger le plus possible la période d'exclusivité de leurs produits sur le marché et/ou contrer l'apparition de médicaments génériques (OCDE, 2008). Dans une enquête de grande ampleur sur les méthodes utilisées par les entreprises pharmaceutiques pour retarder la mise en vente de génériques dans 27 pays de l'Union européenne entre 2000 et 2007, la Commission européenne a recensé un certain nombre de stratégies plus ou moins légitimes, notamment : le dépôt stratégique de brevets (la multiplication de brevets successifs pour un même produit afin d'accroître l'incertitude quant à l'expiration du brevet) ; le développement indu des actions en contentieux sur des brevets ; et les ententes avec les fabricants de génériques pour limiter ou retarder l'entrée des génériques sur le marché (Commission européenne, 2008). La Commission européenne en conclut que l'application du droit de la concurrence doit être surveillée de plus près et que l'Union européenne aurait tout à gagner à ce que soient créés des brevets communautaires et instauré un système de contentieux unifié.

Néanmoins, il serait erroné d'en conclure que les mesures prises par l'industrie pharmaceutique sont les principales responsables du retard du développement du marché des génériques. De nombreuses politiques publiques continuent également à en freiner le développement. La règle dite du « *patent linkage* », par exemple, qui veut que l'autorité chargée d'autoriser la commercialisation d'un produit vérifie si un brevet a expiré avant d'accorder cette autorisation, peut retarder indûment l'entrée d'un produit générique sur le marché. La plupart des pays de l'OCDE ont adopté une disposition du type « clause Bolar » autorisant les agences du médicament à évaluer les demandes d'homologation de produits génériques et à accorder une autorisation de commercialisation avant l'extinction du brevet<sup>89</sup>, afin que les génériques puissent entrer sur le marché dès l'extinction du brevet. Cependant, quelques pays (par exemple la République slovaque et le Mexique) continuent à faire dépendre l'octroi de l'autorisation de commercialisation de l'extinction du brevet.

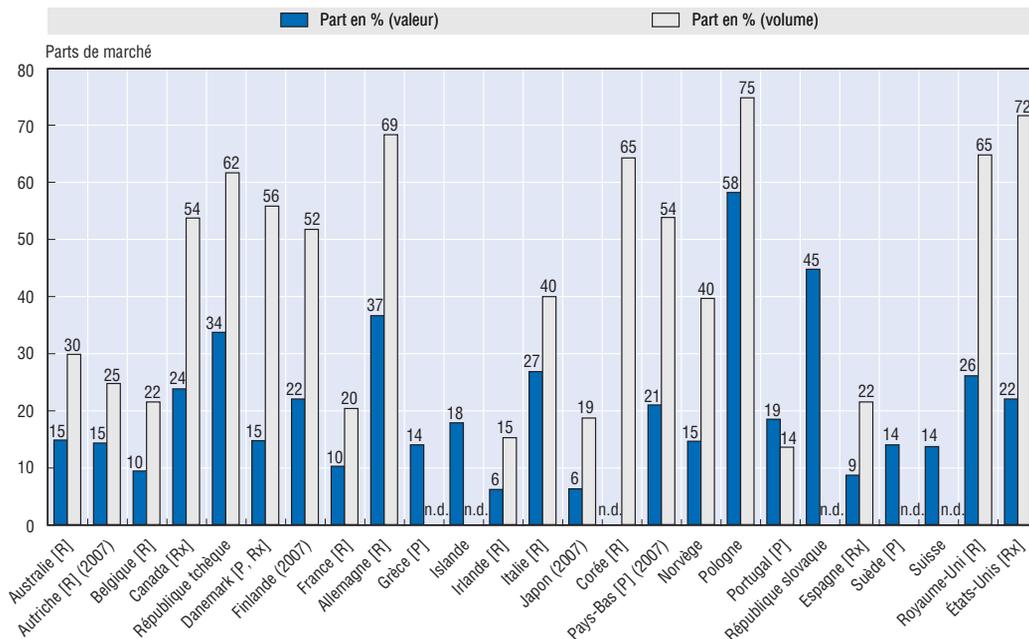
**Tableau 6.1. Mesures visant à promouvoir l'utilisation des médicaments génériques  
(informations disponibles en juillet 2010)**

Prescription en DCI			Substitution par des médicaments génériques			Mesures d'incitations à prescrire/dispenser/acheter des médicaments génériques (ou à bas coûts)			Politiques de fixation des prix et de remboursement	
Non autorisée	Autorisée	Obligatoire	Non autorisée	Autorisée	Obligatoire	En direction des pharmaciens	En direction des patients	En direction des médecins	Système de prix de référence	Prix lié (réduction prix 1er générique entrant/produit princeps)
Allemagne	X				X	NF	F	F	O	D
Australie		X		X		F	F	-	O	-12.5% <sup>1</sup>
Autriche	X		X			N	n.d.	NF	N	-48%,-15%+D
Belgique		X	X			NF	F	F&NF	O	-30%
Canada <sup>2</sup>		X <sup>2</sup>		X <sup>2</sup>	X <sup>2</sup>	F <sup>2</sup>	F <sup>2</sup>	<sup>2</sup>	O/N <sup>2</sup>	<sup>2</sup>
Chili				X		N	F	NF <sup>3</sup>	N	D
Corée		X		X		F	F	n.d.	n.d.	-32%,-15%
Danemark	X				X	NF	F	NF	O	D
Espagne		X			X	NF&F <sup>7</sup>	F	NF&F <sup>7</sup>	O	-30%
États-Unis <sup>9</sup>						F <sup>9</sup>	F <sup>9</sup>	N	N	D
Finlande		X			X	NF	F	NF	O	-40%
France		X		X		NF	F	NF&F	O	-55%+D
Grèce	X		X			N	F	N	O	-20%+D
Hongrie		X		X		NF	F	N	O	-30%,-10%,-10%
Irlande		X		X <sup>4</sup>		N	F	NF	O <sup>4</sup>	D
Islande				X		n.d.	F	n.d.	O	n.d.
Italie		X		X		F	F	NF	O	-20%
Japon		X		X		F	F	<sup>5</sup>	n.d.	-30% <sup>5</sup>
Luxembourg		X	X			n.d.	n.d.	NF	N	n.d.
Mexique				X			F	NF	N	D
Norvège		X		X		F	F	NF	N	D
Nouvelle-Zélande		X		X <sup>6</sup>		F	F	NF	n.d.	n.d.
Pays-Bas		X		X		F	F	n.d.	O	D
Pologne		X		X		NF	F	N	O	-25%,-25%
Portugal				X		N	F	N	O	-35%
Rép. slovaque		X			X	NF	F	NF	O	D
Rép. tchèque	X			X		n.d.	F	F	O	-20%
Royaume-Uni		X	X			F	N	NF	N	D
Suède		X			X	NF&F	F	NF	N	D
Suisse		X		X		F	F	N	N	-20% à -50% <sup>8</sup>
Turquie	X			X			F	-	O	-20%

Note : D = modèle de prix dégressif (les prix des produits princeps et des produits génériques sont tous deux réduits après une période initiale) ; DCI = dénominations communes internationales des substances pharmaceutiques ; F = incitation financière ; N = Non ; n.d. = non disponible ; NF = incitations non financières ; O = Oui. Pour les pharmaciens, ce tableau ne prend en compte que les incitations émanant des plans d'assurance médicaments. Les incitations provenant du marché (par exemple remises des fabricants, intégration verticale, etc.) ne sont pas indiquées. Prix lié : politique de prix liant le prix (maximum) du premier générique entrant sur le marché (et les suivants dans certains cas) au prix du produit princeps. La dynamique des prix peut différer d'un pays à l'autre par la suite.

1. La réduction de prix s'applique au produit générique et au produit princeps.
2. Au Canada, la réglementation régissant la substitution de médicaments génériques aux médicaments d'ordonnance diffère selon les provinces et les territoires. Les mesures d'incitation en direction des médecins, des pharmaciens et des patients varient selon les plans d'assurance médicaments. Les prix de référence ne sont utilisés que par quelques plans d'assurance médicaments.
3. Seulement dans le secteur public.
4. Mesure adoptée, mise en œuvre prochainement.
5. Au Japon, il n'y a pas d'incitation directe pour les médecins, mais il existe une incitation en direction des établissements médicaux. Les prix des génériques sont révisés après leur entrée sur le marché.
6. Si le pharmacien a conclu un accord de substitution avec le prescripteur.
7. Dans certaines régions.
8. En fonction des ventes du produit princeps sur le marché.
9. La législation sur la prescription en DCI et la substitution n'est pas uniforme entre les États. Les incitations en direction des pharmaciens, des patients et des médecins varient selon les plans d'assurance médicaments. Les co-paiements acquittés par les patients sont généralement plus faibles pour les génériques.

Source : Diverses sources, notamment les profils de pays PPRI (<http://ppri.oebig.at>, publications) et communications individuelles.

**Graphique 6.6. Parts de marché des médicaments génériques en 2008**

n.d. = non disponible ; P = marché des pharmacies de ville ; R = marché des médicaments remboursables (patients externes) ; RX : marché des médicaments de prescription ; Autres : marché total.

Source : Données nationales et EFPIA (2010).

En outre, dans de nombreux pays, les procédures de fixation des prix et du taux de remboursement retardent également l'entrée des génériques sur le marché. Compte tenu du caractère spécifique des produits génériques, ces procédures pourraient certainement être raccourcies ou accélérées afin d'activer la commercialisation de ces médicaments (EGA, 2009 ; Commission européenne, 2008). En Australie, par exemple, l'accord conclu récemment entre le gouvernement et la principale association de l'industrie pharmaceutique prévoit l'évaluation parallèle de nouveaux produits par les autorités chargées de délivrer les autorisations de mise en vente et par celles chargées de fixer les prix à partir de 2011. Dans certains pays, aux procédures d'autorisation de mise en vente et de fixation des prix et du taux de remboursement s'ajoute une étape supplémentaire visant à réduire les possibilités de substitution en définissant des catégories de « produits interchangeables » à l'intention des pharmaciens. Ces pays devraient examiner le coût et les bénéfices de cette procédure et voir s'il serait possible de la remplacer par une procédure générale établissant une fois pour toutes des normes de substitution et d'interchangeabilité de caractère plus général, en laissant les pharmaciens décider de l'application de ces normes à des produits particuliers.

Les politiques de prix de référence et de « prix lié » peuvent réduire la concurrence sur les prix des génériques, dans certains cas. Avec les prix de référence, les organismes de paiement fixent un prix de remboursement maximum pour certains groupes de produits, le plus souvent en référence au prix du ou des génériques les moins chers. Les

consommateurs doivent payer la différence entre le prix du médicament et le montant remboursé. Cette politique n'incite guère les fabricants de génériques ou les pharmaciens à vendre des médicaments génériques à un prix inférieur au prix de remboursement maximum et pourrait même, à long terme, réduire la concurrence sur les prix, surtout si les prix de référence ne sont pas régulièrement réactualisés. D'un autre côté, les prix de référence favorisent clairement la pénétration des génériques sur le marché pharmaceutique, ce qui constitue toujours une forte priorité dans plusieurs pays.

De nombreux pays fixent le prix des génériques sur la base de celui du produit princeps minoré d'un pourcentage, ce qu'on appelle la pratique du « prix lié » (*price linkage*). Par exemple en France, le prix des génériques est fixé 55 % au-dessous du prix du produit princeps (voir tableau 6.1). Toutefois, cette politique n'est pas très intéressante pour les tiers payants : une fois un brevet éteint, ils n'ont pas de raisons de payer un prix plus élevé pour un médicament de marque que pour un produit bio-équivalent. La fixation d'un prix unique de remboursement par groupes de produits est une meilleure formule pour les tiers payants et elle laisse la possibilité aux fournisseurs de fixer un prix supérieur s'ils pensent pouvoir compter sur la fidélité des utilisateurs à leur marque. En outre, la méthode du prix lié peut contribuer à réduire la concurrence sur les prix des génériques : dans les marchés à prix libres, il est probable que le prix des génériques baissera avec l'augmentation du nombre de concurrents. Certains pays ont introduit des « modèles de prix dégressifs », dans lesquels les prix des produits princeps (et parfois des produits génériques) sont réduits après une période initiale dans l'espoir de refléter la dynamique du marché des médicaments dont le brevet est tombé dans le domaine public (Autriche, France, Norvège, par exemple). Cette approche ne garantit pas cependant que les prix des génériques seront aussi bas qu'ils pourraient l'être sur un marché moins réglementé.

La majorité des pays de l'OCDE autorisent les médecins à prescrire en dénomination commune internationale (DCI) et/ou les pharmaciens à remplacer les médicaments prescrits par des produits équivalents moins chers<sup>10</sup> (voir tableau 6.1). Cependant, les comportements professionnels ne sont pas déterminés uniquement par la législation. Si 80 % des ordonnances sont prescrites en DCI au Royaume-Uni, cela n'est vrai que de 12 % seulement des ordonnances en France (PPRI, 2008b). D'autre part, le fait que les pharmaciens sont autorisés à remplacer les produits originaux par des génériques ne veut pas dire qu'ils le font en pratique. Quelques pays n'autorisent toujours pas les prescriptions en DCI ou la substitution par les génériques dans les pharmacies, en particulier la Grèce où le marché des génériques est extrêmement restreint. Dans un autre petit groupe de pays (Danemark et Suède, par exemple), le pharmacien doit obligatoirement remplacer les médicaments prescrits par des génériques. Toutefois, il ne semble pas qu'il s'agisse là d'une condition nécessaire pour assurer un haut degré de pénétration des génériques puisque ces derniers occupent déjà une part importante de marché dans plusieurs pays où la substitution n'est pas obligatoire comme la Pologne et le Royaume-Uni (voir graphique 6.6).

Des incitations financières à l'intention des médecins, des pharmaciens et des patients ont été mises en place afin de favoriser le développement du marché des génériques. Les médecins sont encouragés financièrement de plusieurs façons à prescrire des produits de substitution moins chers : ils peuvent recevoir un financement par patient (capitation) et être autorisés à conserver les économies éventuellement réalisées grâce à la prescription de produits moins chers, comme cela s'est fait pour certains groupements de médecins, aux États-Unis dans les années 90, ou pour les médecins généralistes chargés de gérer un budget (les « GP fundholders »), au Royaume-Uni. Les médecins peuvent bénéficier d'un

avantage financier s'ils atteignent les objectifs de prescription de génériques définis dans les systèmes de rémunération à la performance. Par exemple, le Programme d'amélioration des pratiques individuelles (CAPI) en France, prévoyant la signature de contrats sur une base volontaire entre l'assurance maladie et les généralistes offre une rémunération complémentaire aux médecins s'ils atteignent des objectifs fixés en termes de pourcentage de génériques prescrits pour un certain nombre de groupes de génériques (voir chapitre 4). Au contraire, les médecins peuvent être pénalisés si leur coût moyen de prescription dépasse la moyenne de leur groupe de pairs. Cette dernière option a été appliquée en Allemagne et, bien qu'il se soit révélé très difficile de pénaliser les médecins, ce mode d'incitation a encouragé la prescription de médicaments moins chers.

Les incitations en direction des patients dépendent des sommes qui restent à leur charge. Les modalités de la participation financière des usagers influent certainement sur le recours aux génériques lorsque les patients ont le choix. Les patients ont financièrement intérêt à choisir des médicaments moins chers lorsque le ticket modérateur est un taux (exprimé en pourcentage du prix), lorsqu'il est plus faible pour les génériques (modulation du ticket modérateur) ou dans les systèmes de prix de référence. Certains pays ont renforcé les incitations existantes afin de stimuler l'utilisation des génériques. En 2006, par exemple, la Suisse a relevé de 10 à 20 % le taux de la participation financière des usagers pour les médicaments de marque pour lesquels existent des génériques interchangeable moins chers. En 2008, la France a décidé que les patients devront payer leurs médicaments à l'avance et être remboursés plus tard s'ils refusent la substitution par des génériques (alors qu'habituellement le pharmacien est directement payé par l'organisme de tiers payant).

Les mesures en direction des pharmaciens visent généralement à remédier à la « désincitation » inhérente au mode de rémunération des pharmaciens dans la grande majorité des pays de l'OCDE : les marges des pharmaciens sont établies sur la base du prix des médicaments et elles sont donc plus élevées (en termes absolus) dans le cas des produits plus chers. De ce fait, les pharmaciens sont pénalisés lorsqu'ils remplacent un médicament par un générique moins cher. Plusieurs pays (par exemple la France) ont pris des mesures pour inverser ou tout au moins neutraliser cette désincitation. D'autres pays ont créé des incitations positives : en Suisse, par exemple, les pharmaciens reçoivent une rémunération pour la substitution par les génériques. Dans plusieurs pays (Hongrie, Norvège, Pologne, par exemple), les pharmaciens ont l'obligation d'informer les patients de l'existence d'une alternative moins coûteuse, qui agit comme une incitation non financière pour encourager la substitution par les génériques.

Une autre caractéristique importante de la distribution est la capacité des fabricants à négocier des remises ou des rabais avec les grossistes et/ou les pharmaciens afin de gagner des parts de marché sur leurs concurrents génériques. Les pharmaciens étant généralement libres de choisir n'importe quel générique lorsqu'ils substituent un générique à un princeps, les fabricants de génériques sont prêts à consentir des remises ou des rabais élevés sur leurs produits afin d'accroître leurs parts de marché. La concurrence, féroce dans certains pays, s'est traduite par des remises très élevées, améliorant ainsi les revenus des pharmaciens. Cependant, la préoccupation commune des pays ayant mis en place des prix réglementés ou des prix de remboursement maximum pour les génériques est que les organismes tiers payants et les consommateurs ne bénéficient pas de cette concurrence sur les prix. Au Canada, par exemple, les réductions de prix ou les marges accordées aux pharmacies par les fabricants ont été estimées à 40 % du coût des médicaments génériques pour les payeurs (Bureau de la concurrence Canada, 2008).

Les pays de l'OCDE ont adopté différentes stratégies pour faire en sorte que les payeurs bénéficient de ces réductions de prix : certains d'entre eux ont plafonné les remises des fabricants (France, Province de l'Ontario au Canada pour les prestations publiques de médicaments).

En 2007, l'Australie a commencé à appliquer une nouvelle politique de « divulgation des prix ». Dans le cadre de ce nouveau dispositif, le WADP (*weighted average disclosed price* ou prix moyen pondéré divulgué) est calculé régulièrement pour les médicaments subventionnés par le Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS), pour l'ensemble des produits ayant le(s) même(s) ingrédient(s) actif(s) et le même mode d'administration, pour une période de 12 mois, en tenant compte des rabais accordés par les fabricants. Lorsque l'écart entre le prix départ usine retenu par le PBS et le WADP est de 10 % ou plus, le « prix PBS » est ajusté au niveau du prix calculé. Au Japon, les prix des médicaments sont régulièrement révisés (tous les deux ans en général) afin de les rapprocher des prix effectifs sur le marché tels que mesurés par l'enquête du gouvernement sur les prix des médicaments. Grâce à ce genre de dispositifs, la concurrence par les prix avec les génériques est avantageuse pour les payeurs et les consommateurs.

D'autres pays ont favorisé la passation directe de contrats entre assureurs de santé et fabricants. Les paragraphes ci-dessous présentent ces développements récents, ainsi que des données sur leur impact.

### ***Passation de contrats, appels d'offres, approvisionnements publics et concurrence sur le marché des génériques***

Des politiques de passation de contrats, d'appels d'offres et d'approvisionnements publics sont appliquées depuis plusieurs décennies sur certains segments de marché dans les pays de l'OCDE. Pendant les quatre dernières années, plusieurs pays ont développé les possibilités de contractualisation afin d'étendre ces pratiques et de favoriser ainsi la concurrence sur les prix des génériques dans le secteur ambulatoire. Bien que d'énormes réductions de prix aient pu être obtenues dans certains cas, l'impact à long terme sur le marché des génériques n'apparaît pas clairement et pourrait même, selon des études récentes, se révéler négatif. Il convient donc de réfléchir soigneusement aux modalités de contractualisation en vue d'améliorer l'efficacité des dépenses pharmaceutiques.

Aux États-Unis, les assureurs de santé et les gestionnaires de prestations pharmaceutiques passent des contrats avec les entreprises pharmaceutiques depuis les années 80. Ils obtiennent des rabais sensibles ou des remises confidentielles des fabricants en échange de l'inscription de leurs produits sur les listes de médicaments couverts, de l'octroi du statut de médicament préféré ou même de l'inscription à titre exclusif<sup>11</sup> sur les « formulaires » de médicaments sous brevet ou hors brevet vendus aux patients externes (US Federal Trade Commission, 2005). En 1997, la Nouvelle-Zélande a introduit des appels d'offres concurrentiels pour les médicaments génériques subventionnés dans le cadre du programme de prise en charge des médicaments des patients externes. Le processus d'adjudication a permis d'abaisser de façon significative le prix des médicaments : de 40 % en moyenne en 1997-1998 et de 60 % en 1999-2000. Dans le cas de certains produits, les réductions de prix ont atteint 84 à 96 % en cinq ans (OXERA, 2001). Dans d'autres pays, la méthode de la contractualisation a été appliquée principalement dans le secteur hospitalier, ainsi que pour l'achat de médicaments spécifiques (principalement des vaccins) par l'État ; elle ne commence à être utilisée que

depuis peu dans le secteur des patients externes d'un petit nombre de pays (Leopold *et al.*, 2008 ; Kanavos, 2009).

Aux Pays-Bas, les assureurs de santé sont autorisés à sélectionner, dans chaque classe de médicaments contenant un même principe actif, un ou plusieurs produits qui seront remboursés. Ils passent des contrats avec les entreprises pharmaceutiques afin d'obtenir un rabais ou une remise sur les prix en échange de l'octroi du statut de remboursement exclusif pendant une période donnée. Dans ce système, les patients doivent payer eux-mêmes les produits non sélectionnés, sauf si un médecin confirme qu'un besoin médical justifie l'emploi d'un produit spécifique.

Les assureurs de santé néerlandais recourent individuellement et collectivement aux appels d'offres. En 2005, sept assureurs de santé privés des Pays-Bas, couvrant environ 70 % de la population, ont décidé de lancer ensemble un appel d'offres pour l'achat de trois principes actifs hors brevet de très grande diffusion (la simvastatine, la pravastatine et l'oméprazole). Les fabricants offrant le prix le plus bas (ou supérieur de 5 % seulement au prix le plus bas) ont été sélectionnés et leurs médicaments fournis gratuitement aux patients, alors que les autres médicaments n'étaient pas remboursés du tout. Suite à un accord passé entre la Commission des assurances de santé, l'association des fabricants de médicaments génériques et l'association des pharmaciens pour 2007-08, la méthode des appels d'offres collectifs n'a pas été étendue à d'autres principes actifs. Néanmoins, 33 substances ont été sélectionnées en vue d'appels d'offres potentiels lancés individuellement par des assureurs de santé. Les assureurs peuvent recourir à d'autres mesures d'incitation : un assureur, par exemple, a décidé d'exempter les patients qui utilisent les médicaments préférés de la franchise annuelle s'appliquant aux médicaments prescrits en ambulatoire (Maarse, 2009 ; Kanavos, 2009).

Le total des économies initialement réalisées aux Pays-Bas grâce aux pratiques d'appels d'offres a atteint un montant substantiel (355 millions EUR) : la réduction des prix a pu atteindre 90 % dans certains cas et le remplacement par des génériques est devenu plus courant. Cependant, les pharmacies ont vu diminuer brutalement les revenus qu'elles tiraient auparavant des rabais que leur accordaient auparavant les fabricants de génériques, ce qui a mis en danger la viabilité d'un grand nombre d'entre elles. Pour compenser ce manque à gagner, le paiement des pharmaciens pour l'exécution d'ordonnance a été porté de 6 EUR à 8.25 EUR, générant ainsi un revenu additionnel de 200 millions EUR pour les pharmaciens mais annulant en partie les économies réalisées par les fonds d'assurance santé (Kanavos, 2009).

Néanmoins, d'après les fabricants de produits génériques, les pratiques actuelles d'appel d'offres exercent une pression excessive sur les prix et risquent, à long terme, de compromettre le marché des génériques, les entreprises étant tentées d'abandonner le marché néerlandais.

En Allemagne, la Loi de 2007 sur le développement de la concurrence dans le domaine des assurances de santé a mis en place un ensemble d'incitations visant à favoriser le développement des opportunités contractuelles pour les caisses d'assurance maladie. Aux termes de la nouvelle loi, lorsqu'une caisse passe un contrat avec une entreprise pharmaceutique (en pratique principalement des fabricants de génériques) pour obtenir des réductions de prix, les pharmaciens sont obligés de remplacer le médicament initialement prescrit par le médicament « préféré », sauf si le médecin exclut formellement la substitution<sup>12</sup>. Les caisses d'assurance maladie recourent aux appels d'offre pour deux types de contrats : les contrats d'achat d'un principe actif spécifique et les contrats portant sur un portefeuille de produits.

Ces dispositions ont été contestées par les entreprises pharmaceutiques devant l'organe antitrust allemand et examinées par la Cour européenne de justice qui a statué en définitive que les caisses d'assurance maladie allemandes doivent se conformer à la réglementation européenne sur les achats publics (Kanavos, 2009).

Au Canada, la Colombie-britannique, l'Ontario et le Saskatchewan émettent des appels d'offres pour l'achat pour leurs programmes publics d'un petit nombre de molécules de très grande diffusion. Le soumissionnaire gagnant est l'entreprise qui offre la remise confidentielle la plus élevée et il bénéficie pendant une certaine période de l'inscription à titre exclusif sur les listes de médicaments couverts. On ignore l'ampleur des remises confidentielles ainsi obtenues. Cependant, dans un cas, le gouvernement de l'Ontario a suspendu une procédure d'adjudication portant sur un médicament (la ranitidine) parce que le fabricant du médicament d'origine a accepté de réduire de 75 % son prix sur la liste des médicaments couverts, ce qui laisse à penser que les réductions de prix sont sans doute d'une ampleur équivalente (Bureau de la concurrence Canada, 2008 ; Hollis, 2009).

Ces diverses expériences montrent que les procédures d'appels d'offres permettent des économies à court terme grâce à une réduction drastique des prix et, dans certains cas, l'augmentation de la part des génériques sur le marché. Cependant, les appels d'offres tendent aussi à accroître la concentration du marché, avec le risque, à long terme, d'une concurrence affaiblie si certains fournisseurs de génériques décident de quitter le marché. Dans certains cas aussi, le soumissionnaire gagnant n'a pas réussi à alimenter le marché et les pays concernés ont connu des ruptures de stock.<sup>13</sup> Par conséquent, les procédures d'appel d'offres doivent être soigneusement conçues afin, d'une part, de garantir que l'entreprise gagnante soit en mesure d'alimenter suffisamment le marché et fasse l'objet, en cas d'échec, de sanctions exécutoires et, d'autre part, d'empêcher les entreprises concurrentes d'abandonner le marché national.

## 6. Conclusions

Les décideurs s'efforcent d'adapter en permanence les politiques pharmaceutiques afin de répondre aux enjeux nouveaux résultant de la dynamique du marché et des progrès de la médecine, dans l'objectif d'assurer l'accès de leurs citoyens à des médicaments d'un coût abordable, de contenir la progression des dépenses et de soutenir les activités de R-D. Les répercussions de ces politiques sur les marchés nationaux et sur les capacités d'innovation doivent être évaluées afin de procéder, le cas échéant, aux ajustements nécessaires.

Pour faire face à la crise économique et s'attaquer à des déficits budgétaires sans précédent, plusieurs pays de l'OCDE ont récemment mis en œuvre des mesures vigoureuses pour réduire les dépenses de médicaments ou, tout au moins, contenir leur progression.

Plusieurs pays s'efforcent de rendre le processus de fixation des prix des nouveaux produits pharmaceutiques plus « rationnel », afin d'améliorer l'efficacité des dépenses de médicaments. Les répercussions budgétaires et/ou le rapport coût-efficacité sont maintenant parfois explicitement pris en compte dans les décisions de couverture de nouveaux médicaments. La restriction de la couverture est mal acceptée par le public et les responsables de l'élaboration des politiques sont partagés entre l'impératif de la « rationalité économique » (maximiser l'efficacité des dépenses publiques) et la nécessité de répondre aux attentes du public.

Pour résoudre ce dilemme, certains pays ont modifié les critères à prendre en compte dans les décisions de couverture. D'autres pays ont développé des accords innovants pour la fixation des prix, qui font dépendre l'octroi d'un financement public des résultats de santé obtenus. Bien qu'il soit encore trop tôt pour se prononcer – la collecte de données plus solides sera nécessaire –, il semble que certaines des mesures présentées pourraient constituer des moyens d'intervention nouveaux pour les payeurs des organismes de santé désireux d'améliorer l'efficacité de leurs dépenses sans encourir de risques trop grands au plan financier.

Une autre stratégie pour accroître l'efficacité des dépenses de médicaments consiste à étendre le marché des médicaments génériques. Les pays de l'OCDE ont mis en œuvre des politiques visant à promouvoir l'utilisation des génériques : dans presque tous ces pays, les médecins ont désormais la possibilité de prescrire en DCI et les pharmaciens ont le droit de substituer des génériques aux produits de marque. Néanmoins, dans plusieurs pays de l'OCDE, le marché des médicaments génériques reste sous-développé, ce qui semble indiquer l'absence d'incitations économiques appropriées en direction des prestataires, des médecins, des pharmaciens et des patients. En outre, dans plusieurs pays, la concurrence par les prix est restée faible ou n'a pas profité aux consommateurs et aux tiers payants. Le recours à la méthode plus volontariste des appels d'offres, par exemple en Allemagne et aux Pays-Bas, s'est traduit par des réductions de prix immédiates, parfois énormes. Cette approche, néanmoins, ne va pas sans risques : l'expérience montre que les appels d'offres doivent être soigneusement conçus de façon à éviter le problème de ruptures de stock ou, dans une perspective plus longue, d'une concentration excessive du marché.

## Notes

1. Dans le système des comptes de la santé, les « dépenses pharmaceutiques » désignent les dépenses de médicaments et d'autres biens médicaux non durables délivrés aux patients externes. Elles incluent les médicaments prescrits, les médicaments délivrés sans ordonnance, ainsi que divers biens médicaux non durables, tels que pansements, bas de contention, articles d'incontinence, préservatifs et autres dispositifs mécaniques de contraception. Elles n'incluent pas les dépenses de médicaments prescrits aux patients hospitalisés. Ces dernières représentent de 5 % à 15 % des dépenses pharmaceutiques totales dans les pays pour lesquels on dispose de données.
2. [www.who.int/medicines/areas/policy/imsreport/en/index.html](http://www.who.int/medicines/areas/policy/imsreport/en/index.html), consulté le 18 mai 2010.
3. Les médicaments utilisés dans les hôpitaux sont généralement pris en charge par les régimes publics et sociaux au titre des « prestations d'hospitalisation ».
4. En Allemagne, 10 % des résidents sont couverts par un plan d'assurance maladie privé. Bien que les assureurs santé privés aient une certaine latitude pour définir leur enveloppe de prestations, le plus souvent ils prennent en charge les mêmes produits pharmaceutiques que les régimes santé obligatoires.
5. Les principales défaillances du marché sur le marché des médicaments prescrits aux patients externes sont les suivantes : la faible sensibilité du consommateur aux prix

(en raison de la prise en charge par l'assurance) ; la position de monopole des fabricants pour les médicaments brevetés, en particulier lorsqu'il n'existe pas d'alternative thérapeutique ; et la dissociation entre la décision d'achat (par le médecin, qui généralement n'est pas sensible au prix) et la responsabilité d'assumer le coût (patients et tiers payant). Dans les pays où l'assurance médicaments est offerte principalement par des régimes sociaux ou publics, la nécessité de contenir la progression des dépenses de santé et de bien gérer les dépenses est une justification de la réglementation des prix de remboursement.

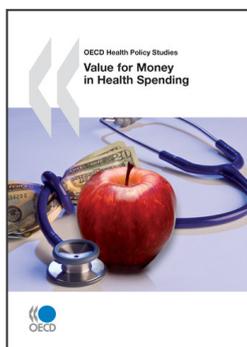
6. On n'observe pas de tendance nette en ce qui concerne la réglementation des prix pour les médicaments utilisés dans les hôpitaux : de nombreux pays établissent des listes des prix maximum, tandis que d'autres ne réglementent pas du tout les prix. La caractéristique commune est que les procédures d'achat permettent généralement des négociations des prix. Les hôpitaux qui ont des contraintes budgétaires sont sensibles aux prix et ils utilisent leur pouvoir d'achat pour négocier les prix chaque fois que possible.
7. Les « médicaments orphelins » sont, fondamentalement, des médicaments destinés à traiter des maladies rares. Les seuils de rareté d'une maladie varient selon les pays : les « maladies rares » sont celles qui touchent moins d'une personne sur 1 500 aux États-Unis, moins d'une personne sur 2 000 dans l'Union européenne et moins d'une personne sur 2 500 au Japon. Les États-Unis et l'Union européenne ont pris des mesures visant à encourager les investissements privés de R-D axés sur les maladies rares (par exemple, période plus longue d'exclusivité commerciale) et ont établi des critères pour l'attribution du statut de « médicament orphelin ». Dans l'Union européenne, ces critères sont les suivants : la gravité de la maladie, le fait de répondre à un besoin encore non couvert et une prévalence inférieure à 1/2000 ou bien la perspective d'un retour sur investissement négatif.
8. Les agences du médicament ne peuvent évaluer une demande d'enregistrement de produit générique avant la fin de la « période d'exclusivité des données », qui est de 5 ans aux États-Unis et de 8 à 11 ans dans l'Union européenne.
9. L'expression « extinction du brevet » désigne ici à la fois l'expiration du brevet et l'expiration des certificats complémentaires de protection qui existent dans de nombreux pays de l'OCDE.
10. Le « droit de substitution » est sans effet ou implicite lorsqu'un médecin prescrit en DCI.
11. Avec l'octroi du statut de médicament « préféré », un médicament bénéficie de co-paiements moins élevés que ses concurrents. L'inscription « à titre exclusif » signifie que le médicament est le seul produit couvert par le plan d'assurance-médicaments dans la classe thérapeutique à laquelle il appartient.
12. Dans un but de cohérence avec les mesures visant à encourager les médecins à établir des prescriptions efficaces, les médicaments « préférés » sont exclus des statistiques utilisées pour contrôler le respect par les médecins de leurs objectifs de prescription et imposer, le cas échéant, des sanctions financières.
13. Selon Carradinha (2009), les Pays-Bas et la Nouvelle-Zélande ont tous deux connu des ruptures de stock de certains médicaments parce que le soumissionnaire gagnant n'a pu remplir ses engagements. Dans les deux cas, le problème a été résolu parce que des concurrents ont été en mesure de fournir le produit.

## ***Bibliographie***

- Bureau de la concurrence Canada (2008), *Pour une concurrence avantageuse des médicaments génériques au Canada : Préparons l'avenir*, Bureau de la concurrence Canada, Ottawa
- Carlson, *et al.* (2010), « Linking Payment to Health Outcomes: A Taxonomy and Examination of Performance-based Reimbursement Schemes between Health Care Payers and Manufacturers », *Health Policy*, sous presse.
- Carradinha, H. (2009), « Tendering Short-term Pricing Policies and the Impact on Patients, Governments and the Sustainability of the Generic Industry », *Journal of Generic Medicines*, vol. 6, n° 4, pp. 351-361.
- Commission européenne (2008), *Synthèse du rapport d'enquête sur le secteur pharmaceutique*, Communication de la Commission, Bruxelles.
- Conseil de l'Union européenne (2009), « Deuxième évaluation commune par le Comité de la protection sociale et la Commission européenne des conséquences sociales de la crise économique et des réponses politiques apportées », Conseil de l'Union européenne, Bruxelles.
- EFPIA – Fédération européenne des industries et associations pharmaceutiques (2010), *The Pharmaceutical Industry in Figures – Édition 2010*, EFPIA, Bruxelles.
- EGA (2009), *How to Increase Patient Access to Generic Medicines in European Health Care Systems*, European Generic Medicines Association, Bruxelles.
- Faden, R. *et al.* (2009), « Expansive Cancer Drugs : A Comparison between the United States and the United Kingdom », *The Milbank Quarterly*, vol. 87, n° 4, pp. 789-819.
- Garau, M. et J. Mestre-Ferrandiz (2009), « Access Mechanisms for Orphan Drugs: A Comparative Study of Selected European Countries », OHE Briefing n° 52, Office of Health Economics, Londres.
- Habl, C. *et al.* (2008), *Referenzpreissysteme in Europa*, ÖBIG Forschungs- und Planungsgesellschaft mbH, Vienne.
- Hollis, A. (2009), *Generic Drug Pricing and Procurement : A Policy for Alberta*, SPS Research Papers – The Health Series, vol. 2, no 1, Université de Calgary, Calgary.
- IMS (2008), « Defining Risk-Sharing », *Pharma Pricing and Reimbursement*, n° 2, IMS, Norwalk, CT, pp. 78-80.
- IMS (2009), « Innovative Pricing Agreements to Enhance Access Prospects », *Pharma Pricing and Reimbursement*, vol. 14, n° 8, IMS, Norwalk, CT, pp. 238-243.
- Kaiser Family Foundation (2010), « Prescription Drug Trends – May 2010 Fact Sheet », Kaiser Family Foundation, Washington.
- Kanavos, P. (2009), *Tender Systems for Outpatient Pharmaceuticals in the European Union : Evidence from the Netherlands, Germany and Belgium*, London School of Economics, Londres.
- Lee, T.H. et E.J. Emanuel (2008), « Tier 4 Drugs and the Fraying of the Social Impact », *New England Journal of Medicine*, vol. 359, n° 4, pp. 333-335.

- Leopold, C., C. Habl et S. Vogler (2008), *Tendering of Pharmaceuticals in EU Member States and EEA Countries*, ÖBIG Forschungs- und Planungsgesellschaft mbH, Vienne.
- LFN – Swedish Pharmaceutical Benefits Board (2007), *The Swedish Pharmaceutical Reimbursement System*, LFN, Solna.
- Maarse, H. (2009), « Drug Preference Policy », *Health Policy Monitor*, octobre 2009, disponible à l'adresse : [www.hpm.org/en/Surveys/BEOZ\\_Maastricht\\_-\\_Netherlands/14/Drug\\_preference\\_policy.html](http://www.hpm.org/en/Surveys/BEOZ_Maastricht_-_Netherlands/14/Drug_preference_policy.html).
- Mason, A. et M. Drummond (2009), « Public Funding of Cancer Drugs: Is NICE Getting Nastier ? », *European Journal of Cancer*, vol. 45, pp. 1188-1192.
- Moïse, P et E. Docteur (2007), « Pharmaceutical Pricing and Reimbursement in Mexico », Documents de travail de l'OCDE sur la santé, n° 25, Éditions de l'OCDE, Paris.
- NICE (2008), *Social Value Judgements : Principles for the Development of NICE Guidance*, NICE, Londres.
- NICE (2009), *Appraising Life-extending, end-of-life Treatments*, NICE, Londres.
- Nikolentzos, A., E. Nolte et N. Mays (2008), *Paying for Expensive Drugs in the Statutory System: An Overview of experiences in 13 Countries*, London School of Hygiene and Tropical Medicine, Londres.
- OCDE (2008), *Pharmaceutical Pricing Policies in a Global Market*, Éditions de l'OCDE, Paris.
- OCDE (2010a), *Eco-Santé OCDE*, Éditions de l'OCDE, Paris.
- OCDE (2010b), *The OECD Innovation Strategy: Getting a Head Start on Tomorrow*, Éditions de l'OCDE, Paris.
- OXERA (2001), *Fundamental Review of the Generic Drugs Market*. Rapport établi pour le Department of Health, OXERA, Oxford.
- Paris, V. et E. Docteur (2006), « Pharmaceutical Pricing and Reimbursement in Canada », Documents de travail de l'OCDE sur la santé, n° 24, Éditions de l'OCDE, Paris.
- Paris, V. et E. Docteur (2008), « Pharmaceutical Pricing and Reimbursement in Germany », Documents de travail de l'OCDE sur la santé n° 39, Éditions de l'OCDE, Paris.
- Paris, V., M. Devaux et L. Wei (2010), « Health Systems Institutional Characteristics: A Survey of 29 OECD Countries », Documents de travail de l'OCDE sur la santé, n° 50, Éditions de l'OCDE, Paris.
- PPRI Participants (2007), *The United Kingdom Pharma Profile*, Publications/country reports, ÖBIG, Vienne, disponible en ligne à l'adresse <http://ppri.oebig.at>.
- PPRI Participants (2008a), *Denmark Pharma Profile*, Publications/country reports, ÖBIG, Vienne, disponible en ligne à l'adresse <http://ppri.oebig.at>.
- PPRI Participants (2008), *France Pharma Profile*, ÖBIG, Vienne, disponible en ligne à l'adresse <http://ppri.oebig.at>.

- Raftery, J. (2008), « Paying for Costly Pharmaceuticals: Regulation of New Drugs in Australia, England and New-Zealand », *Medical Journal of Australia*, vol. 188, n° 1, pp. 26-28
- US Federal Trade Commission (2005), *Pharmacy Benefit Managers: Ownership of Mail-order Pharmacies*, US FTC.
- Vogler S., J. Espin et C. Habl (2009), « Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information (PPRI). New PPRI Analysis including Spain », *Pharmaceuticals Policy and Law*, vol. 11, pp. 213-234.
- Vogler, S. *et al.* (2007), « PPRI (Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information) Report », GOG- ÖBIG, Vienne, disponible en ligne à l'adresse <http://ppri.oebig.at>.
- Williamson, S. (2010), « Patient Access Schemes for High-cost Cancer Medicines », *The Lancet Oncology*, vol. 11, pp. 111-112.



Extrait de :  
**Value for Money in Health Spending**

**Accéder à cette publication :**

<https://doi.org/10.1787/9789264088818-en>

**Merci de citer ce chapitre comme suit :**

OCDE (2010), « Optimiser les dépenses de médicaments », dans *Value for Money in Health Spending*, Éditions OCDE, Paris.

DOI: <https://doi.org/10.1787/9789264088832-9-fr>

Cet ouvrage est publié sous la responsabilité du Secrétaire général de l'OCDE. Les opinions et les arguments exprimés ici ne reflètent pas nécessairement les vues officielles des pays membres de l'OCDE.

Ce document et toute carte qu'il peut comprendre sont sans préjudice du statut de tout territoire, de la souveraineté s'exerçant sur ce dernier, du tracé des frontières et limites internationales, et du nom de tout territoire, ville ou région.

Vous êtes autorisés à copier, télécharger ou imprimer du contenu OCDE pour votre utilisation personnelle. Vous pouvez inclure des extraits des publications, des bases de données et produits multimédia de l'OCDE dans vos documents, présentations, blogs, sites Internet et matériel d'enseignement, sous réserve de faire mention de la source OCDE et du copyright. Les demandes pour usage public ou commercial ou de traduction devront être adressées à [rights@oecd.org](mailto:rights@oecd.org). Les demandes d'autorisation de photocopier une partie de ce contenu à des fins publiques ou commerciales peuvent être obtenues auprès du Copyright Clearance Center (CCC) [info@copyright.com](mailto:info@copyright.com) ou du Centre français d'exploitation du droit de copie (CFC) [contact@cfcopies.com](mailto:contact@cfcopies.com).