



Centre fédéral d'expertise des soins de santé

Politiques pour maladies rares et médicaments orphelins



Alain Denis
Yellow Window Management Consultants
22/04/2010



Le Centre fédéral d'expertise des soins de santé (KCE) est un organisme d'intérêt public (parastatal) créé au niveau fédéral avec pour mission de produire des rapports d'étude aidant les responsables à prendre les décisions qui conduisent à l'allocation la plus efficace des moyens disponibles dans la dispensation des soins de façon à garantir la plus grande accessibilité à tous les usagers et à préserver le plus haut niveau de santé.



Plan

- **L'étude**
- **Le contexte**
- **« Issues »**
- **Recommandations**



Objectifs

- **Faire un état des lieux:**
 - Définitions utilisées pour médicaments orphelins
 - Processus réglementaire
 - Politiques nationales, belges et d'autres pays
- **Estimer l'impact budgétaire (futur)**
- Identifier **les points-clé** en matière de politique de médicaments orphelins
- **Formuler des recommandations**



Définition

“Medicinal products intended for the diagnosis, prevention or treatment of a life-threatening condition affecting no more than 5 in 10 000 persons in the EU”

Directive UE, 2000



Approche

- **Evaluation circonstanciée:**
 - **Littérature**
 - **Réglements**
 - **Interviews experts et partie-prenantes**
- **Comparaison des dossiers EMEA, EPAR et dossiers INAMI**
- **Comparaison internationale**
- **Impact budgétaire en Belgique**



Contexte

- **Réglementation européenne**
 - Stimuler l'innovation et l'offre
- **Désignation orpheline = UE**
- **Autorisation de Mise sur le Marché = UE**
- **Décision de remboursement = national**
- **Remboursement de patients individuels :
collèges des médecins pour les
médicaments orphelins**



Contexte - 2

- **Prix élevés:**

Coût par patient/an entre 6000 et 312.000 €

- **Classe 1 = remboursés à 100 %**
- **Stimulants: exclusivité de dix années**



Quels médicaments

- **Désignations: 648**
- **AMM: 58**
- **remboursés BE: 40**

Glivec, Nexavar, Lysodren, Revlimid, Sprycel, Sutent, Tassigna, Atriance, Evoltra, Litak, Savene, Torisel, Trisenox, Yondelis, Aldurazyme, Busilvex, Carbaglu, Elaprase, Dudopa, Exjade, Fabrazyme, Replagal, Increlex, Myozyme, Naglazyme, Orfadin, Revatio, Revlimid, Somavert, Thelin, Tracleer, Xagrid, Zavesca, ...



« Issues »

- 1. Prévalence ou motifs économiques**
- 2. Estimer la valeur ajoutée clinique**
- 3. Un équilibre entre aspects éthiques et économiques**
- 4. Fixation des prix**
- 5. Extension des indications**
- 6. Impact sur le budget**
- 7. Différences dans l'accès**
- 8. Notoriété**
- 9. Contrôle de l'éligibilité**



Issue 1 – Conditions afin d’obtenir le statut orphelin

soit

la prévalence (faible),

ou

L’investissement important comparé au
revenu potentiel

Versus

Prévalence **ET** investissement important



Issue 2 – Estimer la valeur ajoutée clinique

- **Est un challenge pour les médicaments orphelins**
- **EMA et le niveau national travaillent sur base de mêmes données (pour des décisions différentes)**
- **Données cliniques suite à la mise sur le marché manquent de transparence**



Issue 3 – Equilibre entre éthique et économie

- **Valeur de la vie humaine**
- **Tensions au niveau solidarité**
- **Pouvoir de personnes individuelles**



Issue 4 – Le prix

- **Les médicaments orphelins sont chers**
 - **Petits monopoles créés suite à l'exclusivité du marché de 10ans**
 - **Absence de mécanismes de correction sur le marché**



Issue 4 – Le prix

- **Pas tous les médicaments sont innovants => justification du prix élevé ?**



Issue 4 – Le prix

- **Extrait du rapport:**

Two orphan drugs that obtained a market authorisation from EMEA were refused reimbursement in Belgium because of the existence of an alternative in the form of a compounding preparation.

Although both cannot be compared as one is an artisanal product and the other an industrial product, the price difference was such that it prevented approval.



Issue 4 – Le prix

- **Extrait du rapport:**

Three of the 48 orphan drugs with Marketing Authorisation at the European level are drugs that have a “twin” product on the market. These twins are for other, non orphan indications and have a different brand name.

The orphan version of the twin is always marketed at a higher price.

Products: Revatio® , Savene® , Siklos®



Issue 5 – Extension des indications

- Médicaments orphelins avec plus d'une indication orpheline aux niveaux européen et belge sont

	Nombre d'indications EMEA	Nombre d'indications BE
Glivec®	6	2
Nexavar®	2	2
Sprycel®	2	1
Sutent®	2	2
Tracleer®	2	2



Issue 6 – Impact budgétaire

En 2008 les médicaments orphelins =

- **>5% du budget des médicaments hospitaliers**
- **<2% du budget total des médicaments**

En 2013 les médicaments orphelins peuvent représenter

- **> 10 % du budget des médicaments hospitaliers**
- **Près de 4 % du budget total des médicaments**



Issue 7 – Différences dans l'accès

Médicaments orphelins remboursés:

Pays-Bas	36
France	35
Belgique	31
Suède	28
Italie	23



Issue 7 – Différences dans l'accès

Mécanismes d'accès prématuré en Belgique:

- FSS
- usage compassionnel



Issue 8 – Notoriété

Extrait du rapport

The concept of “orphan drug” is a non-reality for the medical professionals. Their concern is the patient, the disease and the potential treatment. Whether the drug is an orphan drug or not has no importance. “Orphan drugs” is a technical concept, not understood, not commonly used by health professionals.

Solution: concentration de l'expertise; Plan National Maladies Rares



Issue 9 – Contrôle de l'éligibilité

- Collège est « bonne pratique »

Mais

- Collèges pour 18 des 31 médicaments
- Manque de transparence
- Ressources limitées



Recommendations



Recommandations européennes

- Définir les priorités pour la recherche
- Investir dans des registres de patients (fonds indépendants)
- Autorisation de mise sur le marché uniquement sur base de RCTs avec résultats cliniques pertinents (input des agences HTA)
- Coordination entre EM pour le prix
- Révision de la période d'exclusivité du marché sur base de la "rentabilité" (de toutes les indications du produit)

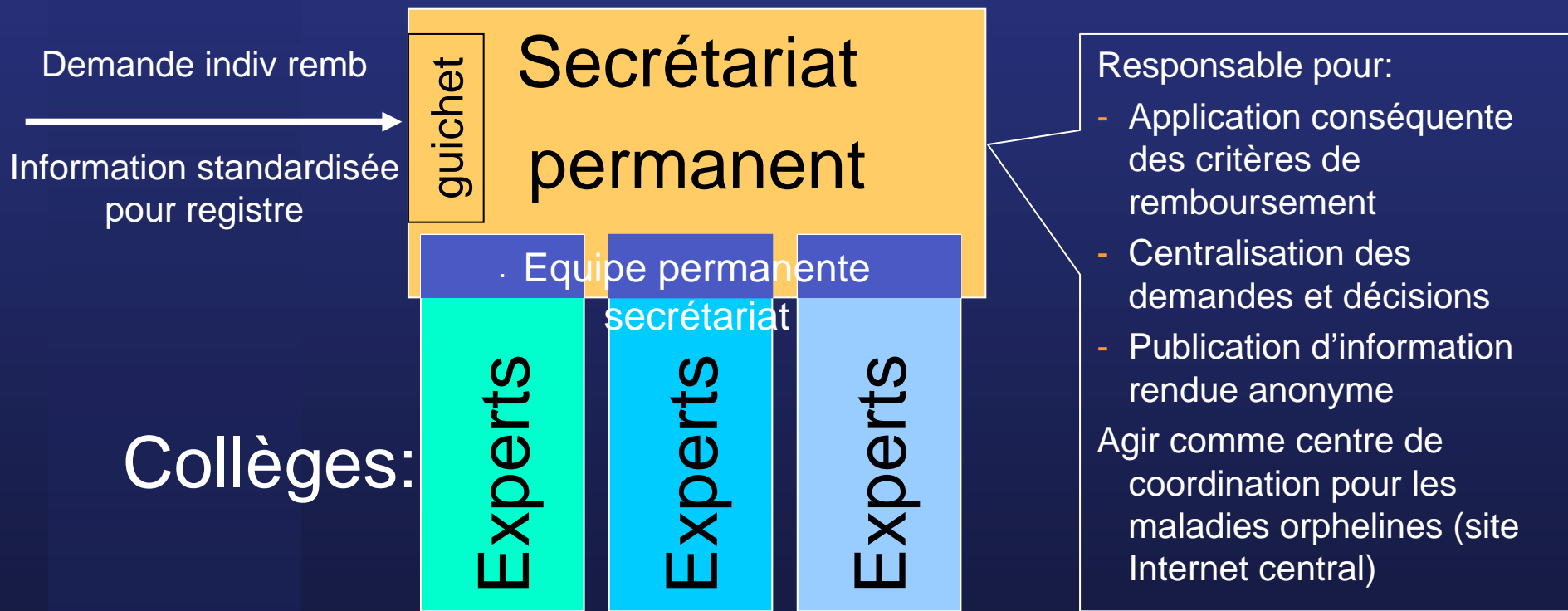


Dossier de remboursement

- Données d'efficacité, mais de préférence données d'efficience, sur un résultat cliniquement pertinent.
- ICER (Coût par QALY ou année de vie gagnée) (**Pour l'instant pas exigé**).
- Analyse de l'impact budgétaire sur base de données du registre (**Pour l'instant pas de registre**).
- Information *standardisée* des coûts comme soumis au SPF Economie dans le cadre du prix. (**Pour l'instant pas de standard**).



Procédure remboursement des médicaments





Merci

accès au rapport complet:
www.kce.fgov.be

