

Utilité thérapeutique et coûts dans le secteur de la santé – La fonction normative de leur évaluation

AVIS

Utilité thérapeutique et coûts dans le secteur de la santé – La fonction normative de leur évaluation

AVIS

Publié par le Conseil d'éthique allemand

Présidence : Prof. Dr. Edzard Schmidt-Jortzig

Jaegerstrasse 22/23 · D-10117 Berlin

Téléphone : +49/30/20370-242 · Télécopie : +49/30/20370-252

E-mail : kontakt@ethikrat.org

www.ethikrat.org

© 2011 Deutscher Ethikrat, Berlin

Titre de l'édition originale allemande : Nutzen und Kosten im Gesundheitswesen – Zur normativen Funktion ihrer Bewertung

Tous droits réservés.

Une autorisation de reproduction sera accordée sur demande.

Traduction française : Marie-Noëlle Buisson-Lange, Cologne

Maquette : Torsten Kulick

Couverture : BartosKersten Printmediendesign, Hambourg

ISBN 978-3-941957-25-1

Sommaire

1	INTRODUCTION : RAISONS, CONTENU ET LIMITES DU PRÉSENT AVIS	7
2	NOTIONS, FAITS, QUESTIONS	11
2.1	Autoresponsabilité et solidarité	11
2.2	Pénurie de moyens	13
2.3	Rationalisation	18
2.4	Rationnement	20
2.5	Fixation de priorités	22
2.6	Comparaison internationale des limitations de prestations	24
2.7	Pertinence, utilité, rentabilité	27
2.8	Norme médicale	29
2.9	Le médecin « rationneur » ?	30
3	ÉVALUATION DE L'UTILITÉ THÉRAPEUTIQUE ET DES COÛTS DES MÉDICAMENTS	32
3.1	Détermination de l'utilité	32
3.1.1	La qualité de vie par rapport à la santé	33
3.1.2	L'utilité thérapeutique vue par l'IQWiG	35
3.1.3	La mesure d'utilité QALY en tant que produit de la qualité de vie par la durée de vie	37
3.2	Calcul des coûts	39
3.3	Évaluation coût-utilité	42
3.3.1	Introduction	42
3.3.2	Évaluations du rapport coût-utilité pour une indication thérapeutique donnée	42
3.3.3	Évaluations du rapport coût-utilité toutes indications confondues	46
4	MISE EN ŒUVRE DES ÉVALUATIONS DE L'UTILITÉ ET DU RAPPORT COÛT-UTILITÉ POUR LES MÉDICAMENTS DANS LE DROIT RELATIF AU RÉGIME LÉGAL DE L'ASSURANCE MALADIE EN ALLEMAGNE	49
4.1	Introduction	49
4.2	Limitation de prestations par exclusion et restriction de la prescription de médicaments	51

4.3	Limitation des prestations par le plafonnement du coût des médicaments	53
4.4	Fixation des prix par négociation et fixation des montants de remboursement	54
4.4.1	Estimation précoce de l'utilité	54
4.4.2	Évaluation du rapport coût-utilité	56
4.5	Conclusion intermédiaire	59
5	LES PROBLÈMES ÉTHIQUES DE L'ÉVALUATION DE L'UTILITÉ ET DES COÛTS	61
5.1	Assurance de la qualité et protection du patient	61
5.2	Maximalisation de l'utilité et loyauté	62
5.2.1	Introduction	62
5.2.2	Indices de QALY et loyauté	63
5.2.3	Évaluation inter-individus de la vie	68
5.3	Valeurs et droits	71
6	LE CADRE FIXÉ PAR LA CONSTITUTION	77
6.1	Les droits individuels ancrés dans la constitution	77
6.1.1	Principes fondamentaux	77
6.1.2	Le minimum vital médical	79
6.1.3	La décision de la Cour constitutionnelle fédérale du 6/12/2005	82
6.2	Évaluation du rapport coût-utilité et exigences du principe de l'égalité de traitement	85
6.3	L'évaluation du rapport coût-utilité et le principe démocratique et le principe de l'État de droit (article 20, paragraphes 2 et 3 de la loi fondamentale)	90
6.3.1	Généralités	90
6.3.2	Le G-BA	91
6.3.3	L'IQWiG	94
7	RÉSUMÉ ET RECOMMANDATIONS	96
	VOTE SPÉCIAL	100
	ABRÉVIATIONS	127
	GLOSSAIRE	129

1 INTRODUCTION : RAISONS, CONTENU ET LIMITES DU PRÉSENT AVIS

Actuellement, un peu partout dans le monde, a lieu un débat sur les limites du secteur de la santé. Par rapport à d'autres pays, en Allemagne, ce débat n'en est qu'à ses débuts, il n'est pas mené avec l'intensité ni la détermination suffisantes. Pourtant, il devient incontournable, vu les déficits de prise en charge. En Allemagne, un pays qui dispose d'un système de santé comptant parmi les plus performants au monde, ces phénomènes sont encore limités : on peut affirmer à juste titre qu'aucune personne gravement malade ne doit renoncer à la thérapeutique nécessaire. Néanmoins, les signes de baisse de qualité se multiplient à cause de la pénurie relative de moyens dans certains domaines médicaux, mais aussi dans les soins ambulatoires et hospitaliers. Des notions comme « listes d'attente », « renoncement à la prescription de médicaments estimés nécessaires », « réduction des thérapies », par exemple en médecine de rééducation, en sont l'illustration, tout comme les médicaments « bons sans être les meilleurs ». Un autre indice de cette évolution est le débat intense qui s'est instauré autour de l'étendue de la liste des prestations du régime légal de l'assurance maladie (*Gesetzliche Krankenversicherung*, GKV). Il est donc impossible de se soustraire à cette discussion sur les limites du financement solidaire des prestations de santé, en prévision de l'avenir.

Contrairement à ce que l'on pourrait croire à première vue, discuter de l'efficacité du secteur de la santé ne nécessite pas seulement des compétences médicales et économiques mais doit aussi inclure une réflexion juridique et éthique. S'il s'avère qu'il n'est plus possible de financer un système complet de soins sanitaires permettant à chaque citoyen¹ d'accéder à toute

1 Pour permettre une meilleure lecture, on a renoncé à stipuler les deux sexes. Les notions en question s'appliquent donc aux deux, au sens de l'égalité de traitement.

prestation médicalement utile, un débat s'impose sur les droits légitimes et la juste répartition, donc en fin de compte sur l'équité sociale en matière de soins de santé. La question qui se pose est l'étendue des droits requis par la morale et garanties par les droits fondamentaux.

On tente souvent de parer au manque de fonds en augmentant l'efficacité. Dans le domaine de la médecine, l'économie sanitaire a mis au point des standards internationaux d'analyse coût-utilité, qui ne sont pas contestés. En Allemagne, l'*Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen* (IQWiG – Institut pour la qualité et la rentabilité du secteur de la santé) est mandaté depuis 2007 par une loi pour établir des évaluations de la relation coût-utilité sur la base de référentiels reconnus au niveau international. Celles-ci feront office de recommandations pour le *Gemeinsamer Bundesausschuss* (G-BA – Comité fédéral commun), fixant l'étendue des prestations du régime légal d'assurance maladie. Ce type d'évaluation a-t-il lieu d'être, et le cas échéant sous quelle forme ? Ces évaluations doivent-elles être prises en compte dans la politique de santé ? Il ne s'agit pas là d'une décision basée sur des ratios scientifiques neutres, elle a des implications juridiques et éthiques importantes, notamment parce qu'elle peut s'accompagner d'une limitation des prestations médicalement nécessaires. Les critères de ces évaluations sont d'ordre économique, mais politiquement ou éthiquement parlant, leurs méthodes de calcul et les modèles utilisés, sont loin d'être neutres. Leur mise en pratique soulève de graves questions d'équité qui donnent matière à réflexion.

Au-delà du risque de manquer de fonds, ce sont les déficits concrets du débat public actuel qui ont motivé le présent avis, notamment la réticence des milieux politiques à reconnaître que le rationnement devrait être considéré comme un sujet à prendre au sérieux, du moins à long terme. Le Conseil d'éthique allemand se concentrera, dans le présent avis, sur les problèmes normatifs des évaluations de l'utilité thérapeutique, des coûts et des rapports coût-utilité. Il souhaite ainsi

contribuer, dans le cadre du débat législatif actuel, à porter le regard des milieux politiques et du grand public sur les questions épineuses mais néanmoins incontournables de l'équité médicale de la répartition en prenant l'exemple de la fonction éthiquement controversée des méthodes d'évaluation de l'économie de la santé. Par cette focalisation, le Conseil national d'éthique allemand renonce ici à se saisir d'autres problématiques essentielles du financement solidaire des soins de santé qui, sans aucun doute, sont également tout à fait importantes.

L'expérience montre que les médicaments innovants sont extrêmement onéreux. C'est pourquoi, même au sein du débat international, la question est surtout de savoir quel sera le potentiel d'économie généré en la matière par tel ou tel mécanisme. L'un de ces instruments est l'évaluation de l'utilité thérapeutique et du rapport coût-utilité des médicaments. À première vue, il est tout à fait plausible de ne pas inclure dans le système de santé basé sur le financement solidaire les médicaments qui n'apportent qu'un faible avantage supplémentaire ou du moins un avantage supplémentaire trop faible par rapport à leur coût ; du moins comprendra-t-on qu'on veuille limiter leur prix à un montant « adéquat ». En y regardant de plus près, il s'avère cependant que l'évaluation de l'utilité thérapeutique et du rapport coût-utilité de médicaments soulève des questions éthiques fondamentales. Le Conseil d'éthique allemand estime qu'il est absolument nécessaire de soulever ces problèmes qui n'apparaissent pas à première vue, parce qu'ils concernent en même temps d'autres mesures de réduction des coûts de santé. La focalisation du présent avis sur l'évaluation de l'utilité thérapeutique et des coûts des médicaments au sein du système de santé basé sur le financement solidaire revient à choisir un paradigme d'un problème fondamental qui se rapporte, d'une part, aux implications éthiques et juridiques des méthodes utilisées pour évaluer l'utilité thérapeutique et les coûts et, d'autre part, aux questions de répartition qui vont de pair et qui jouent un rôle significatif en termes d'équité en cas de pénurie de moyens.

Un débat ouvert sur cette thématique épineuse vaut, de l'avis du Conseil, mille fois mieux que d'accepter de limiter des prestations de manière occulte à divers niveaux du système de santé, en dépit de toute transparence. Et si une institution est chargée de fixer l'étendue des prestations, que les implications éthiques et sociales importantes des méthodes utilisées pour exécuter ce mandat soient transparentes ! Il conviendra notamment de répondre à la question de savoir dans quelle mesure une réflexion économique est compatible, de par son orientation vers une production maximum de valeur, avec les bases de notre système juridique au point de vue du droit individuel et avec la santé publique.

2 NOTIONS, FAITS, QUESTIONS

Ci-après, nous présenterons les notions importantes de la répartition des ressources dans le secteur de la santé. Il faut souligner que, dans le débat public et scientifique, celles-ci sont comprises et employées dans des sens différents. On prêterait également attention au contexte respectif dans lequel elles sont employées ainsi qu'à leur fonction politique.

2.1 Autoresponsabilité et solidarité

Plus l'individu assume son propre mode de vie, plus il s'adapte aussi à prendre la responsabilité de sa propre santé. Tout comme il prend soin de sa propre vie, il est également responsable du maintien ou du recouvrement de sa santé. La compréhension du fait que le style de vie a une forte incidence sur la santé se traduit dans la pratique par le fait que les gens s'efforcent dans tous les domaines d'adopter un comportement sain et d'éviter les risques sanitaires.

Si l'on veut que les gens soient responsables, il faut qu'ils aient la possibilité de disposer des connaissances nécessaires. Tout système moderne de santé doit s'accompagner d'une information du public qui soit compréhensible et accessible même aux non-professionnels, ainsi que de services de conseil avisés et utiles.

L'autoresponsabilité est une contribution indispensable à la solidarité. En effet, une société solidaire repose indubitablement sur le fait que chacun de ses membres agira de lui-même pour préserver celle-ci d'une surcharge. Sur ce point, l'autoresponsabilité n'est pas en contradiction avec la solidarité.

L'importance fondamentale du capital que représente la santé pour chacun et la société a pour conséquence que la guérison des maladies et le soulagement des maux est aussi un devoir de solidarité de la société, qui profite à tous de la

même façon, et donc indépendamment du fait que l'individu ait assumé ou non sa propre responsabilité.

Il ne fait aucun doute que chaque personne doit avoir accès aux thérapeutiques et à la rééducation, à la prévention et à la médecine palliative. Cette conception est mise en œuvre en Allemagne depuis la fin du XIX^e siècle sous la forme du régime de l'assurance maladie, que les assurés financent en fonction de leurs moyens par des cotisations et qui prend en charge tout citoyen indépendamment de ses risques de santé individuels, lui ouvrant l'accès aux soins, indépendamment de sa situation financière. Dans ce système, le coût des soins médicaux est co-financé par les personnes plus aisées qui payent pour les plus pauvres, les personnes en meilleure santé pour les plus malades et les plus jeunes pour les plus âgés. Plus de 90 % de la population est actuellement couverte par ce système d'assurance. En Allemagne, environ 77 % des dépenses de santé annuelles sont effectuées par « le secteur public ».²

Ce consensus social quant au financement solidaire du système de santé repose sur le fait que l'on s'accorde à penser que la santé est un capital particulièrement important pour chacun. La santé physique et mentale revêt en tant que telle une signification fondamentale pour chaque individu. De plus, la réduction des fonctions corporelles à la suite de maladies empêche la réalisation de nombreux projets de vie ou les rendent impossibles. Enfin, la certitude anticipatrice d'avoir une bonne assurance en cas de maladie future est un soulagement important pour la plupart des gens, même bien portants.

Ce sont là d'excellentes raisons pour rester attaché à un système de santé à financement solidaire. En même temps, on est confronté au problème de devoir trouver des critères pour déterminer qui aura droit ou non aux prestations. S'en remettre uniquement à la liberté du médecin pour le choix de

2 En tout premier lieu grâce aux cotisations versées aux caisses d'assurance maladie mais aussi aux budgets publics ainsi qu'au régime général de l'assurance invalidité-vieillesse et au régime légal de l'assurance dépendance.

la thérapie ou au choix personnel du patient aurait pour résultat de placer les décisions de répartition des moyens exclusivement au niveau individuel. La liberté du choix de la thérapie et l'autonomie du patient sont des principes directeurs importants qui, néanmoins, ne peuvent intervenir qu'une fois réglées les questions des droits fondamentaux aux prestations.³

2.2 Pénurie de moyens

L'équité de la répartition ne soulève des questions que lorsqu'on dispose de moyens *limités* pour satisfaire des intérêts en concurrence : tant que les moyens ne sont pas restreints, il n'y a pas de problèmes de répartition.

Tout comme les ménages doivent répartir leurs revenus entre diverses utilisations, la société doit décider de l'affectation du budget de l'État. Ainsi, chaque million du budget de l'État investi dans la santé ne peut pas être dépensé dans d'autres domaines tels que l'éducation, les infrastructures ou la sécurité intérieure (ce qu'il est convenu d'appeler le *niveau macro*). De même, les divers secteurs au sein du système de santé (*niveau méso*) rivalisent pour obtenir l'attribution des ressources existantes, par exemple les médicaments, les soins, la chirurgie de pointe, la rééducation, la prophylaxie et la médecine palliative. Là encore, chaque million utilisé pour les prestations médicales, par exemple la prévention et la protection sanitaire⁴, fait défaut ailleurs⁵. Les soins dispensés individuellement à chaque

3 C'est également ce que déclare la *Zentrale Ethikkommission bei der Bundesärztekammer* (ZEKO – Commission centrale d'éthique de l'ordre fédéral des médecins allemands) dans son avis de 2007, online sur Internet : <http://www.zentrale-ethikkommission.de/downloads/LangfassungPriorisierung.pdf> [11/6/2010]. En ce qui concerne la solidarité

cf. également Woopen (2008) : *Solidarische Gesundheitsversorgung – Was schulden wir uns gegenseitig?* dans : Schäfer et al. (éd.) : *Gesundheitskonzepte im Wandel*, Stuttgart, 189-199.

4 27 % des dépenses de santé de l'année 2008. Cf. tableau : *Gesundheitsausgaben in Mio. € (Gesundheitsberichterstattung des Bundes, Gesundheitsausgaberechnung)*, dans : www.gbe-bund.de [9/8/2010].

5 4,1 % du budget de la santé en 2008 (cf. note n° 4).

patient constituent le niveau micro. En période de moyens restreints, les options de soins peuvent être limitées soit par des directives explicites au niveau méso, soit laissées aux médecins qui décideront en fonction des ressources disponibles au niveau micro. Il semble que cette deuxième « solution » devienne lentement réalité par le biais de la politique de santé menée actuellement, ce que l'Ordre fédéral des médecins, parmi d'autres, critique ouvertement et massivement depuis 2009.⁶

Ainsi, à l'évidence, le volume du financement solidaire des soins de santé repose pour une très grande part sur des décisions de répartition déterminées : d'un côté, il y a des faits qui ne sont pas immuables comme celui que l'Allemagne dépense actuellement environ 11 %⁷ de son produit intérieur brut en soins de santé et que les cotisations au régime légal de l'assurance maladie se montent actuellement à 15,5 % des revenus du travail, d'un autre côté, les dépenses du système de santé résultent à la fois de décisions politiques, institutionnelles et médicales prises à divers niveaux.

La politique de santé de la République fédérale d'Allemagne prétend ne pas avoir induit ni vouloir induire de limitation importante des prestations médicales au niveau micro. Simultanément, elle a cependant commencé, au moins depuis la promulgation des *Kostendämpfungsgesetze* (lois visant à freiner les coûts), au début des années quatre-vingt, à influencer

6 Cf. entre autres le discours du président de l'Ordre fédéral des médecins allemands, Jörg-Dietrich Hoppe, prononcé le 19/5/2009, à l'occasion de 112^e Convention allemande des médecins (« *Verteilungsgerechtigkeit durch Priorisierung – Patientenwohl in Zeiten der Mangelverwaltung* ») ; article de Jörg-Dietrich Hoppe dans le *Frankfurter Allgemeine Zeitung* du 18/9/2009, p. 14 (« *Rationierung muss offengelegt werden* »). Cf. également *Deutsches Ärzteblatt* du 23/10/2009, p. A2120 (« *Kritik an heimlicher Rationierung* ») ; *Deutsches Ärzteblatt* du 9/10/2009, p. A1984 (« *Priorisieren, um Rationierung zu vermeiden* ») ; communiqué de presse du *Berufsverband Deutscher Internisten* (Association professionnelle des internistes allemandes) du 19/1/2010 (« *BDI-Präsident fordert offene Debatte über Priorisierung* »).

7 Cf. tableau : *Entwicklung der Gesundheitsausgaben* (Statistisches Bundesamt, *Gesundheitsausgaben*), dans : www.destatis.de [9/8/2010]. Les données sont collectées pour permettre des comparaisons internationales sur la base de la méthode de l'OCDE. En Allemagne, les dépenses de 2008 se sont montées exactement à 10,5 % du produit intérieur brut.

les décisions prises aux niveaux méso et macro sur les soins en limitant les budgets et en fixant des limites aux dépenses. Depuis lors, le volume financier des dépenses de santé a été indexé sur l'évolution des salaires par l'adoption du principe fondamental de la stabilité du taux de cotisation dans cette loi (article 71 du Livre V du *Sozialgesetzbuch* [SGB – Code de la sécurité sociale]), même s'il est possible de l'augmenter pour garantir les soins médicaux nécessaires après épuisement des réserves de rentabilité. Néanmoins, les conséquences des plafonds financiers fixés pour les niveaux inférieurs n'ont jamais fait l'objet d'un débat systématique dans le cadre de la politique de santé. Quelle est la probabilité que cette situation se produise ? Quels sont les aspects juridiques et éthiques de leur application ? En même temps, on ne s'est pas privé de prendre certaines décisions concernant l'ordre de grandeur dans lequel les moyens disponibles pour l'ensemble du système sanitaire sont répartis sur les différents domaines et secteurs (niveau méso). L'instrument utilisé a été la création de budgets spécifiques à chaque secteur, qui est pratiquée depuis 1993, selon laquelle l'augmentation des dépenses d'un domaine donné ne doit pas dépasser l'augmentation des revenus assujettis à la cotisation des adhérents au régime légal d'assurance maladie. Cette forme de budgétisation a cependant entraîné l'adoption de grilles de répartition qui ont été ressenties comme inadéquates par diverses instances, car elles aboutissent finalement à des fixations arbitraires et, de plus, elles compliquent les formes de soins intersectorielles. D'autre part, l'adoption de nouvelles prestations sanitaires hors budget (entre autres les soins intégrés, la médecine palliative ambulatoire) a encore aggravé les problèmes de la budgétisation.

Bon nombre de personnes estiment que, du fait de la budgétisation actuelle des dépenses de santé, les soins prodigués aux assurés du régime légal de l'assurance maladie ne sont d'ores et déjà pas satisfaisants dans certains cas (« la rationalisation par les files d'attente »). La thèse défendue par certains experts, et ils sont nombreux, va pourtant beaucoup plus loin et s'avère bien

plus éloquente : à la longue, il serait tout simplement *inévitabile*, dans un système de santé basé sur le financement solidaire, de faire des coupes dans ce que l'on peut proposer aux patients en termes de soins indispensables. Cet avis, qui est d'ailleurs partagé au niveau international, repose sur deux évolutions : premièrement, sur les évolutions démographique-épidémiologique au sein des sociétés modernes, deuxièmement, sur la dynamique des coûts du progrès des techniques médicales.

L'évolution démographique et épidémiologique est incontestable : par bonheur, dans les pays industrialisés modernes, la longévité des individus ne cesse d'augmenter.⁸ En même temps, ces sociétés sont souvent confrontées à la problématique d'un faible taux de natalité constant qui aggrave le déséquilibre entre les cotisants et les bénéficiaires des prestations (*double aging*)⁹. Cette évolution démographique est étroitement associée à l'évolution dite « épidémiologique » qui va de pair avec un changement de la charge pathologique (maladies chroniques, multimorbidité, réduction des fonctions corporelles, indications gérontopsychiatriques). En effet, l'augmentation de la longévité est généralement liée à un plus grand nombre de maladies vécues qui, de leur côté, occasionnent des dépenses (actuellement, en Allemagne, les patients de plus de 65 ans génèrent 47 % du coût total des soins de maladie). Selon les estimations, si l'évolution démographique actuelle persiste (et en excluant les innovations et les changements de prix), le maintien du niveau actuel des soins de santé prodigués à la population conduirait à une augmentation du taux de cotisation au régime obligatoire de l'assurance maladie, qui pourrait aller jusqu'à 43 % du revenu brut assujetti aux cotisations.¹⁰

8 Les principaux facteurs d'influence sont en l'occurrence l'amélioration des conditions d'hygiène, le progrès des technologies médicales, l'amélioration des conditions de travail et des conditions environnementales ainsi qu'une meilleure protection contre les accidents.

9 Bauch (2000) : *Medizinsoziologie*, Munich et al., 31.

10 Beske/Drabinski (2005) : *Finanzierungsdefizite in der gesetzlichen Krankenversicherung*, Kiel ; cf. *aerzteblatt.de* du 9/3/2010 (« *Gesundheitsökonom Beske für Priorisierung* »).

Les pronostics de dynamique du coût du progrès médical sont plus spéculatifs, mais cette dynamique concorde néanmoins avec ce que l'on a observé par le passé. Le progrès médical a jusqu'ici mis des possibilités toujours plus nombreuses de diagnostics, de thérapie et de prévention à la disposition d'un cercle de patients de plus en plus large. Il en va de même pour les nouveaux procédés de prolongation de la vie, qui traitent les symptômes mais pas la pathologie primaire. Même si le prix de certaines interventions baisse par rapport à ce qu'elles coûtaient au début de leur mise au point, parce qu'elles sont devenues routinières, il est fort vraisemblable que le coût total de l'arsenal médical qu'il pourra être utile de proposer, continuera à augmenter irrésistiblement.

Mais *quand* le moment sera-t-il venu, dans ce contexte de synergie entre évolution démographique-épidémiologique et progrès médical, où il sera indispensable de procéder à une véritable limitation des prestations ? Les avis sont partagés sur ce point. Pour repousser ce moment, mais surtout pour tenir compte de la hausse des coûts entraînée par l'amélioration des prestations médicales, la population pourrait être prête à dépasser l'actuel plafond de cotisation au régime légal d'assurance maladie. On pourrait aussi élargir la base de financement de ce régime légal par une décision politique, par exemple en incluant d'autres revenus dans l'assiette de cotisation ou en recourant plus largement au financement par les impôts. De plus, les potentiels d'économie existants pourraient être encore mieux exploités que jusqu'ici, quoique la dimension de ces économies soit contestée. Étant donné le rôle important que jouerait la limitation des prestations médicales au niveau individuel et sociétal, il y a lieu d'examiner sérieusement ces diverses options. Il est toutefois à craindre qu'il ne s'agisse là de solutions dont l'efficacité ne serait que *temporaire*. Elles peuvent éventuellement repousser le moment auquel on devra prendre des décisions « douloureuses » en matière de répartition, mais elles ne pourront pas les empêcher à long terme. Le débat sur des critères *équitables* de répartition est donc incontournable, ne serait-ce qu'en *prévision de l'avenir*.

2.3 Rationalisation

On entend généralement par rationalisation l'utilisation exhaustive de réserves de rentabilité. Il y va, en l'occurrence, du rapport entre la réalisation de l'objectif et les moyens déployés. Il s'agit soit d'améliorer le résultat réalisé jusqu'ici avec une quantité de ressources donnée (principe du maximum), soit d'atteindre un résultat défini en utilisant moins de ressources (principe du minimum).

La rationalisation ne pose aucun problème éthique dès lors qu'elle ne s'accompagne pas d'une dégradation des soins de santé. En médecine, ce serait le cas si on supprimait simplement les actes inutiles, permettant ainsi de mieux utiliser les ressources limitées sans qu'un seul patient n'ait à en pâtir. Partout où il est possible de supprimer tout ce qui est objectivement inutile, superflu, voire même nuisible, en améliorant les structures d'organisation et d'administration, qu'on le fasse ! Quoique le problème qui se pose, en l'occurrence, est de définir en détail ce dont il s'agit. Les économies réalisées grâce à des rationalisations dans ce sens du terme sont préférables à toute forme de limitation de prestations utiles. Il s'agit là du sens positif incontesté de la devise « priorité à la rationalisation sur le rationnement ».

Toutefois, les économistes notamment utilisent souvent la notion de rationalisation dans un autre sens, qui s'éloigne du principe premier qu'aucun patient ne doit être plus mal soigné qu'un autre. Quand ils parlent de la réalisation ou de l'amélioration du « résultat », ce dernier ne se rapporte plus à l'individu, mais à l'ensemble des patients. Employée dans ce sens, la notion de rationalisation justifierait la redistribution des moyens au lieu le plus profitable de leur utilisation (utilisation « efficiente » des moyens). Cette rationalisation soulève alors des questions éthiques brûlantes quant à l'équité de la distribution, puisque les mesures axées sur l'efficacité sont liées pour certains assurés à la baisse du niveau de qualité des soins de santé. Dans ce sens, pour les personnes défavorisées, la notion

de « rationalisation » serait synonyme de rationnement au sens expliqué ci-après. La mise en pratique de la devise citée plus haut pour les mesures de rationalisation donnerait une image des intentions plus anodine qu'elles ne le sont en réalité.

Il n'y a que peu de mesures de rationalisation du système de santé allemand, parmi celles qui sont envisagées actuellement, dont la mise en pratique exclue une dégradation du niveau des soins pour certains groupes de patients. Cette dégradation n'est toutefois pas automatiquement blâmable au point de vue éthique. C'est, en fait, bien plus le niveau des soins de santé lui-même, qui entraîne une certaine consommation de moyens, qui doit être éthiquement justifié. L'utilisation de moyens n'est pas sans poser de problème éthique du simple fait qu'elle apporte un gain de santé calculé sur l'ensemble des assurés. Il y a là une différence importante avec les mesures de rationalisation, qui ne font qu'éliminer le superflu.

Les mesures de rationalisation du secteur de la santé allemand qui reviennent sans cesse dans le débat sont, entre autres, la réduction du nombre de lits d'hôpitaux, la concentration de soins dans quelques hôpitaux moins nombreux mais plus qualifiés, une obligation plus étroite de s'en tenir à des lignes directrices, le contrôle de certaines indications thérapeutiques qui font monter les coûts en flèche (un exemple très discuté : les examens effectués au moyen d'une sonde cardiaque), l'amélioration de la « gestion du patient » par des médecins généralistes qualifiés, l'abaissement des prix des médicaments (qui, en Allemagne, sont largement supérieurs à la moyenne européenne ou américaine) ou la réduction du nombre de pharmacies. Il est important de savoir que dans les débats pour ou contre de telles mesures, il existe d'ores et déjà un désaccord sur le fait de savoir si ces mesures constituent des rationalisations au premier sens mentionné ou des réductions de prestations. Prenons un exemple : la réduction du nombre d'hôpitaux signifierait aux yeux de certains une diminution de la qualité des soins (accessibilité de l'hôpital aux patients et à leurs visiteurs ; commencement plus tardif du traitement thérapeutique et patients

plus esseulés), alors que d'autres estiment que ces inconvénients n'ont rien à voir avec la nécessité de bénéficier de soins, affirmant même que la qualité des soins s'en trouverait augmentée (médecins plus expérimentés et donc plus compétents en cas de concentration des prestations dans certains centres). Ces exemples montrent combien il est difficile de faire la différence entre des mesures de rationalisation au sens de l'élimination du superflu et des mesures de rationalisation qui en avantagent certains, mais dont d'autres auront à pâtir. Indépendamment de ces difficultés, à qualité égale, l'éthique nous oblige à privilégier la prestation de soins à un coût moindre plutôt que la limitation des prestations. En ce sens, la rationalisation a priorité sur le rationnement.

Toutefois, bon nombre de personnes qui prennent part au débat supposent que la rationalisation au premier sens mentionné ci-dessus ne sera pas en mesure de compenser durablement la pression des coûts générée sur le secteur de la santé par l'évolution démographique-épidémiologique et les progrès des techniques médicales. Il serait cependant irresponsable de limiter les prestations ou même simplement d'acquiescer cette mesure tant qu'il existe des réserves de rationalisation non exploitées, ne posant pas de problème éthique.

2.4 Rationnement

Il y a lieu de supposer qu'à l'avenir, malgré l'exploitation de tous les potentiels de rationalisation, le financement solidaire complet des actes médicaux qui se révéleront nécessaires ne pourra plus être proposé aux patients. En principe, cette supposition signifie qu'il faudra choisir, parmi les prestations possibles, les actes médicaux auxquels on devra renoncer pour tel ou tel patient dans le cadre du financement solidaire ou ce qui devra être financé par les intéressés eux-mêmes. Cela nous amène irrémédiablement à la question de savoir quels seront les critères qui présideront à la réglementation de la

répartition des prestations de santé et comment elle sera mise en pratique.

Dans les pays anglophones, on assiste depuis les années quatre-vingt à un débat pour trouver des critères éthiques acceptables visant à limiter le volume des prestations basées sur le financement solidaire. Les motifs sont ceux décrits ci-dessus. Les anglophones parlent de « débat sur le *rationnement* ». Là-bas (indépendamment des mesures de mise en œuvre, qui sont critiquées), la notion de *rationnement* ne comporte pas forcément de sous-entendus négatifs, elle renvoie aux règles de répartition dans un contexte de ressources limitées. Ces règles sont censées aider à remplacer certains mécanismes de marché ressentis comme inéquitables dans le secteur de la santé (en particulier l'accès aux soins en fonction de la solvabilité du patient). Là, les milieux économiques utilisent la notion de rationnement dans le sens d'attribution de rations, par exemple de prestations ou de biens. En Allemagne, par contre, le débat politique n'associe pas la notion de rationnement à un objectif de répartition équitable ; au contraire, on entend surtout par là le fait, ressenti comme négatif, de priver des gens de prestations médicales nécessaires.

On distingue les modes de rationnement suivants :

- >> rationnement *dur* contre rationnement *souple* : un rationnement dur, tel que le réclame une éthique strictement égalitaire, signifie qu'aucun citoyen n'a le droit d'acheter les prestations exclues de l'assurance solidaire, ni à titre privé, ni par le biais d'une assurance complémentaire, ni en Allemagne, ni à l'étranger. Une telle répartition égalitaire implique par conséquent que tous les intéressés recevraient non seulement tous *autant*, mais aussi qu'ils recevraient tous *moins*. Un rationnement souple permet à l'intéressé de financer des prestations supplémentaires par ses propres moyens. Toutefois, ce système est incompatible avec les principes d'une société libre et par conséquent avec le droit constitutionnel allemand ;

- >> rationnement *ouvert* contre rationnement *occulte* : cette différenciation porte sur la façon dont les décideurs abordent la problématique du rationnement. On parle de rationnement ouvert quand la transparence est assurée. Cela signifierait que les critères de rationnement devraient être publiés et, le cas échéant, faire l'objet d'une réglementation à caractère universellement obligatoire, mais aussi être communiqués aux patients. Dans le cas du rationnement occulte, par contre, la limitation des prestations se fait hors de critères transparents, par exemple sous le couvert de soi-disant mesures de rationalisation ;
- >> rationnement *direct* contre rationnement *indirect* : le mécanisme de rationnement est décisif. Dans le cas du rationnement direct, les soins de santé prodigués à certains patients ou groupes de patients sont directement exclus du financement solidaire, alors que le rationnement indirect se fait par le biais de budgétisations ou de mesures du même acabit, qui entraînent une pénurie de moyens dans certains domaines. La plupart du temps, ce seront les médecins qui devront « gérer » cette insuffisance au niveau micro, en décidant quels patients seront privés de prestations et desquelles.

2.5 Fixation de priorités

La notion de fixation des priorités ou hiérarchisation est passée dans l'usage. Elle se pose en alternative aux considérations systématiques relatives à la limitation des prestations liée à la pénurie de moyens. Sur le fond, cette notion désigne la création de listes de priorités pour faire face aux impératifs du système. Dans le cas des soins de santé, il s'agit de listes de priorités en matière d'interventions médicales. Cette notion ne précise pas quels sont les critères et les motivations qui président à l'accord de priorités. Il pourrait s'agir, par exemple, du prix, de la nouveauté, de l'importance quantitative ou de l'utilité médicale

individuelle des thérapies classées. Non seulement des méthodes mais aussi des pathologies, des groupes de malades et de maladies, des objectifs de soins et des indications thérapeutiques (c'est-à-dire l'association de certains problèmes de santé avec des interventions adéquates pour y remédier) peuvent être fixés comme priorités.¹¹ Cette hiérarchisation implique forcément la relégation de certains actes à un rang d'importance inférieure.

On distingue la hiérarchisation horizontale de la hiérarchisation verticale : la hiérarchisation verticale signifie la fixation d'une hiérarchie des interventions dans le cas d'une pathologie définie (par exemple, l'opération, le traitement médicamenteux et la radiothérapie dans le cas d'un carcinome bronchique). Dans le cas de la hiérarchisation horizontale, on classe via divers groupes de pathologies et de malades ou d'objectifs de soins (par exemple le traitement de malades cardiaques ou la thérapie de personnes atteintes de cancers). La hiérarchisation verticale reposant uniquement sur des critères d'utilité médicale a toujours été l'une des tâches principales du médecin, elle ne cesse d'être appliquée dans l'exercice de la médecine et constitue l'un des objets de la formation médicale, toutefois non pas sous cette appellation, mais en tant que composante intégrale de l'amélioration du diagnostic et de la thérapeutique.

Lorsque cette hiérarchisation se fait dans l'objectif primaire de justifier des limitations de prestations dans un contexte de ressources limitées, la fixation de priorités et le rationnement deviennent quasi synonymes, tels qu'ils apparaissent souvent dans les ouvrages de référence de langue anglaise. En y regardant de plus près, on constate que la hiérarchisation liée à une pénurie de moyens et à l'intention de réaliser des économies (et c'est ainsi qu'elle envisagée, voire appliquée actuellement dans de nombreux pays) est néanmoins une préparation systématique et théorique au contingentement des prestations,

11 Cf. ZEKO 2007 (cf. note n° 3).

en quelque sorte, une première étape seulement. La deuxième étape vers le rationnement n'est franchie que lorsqu'on décide que certains actes figurant au bas du classement ne seront plus financés. Le résultat d'une hiérarchisation systématique peut d'ailleurs, en cas de pénurie de moyens, parfaitement entraîner un élargissement des prestations par rapport au statu quo antérieur, par exemple dans les pays qui pratiquaient auparavant un catalogue restrictif de prestations. Il ne faut cependant pas s'attendre à ce que cela se produise en Allemagne, pays où on accède largement aux traitements thérapeutiques.

2.6 Comparaison internationale des limitations de prestations

Dans tous les pays disposant d'un système de santé solidaire, les prestations sont limitées dans une certaine mesure. La population l'accepte plus ou moins, selon les pays. Cela dépend de sa culture fondamentale, de ses attentes et de sa perception des prestations sociales et, bien entendu aussi, de l'étendue des prestations actuelles et des limitations prévues.

Une comparaison des prestations médicales dans 14 pays européens¹² montre que bien que le niveau de connaissances médicales soit partout le même, des différences fondamentales apparaissent dans la conception de l'offre de prestations. Par exemple, la réglementation concernant le nombre d'échographies à faire au cours d'une grossesse et les prestataires de celles-ci diffèrent énormément. Aux Pays-Bas et au Danemark, aucune échographie n'est conseillée si la grossesse se déroule normalement ; par contre, on en conseille quatre en Hongrie. Dans les pays à plus forte participation des médecins spécialistes à la fourniture de prestations de santé, on conseille plus d'exams techniques comme, les échographies pendant une

12 Kupsch et al. (2000) : *Health service provision on a microcosmic level – an international comparison*, Kiel.

grossesse normale, que dans ceux où ce sont des sages-femmes et des infirmières qui procèdent aux examens prénataux. Cette différence et beaucoup d'autres encore peuvent être considérées comme la preuve d'une forte influence des facteurs culturels et des évolutions historiques sur la définition des prestations auxquelles ont droit les assurés et sur celle de la fourniture de prestations médicales.

Au-delà de ces différences entre les prestations proposées, qui sont d'origine historique et d'ordre culturel, de plus en plus de pays essayent de mettre en œuvre une limitation ciblée des prestations dans leurs systèmes de santé respectifs. L'État d'Oregon a élaboré une première hiérarchisation horizontale en 1990. Le seul critère de priorité sur lequel les décideurs s'appuyaient était l'efficacité au regard des coûts. Ceci a généré des répartitions parfois contre-intuitives. Ainsi, une opération de l'appendicite était moins prioritaire que la pose d'un bridge. De nombreuses corrections de la liste ont eu lieu par la suite, tenant compte des priorités de la population (assemblées citoyennes), ainsi que l'abandon du rapport coût-efficacité comme seul critère de hiérarchisation. D'ailleurs, en Oregon, la hiérarchisation n'a pas permis de réaliser des économies importantes de fonds. Au lieu de cela, on a assisté à un élargissement des prestations sur la base de la liste des priorités élaborée, auquel on a paré par le truchement des impôts et en utilisant des instruments implicites de pilotage, (par exemple des budgets prospectifs).¹³

En Suède, une commission parlementaire a mis au point la « plate-forme éthique » en 1992 ; elle fixe les trois principes fondamentaux que doit respecter tout processus de hiérarchisation (le principe de la dignité humaine, le principe du besoin et de la solidarité, le principe du rapport coût-efficacité). En 1997, le parlement suédois a adopté, sur cette base, un règlement de

13 Cf. Marckmann (2009) : *Priorisierung im Gesundheitswesen: Was können wir aus den internationalen Erfahrungen lernen?*, dans : *Zeitschrift für Evidenz, Fortbildung und Qualität im Gesundheitswesen* 103 (2), 85-91.

hiérarchisation comportant cinq groupes. Le *premier* comprend le traitement des maladies aiguës mettant les jours du patient en danger, le traitement de maladies qui, sans ledit traitement, occasionneraient une invalidité durable du patient ou son décès prématuré, le traitement de maladies chroniques graves, les traitements palliatifs et les soins de fin de vie ainsi que les soins aux personnes à capacité d'autodétermination réduite. Le *deuxième groupe de priorités* comporte les mesures de prévention et de rééducation utiles. Le *troisième groupe* comporte le traitement de maladies aiguës et chroniques moins graves. Le *quatrième groupe* comprend les cas limites de traitement et le *cinquième groupe* les traitements souhaités pour d'autres raisons qu'une pathologie ou une blessure.¹⁴ La concrétisation dans les hôpitaux suédois se traduit, entre autres, par une directive des soins en cardiologie, dans laquelle sont consignés des binômes de traitements cardiologiques (indications) importants de même priorité dans un ordre hiérarchique qui comporte pour l'instant 118 positions.¹⁵

En *Finlande*, les critères de hiérarchisation « maladie grave » et « urgence » d'une thérapeutique vont dans le même sens.¹⁶ Cependant, ces principes directeurs tout comme d'autres sont encore trop vagues, en tant que tels, pour permettre une conception systématique de catalogues de prestations : par exemple, devoir traiter en priorité les maladies mortelles ne renseigne pas sur le degré d'insignifiance qu'une maladie doit revêtir pour ne plus être traitée.

En *Grande-Bretagne*, depuis 1999, le *National Institute for Health and Clinical Excellence* (NICE) décide des processus de

14 Cf. Preusker (2004) : *Offene Priorisierung als Weg zu einer gerechten Rationierung?*, dans : *G+G Wissenschaft* 4 (2), 16-22 ; Preusker (2007) : *Priorisierung statt verdeckter Rationierung*, dans : *Deutsches Ärzteblatt* 104 (14), A930-A936 ; Raspe/Meyer (2009) : *Vom schwedischen Vorbild lernen*, dans : *Deutsches Ärzteblatt* 106 (21), A1036-A1039.

15 Cf. Carlsson, (2009) : *Praxis der Priorisierung am Beispiel der Versorgungsleitlinie Kardiologie in Schweden*, dans : *Zeitschrift für Evidenz, Fortbildung und Qualität im Gesundheitswesen* 103 (2), 92-98 ; *Swedish National Board of Health and Welfare* (2004) : *Guidelines for Cardiac Care*, Stockholm.

16 Cf. Preusker 2007 (cf. note n° 14).

traitements thérapeutiques qui peuvent être proposés dans le cadre du *National Health Service* (NHS). L'efficacité clinique et le rapport coût-efficacité des prestations de santé y sont évalués avec précision. L'utilité d'un acte y est évaluée à l'aide des « QALY », en d'autres termes des « années de vie gagnées ajustées sur la qualité de vie ».¹⁷ Les QALY mesurent les années de vie gagnées combinées à la qualité de vie pour donner une valeur. Le rapport coût-efficacité résulte du coût par QALY. Il n'existe pas, en l'occurrence, de plafond absolu pour les coûts. Néanmoins, les thérapeutiques coûtant entre 20 000 et 30 000 livres par QALY requièrent une justification particulière, celles dont le coût dépasse 30 000 livres par QALY doivent répondre à des critères de plus en plus sévères pour pouvoir être considérés comme une utilisation effective des ressources du NHS.¹⁸

Les réflexions succinctes qui précèdent montrent que les méthodes, les instruments et les critères de limitation des prestations diffèrent grandement d'un pays à l'autre, en grande partie à cause des contextes historiques et culturels des systèmes en question. Il n'existe pas de « modèle particulièrement réussi », que l'Allemagne pourrait tout simplement copier. Cela n'exclut pas pour autant que les expériences des autres pays puissent être reprises fructueusement dans le débat allemand.

2.7 Pertinence, utilité, rentabilité

Parmi les critères de hiérarchisation proposés et discutés au niveau international, les caractéristiques décrites d'efficacité ou d'utilité thérapeutique ainsi que le rapport coût-efficacité prédominent. Les critères de « nécessité médicale », d'« utilité » et de « rentabilité », que le droit social allemand prescrit en tant que conditions nécessaires et suffisantes pour la configuration

¹⁷ Cf. 3.1.3, 3.3.3 et 5.2.

¹⁸ NICE (2005) : *Guideline development methods*, Londres.

des droits aux prestations du régime légal d'assurance maladie, vont dans le même sens. L'article 12, paragraphe 1, phrase 1 du SGB V stipule sous le titre « Obligation de rentabilité » : « *Les prestations doivent être suffisantes, adéquates et rentables ; elles ne doivent pas dépasser la limite du nécessaire.* »¹⁹

L'assuré a droit à un traitement *suffisant*. Il s'agit du minimum des soins de santé.²⁰ Les Allemands utilisent plusieurs synonymes signifiant suffisant : « *ausreichend* », « *hinreichend* » ou « *genügend* »).²¹ Ce minimum doit être respecté.²² *Le volume et la qualité* de la prestation doivent permettre au patient d'avoir des chances suffisantes de guérison.²³

Il ne faut toutefois pas perdre de vue que l'article 12, paragraphe 1, phrase 1 du SGB V doit être lu dans le contexte d'autres dispositions fondamentales du SGB V. Ainsi, l'article 2, paragraphe 1, phrase 3 du SGB V stipule : « La qualité et l'efficacité des prestations doivent respecter les données actuelles de la connaissance médicale et des progrès médicaux. »

De plus, conformément à l'article 12 du SGB V, les prestations doivent être *adéquates*. Autrement dit, elles doivent être appropriées pour atteindre un objectif médical donné, à définir plus précisément.²⁴ Elles ne doivent être ni inutiles, ni dénuées de sens.²⁵ L'utilité dépend du bénéfice thérapeutique d'un acte effectué dans un domaine d'indication donné pour des groupes précis de patients.

19 Sauf indication contraire, toutes les citations ont été traduites par M.-N. Buisson-Lange [NDLT].

20 Noftz, dans : Hauck/Noftz, SGB V (complément 6/2010), article 12, n° 18 ; Höfler, dans : KassKomm (65^e complément, avril 2010), SGB V, article 12, n° 22.

21 Noftz, dans : Hauck/Noftz, SGB V (complément : 6/2010), article 12, n° 18 ; Kruse, dans : Kruse/Hänlein, SGB V (3^e édition, 2009), article 12, n° 6.

22 Peters, dans : Peters, Hb KV, section II, SGB V (73^e complément), article 12, n° 30 ; Noftz, dans : Hauck/Noftz, SGB V (complément 6/2010), article 12, n° 18.

23 Cf. BSGE 55, 188 (194) ; BSG, SozR 3-2200, article 182, n° 17.

24 Cf. BSG, SozR 3-2200, article 182, n° 17 ; Scholz, dans : Becker/Kingreen, SGB V (2008), article 12, n° 7.

25 Dalichau, dans : Dalichau, SGB V (12^e complément, mai 2010), article 12, phrase 15 ; Peters, dans : Peters, Hb KV, section II, SGB V (73^e complément), article 12, n° 31.

Par *rentabilité*, mentionnée à l'article 12 en tant qu'exigence fondamentale du droit aux prestations, on entend jusqu'ici que, parmi plusieurs actes dont l'utilité est semblable, on devra choisir la possibilité la moins onéreuse.²⁶

Enfin, les prestations ne doivent pas dépasser la limite du *nécessaire*. C'est le but d'un acte qui en définit la nécessité.²⁷ Selon la jurisprudence de la *Bundessozialgericht* (Cour fédérale du contentieux social), un acte est nécessaire lorsqu'il est « inévitable, impératif et absolument requis ».²⁸

2.8 Norme médicale

La notion de norme médicale est, entre autres, la référence qui sert à mesurer la configuration intrinsèque des notions légales sociales : « inévitable, impératif et absolument requis » (cf. article 2, paragraphe 1, phrase 3 du SGB V en relation avec l'article 12 paragraphe 1, phrase 1 du SGB V).

Elle se réfère aux possibilités de diagnostic et de traitement thérapeutique actuellement reconnues par le monde des experts médicaux. Le facteur décisif n'est pas la faisabilité théorique, mais la bonne pratique médicale qui s'accompagnera de la diligence objectivement requise à respecter dans tous les cas. La norme médicale allie donc les aspects de la connaissance scientifique à l'expérience reposant sur l'utilisation et l'acceptation dans la pratique.

En ce qui concerne les soins de santé accordés dans le cadre d'un régime solidaire, ces normes médicales sont essentiellement concrétisées par des directives et des recommandations du G-BA, qui joue un rôle central au sein du régime légal

26 BSGE 96, 261 (270) ; Becker, MedR 2010, 218 ; Höfler, dans : KassKomm (65^e complément, avril 2010), SGB V, article 12, n° 40 ; Noftz, dans : Hauck / Noftz, SGB V (complément 6/2010), article 12, n° 23 ; Jousen, dans : BeckOK SGB V, article 12, n° 8.

27 Höfler, dans : KassKomm (65^e complément, avril 2010), SGB V, article 12, n° 39.

28 BSG, SozR 2200, article 182b RVO, n° 25.

d'assurance maladie, ainsi que par la jurisprudence des tribunaux, qui rendent leurs décisions en règle générale en se basant sur des expertises. L'expression du volet empirique de la notion de norme médicale se retrouve également dans des directives qui accompagnent de plus en plus souvent les actes médicaux. Systématiquement mises au point et agréées par des comités d'experts médicaux, ces directives ne possèdent pas de caractère juridiquement obligatoire pour les médecins traitants, elles servent néanmoins de points de repère pour les diagnostics et les thérapies. Leur objectif est d'améliorer la sécurité et la qualité des prestations de santé. Toutefois, ces directives ne peuvent traduire la norme médicale qu'à la rigueur au moment de leur adoption, la directive effectivement en vigueur peut s'en écarter le cas échéant. La responsabilité de déterminer la norme actuelle dans chaque cas continue à incomber au médecin. De plus, on peut être obligé de s'écarter de la norme à cause des particularités que présente un patient.

Par ailleurs, il s'avère que, la plupart du temps, plusieurs options thérapeutiques peuvent être adéquates. Peut-être présenteront-elles des différences qualitatives, mais elles répondront néanmoins toutes à la norme médicale actuelle. En outre, les médecins de différentes disciplines ou travaillant dans des hôpitaux dédiés à des étapes différentes de soins n'appliquent pas les mêmes normes médicales, sans toutefois contrevenir à leurs obligations de diligence. La norme médicale est donc plutôt à considérer comme un corridor que comme un point uniforme de référence. C'est d'autant plus le cas si on procède à une comparaison internationale.

2.9 Le médecin « rationneur » ?

Dans les débats actuels, on entend souvent insister sur le fait qu'il ne faut pas « abuser » des médecins en faisant d'eux des « rationneurs », notamment du côté des organisations du corps médical. Cette revendication paraît également justifiée

au Conseil d'éthique allemand, tout en exigeant quelques précisions. Le rôle qu'on ne devrait pas exiger d'un médecin est celui d'un limiteur de prestations « abandonné à son sort » au chevet de son patient. Des budgétisations qui obligeraient les médecins à traiter, ouvertement ou non, quelques-uns de leurs patients en restant en deçà des normes de bon traitement thérapeutique, sans que la société en assume ouvertement la responsabilité, sans qu'elle fasse élaborer des critères de répartition et les accepte, seraient intolérables. Ces contraintes en demandent trop aux médecins, elles conduisent, le cas échéant, à utiliser des modèles de répartition inacceptables, particulièrement inéquitables, et mettent en danger la confiance qui est la base de la relation entre médecin et patient.

Cela ne signifie pas inversement que les médecins *ne doivent pas participer*, le cas échéant, à l'élaboration et à la mise en œuvre des consignes de hiérarchisation. On ne pourra pas se passer de leur compétence, ni de leur savoir, ni de leur expérience. À deux points de vue : d'un côté, c'est aux médecins que revient la décision de comparer et de juger d'éventuelles possibilités différentes de thérapeutique. De l'autre, ils demeurent nécessairement obligés de tenir compte des directives de hiérarchisation dans leurs propositions concrètes de thérapies. Mais au lieu d'être obligés de porter eux-mêmes la responsabilité de ces directives, ils devraient intervenir ouvertement au niveau des décisions prises par la société et pouvoir reprendre complètement, *dans ces limites*, le rôle qui leur revient d'« avocat » du patient individuel.

3 ÉVALUATION DE L'UTILITÉ THÉRAPEUTIQUE ET DES COÛTS DES MÉDICAMENTS

Comme cela a été dit en introduction, l'évaluation de l'utilité et des coûts des médicaments joue un rôle important au sein des systèmes de santé modernes étant donné le niveau relativement élevé des coûts. On en examinera donc ci-après de plus près les aspects décisifs.

L'évaluation de l'utilité thérapeutique et des coûts d'un acte médical est extrêmement complexe, l'hétérogénéité des procédés utilisés en témoigne aussi. De nombreux ouvrages de référence sur les méthodes d'évaluation soulignent la diversité de celles-ci, une diversité qui peut d'ailleurs être qualifiée d'incertitude dans un contexte de théorie scientifique.

Avec ces éléments en toile de fond, nous présenterons ci-après les principaux concepts d'évaluation de l'utilité et des coûts. Le regard se focalisera tout d'abord sur les aspects conceptuels des méthodes qu'utilisent ces modèles, c'est-à-dire sur la description de la détermination empirique et systématique de l'utilité thérapeutique et des coûts, avant de débattre du statut normatif de ces concepts dans une perspective interdisciplinaire, au chapitre 5.

3.1 Détermination de l'utilité

Conformément à l'article 35a du SGB V (dans sa version entrant en vigueur au 1/1/2011), le G-BA doit procéder à l'évaluation de l'utilité de médicaments contenant de nouveaux principes actifs. Il peut en charger l'IQWiG. De plus, conformément à l'article 35b, paragraphe 1, depuis 2007, le G-BA peut charger l'IQWiG d'évaluer le rapport utilité-coût des médicaments. Aux termes de la loi, l'amélioration de l'état de santé du patient, la réduction de la durée de la maladie, la prolongation

de la durée de vie, la réduction des effets secondaires ainsi que la qualité de vie sont notamment à prendre en compte dans une proportion convenable dans l'évaluation du bénéfice thérapeutique pour le patient. Ces critères sont également qualifiés de points terminaux de *mortalité*, de *morbidité* et de *qualité de vie*, ils sont importants pour le patient. La détermination de la qualité de vie en matière de santé occupe le premier plan du débat international.

3.1.1 La qualité de vie par rapport à la santé

Dans toutes les évaluations de l'utilité thérapeutique, mesurer la qualité de vie représente un défi particulier, car il s'agit d'une grandeur qualitative et non quantitative comme c'est le cas pour la durée de vie. Pour les rendre comparables, les déclarations qualitatives sont quantifiées, les jugements de valeur émis précédemment peuvent donc être masqués, certaines dimensions homogénéisées et les implications éthiques des décisions d'ordre méthodique occultées.

Il faut commencer par décider si le regard se portera sur la qualité de vie en général ou la qualité de vie par rapport à la santé. Dans le domaine de l'évaluation de l'utilité thérapeutique, on fait appel en règle générale à la qualité de vie par rapport à la santé. À partir de là, il faut tenir compte du fait que seul l'individu lui-même est, par principe, apte à juger de sa propre qualité de vie : à état de santé égal, une personne peut ressentir sa qualité de vie comme bonne, alors qu'une autre estimera qu'elle est très limitée. Ce type d'évaluation peut avoir, entre autres, des raisons physiologiques, psychiques, biographiques ou sociales. En tout cas, elle montre qu'une évaluation de la qualité de vie par un tiers, donc dans une perspective vue de l'extérieur, peut présenter de grandes incertitudes et, dans notre cas concret, une cote d'erreur énorme. Compte tenu de cela, les directives du NICE britannique, par exemple, paraissent problématiques, car elles prescrivent de faire évaluer

hypothétiquement la qualité de vie dans des états de santé précis au moyen d'un échantillon représentatif de la société et non par des patients ou des personnes concernées elles-mêmes par une réduction de certaines fonctions corporelles précises due à leur état de santé. De plus, il faut voir si le regard a porté sur la qualité de vie en elle-même ou sur la modification de la qualité de vie par la mise en œuvre d'un acte thérapeutique, étant donné que l'envergure de la différence peut dépendre dans une très large mesure du niveau initial. À nombre de points de différence égal, un patient dont la qualité de vie était très mauvaise auparavant percevra l'amélioration de celle-ci comme beaucoup plus importante qu'un patient dont la qualité de vie était déjà assez bonne auparavant.

De plus, il n'existe pas de normes uniformes d'évaluation de la qualité de vie pour établir l'utilité thérapeutique. On utilise des instruments d'enquête qui, selon le mode de questionnaire (interview téléphonique, questionnaire, journal intime, etc.), font tour à tour apparaître des différences en fonction de la personne qui évalue la qualité de vie (patient, médecin, parent), en fonction des aspects pris en compte (par exemple, aspects généraux relatifs à la santé ou aspects spécifique de la pathologie) et en fonction de la forme sous laquelle les résultats sont représentés, notamment selon que l'on reproduit une à une des dimensions différentes de qualité de vie²⁹, ou qu'elles sont fondues dans un seul chiffre³⁰.

Si l'évaluation de l'utilité thérapeutique d'un acte décide en fin de compte si celui-ci sera prodigué dans le cadre du régime

29 C'est le cas des instruments se servant de profils qui prennent en compte la pluridimensionnalité de la santé en déterminant et en indiquant des valeurs séparées pour chaque dimension (par exemple santé psychique, physique, sociale). Ils permettent une évaluation différenciée de la qualité de vie par rapport à l'état de santé et sont surtout utilisés dans les études cliniques.

30 C'est le cas des instruments se servant d'indices qui résumant diverses dimensions partielles en un chiffre ou un indice. Ils sont moins pertinents que les instruments se servant de profils, mais à la différence de ces derniers, ils permettent une simple comparaison de différentes interventions et sont donc plus avantageux dans la perspective de l'économie sanitaire.

légal de l'assurance maladie et si l'évaluation de l'utilité thérapeutique dépend dans une large mesure de l'influence de l'acte à évaluer sur la qualité de vie, le sondage sur la qualité de vie prend une importance énorme. C'est pourquoi, les méthodes doivent être solidement fondées et transparentes. Si le législateur ne peut pas dicter de directives plus précises, parce que l'adéquation des méthodes dépend également du tableau clinique et des conditions concrètes d'analyse, l'institution chargée de la concrétisation devra posséder une légitimation démocratique et conforme à l'État de droit.

3.1.2 L'utilité thérapeutique vue par l'IQWiG

Dans sa note sur les méthodes, l'IQWiG définit la notion d'*utilité thérapeutique* comme le résultat positif de cause à effet d'une intervention médicale et entend par la notion de *dommage* son résultat négatif de cause à effet par rapport aux points terminaux biologiques importants pour le patient. Le processus d'évaluation de l'utilité décrit selon l'IQWiG « l'ensemble du processus d'évaluation concernant les résultats positifs et négatifs de cause à effet des interventions médicales, comparés avec une autre thérapie clairement définie, d'un placebo (ou d'un autre traitement simulé) ou de l'absence de thérapie. »³¹ Étant donné que pour déterminer l'utilité de la thérapie, on tiendra compte de manière adéquate, « notamment de l'amélioration de l'état de santé, du raccourcissement de la durée de la maladie, de l'allongement de la durée de vie, de la réduction des effets secondaires, ainsi que de l'amélioration de la qualité de vie », conformément à l'article 35b du SGB V, l'IQWiG estime que la détermination de l'utilité doit se faire en s'alignant sur le patient. Elle entend par là que l'on considérera comment

31 Cf. document de l'IQWiG sur les méthodes d'évaluation de l'utilité thérapeutique (*Allgemeine Methoden*, version 3.0 du 27/5/2008), online sur Internet : http://www.iqwig.de/download/IQWiG_Methoden_Version_3_0.pdf [1/12/2010].

le patient réagit, comment il peut assumer ses fonctions et ses activités et somme toute, s'il survit. On tiendra compte aussi bien des effets voulus que non voulus de l'intervention.

Pour les patients concernés, l'importance des aspects établis varie, qu'ils soient utiles ou dommageables. C'est pourquoi l'IQWiG estime qu'il est nécessaire d'intégrer des groupes de personnes ayant des intérêts divers, comme les patients, les organes de représentation des patients ou les organisations de consommateurs (ou les deux) dans le procédé public de constitution d'un avis. L'IQWiG *pondère* les diverses grandeurs visées dans sa considération globale de l'utilité.³²

La prise en compte adéquate du *dommage* potentiel que peut causer l'intervention médicale, et surtout son évaluation, posent un problème supplémentaire. Dans ce contexte, le défi majeur est d'explorer systématiquement des analyses appropriées, notamment lorsque l'on est en présence « d'évènements indésirables » générés par le diagnostic ou le traitement d'une maladie déterminée. Généralement, en effet, les études sont axées sur la mesure de grandeurs spécifiques qui, comme on le suppose, peuvent être influencées par des interventions médicales définies. Pour cette raison, l'identification du dommage potentiel et surtout des résultats indésirables dépend dans une très large mesure de la conception de l'analyse en question. Quand il évalue l'utilité, l'IQWiG se trouve donc fréquemment confronté à un problème : les données sur l'utilité d'une alternative thérapeutique sont plus accessibles que celles qui mentionnent le dommage potentiel inhérent.

Étant donné que la collecte de données sur les points terminaux significatifs pour les patients est souvent un travail coûteux et de longue haleine, on recourt souvent dans les analyses à des *paramètres de remplacement* dont l'identification se fait plus simplement et plus rapidement. Par exemple, dans de

32 Entre autres, rapport final de l'IQWiG sur l'utilisation de la transplantation de cellules souches pour traiter les leucémies aiguës, en ligne sur Internet : http://www.iqwig.de/download/No5-03A_Abschlussbericht_Stammzelltransplantation_be_ALL_und_AML.pdf [1/12/2010].

nombreuses études sur les cancers, on ne mesure pas la durée de survie des patients générée grâce à un nouveau médicament, mais seulement la durée pendant laquelle le développement de la tumeur est stoppé. Un « intervalle sans progression » ne signifie pas pour autant que le patient vit plus longtemps. Étant donné que, de ce fait, l'influence de l'intervention médicale sur le point terminal de remplacement ne coïncide pas toujours avec l'effet sur le point terminal du patient, cette façon de procéder n'est pas sans poser de problèmes.³³ L'IQWiG ne prend en compte les paramètres de remplacement dans l'évaluation de l'utilité que lorsque la comparabilité des mécanismes d'effet est suffisamment prouvée par des statistiques.

3.1.3 La mesure d'utilité QALY en tant que produit de la qualité de vie par la durée de vie

En économie de la santé, la détermination du QALY (*quality adjusted life years*, années de vie gagnées ajustées sur la qualité de vie) est considérée au niveau international comme une mesure standard de l'utilité des interventions médicales sur les patients. À la différence de la représentation différenciée de l'utilité au moyen de trois points terminaux significatifs pour les patients (mortalité, morbidité, qualité de vie), les QALYs reflètent l'utilité en une seule valeur. Cela les rend particulièrement pratiques pour une utilisation dans le cadre d'une évaluation du rapport coût-utilité qui compare la rentabilité de la thérapeutique de diverses maladies (cf. 3.3.3).

Pour calculer le QALY, on multiplie les années de vie gagnées ou perdues par la valeur qui exprime la modification de la qualité de vie. Le QALY est donc le *produit* de l'espérance de vie

33 Ainsi, par exemple, l'utilisation de la « réduction des arythmies ventriculaires » comme paramètre de remplacement pour calculer la baisse de mortalité cardiovasculaire dans l'étude CAST a fait apparaître des résultats alarmants. Cf. Fleming/DeMets (1996): *Surrogate end points in clinical trials*, in: *Annals of Internal Medicine* 125 (7), 605-613.

restante par la qualité de vie. Même si, de nos jours, les QALY sont utilisés pour toute la gamme des prestations médicales, cette méthode doit sa plausibilité au domaine pour lequel elle avait été conçue initialement : les vécus ambivalents des thérapeutiques du traitement des cancers, comme la chimiothérapie et la radiothérapie, souvent accompagnées d'importants effets secondaires. Une prolongation de l'espérance de vie – parfois discutable – est liée, en l'occurrence, à une « qualité de survie » subjective, bien souvent diminuée pendant la durée de vie restante. D'un autre côté, toute amélioration médicale ressortant d'un indice du vécu subjectif ne s'accompagne pas forcément d'une prolongation de la durée de survie.

La qualité de vie (QdV) est indiquée dans le QALY par des chiffres entre 0 et 1. La valeur 1 traduit un état subjectif de parfaite santé, 0 correspond à la mort. Parfois, des valeurs inférieures à 0 sont indiquées, lorsque la qualité de vie attendue est évaluée comme étant plus négative que la mort. La durée de vie (DdV) est exprimée en années. Ces deux valeurs sont multipliées entre elles. Un QALY correspond donc, par exemple, à une année de vie passée dans un « état subjectif d'excellente santé » ($DdV = 1$; $QdV = 1$), il peut aussi exprimer une durée de vie de deux ans avec une qualité de vie ressentie subjectivement comme « dégradée de moitié » ($DdV = 2$; $QdV = 0,5$) ou une durée de vie de quatre ans pour un état de santé dégradé aux trois quarts ($DdV = 4$; $QdV = 0,25$).

Ces chiffres correspondant au QALY reflètent une mesure résultant de la combinaison de deux paramètres qui ne portent pas sur la même dimension. Du fait de la subjectivité inéluctable du facteur Q, le produit $DdV \times QdV$ est aussi une valeur qualitative. Il s'agit, en l'occurrence, de l'équivalence formelle qui résulte du mode de calcul mathématique du QALY, dont les prémisses restent discutables, compte tenu de leur substance.

Si l'on accepte la possibilité de compensation mutuelle entre la durée de vie gagnée et la qualité de vie sur laquelle est construit le QALY, il faut alors se demander comment on pourra déterminer les valeurs représentatives du facteur QdV.

Les résultats des mesures dépendent dans une large mesure du groupe auquel appartiennent les personnes testées. Les personnes en bonne santé évaluent souvent le degré de gravité d'un état maladif hypothétique à un niveau plus élevé que les patients effectivement concernés. On mesure plutôt chez elles une crainte générale de la dégradation de leur état de santé. Les personnes en bonne santé évalueront plus gravement, par exemple une paraplégie, que ne le ferait une personne effectivement touchée évaluant subjectivement sa qualité de vie. Cette dernière s'améliore généralement au cours du temps chez les malades, parce qu'ils s'adaptent à leur état de santé. Les enquêtes réalisées auprès du personnel médical révèlent des valeurs de QdV encore différentes, en fonction de leur point de vue sur la pathologie ou le handicap en question, ainsi que des expériences qu'ils ont vécues avec des patients ou des personnes concernées.

Pour défendre le concept du QALY, il faut mentionner qu'on ne se contente pas d'interroger isolément certaines personnes, mais qu'on procède à des sondages représentatifs. À partir des données ainsi obtenues, on calcule des valeurs moyennes. Il n'en résulte certes pas une valeur « objective » (« réelle »), mais une « évaluation collective ». Il s'agirait même d'un résultat significatif. C'est pourquoi les scientifiques discutent intensivement sur la forme que devrait revêtir une mesure véritablement pertinente du facteur QdV qui serait ensuite utilisé pour les décisions inhérentes, et sur le mode de représentation de l'utilité.

3.2 Calcul des coûts

Le chiffrage des coûts des options thérapeutiques significatives dépend, tout comme la détermination de l'utilité, de l'angle sous lequel on se place. Si l'on opte pour une perspective sociale, il faudra tenir compte de tous les coûts importants et des économies monétaires. Si l'on se limite à la perspective de la

communauté qui finance l'assurance, on se focalisera sur les dépenses des caisses d'assurance maladie.

De plus, il faut faire la différence entre les coûts directs et les coûts indirects des thérapies possibles, car ce sont des catégories de coûts différentes.³⁴ On entend par coûts directs la consommation supplémentaire de ressources en rapport direct avec le mode d'administration ou la mise en œuvre de la thérapie. Elle comprend, entre autres, le coût des médicaments, des remèdes et des accessoires médicaux, chirurgicaux et orthopédiques, des prestations de diagnostics et des opérations, ainsi que le coût des médecins, du personnel soignant et d'autres professions médicales. D'autres facteurs de coûts comme les soins prodigués par des parents ou des aides ménagères entrent également dans les coûts directs (non médicaux) et sont intégrés dans le calcul des coûts dès lors qu'ils sont importants.

Les coûts indirects, en revanche, concernent la perte de productivité dans une perspective d'économie nationale. Cette perspective part de l'hypothèse que, macro-économiquement parlant, les dépenses de santé représentent des investissements, par exemple, dans la capacité d'exercer une activité professionnelle. La perte de productivité au poste de travail, le nombre de jours d'absence pour maladie et, le cas échéant, l'espérance de vie réduite en résultant pour une personne active créent les coûts indirects d'une maladie.

Selon l'article 35b, paragraphe 1, phrase 4 du SGB V, l'IQWiG doit prendre en compte de manière appropriée « également l'adéquation et le caractère acceptable d'une prise en charge des coûts par la communauté des assurés » dans l'évaluation économique, à laquelle elle procédera dans le cadre d'une évaluation coût-utilité. Conformément aux dispositions du SGB V, on ne retiendra, pour la relation coût-utilité, que les coûts à la charge du régime légal de l'assurance maladie, y

34 Cf. Greiner (2002) : *Die Berechnung von Kosten und Nutzen im Gesundheitswesen*, dans : Schöffski/Schulenburg (éd.) : *Gesundheitsökonomische Evaluationen*, Berlin et al., 159-173.

compris la franchise à la charge des assurés, et non les coûts indirects comme, entre autres, la perte de prestations de travail pour cause de maladie et le transfert des coûts et des dommages vers d'autres organisme d'assurances sociales, surtout l'assurance dépendance.³⁵ Certains considèrent que la législation n'est pas claire sur la question des coûts et qu'elle reste sans réponse. Ils réclament que tous les coûts supportés par toutes les assurances sociales, voire par la société soient pris en considération dans l'évaluation du rapport coût-utilité.³⁶ Le G-BA veut éclaircir la question de savoir dans quelle mesure on devra tenir compte également des coûts externes à l'occasion des différentes missions confiées à l'IQWiG.³⁷ L'article 35b, paragraphe 1, phrase 2 du SGB V dans sa version en vigueur depuis le 1/1/2011, stipule entre-temps que le G-BA devra fixer, pour chaque mission confiée à l'IQWiG, la période, la nature de l'utilité et des coûts et la proportion de l'utilité globale qui devront être prises en compte dans son évaluation.

35 C'est également ce qui résulte de la présentation de l'article 31, paragraphe 2a du projet de loi sur le renforcement de la concurrence entre les caisses du régime légal d'assurance maladie (GKV-WStG), qui stipule que la charge supplémentaire des coûts du régime légal d'assurance maladie doit être comparée à l'utilité médicale supplémentaire (impression du *Bundestag* 16/3100, concernant le n° 16 a).

36 Cf. Schulenburg/Greiner/Dierks (2010) : *Methoden zur Ermittlung von Kosten-Nutzen-Relationen für Arzneimittel in Deutschland*, dans : *Gesundheitsökonomie & Qualitätsmanagement* 15 (suppl. 1), S3-S28. Dans l'expertise effectuée pour le Association des entreprises pharmaceutiques pratiquant la recherche (vfa), les auteurs déduisent du Livre X du Code de la sécurité sociale (SGB X) une obligation inter-assurances sociales de prise en compte de tous les coûts sociaux.

37 Conformément à l'article 10b du chapitre quatre des règles de procédure du G-BA (du moins dans la version en vigueur jusqu'à fin janvier 2011), les décisions empiriques non déterminables par des méthodes scientifiques à prendre pour fournir les résultats nécessaires à l'évaluation de l'utilité à court terme et à long terme, seront prises par le G-BA au moment de confier la mission (uniquement régime légal de l'assurance maladie ou, le cas échéant, également assurance dépendance, invalidité) (Hess, MedR 2010, 232).

3.3 Évaluation coût-utilité

3.3.1 Introduction

Nous venons d'exposer le calcul de l'utilité et des coûts d'un acte médical. En ce qui concerne la maîtrise des problèmes résultant d'une pénurie de moyens dans la prise en charge des soins médicaux, nous proposons d'établir le rapport entre les coûts et l'utilité afin d'exclure de la couverture solidaire, entre autres, les actes « non rentables ». En Allemagne, le G-BA et, sur son ordre, l'IQWiG peuvent de toute façon, sans que cela soit contesté, passer commande d'une évaluation du rapport coût-utilité de médicaments dans le but d'intervenir sur la tarification. La signification de cette évaluation peut-elle aller plus loin ? Cette question demeure jusqu'ici sans réponse.

3.3.2 Évaluations du rapport coût-utilité pour une indication thérapeutique donnée

La dimension d'utilité des QALY peut être prise comme grandeur de référence pour le coût du traitement thérapeutique et utilisé dans les comparaisons internes pour une indication thérapeutique donnée. On comparera, en l'occurrence, les possibilités de traitement thérapeutique d'une même maladie ou des sous-groupes de cette maladie sous l'aspect du rapport coût-utilité. Certes, les problèmes qui se posent pour obtenir des chiffres représentatifs du facteur qualité de vie décrits plus haut demeurent. En outre, le problème posé par le fait que l'on ne considère pas individuellement chaque patient mais un collectif subsiste également.

Le concept de limite d'efficacité de l'IQWiG représente une autre possibilité d'évaluer le rapport coût-utilité pour une indication thérapeutique donnée. La détermination d'une limite d'efficacité exige une base de données résistante de l'utilité et des coûts de toutes les possibilités de thérapie pour

l'indication en question. Ces données sont inscrites dans un diagramme coût-utilité dont l'axe des ordonnées représente le gain d'utilité et l'axe des abscisses l'augmentation des coûts. L'analyse commence à l'intersection des deux axes (« aucune thérapie »). À partir de là, on cherche la courbe la plus verticale possible, c'est-à-dire des thérapies qui se situent aussi haut et aussi à gauche que possible sur le graphique. Plus la ligne qui relie deux points est verticale, plus les frais supplémentaires par unité d'utilité supplémentaire sont réduits. Toutes les possibilités de thérapie qui se trouvent au dessous de cette ligne sont considérées comme inefficaces : il existe des options qui présentent soit une plus grande utilité à coût égal, soit un coût moindre à utilité égale.

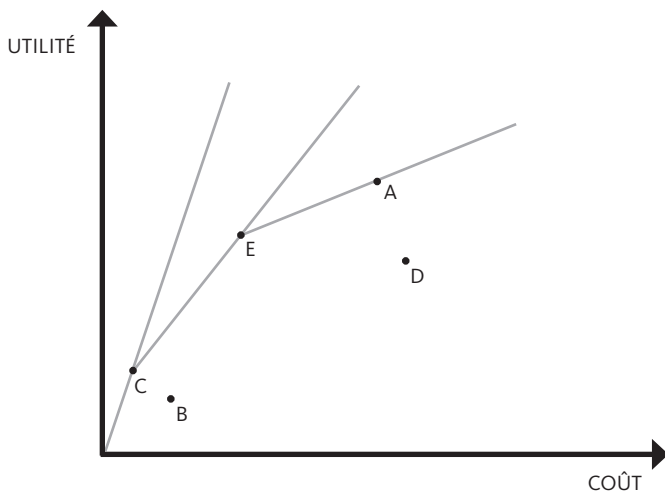


Figure 1 : calcul de la limite d'efficacité par l'IQWiG³⁸

Cette prise en considération progressive des unités d'utilité et de coûts obtenues ou occasionnées en plus repose sur le concept du ratio coût-efficacité incrémentiel (*incremental cost*

38 Note de l'IQWiG sur les méthodes d'analyse des limites d'efficacité, online sur Internet : http://www.iqwig.de/download/Allgemeinverstaendliche_Zusammenfassung_Kosten_und_Nutzen_in_der_Medizin.pdf [1/12/2010].

effectiveness ratio, ICER), actuellement établi pour les évaluations en économie de la santé. Il décrit le quotient des coûts supplémentaires divisés par l'utilité supplémentaire de la thérapie en question par rapport à la thérapie standard :

$$\text{ICER} = \frac{\text{incrément de tous les coûts}}{\text{incrément de toutes les utilités}}$$

Plus la droite décrite par l'intersection entre deux options de thérapie se rapproche de la verticale, plus le taux coût-efficacité est faible. Inversement, dans le cas de la limite d'efficacité représentée en figure 1, le rapport coût-efficacité des thérapies efficaces diminue dans la direction positive de l'axe des coûts et l'ICER augmente.

Ce ratio incrémentiel coût-utilité sert, en économie de la santé, à établir une valeur seuil jusqu'à laquelle un remboursement est possible. Ces seuils peuvent être inclus dans les décisions d'allocation en tant que seuils « durs » ou seuils « souples ». S'il s'agit d'un seuil dur, celui-ci servira de base à la fixation d'un montant qui constituera la limite absolue de remboursabilité (c'est le cas, par exemple, de la fixation de plafonds prévus dans le SGB V jusqu'à la dernière modification de loi de 2010). S'il s'agit d'un seuil souple, il n'existe pas de valeur concrète, mais un corridor financier qui correspond à l'efficacité supposée au regard des coûts. Plus le coût augmente, plus la probabilité du remboursement d'un acte diminue.

Il est nécessaire de procéder à des *modélisations* pour effectuer des évaluations coût-utilité s'inscrivant dans une logique d'avenir. Les modélisations sont des pronostics reposant sur certaines hypothèses. Elles comportent des sources d'erreur quant à la transparence et quant à la validité des suppositions, des erreurs systématiques dans les données d'observation utilisées et des difficultés lors de l'extrapolation des données cliniques sur de longues durées. Pour ces modélisations, il existe des lignes directrices internationales dont le but est de réduire au maximum ces sources potentielles d'erreur. Ces lignes

directrices visent à minimiser le risque d'obtenir des données trompeuses en effectuant ce type de calcul. Dans sa note sur les méthodes d'estimation du rapport coût-utilité, l'IQWiG ne se fixe pas de technique précise de modélisation, mais fait dépendre son choix du problème scientifique posé, des caractéristiques de la technologie à évaluer, de la pathologie en question et des conditions générales.

La règle du montant fixe s'applique aux nouveaux médicaments qui ne diffèrent que très peu des alternatives thérapeutiques existantes quant à leur utilité et à leurs effets secondaires, conformément à l'article 35 du SGB V. Si l'évaluation coût-utilité révèle que cette nouvelle procédure thérapeutique est d'une plus grande utilité, alors que les coûts demeurent inchangés, la question est de savoir quel sera le prix adéquat de ce médicament. Dans un tel contexte, l'IQWiG part de l'hypothèse que ce prix peut être calculé en prolongeant la ligne reliant les deux derniers points du diagramme de la limite d'efficacité. Lorsque la valeur de l'utilité du nouveau médicament a été calculée et fixée, son prix doit donc être choisi de telle sorte que le rapport coût-utilité se situe à la limite d'efficacité (en d'autres termes : le rapport coût-utilité demeure inchangé) ou au dessus de celle-ci (en d'autres termes : l'utilité est supérieure, alors que les coûts n'évoluent pas).

Des voix critiques se font entendre, objectant que ce concept de limite d'efficacité conduit en fin de compte à des traitements inégaux, arbitraires et non justifiables des assurés, parce qu'il repose sur le rapport coût-efficacité antérieur respectif des médicaments utilisés jusqu'alors dans une indication thérapeutique donnée et que ce rapport dépend de facteurs variés, parfois non harmonisés. La conséquence est qu'au sein d'une indication thérapeutique donnée, on acceptera des coûts comparativement élevés pour un accroissement précis de l'utilité, alors que dans un autre domaine d'indication, la moindre augmentation des coûts sera refusée.³⁹ De plus, selon ces

39 Huster, GesR 2008, 449 (454 ff.) ; Huster, MedR 2010, 234 (238 sq.).

critiques, on doit tenir compte des répercussions possibles sur le comportement éventuel des entreprises pharmaceutiques en matière de recherche : à caractère innovant égal, celui d'un médicament avantageux est moins bien rémunéré que celui d'un autre médicament plus cher.⁴⁰

D'autres voix répondent à cette critique qu'une évaluation coût-utilité pour une indication thérapeutique donnée ne sert pas à fixer des priorités entre les maladies, mais uniquement à définir un prix adéquat du médicament par rapport à d'autres préparations pharmaceutiques comparables pour une indication thérapeutique donnée.⁴¹

3.3.3 Évaluations du rapport coût-utilité toutes indications confondues

Le concept de la limite d'efficacité que l'IQWiG compte appliquer se concentre sur des comparaisons au sein d'un même domaine d'application. Les QALY sont appropriés pour mesurer l'utilité, mais aussi pour comparer la relation coût-utilité des traitements de diverses pathologies et donc de divers groupes de patients. Par exemple, le NICE utilise le QALY en tant que grandeur de référence pour le coût des actes médicaux et se sert d'études pour calculer le coût à déboursier par QALY. Il a calculé ainsi que le traitement d'un cancer colorectal avancé (cancer du côlon et du rectum) avec du Bevacizumab coûtait 36 000 livres par QALY, ce qui l'a conduit à refuser la prise en charge par le NICE, alors que le coût du traitement d'un sarcome des tissus mous par la Trabectedin ne coûte que 17 500 à 25 000 livres, si bien que le NICE a préconisé la prise en charge des coûts.⁴²

40 Huster, RPG 2009, 69 (76) ; Wasem (2008) : *Eine unvermeidbare Abwägung*, dans : *Deutsches Ärzteblatt* 105 (9), A438-A440 (A440).

41 Martini, WiVerw 2009, 195 (217).

42 Cf. communiqué de presse du NICE du 21/12/2009 (« *NICE draft guidance recommends new treatment option for advanced soft tissue sarcoma* »). Cf. *aerzteblatt.de* du 21/12/2009 (« *England: Wie NICE die Preise für Krebsmedikamente drückt* »).

On peut établir une liste de priorités en se basant sur de telles évaluations du rapport coût-utilité (*league table*), hiérarchisée en fonction du coût par QALY. S'il faut faire des économies, on peut calculer au moyen du budget existant jusqu'à quelle position de la *league table* une prise en charge peut se faire. Si le coût par QALY d'une prestation dépasse le seuil fixé, elle ne sera pas financée ou on exigera une justification particulière. Il est clair que dans cette procédure, le critère décisif d'allocation réside dans la maximalisation des QALY gagnés. Certes, la base de comparaison paraît simple, transparente et objective ; elle occulte néanmoins des critères comme l'urgence du traitement et la gravité de la pathologie. De plus, elle suppose que la maximalisation de l'utilité dans le domaine des soins de santé est le but souhaitable et non la nécessité de prodiguer une thérapie à chaque patient.

En Allemagne, c'est surtout la référence de la loi aux normes internationales reconnues, notamment celles de l'économie sanitaire, (article 139a, paragraphe 4 du SGB V)⁴³, qui a déclenché des critiques vis-à-vis des méthodes se référant aux indications, comme les utilise aussi l'IQWiG, étant donné qu'en économie de la santé internationale, l'approche qui domine, dans l'allocation de ressources, est celle qui réunit toutes les indications thérapeutiques⁴⁴. Les critiques avancent que l'évaluation du rapport coût-utilité ne peut pas dépendre du montant des fonds que les caisses d'assurance maladie ont affecté jusqu'alors à une indication précise ou sont prêtes à affecter, mais qu'il faudrait se demander quelles sont les indications pour lesquelles les ressources utilisées ont été de la plus grande utilité. Ce serait la façon unique d'allouer des ressources dans la forme requise par le législateur, qui emploie des notions

43 L'IQWiG doit « garantir que l'évaluation de l'utilité médicale se fait selon les normes internationales reconnues de la médecine basée sur les faits et que l'évaluation économique se fait selon les normes internationales reconnues dans ce domaine, notamment celles de l'économie de la santé » (article 139a, paragraphe 4, phrase 1 du SGB V).

44 Cf. en ce qui concerne la problématique Martini, WiVerw 2009, 195 (212 sq.).

comme « opportunité » et « acceptabilité ». ⁴⁵ C'est pourquoi les milieux scientifiques et ceux de l'économie de la santé estiment qu'il est nécessaire de procéder à une évaluation du rapport coût-utilité toutes indications confondues.

Toutefois, l'article 35b, paragraphe 1, phrase 3 du SGB V donne à entendre que l'IQWiG est tenu de procéder à l'évaluation du rapport coût-utilité pour un domaine d'indication thérapeutique précis. ⁴⁶ Il y est dit qu'une évaluation sous forme de comparaison du médicament avec d'autres formes de traitement se fait en tenant compte de l'utilité supplémentaire pour le patient. Les principes fondamentaux du droit des régimes légaux d'assurance maladie peuvent également être cités en référence pour limiter l'évaluation du rapport coût-utilité au domaine respectif d'indication. Ces principes ne connaissent ni la fixation de priorités pour l'utilisation des moyens à travers tout le système de santé, ni les relations d'échange qu'elle rend possibles, voire nécessaires.

La critique de quelques économistes de la santé s'adresse certes, pour la forme, aux méthodes de l'IQWiG, mais concerne plutôt, en fait, les formulations de la loi, qui manquent de clarté.

45 Reese, PharmR 2008, 525 (528) ; avis commun du Comité de l'économie de la santé au sein du *Verein für Socialpolitik* (Association pour la politique sociale) et de la *Deutsche Gesellschaft für Gesundheitsökonomie* (Société allemande d'économie de la santé) relatif à l'élaboration d'une méthode d'évaluation de la relation utilité-coût au sein du régime légal de l'assurance maladie, en ligne sur Internet : <http://www.vfa.de/download/stellungnahme-iqwig-methodenentwurf-gesundheitssoekonomen.pdf> [1/12/2010].

46 De même, la présentation du projet de loi sur la réorganisation du marché pharmaceutique (AMNOG) part d'une comparaison relative à l'indication : « L'une des composantes de l'évaluation du rapport coût-utilité est également une évaluation de l'utilité. Étant donné que l'évaluation du rapport coût-utilité se fait par rapport à une indication, elle renseigne également sur l'adéquation des médicaments dans le cas de cette indication » (impression du *Bundestag* 17/2413, concernant le n° 6 d).

4 MISE EN ŒUVRE DES ÉVALUATIONS DE L'UTILITÉ ET DU RAPPORT COÛT-UTILITÉ POUR LES MÉDICAMENTS DANS LE DROIT RELATIF AU RÉGIME LÉGAL DE L'ASSURANCE MALADIE EN ALLEMAGNE

4.1 Introduction

La *Gesetz zur Modernisierung der gesetzlichen Krankenversicherung* (GMG – loi de modernisation du régime légal de l'assurance maladie)⁴⁷ a introduit la possibilité d'évaluer l'utilité des nouveaux médicaments et des médicaments d'importance particulière dans le droit relatif au régime légal de l'assurance maladie, SGB V⁴⁸. L'évaluation de l'utilité comme critère de financement solidaire va plus loin que les exigences requises d'efficacité et de conformité à la loi au moment de l'autorisation de mise sur le marché⁴⁹, elle vérifie quels avantages sanitaires offre le traitement par ce médicament, surtout par rapport aux points terminaux significatifs pour le patient tels que la morbidité, la mortalité et la qualité de vie. Au niveau international également, la stricte séparation entre l'autorisation de mise sur le marché et l'évaluation de l'utilité s'est imposée. En fait, l'évaluation de l'utilité inclut la période faisant suite à la mise en circulation du médicament.

La *GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetz* (GKV-WSG – loi sur le renforcement de la concurrence entre les caisses du régime légal d'assurance maladie)⁵⁰ ajoute l'évaluation du rapport coût-utilité à l'évaluation de l'utilité. Le but était d'établir un instrument de contrôle des coûts des nouveaux médicaments. En effet, les médicaments dont la mise sur le marché vient

47 Loi du 14/11/2003, BGBl. I, 2190.

48 Dans la suite du texte, les articles mentionnés sans plus de précision, figurent dans le SGB V.

49 Articles 5 et 25, paragraphe 2, phrase 1, n° 4 de l'AMG.

50 Loi du 26/3/2007, BGBl. I, 378.

d'être autorisée sont habituellement protégés par un brevet et soustraits à la concurrence des prix. Tant qu'aucune autre condition n'est posée pour le remboursement au-delà des conditions requises pour cette autorisation (qui sont uniquement des exigences de sécurité, d'efficacité et de qualité des médicaments), les fabricants peuvent fixer librement leur prix et les caisses doivent les prendre en charge, si les médecins les prescrivent. De nombreux pays ont essayé de se protéger contre les abus possibles en instaurant un contrôle des coûts, le « quatrième obstacle », qui comporte la possibilité d'une réglementation des prix par l'État. Celle-ci n'existe pas en Allemagne jusqu'ici.

Les évaluations d'utilité et du rapport coût-utilité sont effectuées jusqu'ici par l'IQWiG sur ordre du G-BA (article 139a). Le G-BA est un organisme constitué par la *Kassenärztliche Bundesvereinigung* (Association fédérale des médecins conventionnés), la *Deutsche Krankenhausgesellschaft* (Société allemande des hôpitaux) et le *Spitzenverband Bund der Krankenkassen* (Confédération fédérale des caisses d'assurance maladie).⁵¹ Il fixe des « directives nécessaires pour assurer les soins dispensés par des médecins, portant sur la garantie de soins suffisants, adéquats et rentables des assurés » (article 92, paragraphe 1, phrase 1, 1^{re} proposition principale). Ces directives concrétisent les droits des assurés inscrits dans la loi sans plus de détails en utilisant des notions nécessitant une interprétation, elles les condensent en droits opposables à recevoir des prestations. L'IQWiG a été créé en 2004 dans la foulée de la GMG (articles 139a à c). Le G-BA en est le fondateur et l'institution compétente. C'est à cet institut qu'incombe l'évaluation scientifique indépendante de l'utilité médicale ainsi que de la qualité et de la rentabilité des prestations du régime légal de l'assurance maladie. Il ne prend pas lui-même de décisions impératives mais émet des recommandations.

⁵¹ En ce qui concerne les principes et les tâches, cf. articles 91 sqq. du SGB V.

La *Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes* (AMNOG – loi sur la réorganisation du marché pharmaceutique)⁵², dont le but est de contrôler le prix des médicaments, a toutefois permis de revoir la réglementation du motif et du volume des évaluations de l'utilité et du rapport coût-utilité au sein de l'assurance maladie solidaire.

4.2 Limitation de prestations par exclusion et restriction de la prescription de médicaments

Jusqu'ici, le G-BA pouvait limiter ou exclure la fourniture et la prescription d'un médicament au moyen de directives, lorsque selon le niveau des connaissances médicales généralement reconnu, l'utilité diagnostique ou thérapeutique, la nécessité médicale ou la rentabilité du médicament n'étaient pas prouvées et lorsqu'un médicament était inapproprié ou lorsqu'une autre possibilité thérapeutique plus économique, offrant une utilité diagnostique ou thérapeutique semblable, était disponible. Selon l'avis de certains, la raison d'exclure certains médicaments pouvait également ressortir d'une évaluation du rapport coût-utilité.⁵³

Depuis l'AMNOG 2010, le G-BA ne peut plus limiter ou exclure la prescription d'un médicament que s'il est prouvé qu'il est inapproprié ou s'il existe des possibilités de traitement plus rentables, présentant une utilité diagnostique ou thérapeutique similaire (article 92, paragraphe 1, phrase 1). Le G-BA ne peut toutefois procéder à une exclusion que si la rentabilité ne peut pas être établie en fixant un montant fixe ou un montant de remboursement à hauteur de celui de la thérapie similaire (article 92, paragraphe 2, phrase 11). Le législateur ne précise

52 Loi du 22/12/2010, BGBl. I, 2262.

53 Francke/Hart, MedR 2008, 2 (23 sq.) avec des références additionnelles ; Martini, WiVerw 2009, 195 (207) ; autre avis Becker, MedR 2010, 218 (223 sq.).

pas de quelle façon le caractère inapproprié peut être prouvé. Dans la présentation du projet de loi, il est dit seulement que la preuve du caractère inapproprié doit être apportée avec une grande certitude.⁵⁴ Toutefois, le G-BA pourra dorénavant exclure un médicament de la prescription, si l'entreprise pharmaceutique n'a pas présenté dans un certain délai les études complémentaires réclamées dans certains cas par le G-BA et en concertation avec l'autorité d'harmonisation des médicaments (article 92, paragraphe 2a). L'incertitude des données de nouveaux principes actifs et le manque de pertinence des études cliniques des points terminaux significatifs pour les patients, effectuées pour l'autorisation de mise sur le marché, sont censés être ainsi pris en compte.

La mise à l'écart de toute prescription parce que la preuve de l'utilité n'a pas été apportée dans le cadre de ce qu'on appelle l'évaluation précoce de l'utilité⁵⁵ est exclue, parce que, selon la présentation du projet de modification de la loi⁵⁶, à la différence d'autres méthodes ou produits médicaux, l'autorisation de mise sur le marché accordée dans le cadre de la loi sur les médicaments assure d'ores et déjà que ce médicament est indiqué a priori pour traiter l'indication thérapeutique en question. L'expérience montre toutefois que même des médicaments supposés efficaces lors de leur autorisation de mise sur le marché peuvent parfois ne pas être véritablement utiles au patient pour prolonger sa vie ou améliorer sa qualité de vie, voire peuvent lui occasionner des dommages supplémentaires. C'est pourquoi le G-BA a pu utiliser des conclusions a posteriori pour prononcer l'exclusion de prestations en se conformant au droit qui était en vigueur jusqu'ici. Ce processus n'est certes pas exclu non plus par le droit en vigueur (article 139a, paragraphe 3, n° 5), mais il est devenu beaucoup plus difficile, parce que la charge de la

54 Recommandation de décision de la *Ausschuss für Gesundheit* (commission de la santé) du 10/11/2010 (impression du *Bundestag* 17/3698, concernant l'article 1, n° 13).

55 Cf. 4.4.1.

56 Recommandation de décision de la commission de la santé (cf. note n° 54).

preuve de l'inefficacité incombe désormais au G-BA. La présentation du projet de loi insiste sur le fait que conformément à la nouvelle législation et dans le cadre de l'évaluation d'utilité « précoce » en vertu de l'article 35a, le G-BA ne peut plus qu'évaluer l'utilité supplémentaire par rapport aux autres thérapies, étant donné que celle-ci ne fait pas l'objet d'une vérification en vue de l'autorisation de mise sur le marché aux termes de la législation sur les médicaments. Le rôle que peut jouer, en l'occurrence, une évaluation du rapport coût-utilité n'est pas clair.

4.3 Limitation des prestations par le plafonnement du coût des médicaments

La GKV-WSG 2007 ouvrait dorénavant la possibilité de fixer des plafonds de remboursement de médicaments⁵⁷ par le *Spitzenverband Bund der Krankenkassen* (SpiBu – Confédération fédérale des caisses d'assurance maladie). Ce plafonnement repose sur une évaluation du rapport coût-utilité faite par l'IQWiG. Les caisses d'assurance maladie prennent en charge le coût du médicament jusqu'à cette limite. La conséquence de la fixation d'un plafond est que les patients doivent payer eux-mêmes la différence de prix dépassant le plafond ou opter pour un autre médicament, si l'industrie pharmaceutique n'adapte pas son prix en respectant le plafond. Le législateur s'est basé, en l'occurrence, sur des expériences faites à l'étranger. L'AMNOG 2010 a supprimé les dispositions fixant des plafonds et les a remplacées par une procédure de négociation des montants remboursés en fonction de l'évaluation de l'utilité et du rapport coût-utilité. On n'a d'ailleurs pas réussi à fixer des plafonds lorsque la GKV-WSG était en vigueur.

57 C'est-à-dire par le biais du G-BA, la possibilité de contrôler les prix existant depuis longtemps, mentionnée aux articles 35 et 92, paragraphe 2, en instituant un montant fixe pour certains groupes de médicaments, lorsque ceux-ci contiennent des principes actifs similaires au point de vue pharmacologique ou ont un effet thérapeutique similaire.

4.4 Fixation des prix par négociation et fixation des montants de remboursement

4.4.1 Estimation précoce de l'utilité

La notion d'estimation « précoce » de l'utilité est introduite dans le nouvel article 35a dans la version de 2010 de l'AMNOG. Elle englobe l'évaluation de l'utilité supplémentaire par rapport à la thérapie similaire⁵⁸, sa dimension et son importance thérapeutique. Le G-BA doit procéder à l'évaluation de l'utilité dans les trois mois suivant la première mise en circulation du médicament. Elle sera effectuée sur la base d'indications et de preuves apportées par l'entreprise pharmaceutique, qui sera tenue de les fournir conjointement aux examens cliniques qu'elle aura effectués elle-même ou qu'elle aura fait faire.⁵⁹ Il ne s'agit donc pas d'une base décisionnelle entièrement désintéressée. Compte tenu du moment auquel est effectuée l'évaluation précoce de l'utilité, il ne peut s'agir, en outre, que d'un pronostic d'utilité. En effet, il est impossible que des données valides résultant d'une longue durée d'utilisation soient disponibles au moment de l'autorisation de mise sur le marché. Si l'entreprise pharmaceutique ne présente pas les preuves nécessaires en temps voulu ou si elles ne sont pas complètes, malgré la demande du G-BA, on considérera que l'utilité supplémentaire n'est pas prouvée. Le G-BA peut charger l'IQWiG d'évaluer l'utilité. Les détails en sont fixés dans un décret d'application de la loi du ministère fédéral de la Santé, sur la base des normes internationales de la médecine basée sur des faits et de l'économie sanitaire (article 35a, paragraphe 1, phrase 7).

⁵⁸ S'applique également aux thérapies non médicamenteuses.

⁵⁹ Les indications suivantes sont à communiquer notamment au G-BA (article 35, paragraphe 1, phrase 3) : domaines d'application autorisés, utilité médicale et utilité supplémentaire par rapport à la thérapie adéquate comparable, nombre de patients et de groupes de patients pour lesquels le médicament apporte une utilité supplémentaire importante au point de vue thérapeutique, coût de la thérapie pour le régime légal de l'assurance maladie, exigences pour assurer une utilisation en garantissant la qualité.

Si l'évaluation de l'utilité ne fait pas apparaître d'utilité supplémentaire⁶⁰, le médicament sera classé dans un groupe au montant fixe avec d'autres médicaments contenant des principes actifs à l'effet pharmacologique similaire ou possédant un effet thérapeutique similaire et son remboursement sera en conséquence (article 35). S'il existe une utilité supplémentaire, la SpiBu conviendra avec l'entreprise d'un montant de remboursement pour le médicament en question sur la base de la décision du G-BA relative à l'évaluation de l'utilité ; ce montant sera accordé en tant que remise sur le prix de vente de l'entreprise (article 130b, paragraphes 1 et 2). Si le médicament ne présente pas d'utilité supplémentaire et s'il ne peut pas être classé dans un groupe pour lequel il existe un montant fixe, on conviendra d'un montant de remboursement ne dépassant pas le coût annuel d'une thérapie similaire. Si les parties n'aboutissent pas à un accord, le contenu du contrat sera fixé avec un montant de remboursement par une décision arbitrale (article 130b, paragraphe 3). Le *Verband Forschender Arzneimittelhersteller* (vfa – Association des entreprises pharmaceutiques pratiquant la recherche) y voit une obligation illégale de contracter, parce que le fabricant serait ensuite obligé de proposer le médicament en question au prix fixé.⁶¹

Le rapport coût-utilité joue-t-il un rôle dès le moment des négociations de prix qui se déroulent dans le cadre de l'évaluation précoce de l'utilité ? Ce n'est pas clair. Il faut supposer que les entreprises pharmaceutiques remettront également des informations à ce sujet avec le dossier qu'elles doivent présenter,

60 Conformément à l'article 2, paragraphe 3, du règlement sur l'évaluation de l'utilité des médicaments en vertu de l'article 35a, paragraphe 1, phrases 6 et 7, l'utilité d'un médicament est l'effet thérapeutique sur le patient, notamment l'amélioration de son état de santé, la réduction de la durée de la maladie, la prolongation de la survie, la réduction des effets secondaires ou une amélioration de la qualité de vie. Selon l'article 2, paragraphe 4, l'utilité supplémentaire d'un médicament et une utilité quantitative ou qualitative supplémentaire pour les patientes et les patients, en comparaison de la thérapie similaire adéquate, telle qu'elle est définie au paragraphe 3.

61 Avis du vfa de 22/9/2010 sur le projet d'AMNOG, en ligne sur Internet : http://www.bundestag.de/bundestag/ausschuesse17/a14/anhoerungen/c_AMNOG/Stellungnahmen/17_14_0065_23_1_.pdf [1/12/2010].

de sorte qu'implicitement et hors de toute transparence, on décidera également du rapport coût-utilité au moment des négociations de prix. Cette supposition repose sur le fait qu'il est prévu que les détails de l'évaluation de l'utilité (mais non de l'évaluation du rapport coût-utilité) soient fixés, comme cela est dit plus haut, dans un décret d'application de la loi émanant du ministère fédéral de la Santé, se basant aussi bien sur des normes internationales de la médecine fondée sur les faits que sur l'économie de la santé.

Pour les médicaments qui, en vertu du droit de l'UE, sont autorisés pour le traitement d'affections orphelines⁶², l'utilité supplémentaire est acquise par le simple fait qu'ils sont autorisés ; l'entreprise n'est pas obligée de présenter de preuves d'utilité supplémentaire. Si le chiffre d'affaires réalisé sur ce médicament dépasse 50 millions d'euros en un an, l'évaluation de l'utilité se fera comme pour les autres médicaments.

Lorsqu'un accord a été conclu ou lorsqu'une décision arbitrale a été prise, l'entreprise pharmaceutique peut, à tout moment, convenir de dispositions différentes sur le montant de remboursement avec les diverses caisses d'assurance maladie (article 130c).

4.4.2 Évaluation du rapport coût-utilité

Ce n'est qu'à la suite d'une décision arbitrale que chaque partie au contrat peut faire une demande d'évaluation du rapport coût-utilité auprès du G-BA en vertu de l'article 35b.⁶³ L'IQWiG procédera à l'évaluation du rapport coût-utilité sur ordre

62 Règlement (CE) N° 141/2000 du Parlement européen et du conseil du 16/12/1999 concernant les médicaments orphelins.

63 Si le G-BA constate qu'il n'existe ni utilité supplémentaire ni amélioration thérapeutique, l'entreprise pharmaceutique peut exiger une évaluation de l'utilité en vertu de l'article 139a ou une évaluation du rapport coût-utilité en vertu de l'article 35b dès avant le commencement de la procédure consignée à l'article 130b, s'il en prend le coût en charge. Le G-BA devra procéder, indépendamment de cela, au classement dans un groupe de prix fixe correspondant à la thérapie similaire.

du G-BA (articles 130b, paragraphe 8, et 35b paragraphe 1). Dans son mandat, le G-BA fixera sur quelles thérapies comparables et quels groupes de patients l'évaluation sera censée porter, ainsi que la période, le type d'utilité et le type de coûts, de même que la dimension de l'utilité générale à prendre en compte dans l'évaluation. L'évaluation se fera par comparaison avec d'autres médicaments et formes de traitement en tenant compte de l'utilité thérapeutique supplémentaire par rapport aux coûts (cf. 3.3.2).

En ce qui concerne l'utilité pour le patient, on prendra en compte notamment l'amélioration de son état de santé, le raccourcissement de la durée de la maladie, l'allongement de la durée de vie, la réduction des effets secondaires ainsi que l'amélioration de la qualité de vie ; en ce qui concerne l'évaluation économique, on considèrera aussi raisonnablement la pertinence et l'acceptabilité d'une prise en charge par la communauté des assurés (article 35b, paragraphe 1, phrase 4, 2^e proposition principale). Cette prise en compte des aspects de pertinence et d'acceptabilité de la prise en charge des coûts par la communauté des assurés dans l'évaluation du rapport coût-utilité introduit des aspects d'évaluation dans le droit aux prestations du régime légal d'assurance maladie. Ces aspects ne jouaient jusqu'ici aucun rôle, du fait de l'interprétation qui était donnée à l'obligation de rentabilité dans le SGB V. On a donc introduit ici une notion supplémentaire de rentabilité dans le domaine d'application de l'évaluation du rapport coût-utilité. En effet, auparavant, on entendait par « rentabilité » (exigence fondamentale du droit aux prestations consigné dans les articles 12 et 92, paragraphe 1⁶⁴), le fait que, parmi

64 Aussi, entre autres, à l'article 91, paragraphe 4, et à l'article 135.

plusieurs actions d'utilité similaire⁶⁵, on devait retenir la possibilité la plus avantageuse⁶⁶. Néanmoins, le texte décisif en ce qui concerne les droits aux prestations des assurés et l'établissement de directives du G-BA, à savoir les articles 12, paragraphe 1, et 92, paragraphe 1, n'a pas été modifié, si bien qu'on ignore si la notion de rentabilité doit conserver sa signification traditionnelle (dans ce cas, le SGB V part de différentes interprétations de la rentabilité dans ses diverses dispositions) ou si elle est censée prendre ici la signification qu'elle a à l'article 35b.⁶⁷ Il incombe au législateur d'éclaircir ce point. Quoi qu'il en soit, une chose est valable encore aujourd'hui : s'il existe une seule forme de traitement, la vérification de la rentabilité n'a pas lieu d'être. Le montant du coût de la prestation nécessaire ne joue alors aucun rôle. La rentabilité n'est pas non plus décisive lorsqu'un médicament représente une forme de traitement beaucoup plus efficace.

L'IQWiG doit effectuer son évaluation de l'utilité en respectant les normes reconnues internationalement de la médecine fondée sur des faits et l'évaluation économique selon les normes internationales déterminantes, notamment celles de l'économie

65 On estimera que la comparabilité est donnée même s'il n'existe que de faibles différences entre les possibilités de thérapie (Becker, MedR 2010, 218). À ce sujet, la cour fédérale du contentieux social a déjà mentionné dans son jugement du 31/5/2006 dans le cadre de l'affaire « Clopidogrel » (dossier n° B 6 KA 13/05 R, BSGE 96, 261 sq.), que « *chaque avantage d'utilité si infime qu'il soit n'est pas forcément rentable en cas de différence importante de coût*, mais qu'en cas d'avantages d'utilisation marqués, on devait absolument accepter un coût plus élevé ». La conséquence en est que les assurances maladie doivent prendre en charge cette prestation. Et la cour fédérale du contentieux de poursuivre : « Si le G-BA conclut, sur la base d'une exploitation correcte des études existantes, [...] à l'évaluation d'une équivalence thérapeutique plus avancée, cela doit être accepté par les tribunaux [...]. Si la situation est telle qu'une seule thérapie apporte une chance réelle de guérison, [...] le législateur a transféré le pouvoir décisionnaire quant à savoir quelle utilité supplémentaire potentielle justifie tels ou tels coûts supplémentaires au [...] G-BA, qui [...] dispose [...] d'une marge de décision. » (L'original ne comporte pas de mise en relief.)

66 Huster, RPG 2009, 69 (74) ; Joussem, dans : BeckOK SGB V, article 12, n° 8 ; Becker, MedR 2010, 218.

67 Dans la législation en vigueur jusqu'ici, le rapport entre l'article 35b, d'une part, et les articles 12 et 92, d'autre part, étaient déjà controversés. Cf. Francke/Hart, MedR 2008, 2 (23 sq.) ; Martini, WiVerw 2009, 195 (207) ; Flint, dans : Hauck/Noftz, SGB V, article 35b, n° 4 et 13 ; Becker, MedR 2010, 218 (223).

de la santé (articles 35b, paragraphe 1, phrase 5, et 139a, paragraphe 4). Entre-temps, pour remplir sa mission, (article 35b, paragraphe 1, phrase 5) il a mis au point une méthode générale et des critères d'évaluation du rapport coût-utilité.⁶⁸

Une fois l'évaluation du rapport coût-utilité effectuée par l'IQWiG, le G-BA prend une décision relative à l'évaluation du rapport coût-utilité qu'il publie sur Internet (article 35b, paragraphe 3). Cette décision fixe l'utilité supplémentaire et le coût de la thérapie par ce médicament. Le montant du remboursement sera donc renégocié sur la base de cette décision, conformément à la procédure stipulée à l'article 130b. En cas de désaccord, on recourra à une nouvelle décision arbitrale. Le cas échéant, celle-ci sera suivie de négociations entre diverses caisses d'assurance maladie et des entreprises pharmaceutiques concernant des prix divergeant de la décision.

4.5 Conclusion intermédiaire

Le tour d'horizon que nous venons de faire a montré que le législateur se limitait, dans sa législation actuelle, à prendre en compte l'évaluation de l'utilité et du rapport coût-utilité pour fixer les montants à rembourser ou les négocier, donc pour déterminer les prix. Dans tous les cas, après une décision arbitrale, chaque partie à la négociation peut introduire une demande d'évaluation du rapport coût-utilité auprès du G-BA. Par contre, la loi ne stipule pas quel pourra être leur rôle dans le cadre des négociations de prix antérieures.

Le législateur pourrait introduire à tout moment l'exclusion de médicaments présentant un mauvais rapport coût-efficacité. Ce serait une mesure beaucoup plus interventionniste, ce que n'interdisait d'ailleurs pas le droit en vigueur

68 Note de l'IQWiG sur les méthodes d'évaluation du rapport coût-utilité (version 1.0 du 12/10/2009), online sur Internet : http://www.iqwig.de/download/Methodik_fuer_die_Bewertung_von_Verhaeltnissen_zwischen_Kosten_und_Nutzen.pdf [1/12/2010].

jusqu'ici. Il s'agirait d'un instrument de rationnement encore plus poussé. Si la pratique de l'évaluation du rapport coût-utilité se limite alors *de fait* au domaine des innovations dites « fausses innovations », qui n'apportent qu'une utilité marginale, c'est-à-dire des autorisations de mise sur le marché qui servent moins au progrès de la médecine qu'à prolonger la durée de protection des brevets et donc à maintenir des prix élevés, le problème de l'équité sera de peu d'importance. En d'autres termes, la logique du critère de l'efficacité au regard des coûts serait donc bridée par des restrictions étroites définies uniquement par l'utilité des circonstances qui président à la mise en route d'une vérification du rapport coût-efficacité. Il n'est cependant pas évident du tout qu'il s'agisse d'une telle restriction et compte tenu du fait que les moyens vont aller en se réduisant, il ne faut pas s'y attendre. Il est donc nécessaire de développer une vision claire pour savoir si le critère du rapport coût-efficacité est effectivement un instrument adéquat pour concrétiser les droits des assurés et le cas échéant, dans quelles limites.

5 LES PROBLÈMES ÉTHIQUES DE L'ÉVALUATION DE L'UTILITÉ ET DES COÛTS

5.1 Assurance de la qualité et protection du patient

L'évaluation systématique de l'utilité instaurée par l'AMNOG, à laquelle tous les nouveaux médicaments seront soumis a priori, est un progrès important, mais qui ne va pas assez loin, du fait qu'elle se limite à une évaluation précoce. C'est souvent des années après l'autorisation de mise sur le marché que la véritable utilité d'un médicament se révèle, à la lumière de données fondées sur les faits et résultant d'analyses scientifiques. Certes, conformément aux dispositions de l'AMNOG 2010, ces évaluations « tardives » de l'utilité par l'IQWiG ne sont pas exclues⁶⁹, néanmoins, la possibilité donnée au G-BA de procéder, pour protéger le patient, au-delà de la fixation du prix, à une exclusion ou à une limitation de la prescription du médicament en question suite à une évaluation négative de l'utilité, est fort limitée. En effet, si l'absence de preuve d'une utilité supplémentaire⁷⁰ a bien des répercussions sur la détermination du prix, l'exclusion de la prescription (article 92, paragraphe 1, phrase 1) ne pourra aboutir qu'en apportant la preuve que le médicament est inapproprié car dépourvu d'utilité, ce qui est très difficile à prouver⁷¹.

Tout cela est problématique pour diverses raisons. La qualité des soins médicaux peut baisser si on ne procède plus à une

69 Dans la présentation du projet de loi (article 35b, paragraphes 1 et 2 de l'AMNOG) (impression du *Bundestag* 17/2413, à propos du n° 6 b aa), il est dit : « Les évaluations d'utilité dont le Comité fédéral commun a besoin pour des décisions relatives à ses directives en vertu de l'article 92, paragraphe 1, phrase 2, n° 6, demeurent possibles sur la base du mandat de l'article 139a, paragraphe 3, n° 5. Elles ne sont néanmoins pas nécessaires pour convenir de prix et, pour cette raison, ne sont plus réglementées à l'article 35b. »

70 C'est au fabricant de médicament qu'il revient de prouver l'utilité supplémentaire.

71 C'est au G-BA qu'il revient de prouver le caractère inapproprié.

évaluation systématique de l'utilité, mais seulement à une évaluation précoce basée essentiellement sur des paramètres de remplacement en reléguant ainsi les points terminaux des patients au second plan (cf. 3.1). La conséquence peut en être l'utilisation de thérapies considérées certes comme efficaces, mais qui ne présentent pas ou peu d'utilité pour le groupe de patients concerné en comparaison à d'autres thérapies. De plus, cela peut exposer les patients à un risque élevé de dommage, détruire le rapport de confiance qu'il entretient avec son médecin et finalement, entraîner un gaspillage non négligeable de ressources. En effet, le patient part du principe que le médicament que son médecin lui prescrit et qu'il prend lui sera effectivement utile. Cela devrait être vérifié et prouvé par des études scientifiques fiables ainsi que par la recherche sur le transfert et les soins. Réduire l'instrument d'évaluation de l'utilité à une aide à la détermination du prix n'est plus acceptable dans ces conditions et ne convient pas non plus pour une utilisation économique des fonds.

5.2 Maximalisation de l'utilité et loyauté⁷²

5.2.1 Introduction

Même si la maximalisation de l'utilité est sans aucun doute un but très louable pour le patient individuel, la maximalisation

72 Cf. à ce sujet et au sujet du point 5.3 en particulier et déterminant en référence : Lübbe (2010) : *QALYs, Zahlungsbereitschaft und implizite Lebenswerturteile. In welchen Kategorien begreifen wir das öffentliche Gesundheitswesen?*, dans : *Zeitschrift für Evidenz, Fortbildung und Qualität im Gesundheitswesen* 104 (3), 202-208 ; Lübbe (2010) : *Sollte sich das IQWiG auf indikationsübergreifende Kosen-Nutzen-Bewertungen mittels des QALY-Konzepts einlassen?*, dans : *Deutsche Medizinische Wochenschrift* 135 (12), 582-585 ; Lübbe (2009) : *Postutilitarismus in der Priorisierungsdebatte*, dans : *Zeitschrift für Evidenz, Fortbildung und Qualität im Gesundheitswesen* 103 (2), 99-103 ; Lübbe (2009) : « *Aus ökonomischer Sicht ...* » : *Was ist der normative Anspruch gesundheitsökonomischer Evaluationen?*, dans : Baurmann/Lahno (éd.) : *Perspectives in moral science*, Francfort-sur-le-Main, 451-463 ; Lübbe (2010) : *Medizinische Ressourcenallokation und die Produktivität der Volkswirtschaft*, dans : *Zeitschrift für Wirtschaftspolitik* 59 (3), 275-283.

de la somme des utilités crée un problème éthique au niveau de l'ensemble de la société. C'est ce qui sera exposé ci-après en prenant l'exemple de l'utilisation des QALY toutes indications confondues pour des évaluations du rapport coût-utilité, et ce qui fait actuellement l'objet d'un débat au niveau international.

La composante normative la plus frappante des QALY réside dans le fait que l'on vise une maximalisation de l'utilité pour tous les individus. Le but est de générer un nombre aussi élevé que possible de QALY supplémentaires, ceux-ci pouvant être agrégés sans tenir compte des limites des personnes. L'utilisation générique des résultats ne vise donc pas le nombre maximal de QALY pour un patient donné, mais l'optimisation des QALY en référence à un collectif, en fonction d'un budget financier disponible. Cette manière de procéder peut léser les droits de certaines personnes, parce qu'elle compense l'utilité individuelle par l'utilité collective. On peut donc classer cette méthode dans la catégorie de l'utilitarisme. Le plus grand bonheur du plus grand nombre de concernés est le principe directeur de l'éthique de l'utilitarisme fondée aux XVIII^e et XIX^e siècles par Jeremy Bentham et James Mill. Selon cette éthique, une action se note uniquement sur ses résultats ; l'action la plus morale est celle qui maximise l'utilité générale pour la population dans son entier.

Un autre problème éthique significatif se situe au niveau des conditions méthodiques de l'utilisation de l'indice de QALY en tant que somme de la durée de vie et de la qualité de vie que l'on gagne grâce à un traitement, d'autant plus si c'est pour une comparaison de l'utilité à appliquer au niveau inter-individus.

5.2.2 Indices de QALY et loyauté

Comme cela a été dit plus haut, pour calculer les QALY, on collecte des indices subjectifs de qualité de vie. Par exemple, on pose des questions à des personnes prises dans la population

ou parmi les assurés. Leurs réponses indiquent le degré de gravité perçu pour des atteintes à la santé mentionnées ou décrites.⁷³ La conclusion à en tirer est que l'élimination de ces affections est d'autant plus souhaitable que l'amélioration de l'état de santé est élevée. Cette conclusion peut aussi se rapporter à chacun des patients individuels. Toutefois si l'on rapporte cela au jugement de valeur selon lequel les ressources médicales limitées doivent être utilisées de manière à maximiser le QALY, on n'évalue pas le fait que des améliorations individuelles de la santé sont souhaitables, mais le fait qu'un certain mode de leur répartition est souhaitable. Autrement dit, les ressources seront utilisées là où elles apportent la plus grande utilité sanitaire, tous assurés confondus et agrégés. Ce mode de répartition correspond-il aux préférences de la population ? Aucune enquête n'a été réalisée sur cette question. Il s'agit là de la supposition d'une certaine économie providence à l'orientation utilitariste qui a été présupposée quasi d'emblée, sans se poser beaucoup plus de questions. L'expérience a toutefois montré que les propositions politiques résultant de cette approche rencontraient des réticences chez les décideurs et les intéressés ; celles-ci ont d'ailleurs entre-temps donné lieu à un assez grand nombre de propositions de révision. Lorsque, directement ou par l'intermédiaire de ses représentants élus, la population décline une répartition des ressources publiques de santé maximalisant l'utilité, elle exprime des préférences que les économistes de la santé sont en principe prêts à prendre en compte. Ceci correspond au libéralisme des approches économiques selon lequel on ne peut pas prescrire aux gens leurs valeurs, mais qu'au contraire, on devrait contribuer à leur concrétisation dans les meilleures

73 L'adéquation des différentes techniques d'enquête est contestée pour diverses raisons. En particulier, des procédés différents d'enquête ayant le même but conduisent à des résultats différents sans que l'on puisse dire quel est le procédé qui « mesure le mieux ». Porter un jugement sur les conséquences de cette difficulté ainsi que d'autres entrerait dans l'étude approfondie de l'approche basée sur le QALY. Ce n'est pas ici notre intention.

conditions possibles.⁷⁴ La santé est, de plus, un domaine politique dans lequel les problèmes de loyauté ne peuvent pas être corrigés par une modification ultérieure de la répartition (en l'occurrence de la santé).

Voici, parmi d'autres, les objections les plus connues à une approche de maximalisation du QALY, dont le poids s'est confirmé aussi au cours de la recherche de préférences pour la hiérarchisation, depuis les années quatre-vingt-dix :

1. *L'ignorance de l'importance du degré de gravité de la pathologie.* De par sa conception, la méthode qui consiste à maximiser le QALY ne tient pas compte du degré de gravité d'une maladie. À l'inverse, plus le degré de gravité d'une maladie est élevé, plus on est prêt à investir des ressources publiques dans une thérapie médicale, bien qu'elles soient limitées. Un gain de santé de x QALY pour des patients dans un état de santé déplorable est en général considéré comme plus digne d'être financé qu'un gain de santé même élevé pour des patients qui se trouvent d'ores et déjà, dans une situation comparativement plus favorable sans traitement (*priority to the worse-off*).
2. *La discrimination de certains groupes de patients.* À cause de la qualité de vie limitée (mesurée selon les normes habituelles⁷⁵) pendant des années de handicap, les interventions prolongeant la vie de patients handicapés ont pour effet de produire moins de QALY que les mêmes interventions dans des situations identiques, mais sur des patients sans

74 Cf. Schöffski/Schumann (2007) : *Das Schwellenwertkonzept*, dans : Schöffski/Schulenburg (éd.) : *Gesundheitsökonomische Evaluationen*, Berlin et al., 139-165 (156) : « La fixation de priorités isolées en se basant sur le rapport coût-efficacité peut entraîner des décisions qui n'auront pas été voulues par la société. »

75 Parmi les problèmes les plus connus de la mesure de la qualité de vie par rapport à la santé, il y a le fait que les personnes atteintes d'un handicap évaluent leur qualité de vie en général à un niveau beaucoup plus élevé que les assurés qui ne sont pas atteints de ce handicap. Toutefois, les personnes directement concernées n'affirment généralement pas que leur qualité de vie par rapport à la santé n'est pas limitée.

handicap. Le fait que les personnes handicapées soient défavorisées lors de la répartition des prestations de santé est ressenti comme déloyal. Il en va de même pour les prestations de traitement des patients âgés ou malades chroniques dont l'espérance de vie est faible.

3. *Désavantage des patients peu aptes à profiter de la thérapie (capacity to benefit)*. Une idée qui rejoint celle exprimée au point 2 concerne le traitement de patients très gravement atteints, sans qu'on puisse faire grand-chose pour leur guérison et qui, pour cette raison, ne peuvent pas gagner beaucoup en QALY. Néanmoins, le financement de leur traitement ne devrait pas être relégué systématiquement à un rang de priorité inférieur à celui des patients qui peuvent en profiter nettement plus, même à niveau de gravité égal au départ.
4. *Sous-estimation de la thérapie d'états pathologiques extrêmes mais de très courte durée*. Certains états pathologiques, comme les douleurs aiguës suivant des opérations ou en phase terminale d'une maladie mortelle, ne pèsent que très peu dans l'approche par l'indice de QALY à cause de leur courte durée (parfois quelques heures ou quelques jours). Selon les critiques, on voit ici que la qualité de vie et la durée de vie ne peuvent pas faire l'objet d'une compensation mathématique réciproque. Et pourtant, c'est bien ce que suppose cette approche en multipliant l'un par l'autre ces deux facteurs d'évaluation.

La réaction au premier point de critique a été de proposer l'introduction d'*equity weights* (coefficients d'équité). Il s'agit d'appliquer des coefficients dont l'effet sera, dans l'évaluation comparative toutes indications confondues des thérapies, de donner plus de poids aux gains figurant en bas de l'échelle des QALY, par exemple une augmentation de la qualité de vie de 0,2 à 0,4, qu'aux gains situés tout en haut de l'échelle, par exemple une augmentation de 0,8 à 1,0 (excellente santé). Certes, cette approche poursuit aussi l'objectif de la maximalisation de l'utilité, même si elle semble mieux correspondre aux préférences

de la population que l'opérationnalisation de l'utilité au moyen d'indices de QALY non pondérés.⁷⁶ On modifie les unités porteuses de valeur pour que le problème de l'adéquation des allocations de ressources puisse continuer à être compris comme une tâche de maximalisation de la valeur (addition de toutes les unités porteuses de valeur). Il faut aussi déterminer correctement les facteurs de pondération, et ce problème demeure.

Le deuxième exemple, la discrimination des personnes handicapées, montre qu'il existe des aspects d'équité qui sont encore plus difficiles à intégrer dans l'approche par l'indice de QALY. Point décisif de la critique portant sur la discrimination des personnes handicapées : les QALY générés à l'aide d'une intervention médicale allongeant la durée de vie (exemple frappant : la réanimation après un infarctus du myocarde) sur des patients non handicapés sont comparativement supérieurs à ceux obtenus dans la même intervention sur des patients handicapés, parce qu'une personne handicapée présente d'emblée une valeur de qualité de vie inférieure. D'un autre côté, la limitation de la qualité de vie en matière de santé due au handicap a précisément pour effet que la thérapie de l'origine d'un handicap (par exemple la suppression de la cécité due à une cataracte par une opération) sera considérée comme un dénouement heureux et que des ressources seront mises à la disposition de l'assuré. Toutefois, il n'est pas exclu au point de vue méthodique, de tenir compte de handicaps dont l'origine n'est pas guérissable en pondérant la valeur de la qualité de vie ou de l'exclure totalement du calcul.

Un problème comparable apparaît en ce qui concerne les personnes âgées. Leur faible espérance de vie restante entraîne

⁷⁶ Cf. Nord et al. (1999) : *Incorporating societal concerns for fairness in numerical valuations of health programmes*, dans : *Health Economics* 8 (1), 25-39 (25): "[S]ociety's overall valuation of health output is a function not only of total output, but also of the distribution of health output across individuals. [...] The term health-related societal value may be used to designate the overall value that society assigns to different health outcomes and programmes when concerns for both efficiency and equity are taken into account. Equity weighed QALYs are thus measures of health-related societal value."

un gain nettement moins élevé de QALY lors du traitement médical de ce groupe. Du fait de leur espérance de vie restante de toute façon plus courte (DdV), le produit mathématique des facteurs DdV x QdV est forcément inférieur chez les patients plus jeunes qui présentent la même pathologie. De même que tout le monde s'accorde à préconiser l'exclusion de toute discrimination des personnes handicapées lors de l'évaluation de leur QALY, personne ne conteste que les QALY des personnes âgées doivent être corrigés, ni l'ampleur de cette correction. D'un côté, on renvoie au fait qu'un calcul des QALY sans pondération entraîne la discrimination systématique des personnes âgées ; de l'autre, on estime que le gain d'une année de vie chez une personne jeune doit être considéré comme plus important que chez une personne âgée.

Une autre objection importante au concept de l'indice de QALY est qu'il néglige l'aspect de l'urgence d'un traitement. Pourtant, le principe humanitaire ancré au fil du temps dans de nombreux codes et appliqué pratiquement sans exception, veut que les patients atteints d'affections aiguës mettant leurs jours en danger ou extrêmement douloureuses soient traités en premier, alors que les patients atteints d'affections moins aiguës seront traités plus tard.

Les développements ci-dessus montrent d'une manière générale que chaque correction de QALY au profit d'un groupe précis de personnes repose sur des postulats de valeur qui ne sont pas évidents et dont la pondération pourrait entraîner des problèmes réciproques. Les problèmes que pose le concept de l'indice de QALY sont évidents en raison de leur conception discutable et du manque de fiabilité de la base de calcul.

5.2.3 Évaluation inter-individus de la vie

Les problèmes posés par les diverses procédures de mesures que nous venons d'expliquer conduisent à la conclusion suivante : les valeurs respectives de QALY sont des constructions

mathématiques qui dépendent dans une large mesure de préférences individuelles et de postulats méthodologiques. Il est évident que ceci explique aussi la difficulté que l'on a à extrapoler des résultats constatés concrètement sur des patients à de plus grands groupes, notamment à la population entière. Il est évident qu'un instrumentaire aussi sensible pourra être plus facilement utilisé pour comparer les traitements administrés à des patients présentant la même indication. La question à poser pourrait donc être en l'occurrence : *est-ce la thérapie T_1 ou la thérapie T_2 qui procure le meilleur indice de QALY à la patiente P lors du traitement de sa maladie M ?*

Le cas est néanmoins différent lorsqu'on souhaite utiliser les indices de QALY certes pour une indication donnée, mais tous patients confondus : *peut-on atteindre un meilleur QALY lorsqu'on traite la maladie M du groupe de patients GP_1 (par exemple des patients âgés de 30 à 50 ans) ou cette même maladie M du groupe de patients GP_2 (par exemple des patients âgés de 60 à 80 ans) par la thérapie T ?* Dans cette configuration, il s'avère d'ores et déjà que la façon d'aborder le problème par les QALY (ou une autre mesure d'utilité) est problématique.

Certaines questions prennent plus d'acuité lorsque l'intention est de comparer l'utilité *toutes indications confondues* au moyen de l'indice de QALY : *peut-on atteindre un QALY plus élevé lorsqu'on traite la maladie M_1 du groupe de patients GP_1 par la thérapie T_1 ou lorsqu'on traite la maladie M_2 du groupe de patients GP_2 par la thérapie T_2 ?*

Ces exemples montrent que l'utilisation d'indices de QALY devient problématique dès lors que les comparaisons auxquelles on procède dépassent l'individu pour être appliquées à des groupes de patients ou toutes indications confondues.

Toute évaluation inter-individus de la vie est, au regard d'une éthique basée sur des arguments déontologiques, une considération inacceptable de l'être humain en tant que « grandeur valable ». C'est ce qui se produit quand le QALY, en tant que mesure de la compensation inter-individus entre durée de vie et qualité de vie, est utilisé comme base pour les

chances d'accès aux soins de santé. La vie de patientes et de patients concrets est soumise à une « évaluation » quantitative, du fait que les personnes obtenant de meilleurs QALY par une thérapie de leur maladie seront traitées en premier, en cas de pénurie de moyens. Les risques ainsi impliqués de non-respect du droit à la vie des personnes qui ne seront pas traitées en priorité sont irréfutables. Même si la dimension QALY n'est, a priori, qu'une dimension mathématique servant à la comparaison qui compense réciproquement durée de vie et qualité de vie, son utilisation pour l'allocation des ressources en vue d'une maximalisation de celles-ci implique également l'évaluation de l'utilité de la vie d'un individu. Les craintes de voir reprendre le débat sur ce qui vaut la peine d'être vécu et ce qui ne le vaut pas ne sont donc pas dépourvues de fondement. Il faudra en tenir compte dans l'évaluation de cette méthode.

Le fait que beaucoup d'économistes de la santé demandent que l'allocation des ressources se fasse en en maximisant l'utilité sans y ajouter le moindre commentaire, montre bien qu'il est nécessaire de revaloriser dans les esprits la dimension éthique que représente, au regard de l'équité, l'utilisation des évaluations du rapport coût-utilité dans le domaine de la santé. Faut-il utiliser des ressources limitées plutôt dans des initiatives innovantes au bénéfice de patients souffrant d'insuffisance cardiaque ou de dépression ou encore de douleurs insoutenables ? La décision ne saurait résulter d'un débat sur les méthodes à appliquer dans le cadre de l'économie de la santé. Les économistes de la santé ne sont pas des experts de la répartition équitable des ressources.

De même, on doit pouvoir se demander si la méthode d'évaluation pour une indication thérapeutique donnée, telle que la pratique l'IQWiG, ne finit pas par aboutir à des traitements inégaux, arbitraires et injustifiables des assurés. Le reproche d'arbitraire qui s'élève contre l'orientation vers la rentabilité dans le domaine d'indication respectif est loin d'être injustifié. L'application d'un seuil uniforme, toutes indications confondues, en se référant aux coûts par QALY ne répond pas

non plus adéquatement à l'exigence d'un traitement égal de tous les assurés.

On retiendra ceci : en renvoyant au caractère de référence des normes spécifiques de l'économie de la santé, le législateur a provoqué lui-même le malentendu selon lequel il aurait chargé l'IQWiG d'instaurer l'évaluation du rapport coût-utilité en vue d'allouer les ressources en maximalisant leur utilité. L'idée de la maximalisation de l'utilité est profondément ancrée dans ces normes.

5.3 Valeurs et droits⁷⁷

La considération éthique des évaluations de l'utilité et du rapport coût-utilité dans le contexte de la répartition de ressources limitées dans le domaine de la santé peut se faire premièrement dans l'optique des valeurs (*values, utilities, benefits*) et deuxièmement dans l'optique des droits (*rights*) et des prétentions (*claims*).

Ceux qui se prononcent pour l'adoption du rapport coût-efficacité des interventions médicales comme critère de hiérarchisation, donc pour son utilisation toutes indications confondues comme base de décision pour les remboursements, décident en même temps de répondre aux prétentions des assurés de manière à ce que l'utilisation des ressources considérées globalement atteigne la valeur la plus élevée. Ce sont donc, en l'occurrence, des réflexions portant sur la théorie des valeurs qui serviront de fondement pour établir des droits juridiques. S'il en résulte très manifestement des recommandations dénuées de toute éthique, comme dans le cas des conséquences du traitement non prioritaire des assurés handicapés, on peut faire deux choses en conservant néanmoins cette approche théorique de valeur : on peut se demander pourquoi cette approche de l'évaluation mène à des résultats

⁷⁷ Cf. essentiellement Lübke (note n° 72).

contre-intuitifs et où en est l'origine au niveau de ses bases théoriques ; ensuite, on pourrait essayer de corriger ces bases en conséquence. On peut aussi simplement renoncer *spontanément* à prétendre fonder des droits sur des valeurs théoriques dans le cas, et uniquement dans ce cas-là, où on aurait le sentiment d'agir contrairement à l'éthique. Par exemple dans le cas du problème de la discrimination des personnes handicapées, on pourrait postuler qu'interviennent là des droits des assurés dont la reconnaissance ne se fonde pas sur l'objectif de maximalisation de la valeur, mais sur d'autres objectifs. On éviterait ainsi de corriger les fondements théoriques de sa propre approche d'évaluation. Il s'agirait tout simplement de compléter cette approche par certains aspects d'évaluation dotés d'une pertinence supplémentaire.

Il existe de nombreux exemples de ces corrections *au pied levé* « pour raisons éthiques » dans les ouvrages de référence. Le problème est qu'elles résultent précisément de décisions *spontanées*. Les limites surgissent lorsque le jugement intuitif des auteurs déclenche un signal d'alarme éthique, alors que si on continuait à se baser sur les fondements théoriques inchangés, c'est le résultat non corrigé qu'il faudrait postuler. En d'autres termes, on continue à percevoir les limites imposées à l'allocation de ressources basée sur une maximalisation de leur valeur, mais on ne les comprend pas. On ne s'étonnera pas que ces corrections soient souvent préconisées sans véritable détermination. Nous allons toutefois montrer, au moyen d'un autre exemple, que l'intégration, au sens de la prise en compte « parallèle » de concepts de maximalisation de la valeur et de réflexions se rapportant au droit, n'est pas possible. La société va devoir opter pour l'une des deux possibilités comme fondement éthique de la santé publique et décider de celle dont on devra peut-être tenir compte en second ordre.

Nous en ferons l'illustration au moyen d'un exemple pris dans le domaine des soins, où il est inéluctable que les moyens sont limités. On imaginera trois patients A, B et C, ayant besoin tous les trois d'être transplantés le plus rapidement

possible pour survivre. A a besoin d'une transplantation cardiaque, B d'une transplantation hépatique et C des deux. On ne dispose que d'un seul cœur et d'un seul foie. On supposera que les patients sont tous les trois de bons « producteurs de QALY », autrement dit chacun d'eux peut s'attendre à ce qu'on mesure chez lui, après cette intervention, un indice élevé combinant la durée de vie restante et la qualité de vie sur le plan santé. Étant donné que tous les patients décèderont rapidement si on ne leur attribue pas les ressources nécessaires, il n'y a pas de différence en ce qui concerne le degré de gravité de la pathologie et donc aucune raison d'effectuer une correction de la prise en compte de QALY. Les personnes qui plaident en faveur de la maximalisation de la valeur ne préconiseront pas, dans ce cas, la mise de C en liste d'attente. Pourtant, de nombreuses personnes, notamment celles qui travaillent dans les professions de santé, pensent différemment. C'est ce que prouve la pratique des systèmes de transplantation établis, qui mettent certainement de tels patients en liste d'attente. Au regard de la pénurie bien connue d'organes, on le fait en sachant pertinemment que deux candidats à la transplantation mourront si on accorde deux organes à une seule personne. En d'autres termes, cette pratique n'est pas due au fait inévitable que les médecins seraient traditionnellement fixés sur le patient à traiter qui se trouve devant eux et qu'ils ne verraient pas l'importance des possibilités qu'ils ont laissé passer (coûts d'opportunité). Naturellement, on n'inscrit pas ce genre de patient grand consommateur de ressources sur les listes d'attente parce qu'on serait d'avis qu'il aurait une valeur deux fois plus élevée que chacun des patients que l'on pourrait sinon soigner. On les inscrit sur les listes d'attente parce qu'on respecte autant leur droit à la vie que celui de n'importe quel autre patient.

Le fait d'inscrire les trois patients sur la liste d'attente ne résout néanmoins pas le problème et on ne sait toujours pas lequel recevra concrètement le ou les organes disponibles, ni quels sont les critères qui présideront à la décision.

Si on part d'une approche basée sur les droits, l'aspect de l'égalité des chances revêt un rôle primordial. La simple égalité des chances signifie toutefois que, dans des conditions de pénurie, tous les droits ne peuvent justement pas être satisfaits simultanément. Si, dans une telle situation, on ne veut pas laisser tous les droits insatisfaits pour des raisons d'équité et au sens d'un égalitarisme strict, on est obligé de peser le pour et le contre pour concrétiser les droits en question. Cette réflexion ne doit pas forcément tendre à satisfaire au plus grand nombre de droits possible ; le fait de savoir combien de droits de même priorité peuvent être respectés par une décision est un aspect qui n'est pas non plus inadmissible *en soi*. Ce sont des instances légitimées par voie démocratique qui devront décider de la hiérarchie des droits et des critères respectifs à remplir, en passant par une procédure transparente, parce qu'il s'agit finalement des décisions incorporant des jugements de valeurs.

Si l'on est amené à prendre de telles décisions, il ne faut pas perdre de vue quelle « valeur » sera prise en compte. Les personnes qui estiment que l'on doit affecter des ressources en priorité, par exemple, aux personnes se trouvant dans un état de santé déplorable, ne doivent pas forcément être d'avis que la vie d'une personne atteinte d'une maladie extrêmement grave « vaut plus » que celle d'une personne souffrant de pathologies plus légères. La valeur de leur traitement peut également résider dans le fait que l'on estime que le soulagement d'une grande détresse « vaut plus » que le traitement de maux moins graves. Il faut a fortiori faire une différence entre l'augmentation de l'utilité individuelle et la maximalisation d'une utilité collective générale. Les décisions de remboursement du G-BA ou les recommandations de remboursement de l'IQWiG ne reposent pas forcément sur un jugement implicite de la « valeur » du résultat final financé chaque fois. La tâche confiée à ces instances par la loi n'est pas de maximaliser la valeur, mais de concrétiser adéquatement les droits aux soins des assurés.

Par contre, dans l'utilitarisme classique, le principe conséquentialiste de la maximalisation collective de l'utilité, centré

sur les conséquences de l'action humaine, domine si fortement que les droits de l'individu, y compris ses droits fondamentaux, ne lui sont accordés qu'en fonction de leur contribution à la maximalisation de l'utilité et ne jouissent pas d'un statut théorique indépendant. Les modèles éthiques découlant des droits originaux et des obligations correspondantes des individus se situent à l'opposé de ce principe. Selon cette théorie, les droits, notamment les droits de l'homme, ne peuvent faire l'objet de compensations interpersonnelles, il est donc interdit à la collectivité de les subordonner aux fins de la réalisation d'une agrégation qui maximiserait l'utilité collective.

La compensation interpersonnelle de la vie humaine d'un individu en vue de maximaliser une utilité collective fictive n'est pas compatible avec la prééminence de la dignité humaine. Dans sa « Fondation de la métaphysique des mœurs » publiée en 1785, Emmanuel Kant avait déjà formulé l'idée philosophique qui préside à cette attitude : « Dans le règne des fins tout à un *prix* ou une *dignité*. Ce qui a un prix peut être aussi bien remplacé par quelque chose d'autre, à titre d'équivalent ; au contraire, ce qui est supérieur à tout prix, ce qui par suite n'admet pas d'équivalent, c'est ce qui a une dignité. Ce qui rapporte aux inclinations et aux besoins généraux de l'homme, cela a un *prix marchand* ; ce qui, même sans supposer de besoin, correspond à un certain goût, c'est-à-dire à la satisfaction que nous procure un simple jeu sans but de nos facultés mentales, cela a un *prix de sentiment* ; mais ce qui constitue la condition, qui seule peut faire que quelque chose est une fin en soi, cela n'a pas seulement une valeur relative, c'est-à-dire un prix, mais une valeur intrinsèque, c'est-à-dire une *dignité*. »⁷⁸

L'idée fondamentale exposée ci-dessus est également reprise dans l'interprétation de l'article 1, paragraphe 1 de la *Grundgesetz* (GG – loi fondamentale), essentiellement dans

78 Kant ([1785]): Fondements de la métaphysique des mœurs, Deuxième section. Traduit par V. Delbos, en ligne sur Internet : http://fr.wikisource.org/wiki/Fondements_de_la_métaphysique_des_mœurs/Deuxième_section [13/09/2011].

la « formule de l'objet » de Günter Dürig, spécialiste du droit constitutionnel, selon lequel la dignité de l'homme est atteinte lorsque « la personne concrète est dégradée au niveau d'un objet, d'un simple moyen, d'une dimension acceptable. »⁷⁹

79 Dürig, AöR 1956, 117 (127) ; Dürig, dans : Maunz/Dürig, GG (1958), article 1, paragraphe 1, n° 28 et 34.

6 LE CADRE FIXÉ PAR LA CONSTITUTION

6.1 Les droits individuels ancrés dans la constitution

6.1.1 Principes fondamentaux

Les évaluations du rapport coût-utilité entraînant l'exclusion de certains médicaments violent éventuellement certains droits des citoyens qui sont protégés par la constitution. Il s'agit notamment des droits fondamentaux stipulés à l'article 2, paragraphe 2, phrase 1 de la GG (droit à la vie et à l'intégrité physique) et à l'article 1, paragraphe 1 de la GG (intangibilité de la dignité de l'être humain). Les droits fondamentaux ont pour fonction primordiale de défendre les citoyens contre les interventions de l'État. On devrait pouvoir en déduire un droit originaire des patients à recevoir certaines prestations. Alors seulement, on pourrait voir dans la privation de prestations une atteinte aux droits fondamentaux nécessitant une justification. Il faut néanmoins faire la différence entre les obligations de l'État de protéger contre les dangers émanant de tiers et les obligations de l'État de fournir des prestations sociales.⁸⁰

Tant qu'on se trouve dans une configuration triangulaire, donc une situation où l'État doit protéger les citoyens des dangers émanant de tiers, l'obligation de protection ancrée dans les droits fondamentaux est peu contestée, même s'il existe des divergences sur certaines questions de détail.⁸¹ Dans notre contexte, ce n'est pas de ce type de configuration dont il s'agit.

80 Huster, JZ 2006, 466 ; Isensee, dans : HStR V (2^e édition, 2000), article 111, n° 132 sqq., selon lequel les obligations de protection doivent être strictement différenciées des droits sociaux, bien que les unes comme les autres procurent un *status positivus*.

81 Par exemple BVerfGE 39, 1 ; 88, 203 concernant l'obligation de l'État de protéger les enfants à naître des attaques de tiers, en réglementant le droit pénal relatif à l'interruption de grossesse ; BVerfGE 56, 54 (78) concernant l'obligation de combattre les effets du bruit des transports aériens qui sont nocifs pour la santé.

Il sera plus difficile de déduire des « droits originaires à la participation » que le citoyen a le droit d'être défendu, c'est-à-dire qu'il a de véritables droits à des prestations de l'État providence. S'ils existent, de tels droits accordés aux citoyens peuvent imposer, en vertu du droit individuel/de l'individu, des limites aux mesures gouvernementales visant à la privation ou à la restriction des prestations, voire au rationnement dans le domaine de la santé.

La réinterprétation de droits à la liberté en droits originaires à la participation est généralement considérée d'un œil très critique. L'argument essentiel est que l'on pourrait conclure inversement des quelques droits sociaux à la participation expressément normés dans la loi fondamentale, (article 6, paragraphes 4 et 5 de la GG)⁸², que les droits à la liberté ne peuvent pas être compris comme étant des droits à la participation⁸³. Les auteurs de la constitution n'auraient pas voulu inclure de droits sociaux fondamentaux dans la loi fondamentale afin d'éviter les erreurs de la République de Weimar. Celle-ci avait, en effet, inscrit des droits sociaux fondamentaux dans sa constitution, comme le droit au travail, mais finalement cela n'avait pas fonctionné.

Les quelques auteurs qui, par contre, en ont déduit un droit aux soins de santé⁸⁴, en sont restés à des essais strictement abstraits. Quant à la question de savoir quelle est l'étendue des prestations de santé à fournir, ces auteurs évitent régulièrement les déclarations concrètes.

De l'avis général, il n'est pas possible non plus de déduire du fait que nous avons un État social, tel que l'entend l'article 20, paragraphe 1 de la GG, que l'État est obligé de fournir certaines

82 Article 6, paragraphe 4 de la GG : « Toute mère a droit à la protection et à l'assistance de la communauté. ». Article 6, paragraphe 5 de la GG : « La législation doit assurer aux enfants naturels les mêmes conditions qu'aux enfants légitimes en ce qui concerne leur développement physique et moral et leur statut social. »

83 Murswiek, dans : Isensee/Kirchhof, HStR, n° 91 ; Ossenbühl, NJW 1976, 2100 (2105).

84 Entre autres Seewald (1982) : *Gesundheit als Grundrecht*, Königstein im Taunus, 15 sqq., 32 sqq.; Schwabe, NJW 1969, 2274.

prestations, ni qu'il existe un droit à la conservation des droits sociaux acquis. Selon la jurisprudence de la Cour fédérale du contentieux social, il doit être possible d'adapter le droit aux nouvelles situations sociales et économiques, même en limitant les prestations effectuées jusque-là.⁸⁵ L'État social est tributaire de ses ressources. Étant donné que les droits sociaux manquent dans la loi fondamentale, on sera amené à interpréter la notion ambiguë d'État social dans un sens restrictif, à savoir que l'article 20, paragraphe 1 de la GG contient uniquement l'interdiction de mener une politique franchement non sociale.⁸⁶

Il est certain, de plus, que le principe de la proportionnalité s'applique aussi au système de santé.⁸⁷ Autrement dit, chaque malade ne doit pas forcément être traité « à n'importe quel prix », indépendamment de la gravité de sa pathologie. La décision de ne pas dispenser un certain traitement ne correspond pas pour autant à un jugement sur la valeur ou la non-valeur de la personne non traitée, mais à une évaluation de la méthode de traitement en question.⁸⁸

6.1.2 Le minimum vital médical

Toutefois, la jurisprudence, notamment celle de la Cour constitutionnelle fédérale, suppose que l'État a une obligation inhérente à son mandat de protection de la dignité humaine et à la tâche qui incombe à tout État social, à savoir garantir le

85 BSGE 15, 71 (76).

86 Louven, SGB 2008, 578 (582).

87 Taupitz (1999) : *Ressourcenknappheit in der Medizin – Hilfestellung durch das Grundgesetz?*, dans : Wolter et al. (éd.) : *Einwirkungen der Grundrechte auf das Zivilrecht, Öffentliche Recht und Strafrecht*, Heidelberg, 113-133 (131) ; Taupitz (2000) : *Empfehlen sich zivilrechtliche Regelungen zur Absicherung der Patientenautonomie am Ende des Lebens?*, dans : *Deutscher Juristentag* (éd.) : *Verhandlungen des 63. Deutschen Juristentages* (tome 1, *Gutachten*), Munich, A3-A130 (A26 sq.).

88 Taupitz 2000, A24, A26 sq. (cf. note n° 87) ; Taupitz (2010) : *Influenzapandemie: Wer bekommt die knappen Arzneimittel?*, dans : Kern/Lilie (éd.) : *Jurisprudenz zwischen Medizin und Kultur*, Francfort-sur-le-Main et al., 521-536 (530).

minimum vital de chaque individu et lui assurer les conditions minimales d'une existence digne d'un être humain. Selon la dernière décision de la Cour constitutionnelle fédérale se rapportant à la préservation des droits fondamentaux, le « droit constitutionnel direct à recevoir des prestations en vue de garantir un minimum vital digne d'un être humain » comprend notamment « l'existence physique de l'être humain, c'est-à-dire la nourriture, les vêtements, le mobilier et les ustensiles de ménage, le logement, l'hygiène et la santé ». ⁸⁹ D'après ce qu'on peut lire dans les ouvrages spécialisés, ce droit à la garantie des conditions requises nécessaires pour conserver ou recouvrer la santé⁹⁰ existe fondamentalement dès lors que la privation de certains biens entraînerait la mort⁹¹. Toutefois, plus on s'écarte de cette situation extrême, plus le droit individuel du citoyen s'affaiblit.

Même en ce qui concerne la fourniture de prestations de santé, la loi fondamentale n'exige, d'une manière générale, que le minimum nécessaire. Celui-ci n'englobe d'ailleurs pas seulement des thérapies assurant « l'existence pure et simple », donc pas uniquement celles qui protègent d'une mort imminente.⁹² On entend plutôt par là le standard minimum de soins médicaux qui assurent l'intégrité et la fonctionnalité du corps humain de manière à permettre à la personne de mener une vie non stigmatisée parmi ses semblables.⁹³ On accorde donc aussi un minimum vital dans le domaine de la santé, ce qu'on appelle le minimum vital socioculturel.⁹⁴ Cette forme ne

89 BVerfG, NJW 2010, 505 (note de marge n° 135 sur l'assurance fondamentale) ; BVerfGE 40, 121 (133) ; Schulze-Fielitz, dans : Dreier, GG (2^e édition, 2004), article 2, paragraphe 2, n° 96.

90 Huster remarque avec pertinence (DVBl 2010, 1069) qu'à l'encontre de la formulation de la cour constitutionnelle fédérale susceptible d'entraîner des malentendus, il n'existe pas de « droit à la santé » mais seulement un droit à la garantie des conditions requises nécessaires.

91 Kunig, dans : Münch/Kunig, GG, tome 1, article 2, n° 60.

92 Ibid ; Gröschner, dans : Dreier, GG, article 20, n° 26.

93 Taupitz 1999, 119 (cf. note n° 87).

94 Cf. Soria (2006) : *Das Recht auf Sicherung des Existenzminimums unter europäischem und innerstaatlichem Druck*, dans : *Berliner Online-Beiträge zum Europarecht*, n° 43, 9 sqq.

correspond toutefois qu'à un niveau tout juste acceptable qui, de nos jours, se situe certainement en dessous des normes disponibles en cas normal.⁹⁵

Personne ne contestera sans doute qu'il est parfois difficile de concrétiser cette prestation minimale de soins.⁹⁶ De plus, cela ne répond pas à la question de savoir si le minimum de prestations de santé à accorder ne doit pas être pris en charge d'abord par chacun, la communauté solidaire n'étant appelée à intervenir que si la personne en question n'a pas les moyens financiers suffisants, donc dans un rôle subsidiaire. De plus, on pourrait estimer que la question de la garantie du minimum vital médical est du ressort de la législation de la protection fondamentale et de l'assurance sociale et non de la législation du régime légal de l'assurance maladie.⁹⁷ En tout cas, la loi fondamentale ne se prononce pas précisément sur l'organisation du système de prestations de soins.⁹⁸

En fin de compte, les directives du droit constitutionnel concernant le minimum vital médical ne fixent pas de limites claires à l'admissibilité de limitations ou d'exclusions des prestations, ni à leur rationnement au sein du système du régime légal de l'assurance sociale. L'obligation de l'État qui résulte de l'article 2, paragraphe 2 de la GG, à savoir de protéger et de soutenir les biens fondamentaux que sont la vie et la santé, a simplement pour but « que les pouvoirs publics prennent des dispositions pour protéger la santé, qui ne soient pas tout à fait inadéquates ni insuffisantes » (interdiction de descendre au dessous d'un certain niveau).⁹⁹ Par ailleurs, il faut tenir compte du fait que la stabilité financière des caisses d'assurance maladie de régime légal est un aspect communautaire extrêmement

95 Autre avis de Neumann, NZS 2006, 393, qui argumente que selon les règles fondamentales du régime légal d'assurance maladie, les prestations ne doivent pas dépasser le nécessaire et que cette limite décrit en même temps le minimum vital obligatoire de par le droit constitutionnel.

96 Neumann, NZS 2006, 393 (395).

97 Taupitz 1999, 122 (cf. note n° 87) ; Neumann, NZS 2006, 393 (394).

98 Huster, DVBl 2010, 1069 (1070).

99 Cf. BVerfG, NJW 1997, 3085 ; MedR 1997, 318 (319) ; NJW 1998, 1775 (1776).

important.¹⁰⁰ Notamment, le législateur peut « en vertu de l'obligation d'efficience stipulée à l'article 12 I du SGB V [...], [marquer] les limites financières qui séparent, d'un côté, l'obligation de prestation des caisses légales d'assurance maladie et de l'autre, la capacité des cotisants à assumer des charges et le potentiel de l'économie nationale ». ¹⁰¹ Par conséquent, le législateur se voit accorder une nouvelle marge d'évaluation et de décision.¹⁰² On ne peut imaginer que le citoyen a un droit concret, vis-à-vis de l'État, à recevoir certaines prestations que dans des cas d'exception absolue, lorsqu'il n'existe qu'une seule possibilité de remplir l'obligation étatique.

On retiendra que la constitution ne prescrit pas de système étatique général de soins de santé et que l'État est tenu tout au plus de mettre à la disposition des individus une infrastructure de dispense de soins minimums pour parer au pire.¹⁰³ Les mesures de rationalisation doivent être en tout cas acceptées tant que ce minimum n'est pas encore atteint. Néanmoins, la standard plancher ancré dans la constitution constitue une certaine limite aux calculs du rapport coût-utilité du législateur.

6.1.3 La décision de la Cour constitutionnelle fédérale du 6/12/2005

Toutefois, par sa décision du 6/12/2005 (décision de la Saint-Nicolas)¹⁰⁴, la Cour constitutionnelle fédérale a cassé le jugement de la Cour fédérale du contentieux social, par lequel cette dernière avait rejeté la plainte d'un patient souffrant d'une dystrophie musculaire de Duchenne. Ce patient réclamait au régime social de l'assurance maladie le remboursement de ses

100 BVerfGE 114, 196 (248).

101 BVerfG, MedR 1997, 318 (319) ; NJW 1997, 3085 ; cf. également BVerfGE 68, 193 (218) ; 70, 1 (26 sqq.) ; 77, 84 (107).

102 Heinig, NVwZ 2006, 771 avec des références additionnelles.

103 Di Fabio, dans : Maunz/Dürig, GG, article 2, paragraphe 1, phrase 1, n° 46.

104 BVerfGE 115, 25 sqq.

frais de prestations. Le G-BA avait considéré que l'effet de ce traitement n'était pas prouvé. Selon la décision de la Cour constitutionnelle fédérale, un assuré a droit, en vertu de la constitution, à un traitement par une méthode susceptible de provoquer la guérison ou au moins une évolution positive sensible de la maladie, même si cette supposition repose sur des indices, à condition de souffrir d'une maladie mettant ses jours en danger et régulièrement mortelle, pour laquelle il n'existe pas de norme médicale reconnue par tous.

La Cour constitutionnelle fédérale estime, dans ce cas concret, que le refus de la prestation n'est pas compatible avec le droit à la vie et à l'intégrité physique vu l'obligation de protection (article 2, paragraphe 2, phrase 1 de la GG), pas plus qu'il ne respecte le droit fondamental qu'est la liberté d'agir (article 2, paragraphe 1 de la GG en liaison avec le principe de l'État social), puisque le patient a été obligé de contracter une assurance. Selon la cour, la personne obligatoirement assurée n'avait « typiquement aucune influence directe sur le montant de la cotisation, ni sur la nature et la portée des prestations qui lui était dues au titre de son contrat d'assurance. » Le législateur aurait supposé que l'assuré ne disposait pas des moyens financiers élevés qu'exigeait « notamment l'achat des prestations nécessaires pour traiter la maladie en dehors du système de prestations du régime légal de l'assurance maladie. »

Cette décision, qui a force de loi¹⁰⁵, n'a pas été approuvée par tout le monde¹⁰⁶, faisant également l'objet de critiques¹⁰⁷. La Cour constitutionnelle fédérale aurait élargi l'éventail des prestations du régime social de l'assurance maladie sans que cela soit nécessaire, pour en faire une « assurance totale ».¹⁰⁸ Si le droit au financement de méthodes de traitement même extrêmement contestées devait découler de l'article 2 de la GG

105 Article 31, paragraphe 2 de la BVerfGG.

106 Engelmann, MedR 2006, 245 (258) ; Goecke, NZS 2006, 291.

107 Heinig, NVwZ 2006, 771 ; Huster, JZ 2006, 446 ; Huster, JZ 2008, 859 ; Kingreen, NJW 2006, 877 ; Wenner, GesR 2009, 169 (178).

108 Heinig (2008) : *Der Sozialstaat im Dienst der Freiheit*, Tübingen, 425.

et du principe de l'État social, on courrait le risque de ne plus pouvoir du tout limiter les prestations, au moins dans le cas de maladies graves.

Malgré ces directives issues du droit constitutionnel, dont certaines d'ailleurs nécessitent une interprétation, la décision du 6/12/2005 ne signifie pas l'abandon des dispositions du SGB V. Elle rappelle, au contraire, qu'elles doivent être interprétées en conformité avec la constitution, surtout dans les cas extrêmes, en vertu du devoir de l'État « de s'ériger en protecteur et en soutien des biens protégés par une disposition légale conformément à l'article 2, paragraphe 2, phrase 1 de la GG ». ¹⁰⁹ Elle n'affecte pas la prescription de vérifier si les conditions générales requises par le SGB V pour donner droit à des prestations sont effectivement réunies. ¹¹⁰ Le législateur ne se voit donc pas interdire, même par la constitution, de prévoir une procédure dans laquelle l'utilité, la nécessité médicale et l'efficacité des nouvelles méthodes de traitement seront contrôlées, en vue d'orienter les prestations précisément vers la rentabilité. ¹¹¹ La large marge de liberté dont dispose le législateur n'est donc visée par la décision de la cour qu'en ce qui concerne des cas semblables à la situation particulière du patient qui a donné lieu à cette décision.

On peut donc déduire de la décision du 6/12/2005, dont les éléments s'appliquent également à la prescription de médicaments selon la jurisprudence de la Cour fédérale du contentieux social et qui a été concrétisée judiciairement ¹¹², que la fourniture obligatoire de soins de santé se divise en deux catégories ¹¹³ : au dessous du seuil de la maladie mortelle, il n'y a

109 BVerfGE 115, 25 (45).

110 Padé, NZS 2007, 352 (353) ; cf. également BSG, NJW 2007, 1385 (1388).

111 BVerfGE 115, 25 (46 sq.).

112 Selon BSG, NJW 2007, 1380, la problématique du droit constitutionnel peut se poser indépendamment du fait qu'il s'agira d'une méthode de traitement ou d'un médicament. C'est pourquoi, en cas d'approbation des conditions requises par la décision du 6/12/2005, il pourrait en résulter l'obligation d'interpréter les articles 31 sqq. du SGB V en conformité avec la constitution.

113 C'est aussi ce que dit Heinig, NVwZ 2006, 771 (772).

pas de changement : le législateur conserve une large marge de configuration, qui englobe également les réflexions sur la rentabilité. Du fait de « l'importance extrême pour l'intérêt général de garantir la stabilité financière des caisses d'assurance maladie de régime légal »¹¹⁴, cette marge autorise a priori aussi le rationnement et l'imposition de priorités sur la base de calculs du rapport coût-utilité, à condition de ne pas descendre au-dessous du minimum fixé par la loi fondamentale.¹¹⁵ Par contre, au-dessus de ce seuil, la marge de configuration se réduit, de telle sorte que le patient concerné a aussi droit à une prestation tout à fait concrète.

6.2 Évaluation du rapport coût-utilité et exigences du principe de l'égalité de traitement

Étant donné que le législateur dispose d'une large marge pour configurer son système de santé, le principe de l'égalité de traitement revêt une importance particulière. Toutefois, le droit constitutionnel ne prescrit pas de système de répartition équitable, mais mentionne uniquement quelques critères de différenciation qui ne sont pas autorisés (cf. article 3, paragraphe 3 de la GG).¹¹⁶ Conformément à cet article 3, paragraphe 3, nul ne doit être discriminé ni privilégié en raison de son sexe, de son ascendance, de sa race, de sa langue, de sa patrie et de son origine, de sa croyance, de ses opinions religieuses ou politiques. De même, nul ne doit être discriminé en raison de son handicap.

Conformément à la jurisprudence de la Cour constitutionnelle fédérale, la large marge de configuration du législateur demeure dans ces limites pour les octrois de prestations par

¹¹⁴ BVerfG, NZS 2005, 479.

¹¹⁵ Wenner, GesR 2009, 169 (178).

¹¹⁶ Brech (2008) : *Triage und Recht*, Berlin, 207 sq. ; Taupitz 1999, 125 f. (cf. note n° 87).

l'État. C'est la raison pour laquelle la Cour constitutionnelle fédérale est extrêmement réservée lorsqu'il s'agit d'imposer des obligations supplémentaires à l'administration prestataire par le biais du principe de l'égalité de traitement.¹¹⁷

Néanmoins, le principe général de l'égalité de traitement (article 3, paragraphe 1 de la GG) permet de déduire quelques directives pour la répartition des prestations médicales.

Ainsi, un droit à la participation et à la perception de prestations découle de l'article 3, paragraphe 1 de la GG. En d'autres termes, si l'État propose des prestations, chacun doit alors pouvoir y accéder de la même manière (schéma « si... , alors... »).¹¹⁸ Il en résulte notamment la nécessité de créer une procédure conçue pour assurer le respect de l'égalité de traitement.¹¹⁹ Ce droit ne se rapporte toutefois qu'aux ressources existantes, lesquelles doivent néanmoins être totalement utilisées ; en revanche, il n'existe pas de droit à la création de nouvelles capacités.¹²⁰

De plus, selon la formule de la Cour constitutionnelle fédérale relative à l'arbitraire, le fait de traiter de manière dissemblable ce qui est pratiquement semblable ou de traiter de manière semblable ce qui est pratiquement dissemblable constitue une violation de l'article 3, paragraphe 1 de la GG.¹²¹ Seul un contrôle de l'évidence serait toutefois possible sur ce point.

Selon ladite « nouvelle formule » de la Cour constitutionnelle fédérale, il y a pourtant violation de l'article 3, paragraphe 1 de la GG « dès lors qu'un groupe de destinataires d'une norme est traité différemment d'autres destinataires de cette norme bien qu'il n'existe pas, entre les deux groupes, de

117 BVerfG, NJW 2009, 1733 ; BVerfGE 60, 12 ; 78, 104.

118 Brech 2008, 197 (cf. note n° 116) ; Osterloh, dans : Sachs, GG, article 3, n° 53 avec des références additionnelles.

119 Taupitz (2010) : *Allokationsprobleme in der Transplantationsmedizin – juristische Aspekte*, dans : *Zeitschrift für Evidenz, Fortbildung und Qualität im Gesundheitswesen* 104 (5), 400-405 (403).

120 Cf. les décisions prononcées à propos du numerus clausus par la Cour constitutionnelle fédérale : BVerfGE 33, 303 (338) ; 43, 291 (313 sq.).

121 Cf. BVerfGE 1, 14 (52).

différences dont la nature et le poids pourraient justifier un traitement inégal ». ¹²² Cette nouvelle formule conduit donc à une obligation plus stricte. De l'avis de la Cour constitutionnelle fédérale, celle-ci est « d'autant plus stricte que les critères se rapportant aux personnes se rapprochent de ceux mentionnés à l'article 3, paragraphe 3 de la GG et que le danger grandit de voir l'inégalité inhérente de traitement causer la discrimination d'une minorité ». ¹²³ Dans la mesure où il s'agit de l'exclusion d'une prestation de l'État, sur laquelle le citoyen n'a pratiquement aucune influence, un simple contrôle du caractère arbitraire ne serait pas suffisant. ¹²⁴ On déduira de cette jurisprudence que les décisions prises dans le domaine de la santé peuvent tout à fait être prises en fonction de critères sur les personnes semblables à ceux de l'article 3, paragraphe 3 de la GG, mais à condition qu'ils soient suffisamment fondés.

Dans sa conception actuelle, l'évaluation du rapport coût-utilité ne sert certes pas à hiérarchiser des pathologies et, de ce fait, des groupes de patients ; l'intention du législateur est de définir un prix adéquat pour le remboursement des frais de médicaments. C'est, en soi, un but légitime. ¹²⁵ Mais il est incontestable que certaines bases et certaines formes d'un élargissement envisageable du recours à l'évaluation du rapport coût-utilité seraient problématiques au regard du principe de l'égalité de traitement. En effet, les aspects éthiques de loyauté et d'égalité des chances sont aussi une question se rapportant à l'article 3 de la GG. Cela vaut notamment pour l'orientation économique des soins de santé vers une utilité globale, qui devra être réalisée au niveau de la société toute entière. En effet, dans un règlement qui, comme la loi fondamentale, est fondé sur la dignité et le droit de chaque individu, l'allocation de biens de santé en fonction du principe de la maximalisation de l'utilité ne peut pas être axée sur un « corps de population »

¹²² Cf. BVerfGE 55, 72 (88).

¹²³ BVerfGE 88, 87 (96) ; 89, 15 (22).

¹²⁴ BVerfGE 33, 303 (345).

¹²⁵ Martini, WiVerw 2009, 195 (217).

dont la santé devrait être améliorée indépendamment des états de santé individuels, voire en priorité sur ceux-ci¹²⁶ ; ce règlement doit au contraire se référer aux droits de chaque citoyen. C'est notamment le cas lorsque des intérêts existentiels sont en jeu.¹²⁷ Le cadre du droit constitutionnel, que la République fédérale d'Allemagne représente, suit les principes typiques d'une structure déontologique d'orientation vers des droits fondamentaux garantis qui, de leur côté, trouvent un ancrage axiomatique du postulat de la dignité de l'être humain conçu pour qu'on ne puisse en abuser. Qu'est-ce que cela signifie plus précisément pour une évaluation du rapport coût-utilité des médicaments ? Jusqu'ici, on n'a enregistré aucune jurisprudence se référant au droit constitutionnel répondant à cette question. Le sujet est tout juste effleuré dans les ouvrages juridiques. Là encore, il n'est possible que d'esquisser quelques aspects pour cerner grossièrement la question.

En ce qui concerne les décisions de répartition, les ouvrages de référence attirent l'attention d'une manière très générale sur le fait que le principe d'optimisation ne contredit pas la loi fondamentale, au sens où, dans une situation de pénurie de moyens, on essaye, parmi les droits qui ne peuvent pas tous être protégés et garantis de la même façon, d'en protéger et d'en garantir le plus possible.¹²⁸ Cela explique pourquoi il n'est pas obligatoire, mais tout à fait admis que, lors d'une catastrophe, on sauve d'abord les sauveteurs potentiels pour qu'à leur tour, ils sauvent autant de gens que possible. Cette règle s'applique de toute façon lorsqu'il ne s'agit pas (comme dans le cas de l'allocation de prestations de santé en dehors d'une catastrophe) d'intervenir activement dans la vie de certaines personnes (par exemple un petit nombre) pour en sauver

126 Huster, DVBl 2010, 1069 (1074).

127 Huster, DVBl 2010, 1069 (1075).

128 Brech 2008, 238 sq. (cf. note n° 116) ; Junghanns (2001) : *Verteilungsgerechtigkeit in der Transplantationsmedizin*, Francfort-sur-le-Main et al., 93 ; Scheid (2000) : *Grund- und Grenzfragen der Pflichtenkonkollision beim strafrechtlichen Unterlassungsdelikat*, Aachen, 60.

d'autres (par exemple un grand nombre), mais où on n'aide pas les personnes qui meurent des suites de leur maladie ou de leur blessure.¹²⁹ En l'occurrence, on les abandonne à leur destin en quelque sorte. Le fait que cela ait pour effet de maximiser l'utilité globale n'est que secondaire.

Dans certains ouvrages de référence, les décisions de répartition sont finalement considérées comme particulièrement problématiques, lorsqu'elles portent sur un groupe identifiable *ex ante*, par exemple de personnes souffrant d'une maladie congénitale, qui se trouvent désavantagées et durement touchées. Si, par contre, le modèle d'allocation concerne potentiellement tout le monde, par exemple toutes les personnes en fin de vie ou souffrant d'une maladie non congénitale, il suscite beaucoup moins de réserves.¹³⁰ Toutefois, il faut tenir compte du fait qu'*ex ante*, les personnes qui naîtront à l'avenir peuvent similairement être touchées ou non touchées par un handicap comme par une maladie non congénitale. Le problème réside donc dans la manière de définir « identifiable *ex ante* ».

Vu les problèmes brièvement évoqués que suscite le principe de l'égalité de traitement, les exigences juridiques requises en ce qui concerne la forme et le déroulement des processus de décision visant à concrétiser les droits aux prestations des assurés, acquièrent d'autant plus d'importance. Nous reviendrons plus loin plus en détail sur ce point. Les conditions exigées pour la forme des processus de décision résultent essentiellement du principe démocratique (article 20, paragraphe 2 de la GG) et du principe de l'État de droit (article 20, paragraphe 3 de la GG).¹³¹ Ces principes exigent qu'il soit permis aux personnes concernées de participer à l'action étatique et que la transparence soit respectée.

129 Taupitz 2010, 528 sqq. (cf. note n° 88).

130 Huster, DVBl 2010, 1069 (1075).

131 Kingreen (2008) : *Gesundheit ohne Gesetzgeber?*, dans : Kingreen/Laux (éd.) : *Gesundheit und Medizin im interdisziplinären Diskurs*, Berlin et al., 147-178 (156).

6.3 L'évaluation du rapport coût-utilité et le principe démocratique et le principe de l'État de droit (article 20, paragraphes 2 et 3 de la loi fondamentale)

6.3.1 Généralités

La Cour constitutionnelle fédérale exige que les tâches et les légitimations d'agir des organes constituant l'administration indirecte de l'État, dont fait partie le G-BA, soient suffisamment définies en amont par une loi adoptée par l'instance de représentation des citoyens (réserve de l'approbation préalable par le parlement).¹³² Les bases de légitimation aux termes de l'article 20, paragraphe 2, phrase 1 de la GG sont la légitimation des décideurs en matière de personnes et de matériel.¹³³ La légitimation en matière de personnes exige fondamentalement, quant à son organisation, une légitimation en chaîne, partant du citoyen et allant jusqu'au fonctionnaire compétent chargé de l'exécution des tâches étatiques.¹³⁴ Si la chaîne de légitimation s'affaiblit à cause de nouveaux maillons intermédiaires, elle doit être compensée par des éléments au contenu concret. Les formes de base de cette légitimation supplémentaire sont, d'un côté, l'obligation de respecter la loi, de l'autre, la responsabilité démocratique et la subordination à l'autorité supérieure visant à fixer une ligne de conduite.¹³⁵ En revanche, il n'y a pas de hiérarchie entre la légitimation de personnes et la

¹³² BVerfGE 107, 205.

¹³³ Axer, dans : Schnapp/Wigge, Hb VAR (2006), article 10, n° 42 ; Böckenförde, dans : HStR II, article 24, n° 14 sqq.

¹³⁴ Le fonctionnaire compétent chargé de l'exécution des tâches étatiques dispose d'une légitimation personnelle illimitée, « dès lors qu'il s'est vu attribuer cette fonction conformément à la constitution, par voie d'une élection par les citoyens ou le parlement ou par voie de nomination par le titulaire d'une fonction publique compétent, légitimé personnellement, agissant sous la responsabilité du parlement ou avec l'accord de ce dernier. » BVerwGE 106, 64 (75) ; cf. également Schulze-Fielitz, dans : Dreier, GG, article 20, n° 115.

¹³⁵ Böckenförde, dans : HStR II, article 24, n° 21 ; Axer, dans : Schnapp/Wigge, Hb VAR (2006), article 10, n° 44.

légitimation matérielle. Ces deux éléments peuvent éventuellement se compenser mutuellement pour atteindre le « niveau de légitimation »¹³⁶ nécessaire.

De plus, ce doit être le législateur qui « prend [lui-même] toutes les décisions importantes dans les domaines normatifs fondamentaux, surtout celles qui ont trait à l'exercice des droits fondamentaux, si celui-ci est accessible à une réglementation par l'État ».¹³⁷ Il lui est interdit de se soustraire à la responsabilité de décisions importantes en la déléguant à d'autres.¹³⁸ En complément, le principe de la certitude, qui est l'un des éléments du principe de l'État de droit, prescrit que les intéressés doivent pouvoir s'informer, au moyen de la norme, des conditions et de la portée de la limitation, afin d'adopter leur comportement en conséquence.¹³⁹

6.3.2 Le G-BA

Le Comité fédéral commun (G-BA) promulgue des directives portant sur l'octroi de prestations suffisantes, appropriées et rentables aux assurés, en vertu de l'article 92, paragraphe 1, phrase 1 du SGB V (cf. 4.1). Ces directives concrétisent sans plus le droit à recevoir des prestations que stipule la loi. Le G-BA se voit donc ainsi attribuer un pouvoir normatif énorme, qui lui a valu la dénomination de « petit législateur »¹⁴⁰.

Dans sa « décision de la Saint-Nicolas », évoquée plus haut, la Cour constitutionnelle fédérale ne répond pas à la question de la légitimation démocratique de l'actuel G-BA, celle-ci n'entrant pas, en l'occurrence, dans le champ de sa décision.¹⁴¹ La Cour fédérale du contentieux social « ne met

136 BVerfGE 83, 60 (72) ; 107, 59 (87).

137 BVerfGE 95, 267 (307).

138 BVerfGE 33, 303 (346), « doctrine de l'essentiel ».

139 BVerfGE 65, 1 (44) ; 112, 304 (312).

140 Schneider-Danwitz/Glaeske, MedR 1999, 164.

141 BVerfGE 115, 25 (47).

pas fondamentalement en doute » la légitimation du G-BA à décréter des directives.¹⁴² Par contre, certains textes mettent en doute que la légitimité démocratique du G-BA soit suffisante.¹⁴³

En ce qui concerne la légitimation des personnes, on attirera l'attention sur le fait que le G-BA, en tant que composante de l'administration non subordonnée directement à l'administration de l'État, représente des intérêts très divers. Les intérêts des prestataires et ceux des caisses d'assurance maladie sont naturellement opposés. Même au sein des caisses elles-mêmes, il existe des intérêts extrêmement hétérogènes, entre autres ceux des assurés et ceux des assureurs. Ayant été mises dorénavant en concurrence, ces caisses ne représenteraient pas toutes non plus les mêmes intérêts. En fin de compte, ce n'est, en tout cas, pas un organisme marqué par des intérêts particularistes qui devrait répondre aux questions d'équité telles que celle des décisions portant sur la répartition de biens limités. Au contraire, cette tâche devrait incomber à des institutions ayant une légitimation en personnes plus large.¹⁴⁴

Il faut ajouter à cela que certaines décisions du G-BA pourraient être considérées comme des décisions d'importance capitale réservées au parlement, surtout si elles ont pour effet d'exclure ou de limiter des prestations. Certes, il n'est pas étonnant que, dans un domaine hautement technique, des instances non étatiques se chargent de concrétiser des décisions en établissant des normes, car elles regroupent une grande compétence. Cela ne change néanmoins rien au fait que les décideurs légitimés démocratiquement doivent prendre eux-mêmes des décisions incorporant des jugements de valeur étayant une incidence sur

142 BSG, NJW 2007, 1385 (1387).

143 Gassner, PharmR 2007, 441 (443) ; Kingreen, NJW 2006, 877 (879) ; Schimmpfeng-Schütte, MedR 2006, 21 ; Taupitz, MedR 2003, 7 ; autre avis Hase, MedR 2005, 391 ; Hess, dans : KassKomm, SGB V article 91, n° 23 ; Axer (2000) : *Normsetzung der Exekutive in der Sozialversicherung*, Tübingen, 269 sqq., qui se rapporte à l'article 87, paragraphe 2 de la GG, selon lequel l'exercice du pouvoir législatif par des unités administratives devenues indépendantes qui ont été légitimés directement en matière d'assurance sociale ne violerait pas le principe démocratique.

144 Kingreen, NZS 2007, 113 (119).

les droits fondamentaux.¹⁴⁵ Cela ne se serait pas fait de manière satisfaisante en ce qui concerne les droits aux prestations des assurés des caisses d'assurance maladie de régime légal.

Effectivement, les directives de fond qui président aux décisions du G-BA ne sont ancrées que d'une manière très générale dans la loi. À titre d'exemple : la formulation correspondante de la loi (article 35b, paragraphe 1, phrase 4 du SGB V), selon laquelle il y aurait lieu de « tenir compte du caractère *approprié* et acceptable d'une prise en charge par la communauté des assurés ». La notion de caractère approprié requiert des décisions médicales, économiques, éthiques et politiques. Il en va de même pour l'article 35b, paragraphe 1, phrase 5 du SGB V, selon lequel l'évaluation devra se faire « sur la base des normes internationales reconnues dans les milieux spécialisés de la médecine fondée sur les faits et de l'économie de la santé ». Même si dans de nombreuses disciplines on a pris l'habitude de se reporter aux normes non juridiques pour établir des réglementations¹⁴⁶, les normes scientifiques ne doivent pas remplacer des décisions importantes incorporant des jugements de valeur¹⁴⁷.

Même si l'on doit reconnaître, au bénéfice de la structure choisie par le législateur, qu'il serait fort difficile de trouver une réglementation plus concrète vu la complexité du sujet à réglementer,¹⁴⁸ les réserves exprimées dans les ouvrages spécialisés sont pour le moins indéniables. Il faut ajouter que la problématique induite par le fait que la réalisation d'évaluations

145 Martini, WiVerw 2009, 195 (208).

146 Ainsi, la législation environnementale, (cf. seulement l'article 3 de la BImSchG) renvoie à l'état actuel d'avancement de la science et « aux meilleures techniques disponibles » ; dans la législation sur la santé, on renvoie par contre souvent à « l'état d'avancement de la science médicale » (cf. uniquement les articles 12a et 18 de la TFG ; article 16 de la TPG ; article 23 de la GenDG ; article 5 de la StZG). Cf. également concernant l'aspect juridique Fehling (2008) : *Das Verhältnis von Recht und außerrechtlichen Maßstäben*, dans : Trute et al. (éd.) : *Allgemeines Verwaltungsrecht – zur Tragfähigkeit eines Konzepts*, Tübingen, 461-488.

147 Martini, WiVerw 2009, 195 (208).

148 Le G-BA insiste beaucoup, dans ses règles de procédure (VerfO), sur la notion de caractère proportionné, cf. article 11, paragraphe 2 de la VerfO.

du rapport coût-utilité doit respecter le principe de l'égalité de traitement, n'a jamais été thématisée dans la procédure d'élaboration de la loi, ni dans le débat sur la mise en œuvre de l'évaluation du rapport coût-utilité, par exemple au regard de la dimension à appliquer à l'utilité. Au contraire, le législateur a attiré l'attention sur les normes reconnues au niveau international, sans plus entrer dans le vif du problème, notamment les normes de l'économie de la santé (articles 35a, paragraphe 1, phrase 6, 35b, paragraphe 1, phrase 4, et 139a, paragraphe 4). Ceci conforte les réserves émises à l'encontre de la légitimation démocratique du G-BA.¹⁴⁹ Dans cette mesure, nous applaudissons au transfert du pouvoir de réglementation des critères d'une évaluation précoce de l'utilité au ministère fédéral de la Santé, d'autant plus qu'il s'agit non pas de critères scientifiques au sens strict du terme, mais de décisions portant sur des valeurs.

6.3.3 L'IQWiG

L'Institut pour la qualité et la rentabilité du secteur de la santé (IQWiG), un organisme scientifique, professionnellement indépendant et ayant capacité juridique, a été chargé de réaliser l'évaluation du rapport coût-utilité par le législateur, en vertu de l'article 139a, paragraphe 1, phrase 1 du SGB V. On peut qualifier les activités de l'IQWiG de travaux de préparation. Ils n'ont aucune force obligatoire pour les décisions du ministère fédéral de la Santé ou du G-BA. Il n'existe donc pas de protection juridique contre les recommandations de l'IQWiG. Conformément à l'article 139b, paragraphe 4, phrase 2 du SGB V, le G-BA doit certes « tenir compte » des évaluations de l'IQWiG en tant que recommandations, mais il n'est pas tenu juridiquement de les reprendre dans ses décisions.

149 Cf. détails dans Huster/Penner, VSSR 2008, 221 avec des références additionnelles.

Dans la pratique, les recommandations émises jusqu'ici par l'IQWiG (qui ne se rapportaient pas encore à l'évaluation du rapport coût-utilité, mais à d'autres tâches et surtout à l'évaluation de l'utilité pure et simple) ont été reprises. En effet, l'IQWiG met les bases scientifiques de décision formulées à l'article 92, paragraphe 1, phrase 1, 3^e proposition principale du SGB V à la disposition du G-BA. Certains critiquent l'effet de mise devant le fait accompli par l'IQWiG.¹⁵⁰ Ils se plaignent que cette construction voile les responsabilités décisionnaires¹⁵¹ et aggrave les problèmes de légitimation du G-BA du fait de l'implication de l'IQWiG dans le processus décisionnaire du G-BA. D'un autre côté, on sera favorable à une évaluation de l'utilité et du rapport coût-utilité indépendante de tout intérêt particulariste, au regard de son importance pour les biens essentiels que sont la santé et les soins de santé.

150 Gassner, PharmR 2007, 441 (444) ; Kingreen, NZS 2007, 113 (118).

151 Huster, RPG 2009, 69 (75).

7 RÉSUMÉ ET RECOMMANDATIONS

La fixation des critères d'une répartition équitable des ressources dans le domaine de la santé est une tâche politique qui revêt une dimension médicale, économique, éthique et juridique. La complexité de la question empêche de trouver un consensus total entre tous les intéressés. Beaucoup de questions de détail admettent des réponses éthiques différentes. Le Conseil d'éthique allemand est néanmoins d'avis que l'on peut formuler des principes et des processus auxquels devront pouvoir répondre les structures et les processus existants, surtout dans une perspective d'avenir. Ces principes fixent uniquement un cadre au sein duquel la politique de la santé dispose d'une très large marge de décision. D'un point de vue éthique, il existe néanmoins des limites à ne pas dépasser pour les décisions d'allocation. Ceci étant dit, le Conseil d'éthique allemand résume son avis comme suit, notamment au regard de la fonction normative de l'évaluation des rapports d'utilité et coût-utilité dans le domaine de la santé :

1. On s'attend encore, dans l'avenir, à d'importantes améliorations médicales visant à maintenir la qualité de la vie et à prolonger la durée de la vie. Elles conduiront irrémédiablement à une augmentation des coûts. Il ne faut donc pas exclure d'emblée une augmentation des moyens financiers solidaires disponibles, mais la volonté de la collectivité d'assurer le financement des soins de santé a aussi des limites. Celles-ci ne sont pas à mettre sur le même plan que la limitation de la solidarité de la société, dont l'aspect moral est inquiétant.
2. Dans ce contexte, il faut discuter ouvertement de la hiérarchisation des priorités, de la rationalisation et du rationnement. Chaque forme de « rationnement occulte » de prestations médicales doit être refusée. Les décisions de rationnement nécessaires ne doivent pas être déléguées à

un seul médecin ou à un seul membre du personnel soignant. Dès lors qu'on limitera des prestations, il faudra le mentionner clairement.

3. S'attaquer au problème de la répartition de ressources limitées dans le domaine de la santé ne signifie pas que l'on se fixera sur une « économisation » des décisions. Un débat objectif requiert l'intégration de compétences médicales, économiques, éthiques et juridiques dans une procédure transparente. Les décisions de répartition ne sont pas uniquement réservées à la compétence scientifique, même s'il existe des questions d'ordre empirique ou catégoriel qui nécessitent le recours aux experts pour y répondre. En fin de compte, les questions portant sur l'étendue des prestations financées par la communauté solidaire appellent des décisions éthiques qui doivent être prises dans un débat de société et par la voie politique.
4. Il existe une relation tendue entre les intérêts de l'ensemble de la société et ceux de chaque individu. Le principe de la dignité humaine et les droits fondamentaux exigent que chaque citoyen soit assuré d'avoir accès à des prestations de santé appropriées ; ces droits lui sont garantis. Ils ne doivent pas être relégués au second plan, par exemple, en aval des réflexions portant sur l'augmentation de l'utilité collective. La « valeur » socio-économique calculée ou supposée d'un individu ou d'un groupe *ne doit pas* présider aux décisions de répartition.
5. Les décisions portant sur la répartition des ressources au sein d'un système de santé solidaire posent des exigences particulières dans l'élaboration des processus de décision. Le législateur doit respecter le fait que la répartition en cas de pénurie de moyens dans le cadre de la politique de santé est une question d'équité qui ne peut pas être déléguée à des instituts scientifiques, des associations ou des groupements d'intérêts. L'exigence minimale est la légitimation démocratique des décideurs ; le législateur légitimé par voie démocratique n'a pas le droit de se soustraire à sa responsabilité.

6. L'utilisation responsable de ressources limitées exige qu'elles soient affectées à des thérapies effectivement utiles dans des conditions courantes de prestations de soins. En plus de l'évaluation précoce de l'utilité qui vise à fixer le prix, une évaluation approfondie de l'utilité, indépendante de toutes considérations de coûts doit demeurer possible à tout moment. Elle portera surtout sur les points terminaux des patients (mortalité, morbidité, qualité de vie) et continuera à être effectuée par le Comité fédéral commun (G-BA) et l'Institut pour la qualité et la rentabilité du secteur de la santé (IQWiG). Pour les domaines d'indications importants, la règle devrait être dorénavant de procéder systématiquement à une nouvelle évaluation de l'utilité à un second stade, après l'écoulement d'un laps de temps adéquat, non seulement pour les médicaments, mais aussi pour les traitements non médicamenteux. Il doit être possible d'exclure une prestation pour absence d'utilité pour protéger les patients.
7. La recherche sur le transfert et les soins doit être développée, de même que la promotion d'études cliniques après l'autorisation d'un médicament ou d'un produit médical, celles-ci étant indépendantes des laboratoires pharmaceutiques. Ces processus devront s'accompagner de l'identification systématique des questions particulièrement importantes ayant trait à la recherche pour les soins médicaux, ce que fera, entre autres, le G-BA. Le législateur créera des conditions générales adéquates.
8. On aspirera à rendre obligatoire la publication de toutes les études, indépendamment de leurs résultats, et non pas seulement des études confirmatoires importantes pour l'autorisation de mise sur le marché et les examens cliniques après ladite autorisation. Ce n'est que de cette manière que l'on pourra garantir l'accès à toutes les données importantes pour l'évaluation de l'utilité.
9. En ce qui concerne l'évaluation du rapport coût-utilité des prestations médicales, il existe des raisons importantes, du

point de vue de l'éthique et de la théorie de l'équité, de ne pas adopter le principe de maximalisation de l'utilité tous groupes de patients confondus. C'est pourquoi le législateur devrait clarifier l'article 35b du SGB V (évaluation du rapport coût-utilité des médicaments).

10. De même, les calculs de l'efficacité au regard des coûts selon un concept de limite d'efficience ne peuvent pas être éthiquement « neutres » et donc ne peuvent pas servir d'étalon pour mesurer leur adéquation et décider de rembourser ou non les nouveautés. En effet, le rapport coût-efficacité de la thérapie la plus utile en place pour chaque cas, donc le statu quo, repose sur des facteurs divers, qui ne sont pas ajustés les uns aux autres. Pourtant, l'IQWiG a pratiqué jusqu'ici cette méthode, car il se prévaut de la tâche qui lui est confiée en vertu de la loi. Si cette manière de procéder mérite une critique, c'est au législateur qu'elle doit s'adresser. Ce dernier a omis de donner des directives suffisamment claires en renvoyant aux normes internationales de l'économie de la santé à prendre en compte (article 35b, paragraphe 1, phrase 5 du SGB V).
11. Les effets des directives sur l'évaluation du rapport coût-utilité en vigueur actuellement en Allemagne ne sont pas nuisibles en substance, du fait que l'assuré continue, selon la loi, à avoir droit à tous les soins médicaux nécessaires. Actuellement, ces directives ne servent pas d'instrument pour répartir des ressources limitées, mais à fixer des prix.
12. Les décisions de rationnement, qui deviendront vraisemblablement nécessaires à l'avenir, obligeront le législateur à éclaircir dans quelle mesure les droits aux prestations visés aux articles 27 et 12 du SGB V pourront être influencés par l'évaluation du rapport coût-utilité et quel sera le ratio entre ce critère et la nécessité médicale.

VOTE SPÉCIAL

- 1 Motif et objet du vote spécial
- 2 Le rationnement, un sujet tabou
- 3 La controverse autour de l'IQWiG
 - 3.1 La perspective des coûts
 - 3.2 La „valeur“ d'une utilité supplémentaire
- 4 Valeurs, prix, droits
- 5 Coût-efficacité et priorisation équitable
 - 5.1 Le problème *ceteris paribus* (avec recommandation complémentaire)
 - 5.2 Conclusion

1 Motif et objet du vote spécial

Dans les pays disposant d'un système de santé très développé, la question de la limitation des prestations médicales revêt une grande importance pour l'idée que la société se fait d'elle-même. S'associant aux nombreuses contributions publiées au niveau international, des experts allemands de la politique de la santé appartenant à diverses disciplines accordent également leur attention depuis longtemps à ce sujet. En Allemagne, il n'a pourtant pas été possible jusqu'ici de lancer un débat public sérieux sur ces questions, même pas au niveau politique. Dans l'intervalle, on parle de plus en plus de la pénurie de moyens et les institutions y réagissent également. Les experts discutent d'instruments de pilotage spécifiques légaux, dont l'évaluation du rapport coût-utilité pour les médicaments. Ces controverses sont perçues de l'extérieur comme des débats d'experts et pour cette raison, personne n'en thématise la dimension politique éthique.

Dans ces conditions de déroulement du raisonnement, qui sont d'ailleurs relatées en préliminaire dans le vote principal, il sera utile de mettre en lumière, à titre d'exemple, les questions éthiques fondamentales qui se posent, au moyen d'un débat d'experts au fait de ces questions. Un premier avis du Conseil d'éthique allemand sur la question « épineuse » de l'allocation de ressources (cf. p. 10) doit néanmoins, selon

l'opinion défendue ici, réconcilier plus efficacement le discours public, ou les raisons pour lesquelles il n'a pas lieu, avec le discours des experts. Pour cela, il est essentiel que les raisons pour lesquelles le public et les politiques sont si réticents soient exprimées clairement et prises au sérieux. De plus, il faut que les débats des spécialistes soient relatés sans jamais cesser de prendre en compte les scrupules et les soucis qui empêchent le discours de s'élargir au niveau sociétal. Le fait d'évoquer ces scrupules, qui n'est en fait qu'occulté dans les débats de spécialistes, constitue, pour ainsi dire, une partie du problème. Une présentation qui se contente essentiellement de références et de répétitions, comme c'est le cas notamment aux chapitres 3 et 4 du vote principal, ne peut, selon l'opinion défendue ici, avoir pour effet d'encourager le débat avec la force qui aurait été souhaitable pour une prise de position du Conseil d'éthique.

Aux chapitres suivants, notamment au chapitre 5, le vote principal abandonne son discours rapporteur pour développer des jugements. Il ne se limite pas, en l'occurrence, même si ce bilan prédomine, à déclarer qu'il s'agit de questions complexes auxquelles il faudrait répondre dans le cadre de procédures transparentes, légitimées par voie démocratique. Il va plus loin sur le fond, surtout en demandant une évaluation systématique de l'utilité en plus de ce qu'il est convenu d'appeler l'évaluation « précoce » de l'utilité¹ et le refus de concepts de répartition utilitaristes. Nous estimons que notamment la seconde déclaration aurait dû être structurée plus clairement

1 Cf. chapitre 5,1 et recommandations 6 à 8. Cette controverse spéciale trouve son origine, comme cela est dit dans le vote principal, dans le renversement de la charge de la preuve dans une nouvelle loi. Cette aspect de la charge de la preuve soulève une question fondamentale, importante non seulement au point de vue méthodique, mais aussi normatif de la « médecine basée sur les faits ». C'est l'une des raisons pour lesquelles ce concept soulève quelques contestations. À notre avis, on aurait au moins dû expliquer la nécessité de faire la différence entre « l'absence d'utilité » et « le manque de preuve d'utilité » dans le vote principal. Il faut alors aussi tenir compte systématiquement de cette différenciation (cf. entre autres recommandation 6, dernière phrase).

et assortie d'une argumentation plus manifeste dans les déductions pratiques.² Il aurait été notamment nécessaire de coordonner clairement les verdicts éthiques relatifs à l'évaluation interindividuelle de la vie avec les informations sur le droit constitutionnel du chapitre 6. Dans ce chapitre 6, on affirme expressément que la fixation de priorités sur la base de calculs du rapport coût-utilité est admise par le droit constitutionnel (p. 84 f.). On ignore comment cette affirmation peut s'accorder avec les déclarations faites dans le passage sur l'éthique. Faute de clarification de ces inconsistances entre la partie éthique et la partie juridique, on est en droit de douter que les principes avancés aient l'effet souhaité dans la pratique.

Pour ces raisons, nous expliquerons brièvement ci-dessous, d'abord comment le passage sous silence de la question du rationnement de la santé émerge dans la politique et quelles en sont les raisons (2). Ensuite, nous expliquerons quels ont été les répercussions du refus d'aborder ce sujet dans le cadre de la controverse sur les méthodes d'évaluation du rapport coût-utilité (3). À la suite de cela, on saura plus clairement dans quelles conditions un débat public ouvert, même à la politique, sur des limitations de prestations pourra éventuellement être lancé à l'avenir. Selon l'opinion défendue ici, c'est là que doit se situer le changement de catégorie du discours, qui passera des « valeurs » aux « droits ». Nous souhaitons réexpliquer le sens que nous donnons à ce discours (4). Pour finir, nous montrerons que le refus de justifications utilitaristes a des conséquences, même lorsque celles-ci se rapportent à des cas où le rapport coût-efficacité est l'*un* des critères d'un concept d'allocation équitable des moyens. Ce chapitre s'accompagne d'une recommandation complémentaire. Sa conclusion montre un avis critique qui diverge de la partie juridique du vote principal (5).

2 Cela vaut indépendamment du fait qu'au chapitre 5, on reprend à plusieurs reprises des différenciations et des exemples que j'ai donnés (je = W. Lütbe) dans diverses publications.

2 Le rationnement, un sujet tabou

En Allemagne, le rationnement est considéré comme « non éthique ». Bon nombre de prestataires qui partageaient cet avis, ou la partagent encore, ont néanmoins compris entre-temps que le fait de répéter constamment cet avis en public empêche, certes, la reconnaissance politique de la pénurie de moyens, mais pas forcément la pénurie elle-même. L'euphémisme « priorisation » (fixation de priorités) lancé dans le débat au printemps 2009 par le Professeur Jörg-Dietrich Hoppe, président de la *Bundesärztekammer* (l'Ordre fédéral des médecins allemands), a été frappé du même destin. On ne fait qu'entendre dire par les politiques de tous bords que ce mot-clé n'est pas éthique. Compte tenu du fait que dans d'autres pays, on se penche depuis des années sur cette question et qu'on prend aussi des décisions, cela vaut la peine de se demander quelle est la raison qui fait de ce sujet un tabou si persistant chez nous.

La réponse est évidente. La dimension particulière de la sensibilité allemande à ce sujet résulte du fait qu'on l'associe au chapitre le plus noir de l'histoire allemande. Une anecdote l'explique. Lors d'une soirée d'information des parlementaires, le Conseil d'éthique allemand fait, entre autres, un tour d'horizon sur ses groupes de travail actuels pour les personnes présentes. L'une d'elles pose une question sur le groupe de travail Allocation de ressources. Une députée dit : « J'espère pour vous que vous ne serez pas obligés de vous pencher sur le sujet du rationnement. Il oblige à opérer une sélection. » Le silence se fait. Quel souvenir était subitement remonté à la conscience de chacun ? C'est clair : la rampe d'Auschwitz, le programme d'« euthanasie », la « vie qui ne vaut pas la peine d'être vécue », qui ne vaut pas la peine d'être conservée pour la société. Les politiques, les citoyens et spécialement les personnes qui travaillent dans les métiers de la santé ne veulent absolument pas être mêlés aux décisions qui ont à voir, même de loin, avec ces choses-là.

La question qui n'est posée nulle part clairement et à laquelle il n'y a donc nulle part de réponse est : existe-il un lien ?

Il serait bon, pour le débat sur la hiérarchisation, d'approfondir expressément ce sujet, car de toute façon, sa présence est sous-jacente. On fera bien attention de ne pas tomber dans le malentendu selon lequel la dangerosité de la pensée et des actions national-socialistes se limiterait au danger du racisme. Auschwitz avait des motifs racistes, mais pas la rampe qui s'y trouvait. On y faisait un tri des personnes en fonction de leur aptitude à travailler. L'*Aktion T4*, le programme de l'euthanasie, n'avait pas de motif raciste. Là encore, il s'agissait de productivité, en partie de la productivité au travail et, en partie, de l'incapacité présumée de procréer des enfants productifs.³

Selon l'opinion défendue ici, il est possible de mener le débat sur la fixation de priorités sous une forme qui ne pourra se voir reprocher aucune parenté avec de telles idées. Il est toutefois légitime de douter que les différenciations nécessaires puissent être communiquées au public avec l'acuité et la durabilité nécessaires. Une délimitation claire par rapport aux réflexions d'utilité mentionnées dans la citation (note n° 3) est, en effet, beaucoup plus difficile qu'une démarcation par rapport aux catégories racistes. L'utilité pour la société, la productivité nationale, voilà des notions qui ne passent pas systématiquement pour être immorales dans notre société. Nous avons néanmoins l'impression qu'il existe des contextes dans lesquels ce genre de catégories n'a pas le droit d'entrer en lice. La répartition des moyens de santé nous semble être un tel contexte.

La santé de la mère de quatre enfants a « plus de valeur » que celle d'une femme sans enfant – on se rendra facilement à l'évidence que cette thèse est indéfendable dans un État de droit. Il est rare que l'on s'exprime de la sorte dans les bulles académiques où se déroulent ces débats (cela arrive pourtant). De même, la

3 Cf. Schreiber (2007) : *Der Wert des Menschen im Nationalsozialismus*, dans : Exenberger/Nussbaumer (éd.): *Von Menschenhandel und Menschenpreisen*, Innsbruck, 83-107 (83) : « Il est clair en l'occurrence que la catégorisation raciste n'a pas été la seule à décider du destin de millions de personnes mais aussi des considérations d'utilité. Les personnes incapables de travailler et les personnes auxquelles on n'accordait de valeur économique, perdirent rapidement leur droit de vivre. »

revendication de limitations des prestations en fonction de l'âge fait scandale quand elle est exprimée en public. L'expérience a montré qu'en prônant une solution de ce genre pour des raisons d'économies, on est assuré de faire la une des journaux.⁴ Souvent pourtant, il n'est pas évident pour les profanes, ni même pour les politiques en charge des questions de santé, que des réflexions portant sur l'utilité pour la société influencent la réglementation de la répartition des moyens. Les jugements de valeur en question sont véhiculés implicitement par des termes techniques qui ne déclenchent aucun signal d'alarme intuitif en matière d'éthique. Il est vraiment nécessaire de connaître en détail la signification de ces concepts pour se rendre compte que leur application en politique de la santé est délicate.

Prenons l'exemple du terme « utilisation efficiente des moyens ». Ce terme sonne tout à fait bien. À tel point que l'ancien ministre de la Santé, dans le contexte de ses efforts pour maîtriser les dépenses de médicaments, peut se permettre de dire au journal télévisé qu'il considère que sa tâche est de faire en sorte que les cotisations des assurés soient utilisées de manière efficiente. Sans doute ne s'est-il pas souvenu à ce moment-là de la citation suivante émanant d'un manuel d'économie de la santé largement diffusé : « Si on veut appliquer strictement les critères d'une allocation efficiente parmi les personnes qui travaillent, on devra donner la préférence à celles qui ont les revenus les plus élevés. »⁵ Qu'on imagine cette phrase sortant de la bouche du ministre de la Santé au journal télévisé !

Revenons à cette citation. On retrouve la preuve publique que l'utilisation de l'évaluation du rapport coût-utilité comme instrument de pilotage a été ressentie comme délicate sur le plan politique dans une interview donnée par la ministre de la Santé qui était en fonction lorsque l'évaluation du rapport coût-utilité a été introduite dans le droit relatif au régime légal

4 Cf. le gros-titre de *BILD* : « Les vieux sont moins bien traités chez le médecin ! » du 14/12/2010, p. 1.

5 Greiner (2007) : *Die Berechnung von Kosten und Nutzen*, dans : Schöffski/Schulenburg (éd.) : *Gesundheitsökonomische Evaluationen*, Berlin et al., 49-63 (56).

de l'assurance maladie. Dans cette interview, la ministre avait été priée de commenter le discours de Jörg-Dietrich Hoppe sur la hiérarchisation. Elle commence par démentir, comme d'habitude, en déclarant qu'il n'y aurait pas de catalogue des priorités et d'ajouter : « Ce dont nous avons besoin, c'est avant tout d'une évaluation du coût et de l'utilité des nouveaux procédés diagnostiques et thérapeutiques. Il peut arriver que des prestations soient exclues, si elles ne sont aucunement utiles. »⁶

Il est vraisemblable que la plupart des lecteurs auront lu ce passage sans y accorder d'attention particulière. Il n'a pas l'air dramatique. En fait, même un novice en la matière peut s'apercevoir que quelque chose cloche. Pourquoi a-t-on besoin d'une évaluation des prestations de santé en fonction de leur *coût* et de leur utilité, si l'on veut seulement exclure des prestations qui ne servent à rien ? Évaluer l'utilité suffirait. La suite logique de la première phrase aurait dû être : il peut arriver que des prestations soient exclues si le rapport coût-utilité est mauvais ou, en d'autres termes, si elles sont très chères par rapport à leur utilité. Il est vraisemblable que la ministre ne voulait pas s'exprimer si clairement. En effet, il aurait alors été évident que cet instrument de pilotage permet aussi de limiter le remboursement de prestations utiles.

Il est compréhensible que l'on ait craint de communiquer cette conséquence en toute franchise. Cela montre à quel point ces questions sont délicates. L'évaluation du rapport coût-utilité instaurée en 2007, et qui a été suivie d'un plafonnement des prix, a été conçue comme un instrument de régulation destiné à combattre les charges financières induites par les innovations « en petite doses ». Il s'agit de médicaments dont la mise sur le marché vient d'être autorisée, mais qui n'apportent souvent qu'un faible gain de santé par rapport à des médicaments déjà établis, la plupart du temps beaucoup moins chers. Ces médicaments sont souvent prescrits et remboursés aux prix fixés

6 Interview d'Ulla Schmidt publié dans le *Frankfurter Allgemeinen Zeitung* du 18/5/2009, p. 13 (« *Ich will 25 Milliarden Euro für die Gesundheit* »).

par le laboratoire pharmaceutique, car ce sont des remèdes utiles à la santé, même s'ils le sont faiblement. Personne au sein du système du régime social d'assurance maladie ne souhaite prendre soi-même la responsabilité de concrétiser la notion primordiale en droit social de prestation « nécessaire » d'une façon plus restrictive que l'« utilité médicale ».7 Il y a déjà des résistances lorsque les innovations sont plutôt du domaine du confort, comme la modification de la forme galénique ou de la fréquence de prise, sans parler de l'amélioration des points terminaux relativement fiables. À partir de quand, par exemple, a-t-on le droit de classer un médicament qui, en comparaison avec la thérapie établie, a pour effet d'améliorer légèrement la durée moyenne de survie d'un patient cancéreux, en tant que prestation « non nécessaire » et à ce titre non remboursable au sens du Code de la sécurité sociale ? À partir de moins d'un mois ? De quinze jours ? Ou pas du tout ?8

À première vue, cette question n'a pas de lien avec les catégories d'utilité sociétale. Revenons sur les raisons qui font pourtant craindre de donner des réponses concrètes en politique de la santé. Le dilemme est bien clair : on ne voulait pas payer perpétuellement des prix de plus en plus élevés pour des utilités supplémentaires de plus en plus réduites. On ne voulait pas non plus défendre une politique d'économies qui commence par limiter systématiquement les prescriptions des prestataires par une définition officielle du « non nécessaire ». C'est de cette manière qu'on a abouti à l'introduction de l'évaluation du rapport coût-utilité.

7 Les informations juridiques concernant la notion de nécessité se référant habituellement à des synonymes ayant un sens aussi vague, sont tout aussi improductives (cf. p. 29).

8 La référence inévitable à la survie « moyenne » gagnée dans les comparaisons d'utilité [fondée sur des faits] complique encore la question. Si les durées de survie individuelles des patients traités varient plus largement par rapport au traitement standard, il y a des patients qui pourraient gagner beaucoup plus grâce à la nouvelle thérapie que le gain de survie calculé en moyenne. Comme, en général, on ne sait pas auparavant de quels patients il s'agit, une nouvelle question se pose : à quel niveau la probabilité d'un gain de survie plus important doit-il descendre pour que la prestation puisse être classée comme n'étant « pas nécessaire » ?

Il est donc exact que l'évaluation du rapport coût-utilité, comme le souligne le vote principal, n'était prévu initialement que comme un « instrument de régulation des prix » et non comme un instrument de hiérarchisation. Mais qui serait le bouc émissaire ? Qui endossera la responsabilité de ces jugements de valeur délicats ? Le jeu n'en était pas terminé pour autant. La tâche a été transférée à une instance subordonnée, l'IQWiG, un institut scientifique. C'était donc dorénavant à lui qu'il incombaît de répondre à la question de savoir quel prix « valait » une utilité supplémentaire précise. De plus, il devait y répondre en se basant sur les normes reconnues de l'économie de la santé qui, dans d'autres pays, servent bien à établir des priorités.

Le chapitre suivant montrera, à l'exemple de deux points de discordance qui alimentent avec ténacité le débat sur les méthodes, que le fait que l'IQWiG se soit distancé des normes de l'économie de la santé s'explique essentiellement par l'intention d'éviter ces jugements de valeur qu'exigeait en fait la tâche qui lui a été confiée par cette loi.

3 La controverse autour de l'IQWiG

3.1 La perspective des coûts

Revenons sur la citation extraite du manuel d'économie de la santé : « Si on veut appliquer strictement les critères d'une allocation efficace parmi les personnes qui travaillent, on devra donner la préférence à celles qui ont les revenus les plus élevés. » Ce passage se trouve dans une section dédiée au coût des prestations de santé. La référence au revenu est induite par l'habitude qu'on a, dans les calculs des coûts, de prendre en compte les pertes de productivité, les coûts dits « indirects ». Plus vite et plus complètement on guérit les patients, plus la perte de leur travail pour l'économie nationale sera réduite, à condition qu'ils aient eu du travail ou, plus exactement, qu'ils aient tiré un revenu de leur travail, c'est-à-dire un travail dont

la valeur est prouvée par la rémunération que l'on est prête à payer. Pour les personnes sans productivité prouvée de cette manière (le texte mentionne en l'occurrence concrètement les chômeurs, les retraités et les femmes au foyer), ces coûts n'entrent pas en ligne de compte en cas de maladie. C'est pourquoi à conditions par ailleurs égales, il ne serait pas rentable de leur accorder le même rang de priorité pour recevoir des soins.

Après le passage cité, l'auteur mentionne la nature délicate de tels calculs. Il écrit : « Cet avantage découlant du statut individuel ou de la situation de revenus relative est difficilement compatible avec le principe selon lequel chaque citoyen accède de manière égale aux prestations de santé, postulat de la politique de la santé. »⁹ La question demeure : quels sont donc ces critères, dont l'application rigoureuse en cas de ressources médicales limitées exige que l'on tienne compte de la valeur que possède la guérison d'un patient pour d'autres personnes ? Cela repose sur l'idée que les coûts en pertes de production pour cause de maladie existent véritablement. La société doit effectivement en supporter la charge. Poursuivons le raisonnement : il devrait donc être a priori tout aussi légitime de les intégrer qu'il est légitime d'intégrer les coûts directs. Les évaluations du rapport coût-utilité aspirent à utiliser les moyens de manière efficiente. Si on ne considère pas les coûts qui se produisent effectivement, le résultat ne sera pas efficient.

Que répondre ? Qu'est-ce qui pourrait raisonnablement inciter une instance publique à prendre en compte certains coûts et pas d'autres ? Selon l'avis défendu ici, il n'est pas difficile de se prononcer sur cette question. Ce sont tout simplement les objectifs de l'organisme en question, de l'organisme dont le budget à répartir est en jeu. On peut toutefois avoir des avis différents sur les objectifs des caisses d'assurance maladie de régime légal. La controverse autour de l'IQWiG le prouve : l'un

9 Greiner 2007, 56 (cf. note n° 5). Le texte suivant ne précise pas si l'auteur partage ce postulat. Il est actuellement membre du *Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen* (Comité d'experts chargé d'évaluer la situation et les perspectives du système de santé).

des points de discordance était la nature des coûts à prendre en considération. L'un des experts économiques justifiait le choix de la perspective élargie qui englobe les pertes de production, en soulignant que les caisses seraient « [...] en tant que collectivités de droit public, tenues à une mission de service public, public signifiant devant respecter les intérêts de la société [...] ». »¹⁰ En d'autres termes, les caisses seraient tenues de ne pas perdre de vue l'efficacité pour l'ensemble de la société lors de la répartition des fonds. Le ministère fédéral de la Santé, tout comme l'IQWiG, avait une opinion différente. Prié de formuler un avis, il a fait savoir : « La tâche des caisses d'assurance maladie de régime légal [...] est de mettre des prestations médicales à la disposition de leurs assurés et non pas de financer une utilité pour l'ensemble de la société (article 1 du SGB V). »¹¹

On pourra s'étonner que ces points aient dû être formellement clarifiés par le ministère. En réalité, la faute revenait au législateur. Il avait statué que les normes de l'économie de la santé reconnues par les spécialistes devaient servir de base à l'élaboration des méthodes d'évaluation du rapport coût-utilité. Les spécialistes ont trouvé, ce qui est compréhensible, qu'on devait alors aussi demander leur avis. Leur verdict (correct) a été qu'en économie de la santé, il était habituel d'intégrer les pertes de productivité dans les calculs.

Cet exemple montre qu'il serait bon de vérifier si les jugements de valeur inclus dans les normes économiques spécialisées respectent bien le droit, avant d'imposer aux instances de la santé publique qu'on se base sur elles. Demandons-nous pourquoi nous ne voulons pas que les caisses d'assurance maladie de régime légal remboursent les prestations médicales en fonction

10 Schulenburg (2007) : *Methoden zur Ermittlung von Kosten-Nutzen-Relationen für Arzneimittel in Deutschland*, online sur Internet : <http://www.glaxosmithkline.de/docs-pdf/patienten/PB705/08.2-Gutachten-Kosten-Nutzen-VFA.pdf> [1/12/2010], p. 26.

11 Avis du ministère fédéral de la Santé sur la méthodologie de l'évaluation du rapport coût-utilité de médicaments du 6/8/2008. Ce document n'était plus disponible sur le site de ce ministère au moment de l'impression de la présente publication.

du revenu de l'assuré. La réponse qui s'impose est que nous voulons que les patients soient soignés parce que c'est bon pour leur santé et non parce que leur santé est bonne pour la société. Une patiente sans enfant ne devrait pas être plus mal soignée que la mère de quatre enfants, de même une personne gagnant peu doit être aussi bien soignée qu'une personne qui gagne beaucoup d'argent. C'est ce que signifie, entre autres, le postulat d'« accès égal » aux prestations du régime légal de l'assurance maladie.

Dans cette mesure, le vote principal reprend le bon principe dans ses recommandations : « La « valeur » socio-économique calculée ou supposée d'un individu ou d'un groupe *ne doit pas* présider aux décisions de répartition » (p. 97). Ce principe en tant que tel n'a pourtant pas été contesté dans le débat public. Il aurait été intéressant de dévoiler les concepts des scientifiques qui prônent effectivement le contraire. Le vote principal aborde les questions de prise en compte des coûts, mais sans accorder d'attention à l'importance éthique fondamentale du point contesté (chapitre 3.2).

3.2 La « valeur » d'une utilité supplémentaire

Comme le relate le vote principal, l'IQWiG a opté pour une méthode d'évaluation qui permet de répondre à la question du prix de l'utilité supplémentaire d'une innovation pharmaceutique au moyen d'un critère lié à l'indication thérapeutique donnée (chapitre 3.3.2). Il s'écarte ainsi de la méthode acceptée, comme le montrent les nombreux commentaires critiques émis dans les avis, notamment dans les avis des comités et des sociétés spécialisés dans l'économie de la santé.¹²

Le vote principal donne à entendre que l'IQWiG serait obligé aux termes de l'article 35b du SGB V de procéder à « l'évaluation

12 La procédure de commentaires sur le premier projet de méthode est consultable à l'adresse : <http://www.iqwig.de/index.805.html> [1/12/2010], celle sur le deuxième projet à l'adresse : <http://www.iqwig.de/kosten-nutzen-bewertung.736.html> [1/12/2010].

du rapport coût-utilité pour un domaine d'indication thérapeutique précis » (p. 48). En fait, le texte de loi stipule uniquement que l'utilité et le coût devaient être comparés pour une même indication. Il faut, en d'autres termes, évaluer l'utilité *supplémentaire* et les frais *supplémentaires* d'un médicament par rapport à une thérapie établie. Quant au critère de la « rentabilité », c'est-à-dire le rapport entre les coûts supplémentaires et l'utilité supplémentaire qui détermine si le remboursement de ces coûts peut être conseillé ou non, la loi ne le précise pas. Elle stipule uniquement que l'IQWiG doit tenir compte du « caractère approprié et acceptable » de la prise en charge. C'est l'IQWiG qui interprète la loi en estimant qu'il est approprié de s'en tenir au rapport coût-efficacité existant pour l'indication en question.¹³

Si l'institut s'en était tenu aux dispositions du texte de loi, en l'occurrence aux normes de l'économie de la santé, en suivant les informations fournies majoritairement par les spécialistes, il aurait dû proposer un seuil valable pour toutes les indications et le motiver autant que possible par des analyses de la disposition à payer. C'est d'ailleurs ce que lui a conseillé son Conseil scientifique : « Pour pouvoir évaluer les rapports coût-utilité et émettre une recommandation de plafond de remboursement, on aura besoin d'un critère externe de comparaison. Un tel critère externe se réfère finalement à la disposition à payer. On déterminera donc de préférence la disposition à payer de la population. Si ce n'est pas possible, on enquêtera sur la disposition à payer des décideurs. »¹⁴

L'IQWiG a remarqué l'absurdité de la proposition d'enquêter sur la disposition à payer *concrète* respective du décideur auquel la recommandation à formuler est justement

13 Cf. Appréciation de la recommandation du Conseil scientifique de l'IQWiG du projet, version 1.1, en ligne sur Internet : http://www.iqwig.de/download/09-03-18_Wuerdigung_der_Empfehlung_des_Wissenschaftlichen_Beirats.pdf [1/12/2010], p. 2 : On « opérationnalise des notions juridiques imprécises du SGB V, par exemple, l'adéquation dans le contexte de la méthodique proposée [...] ».

14 Ibid., p. 3. Le document cité reproduit un synopsis des recommandations du Conseil scientifique et leur évaluation par l'IQWiG.

censée s'adresser. Sur ce point des recommandations du Conseil consultatif, il a répondu : « La disposition à payer du décideur se reflètera dans la fixation du plafond. »¹⁵ La recommandation du Conseil consultatif n'a de sens que si on l'interprète comme si on avait pensé enquêter sur la disposition à payer pour une unité abstraite de santé (un QALY, par exemple). En disposant d'une telle donnée, l'IQWiG aurait pu calculer des recommandations concrètes de plafonnement au moyen des QALY supplémentaires pouvant être attendus. Cette proposition suppose cependant qu'il existe chez le décideur une disposition à payer abstraite, indépendante du contexte, pour une unité de santé et que sa disposition concrète à payer un nouveau médicament dépend de la quantité d'unités supplémentaires que l'on peut attendre. L'IQWiG a refusé cette hypothèse en supposant, à juste titre, qu'il ne s'agissait pas d'un raisonnement scientifique.

Les réflexions consignées dans les ouvrages critiques de référence mettent en lumière quelques-unes des conséquences problématiques qui résulteraient d'une orientation systématique sur la maximalisation du QALY. Elles sont évoquées dans le vote principal, dans le contexte de la discussion autour « du QALY » (chapitre 5.2.2).¹⁶ Le vote principal note à juste titre que l'alternative proposée par l'IQWiG – l'orientation sur le statu quo du rapport coût-effectivité dans le domaine d'indication

15 Ibid.

16 Le vote principal ne précise pas, en l'occurrence, si les problèmes qui en résultent peuvent être éventuellement compensés par une pondération du QALY. À propos de cette controverse scientifique au résultat négatif, Lübke (2010) : *Measures of benefit, social values and claims: (How) Can the current health economic evaluation paradigms be amended to meet fairness objectives?* (Présentation à l'atelier du projet SwissHTA Value and Valuation of Health Technologies, le 6/11/2010 à Kartause Ittingen), online sur Internet : <http://www.swisshta.ch/index.php?id=51> ainsi qu'avec de nombreuses références bibliographiques, Klonschinski/Lübke (2011) : *QALYs und Gerechtigkeit : Ansätze und Probleme einer gesundheitsökonomischen Lösung der Fairnessproblematik*, dans : *Das Gesundheitswesen* (en cours d'impression). Dans le présent contexte, on retiendra uniquement que les méthodes de valorisation pondératrices et maximisantes sont conçues explicitement pour maximaliser la « valeur sociale » (*social value*) des résultats de la répartition. On voudra bien se reporter plus bas, au chapitre 4 ci-après, pour ce qui concerne la dangerosité de ce type de conceptualisation des décisions en question.

respectif – ne peut pas non plus prétendre être plausible. Étant donné que l'IQWiG était néanmoins tenu par la loi d'étayer ses recommandations de décisions par des analyses du rapport coût-utilité, il a choisi, en se référant au statu quo, la solution qui lui permettait de refuser le plus facilement la présentation d'un concept explicite, configurant activement les rapports de répartition. Il supposait, à juste titre, qu'il n'était pas l'instance adéquate pour ce genre de tâche.

L'instrument de fixation du prix plafond, sur la base duquel l'évaluation du rapport coût-utilité a été instaurée, a été remplacé entre-temps par une négociation, comme le mentionne le vote principal (chapitre 4.4). Le but est d'éviter que le prix remboursé ne soit inférieur au prix de vente réel. Tant que ce sera le cas, il ne faudra pas s'attendre à des limitations des prestations basées sur des analyses de la relation coût-utilité.¹⁷ Pendant cette réorientation de la loi, il n'y a pas eu de débat sur le statut normatif des évaluations du rapport coût-utilité, pas plus que la politique sanitaire ne s'est distancée de cet instrument de pilotage. Le vote principal a donc raison de supposer qu'à l'avenir, on continuera à recourir à ce concept justifiant les limitations de prestations, d'autant plus que la pression des coûts va se durcir (p. 59 f.).

Dans le chapitre suivant, nous nous demanderons comment orienter le débat pour que les questions soulevées aient une chance d'être traitées ouvertement dans l'espace public et politique. Nous estimons qu'il ne suffit pas de clarifier que l'utilitarisme implicite contenu dans les concepts dominants des spécialistes de l'économie a des conséquences indéfendables et que la politique doit reprendre la responsabilité des

17 Dans cette mesure, finalement, il n'est pas important de savoir quel rôle concret les analyses du rapport coût-utilité joueront dans les négociations avec les laboratoires ou, le cas échéant, en tant que base de jugement arbitral (cf. p. 59). Par contre, il est intéressant de savoir, d'une part, dans quelle mesure le refus politique de risquer un fossé entre les prix exigés et les prix remboursés et le cas échéant de les défendre devant les citoyens, influencera les positions des négociateurs, et, d'autre part, si l'« obligation de contracter » (cf. p. 55) liée à la solution de l'arbitrage résistera, dans le cas où le litige serait porté devant les instances judiciaires suprêmes.

jugements de valeur. Il faut aussi déterminer comment on arrivera à discuter en public de la limitation des prestations, sans devoir avoir à juger si soigner certains groupes de personnes « ne vaut pas son prix » au regard de la société.

4 Valeurs, prix, droits

Après ce qui vient d'être dit, on peut avoir l'impression qu'il n'est pas possible de limiter des prestations en fonction des coûts et de l'utilité sans disposer de jugements qui détermineraient la valeur d'une utilité thérapeutique. Le vote principal ne dit pas clairement si de tels jugements sont nécessaires et éthiquement acceptables. Au chapitre 5.2.3, on y refuse fondamentalement d'assujettir « la vie de patientes et de patients concrets » à « une « évaluation » quantitative » (p. 70). Par contre, il est dit au chapitre 6.1.1 que la décision d'appliquer un traitement ne revient pas à juger « la valeur ou la non-valeur de la personne non traitée, mais à une évaluation de la méthode de traitement en question » (p. 79).

Si ceci était une alternative évidente, les choses seraient simples. Les représentants de la méthode des QALY pourraient également s'y référer.¹⁸ Le problème est que ce n'est pas

18 Insinuer que la méthode du QALY est destinée à évaluer des vies humaines « concrètes » est généralement considéré comme polémique et réfuté.

On rétorque que cette méthode sert à évaluer des prestations de santé au niveau du programme, c'est-à-dire au niveau de la fixation du catalogue de prestations. Cf. entre autres Schöffski/Greiner (2007) : *Das QALY-Konzept als prominentester Vertreter der Kosten-Nutzwert-Analyse*, dans : Schöffski/Schulenburg (éd.) : *Gesundheitsökonomische Evaluationen*, Berlin et al., 95-137 (103) : « Bien que dans les exemples, on ait toujours parlé d'un seul patient pour rendre les choses plus claires, les courbes représentées doivent toujours être considérées comme des valeurs moyennes d'un grand nombre de patients souffrant de la même pathologie. Le concept du QALY n'est donc pas conçu pour être utilisé au niveau de la relation médecin-patient (« Regardez donc vos QALY, vous comprendrez que l'on ne peut pas vous accorder cette prestation ! ») [...] En règle générale, la méthode du QALY est censée traiter la question de savoir si une technologie ou un procédé sera intégré dans le système de santé et non pas si un patient donné y aura droit ou pas. »

une véritable alternative, parce que la valeur des méthodes de traitement dans ce débat est comprise comme étant une fonction de la valeur des effets qu'elle produit. Plus l'effet sur la santé est positif, plus la méthode de traitement mérite d'être remboursée. Le type et la portée des effets très probables sur la santé ne dépendent pourtant pas seulement des propriétés de la méthode de traitement. Ils dépendent aussi des caractéristiques des patients¹⁹, dont certaines peuvent être aisément thématiques au niveau du programme. Reprenons l'exemple tristement célèbre des prothèses de hanche :²⁰ un homme de quatre-vingts ans bénéficiera de l'avantage tiré de ce traitement encore pendant à peine huit ans, un homme de soixante-dix ans, en revanche, pendant presque quatorze ans (il s'agit des espérances de vie restantes de ces groupes d'âge). Et une personne plus jeune vivra ces années dans un meilleur état de santé. Si la valeur de la méthode de traitement est une fonction de la valeur de santé que le traitement a permis d'acquérir, il est recommandé, en cas de pénurie de moyens, de donner la priorité aux groupes de personnes jeunes et, en cas d'âges identiques, à la personne en meilleure santé. D'une manière générale, tous ceux qui souffrent d'une maladie pour laquelle il n'existe que des méthodes de traitement onéreuses par rapport à l'utilité qu'on en tire, devraient alors être relégués à un niveau de priorité inférieur, car ces méthodes de traitement « n'en valent pas la peine ». La valeur obtenue n'est pas suffisante en comparaison de la valeur qui résulte du financement de traitements présentant un meilleur rapport coût-efficacité.

Selon l'opinion défendue ici, de tels jugements sont inadmissibles. Ce n'est pas le fait que finalement on ne remboursera pas tout à tout le monde qui est inadmissible. C'est la

19 Un exemple simple en est l'importance des critères de groupe sanguin et de tissu pour juger des chances de réussite d'une transplantation.

20 Il s'agit d'un exemple célèbre depuis qu'en 2003 la déclaration de Philipp Mißfelder, un homme politique membre du parti CDU, avait été citée dans la presse : « Je ne crois pas qu'il soit bon qu'une personne de 85 ans reçoive une prothèse de la hanche aux frais de la communauté solidaire. »

façon dont cet avis voudrait se justifier qui est inadmissible. On insinue que les décisions des instances publiques d'exclure certaines prestations pourraient être justifiées par le fait que certaines prestations (utiles) « ne valent pas la peine » d'être financées. Les personnes concernées, comme on le sait, verront les choses d'un autre œil. Une personne atteinte d'un cancer, qui n'a pas encore capitulé devant la maladie, peut ressentir l'alternative entre remboursement et non-remboursement comme une alternative entre exister et ne pas exister. Une personne concernée ne peut pas comprendre qu'un jugement officiel conclut que le tout dernier médicament « ne vaut pas » son prix. Ce jugement irritera d'ailleurs aussi les personnes non concernées, car il ne dit pas clairement *pour qui* le médicament aura une valeur moindre. Il est évident qu'un médicament contre le cancer n'a pas de valeur pour les personnes bien portantes (ou leurs familles). Il a de la valeur pour les malades (et leurs familles). Dès lors qu'une instance officielle constaterait qu'un médicament n'a pas de valeur suffisante, on serait automatiquement amené à en conclure que la société n'accorderait pas de valeur suffisante à la survie de la personne concernée.²¹

Les déclarations de ce genre sont confuses et dangereuses. Elles laissent entendre que les instances compétentes seraient chargées d'évaluer la *valeur* de la survie ou de la guérison de groupes de patients *au regard de la société*. Le risque de provoquer un tel malentendu à propos de décisions qui limitent les prestations est, selon l'opinion défendue ici, la raison pour laquelle le discours sur les limitations de prestations doit être un discours sur les droits et les exigences des assurés au lieu

21 Le film documentaire *The Price of Life* d'Adam Wishart présente également beaucoup d'intérêt quant à la décision du NICE à propos du Revlimid (Lénalidomide), un médicament utilisé pour combattre le myélome multiple, une forme de cancer du sang (BBC2, 17/6/2009). Le film donne aux familles et aux malades l'occasion de s'exprimer en détail et réfère aussi de la réunion décisive du comité compétent. Encore peu de temps avant d'avoir à se prononcer, les membres du comité sont effectivement en train de commencer à comprendre la nature du jugement de « valeur » qu'ils vont devoir prendre.

d'être un discours sur la valeur de méthodes thérapeutiques.²² Il n'existe pas de valeur quasi officielle pour une méthode thérapeutique médicalement utile, une valeur qui soit indépendante de l'état de santé concret du sujet à évaluer. Ce qui peut exister, ce sont des prix de remboursement fixés officiellement. Il peut en résulter une limitation des prestations pour les patients concernés, si une obligation de passer contrat n'est pas prévue ou pas imposable aux laboratoires pharmaceutiques. Si on défend publiquement de telles limitations, il n'est pas « politiquement » correct, ni d'ailleurs correct d'une manière générale, de dire que les prestations ne « vaudraient pas » leur prix vis-à-vis de la société. Il faut, en revanche, faire comprendre que vu la pénurie de moyens, il serait *injuste* d'accorder aux assurés un droit à ces prestations.

Ce changement de catégorie du discours n'est pas un changement de l'emballage rhétorique en vue de mieux vendre le produit. Une juste répartition des moyens se distinguerait d'une répartition visant à maximaliser l'utilité non seulement par ses raisons mais aussi par son résultat. Bien entendu, il peut y avoir de larges interférences. Nous estimons, en particulier, qu'il n'est pas exclu de classer à un rang de priorité inférieur les moyens qui ne sont susceptibles d'apporter qu'un tout petit gain de longévité ou de qualité de vie, même dans le cas de maladies graves.²³ Nous estimons pourtant que la manière

22 Cela vaut indépendamment du fait que l'intention politique de cette tournure d'expression dans le contexte de l'introduction de l'évaluation du rapport coût-utilité était de s'adresser aux laboratoires pharmaceutiques, non aux patients concernés. Il s'agissait de signaler aux laboratoires que les prix qu'ils exigeaient n'étaient plus acceptables pour les caisses d'assurance maladie.

23 Les concepts de répartition qui prévoient d'accorder une priorité stricte (lexicalement) au critère de gravité de la maladie prennent une force déclamatoire volontiers employée dans les discours publics, spécialement quand il est question de « protection de la vie ». C'est aussi sur cette force déclamatoire que repose l'avis enseigné en droit et reproduit (sans s'en distancer) dans le vote principal, selon lequel le patient a automatiquement droit à une prestation « dès lors que la privation de certains biens entraînerait la mort » (p. 80). Cette formulation ne fait pourtant pas penser spontanément à une thérapie dont la privation entraînerait la mort au bout de cinq mois au lieu de cinq mois et demi.

de justifier revêt une importance fondamentale, même si on aboutit au même résultat, *dès lors qu'on réussit à la communiquer clairement aux citoyens*. Personne ne doit avoir l'impression d'être exclu de la société, abandonné par elle ou dévalorisé, lorsqu'une prestation médicale ne lui est pas remboursée, parce que l'utilisation de fonds pour cette prestation serait injuste.²⁴

Se détourner du discours sur les « valeurs » au profit du discours sur les « droits » n'est pas non plus, selon l'opinion défendue ici, notamment destiné à qualifier certains droits à des prestations de santé comme étant induits par la constitution et à ce titre donc intouchables. Le vote principal y incite dans sa partie éthique, lorsqu'il oppose au concept maximisant l'utilité le concept en termes de « droits originaux » et mentionne à ce sujet « notamment les droits de l'homme » (p. 75). Le niveau concret des droits à des prestations que la loi peut concéder est tributaire des ressources, comme le souligne à juste titre le vote principal au chapitre 6 (p. 79). Il est donc fondamentalement juste et compréhensible que lorsque se pose la question de savoir quelles sont les prestations de santé à fournir dans *tous les cas* pour respecter la constitution, on évite « régulièrement les déclarations concrètes » (p. 78). Par contre, l'obligation de respecter l'égalité des assurés ne dépend pas des ressources disponibles. En définissant les droits que possèdent les affiliés à une caisse d'assurance maladie de régime légal en cas de pénurie de moyens, on concrétise *cette* obligation.

Dans le chapitre suivant, on commencera par montrer, à l'aide d'un exemple, que le refus de motivations utilitaristes concerne également les concepts qui se réfèrent au critère

24 « Peu importe à celui qui doit mourir, pour quelles raisons il doit mourir », ce bon mot est faux. Une personne atteinte d'une maladie de foie doit-elle mourir parce que la liste d'attente pour une transplantation a été manipulée en faveur de personnes disposées à payer un prix fort ou parce qu'il est interdit d'acheter des organes ? Normalement, cela n'est pas indifférent aussi au malade.

d'un rapport coût-efficacité qui est fondé sur l'utilitarisme, même s'ils le *combinent* à d'autres critères. Étant donné que ces concepts basés sur plusieurs critères sont souvent proposés et défendus, il en résulte un complément important aux recommandations du vote principal, au regard du discours et de la pratique à venir. Pour terminer, nous en tirerons des conclusions, dans la mesure où nous démarquons et critiquons la partie juridique du vote principal.

5 Coût-efficacité et hiérarchisation équitable

5.1 Le problème *ceteris paribus* (avec recommandation complémentaire)

L'un des rares organismes allemands (en dehors d'activités universitaires) à se pencher en détail sur la question de savoir quels critères pourraient présider à une répartition équitable des moyens limités de l'assurance maladie de régime légal a été la *Zentrale Ethikkommission bei der Bundesärztekammer* (ZEKO – Commission centrale d'éthique de l'ordre fédéral des médecins allemands).²⁵ Un débat sur les passages déterminants des questions relatives à l'évaluation du rapport coût-utilité traité dans cette prise de position pourra servir de base argumentaire à la recommandation complémentaire présentée ensuite. Cette commission commence par distinguer les critères de forme²⁶ des critères de contenu pour la hiérarchisation. Parmi les critères se rapportant au contenu, les trois suivants seraient essentiellement décisifs [22] :

25 Avis de la ZEKO 2007 sur la hiérarchisation des prestations médicales au sein du système du régime légal d'assurance maladie, en ligne sur Internet : <http://www.zentrale-ethikkommission.de/downloads/LangfassungPriorisierung.pdf> [1/12/2010]. Les numéros de page entre crochets dans le corps du texte suivant se réfèrent à cette publication en ligne.

26 Entre autres : transparence, légitimation démocratique des décisions ayant force obligatoire, protection juridique efficace.

- a) le besoin médical (degré de gravité et dangerosité de la pathologie, urgence de l'intervention),
- b) l'utilité médicale attendue,
- c) le rapport coût-efficacité.

La commission concrétise le premier critère par un modèle à plusieurs niveaux, qui distingue plusieurs degrés de besoin et prévoit un classement correspondant de la force des droits aux prestations. Il va du niveau 1 : « protection de la vie et protection contre de graves souffrances et douleurs » au niveau 4 : « amélioration et renforcement des fonctions corporelles ». Selon le texte de la commission, le deuxième critère est l'utilité attendue de l'application d'un traitement chez un patient individuel. La commission justifie son troisième critère en ces termes : « Le critère du rapport coût-efficacité est censé contribuer à réaliser, avec les ressources disponibles en quantité limitée, un effet aussi positif que possible sur la santé, que l'on mesurera au gain de durée de vie et de qualité de vie » [24 sq.]. On parle ici de l'effet agrégé, toutes personnes concernées confondues. Cela résulte de la phrase suivante : « Si des traitements thérapeutiques ayant un profil de faible utilité par rapport aux coûts ne sont pas effectués, les ressources ainsi libérées peuvent bénéficier à d'autres patients avec une plus grande utilité attendue. »

La référence à l'utilité agrégée plus élevée (utilité globale) est la justification utilitariste classique qui, sur ce point, apparaît ici comme l'une des notions d'un concept d'allocation équitable. À ce sujet, la commission retient que ce critère ne peut pas être le seul à intervenir, car « impossible à faire comprendre politiquement et non acceptable du point de vue éthique ». Il semblerait que la solution éthique appropriée soit de « combiner ces trois critères de hiérarchisation ».

Voyons comment cette commission concrétise l'utilisation du critère du rapport coût-efficacité. Elle refuse que ce critère joue un rôle déterminant sous forme de valeur plafond fixe. On exclut donc qu'à partir d'un certain seuil de rapport

coût-efficacité, d'une manière générale des thérapies ne soient plus financées. Cette commission ne propose pas non plus de seuils divers de rapport coût-efficacité correspondant aux divers niveaux de besoin. Voici ce qu'elle finit par suggérer : « La charge de l'argumentation éthique en faveur de la mise en œuvre d'une thérapie médicale augmente au fur et à mesure que le rapport coût-efficacité se dégrade. » [26]. Si on se réfère aux critères proposés par la commission elle-même, ce sont surtout les deux autres critères qui fournissent les raisons en faveur d'une mise en œuvre malgré un mauvais rapport coût-efficacité : une thérapie pourrait se voir accorder la priorité malgré son mauvais rapport coût-efficacité parce qu'elle présente une grande utilité médicale, ou parce qu'elle sera utilisée dans le cas d'une maladie grave, ou bien pour ces deux raisons.

Cette proposition aboutit à un modèle de pondération qui prescrit la prise en compte des trois critères pour décider de la priorité à accorder à une thérapie. Toutefois, s'il existe des différences entre deux thérapies au sein d'un critère et si les deux thérapies sont classées au même rang dans le cadre des deux autres critères, ce sont ces différences qui décideront automatiquement du choix de la thérapie prioritaire. Si deux thérapies concernent des pathologies de gravité similaire et apportent une utilité également similaire, on accordera la priorité à la thérapie présentant le meilleur rapport coût-efficacité. L'exemple des transplantations donné dans le vote principal (p. 72 sq.) relève cette structure.²⁷ En appliquant un concept de priorisation équitable qui combine les trois critères de la ZEKO, les doubles

27 Cf. Lübke (2009) : *Sollte sich das IQWiG auf indikationsübergreifende Kosten-Nutzen-Bewertungen mittels des QALY-Konzepts einlassen?*, dans : *Deutsche Medizinische Wochenschrift* 135 (12), 582-585 (584). Dans cet exemple, on met en parallèle les doubles transplantations (cœur et foie) qui sauvent la vie et des transplantations simples (cœur ou foie). Il s'agit d'un parallèle au niveau du programme, donc au niveau auquel les règles de répartition des greffons seront fixées. La faible ressource à laquelle se mesure le rapport coût-efficacité est constituée, dans notre exemple, par les greffons et non par le coût financier de cette intervention médicale.

transplantations devraient reculer dans la hiérarchie des priorités et les patients qui en ont besoin devraient être rayés des listes d'attente, étant donné que les organes à transplanter sont effectivement rares.²⁸

Ceci est le problème *ceteris paribus* – si l'on veut se rallier à l'opinion qu'une telle conséquence constitue un problème.²⁹ Selon l'opinion défendue ici, ce raisonnement logique montre que le critère du rapport coût-effectivité n'est pas adéquat pour entrer séparément, indépendamment d'autres qualifications, dans un concept de priorisation intégrant une pondération en fonction de critères multiples. En supposant que les autres conditions soient similaires (même degré de gravité, même utilité), le fait qu'une certaine manière A d'utiliser les moyens, toutes personnes confondues (« agrégées »), produit plus de santé qu'une autre manière B d'utiliser les moyens ne constitue pas une raison suffisante pour favoriser A. Pour pouvoir donner la priorité à A, il faut savoir, en outre, de quelle manière la relégation du groupe de patients qui auraient profité de B est compatible avec le principe fondamental de l'accès égal pour tous aux prestations de santé.³⁰

28 Cela vaut également pour un concept de priorité qui applique les critères en ordre lexical.

29 Le vote principal ne se prononce pas clairement sur ce point. Cf. le repli sur des procédures de décision transparentes et démocratiquement légitimées, étant donné que tout cela serait « finalement des décisions incorporant des jugements de valeurs » (p. 74). On ne sait pas non plus si on doit douter du sens de la différenciation entre les jugements portant sur des valeurs et des jugements portant sur des droits, qui est défendue d'une certaine manière auparavant dans le vote principal. Nous estimons qu'il est exact que l'on ne peut pas déduire d'exclusions concrètes de prestations à partir du savoir des experts (ni du savoir éthique ou juridique des experts). C'est pourquoi de tels « jugements de valeurs » (mieux : des jugements normatifs) requièrent une légitimation démocratique. Il demeure pourtant judicieux de défendre par des arguments l'adéquation ou la non-adéquation de certains concepts qui servent de base à la mission politique.

30 Déclaration analogue du juriste Huster, DVBl 2010, 1069 (1074) : « La maximisation de l'utilité ne peut pas [...] avoir de statut fondamental, mais seulement un statut déduit. » Les conséquences de cette thèse dépassent le refus d'une allocation de moyens *strictement* utilitariste comme le contient la recommandation 9 du vote principal, ainsi que cela a été montré plus haut.

Recommandation

Nous recommandons de ne pas utiliser le critère du rapport coût-efficacité à titre de composante indépendante d'un concept de hiérarchisation faisant appel à plusieurs critères en vue d'opérer une pondération.

5.2 Conclusion

À divers endroits du présent vote spécial, on s'est référé au concept de « l'égalité d'accès ». Il s'agit d'un concept complexe. Nous espérons que tout le monde sera d'accord sur le fait que cela ne peut pas signifier *seulement* que toutes les interventions figurant au catalogue des prestations sont disponibles pour tous les assurés en cas de besoin.³¹ Le concept doit aussi dire de quelle façon les assurés sont concernés par une *exclusion* du catalogue de certaines interventions : pareillement ou différemment ? Sinon, on pourrait, par exemple, exclure les thérapies particulièrement coûteuses, comme le traitement par facteurs de remplacement chez les hémophiles ou les perfusions chez les personnes souffrant de Morbus Fabry (grave maladie qui se caractérise par un manque congénital d'enzymes) et informer les malades qu'ils ne sont pas défavorisés puisqu'aucun autre assuré ne bénéficie de ces prestations.

Inversement, ce concept ne peut pas non plus signifier que l'on n'a pas le droit d'exclure des prestations utiles. Sinon, il ne pourrait pas convenir comme instruction pour allouer équitablement les moyens en situation de pénurie. Les obligations

31 Cf. p. 86 du vote principal : « Ainsi, un droit à la participation et à la perception de prestations découle de l'article 3, paragraphe 1 de la GG. En d'autres termes, si l'État propose des prestations, chacun doit alors pouvoir y accéder de la même manière (schéma « si..., alors... »). » Si c'était la seule chose qui ressorte de l'article 3, l'information citée plus haut (note n° 18) serait suffisante pour que le concept respecte l'article 3 de la GG. Il s'agit de l'information donnée par l'auteur du manuel d'enseignement de l'évaluation, selon laquelle le concept du QALY n'est conçu que pour définir le catalogue de prestations et non pour faire un choix parmi divers patients.

d'équité s'appliquent aussi en situation de pénurie de moyens et d'ailleurs surtout dans ce cas-là. Elles demandent donc à être concrétisées de sorte à pouvoir être respectées indépendamment de la situation des ressources.³² Il en va de même pour les droits et les exigences auxquelles peuvent prétendre les assurés. Ceux-ci doivent aussi être définis pour pouvoir être satisfaits avec les moyens existants. C'est pourquoi il n'existe pas, par exemple, de droit à recevoir un greffon pour survivre. C'est tout à fait indépendant du fait que refuser ce droit affecte le minimum vital médical. Comme cela a été dit plus haut, l'État providence est tributaire de ses ressources et les greffons sont rares. Le seul droit qui puisse exister est celui de ne pas être désavantagé par les règles de répartition des greffons.

Selon l'opinion défendue ici, c'est en premier lieu l'article 3 de la GG qui est donc déterminant pour l'évaluation des hiérarchisations conformément à la constitution. Il convient d'évaluer si le rapport coût-efficacité peut être admis comme critère de différenciation. La question est donc la référence au gain de santé obtenu globalement : représente-t-il une différence d'une telle « nature » et d'un tel « poids » qu'il justifie le traitement inégal d'un « groupe de destinataires d'une norme » par rapport à « d'autres destinataires de cette norme » (cf. p. 86 f.) ? Nous pensons que si l'on refuse systématiquement le principe de base utilitariste, il faut y répondre négativement.³³ Selon l'opinion défendue ici, il en va de même pour l'observation

32 Le vote spécial comme le vote principal discutent de la question des décisions équitables de hiérarchisation au sein du régime légal de l'assurance maladie, *pour le cas* où celles-ci deviendraient nécessaires. Ils ne discutent pas de la question de savoir quel est le montant des taux de cotisation ou des subventions fiscaux dont proviennent les fonds du régime légal de l'assurance maladie, qui est de mise, pas plus qu'ils ne discutent si la différence entre le régime légal de l'assurance et l'assurance privée est justifiée.

33 Selon l'opinion défendue ici, la thèse du vote juridique principal n'est donc pas correcte quand elle affirme que le législateur est autorisé fondamentalement aussi à la définition d'une hiérarchisation « sur la base de calculs du rapport coût-utilité, à condition de ne pas descendre au-dessous du minimum fixé par la loi fondamentale » (p. 85). Il ressort du contexte que par « minimum fixé », le vote principal n'entend pas les droits résultant de l'article 3 de la GG.

qu'une certaine façon d'utiliser les moyens respecte plus de droits qu'une autre.³⁴

Weyma Lübbe

34 Cf. le vote principal qui n'a rien à objecter contre le principe de la maximisation en ce qui concerne les positions du droit ; cf. p. 74 et 88 f. l'exemple issu de la médecine pratiquée sur les lieux de catastrophe. Nous estimons que l'admissibilité des priorités de sauvetage de certaines personnes ou de groupes de patients en situation de catastrophe ne repose pas sur le simple aspect du sauvetage d'un plus grand nombre de vies humaines, mais sur un argument faisant appel à la prudence de chacune des personnes impliquées. Un argument ayant cette structure est également, *de façon limitée*, applicable à la médecine au quotidien. Cf. Lübbe (2001) : *Veralltäglichung der Triage?*, dans : *Ethik in der Medizin* 13 (3), 148-160. Un débat approfondi sur ces limites serait décisif pour la concrétisation du concept de l'égalité d'accès pour tous et serait, pour cette raison, très souhaitable.

ABRÉVIATIONS

AM-NutzenV	<i>Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung</i> (règlement sur l'évaluation de l'utilité des médicaments)
AMG	<i>Arzneimittelgesetz</i> (loi sur les médicaments)
AMNOG	<i>Arzneimittelneuordnungsgesetz</i> (loi sur la réorganisation du marché pharmaceutique)
BDI	<i>Berufsverband Deutscher Internisten</i> (Association professionnelle des internistes allemandes)
BGBI.	<i>Bundesgesetzblatt</i> (Journal officiel fédéral)
BImSchG	<i>Bundes-Immissionsschutzgesetz</i> (loi relative à la protection contre les immissions)
BMG	<i>Bundesministerium für Gesundheit</i> (ministère fédéral de la Santé)
BSG	<i>Bundessozialgericht</i> (Cour fédérale du contentieux social)
BSGE	<i>Entscheidungen des Bundessozialgerichts</i> (décisions de la Cour fédérale du contentieux social)
BVerfG	<i>Bundesverfassungsgericht</i> (Cour constitutionnelle fédérale)
BVerfGE	<i>Entscheidungen des Bundesverfassungsgerichts</i> (décisions de la Cour constitutionnelle fédérale)
BVerfGG	<i>Bundesverfassungsgerichtsgesetz</i> (loi relative à la Cour constitutionnelle fédérale)
BVerwGE	<i>Entscheidungen des Bundesverwaltungsgerichts</i> (décisions de la Cour administrative fédérale)
DdV	Durée de vie
G-BA	<i>Gemeinsamer Bundesausschuss</i> (Comité fédéral commun)
GenDG	<i>Gendiagnostikgesetz</i> (loi relative aux diagnostics génétiques)
GG	<i>Grundgesetz</i> (loi fondamentale ; constitution allemande)
GKV	<i>Gesetzliche Krankenversicherung</i> (régime légal de l'assurance maladie)
GKV-WSG	<i>GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetz</i> (loi sur le renforcement de la concurrence entre les caisses du régime légal d'assurance maladie)
GMG	<i>GKV-Modernisierungsgesetz</i> (loi de modernisation du régime légal de l'assurance maladie)
ICER	<i>Incremental cost-effectiveness ratio</i> (ratio coût-efficacité)
IQWiG	<i>Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen</i> (Institut pour la qualité et la rentabilité du secteur de la santé)
NHS	<i>National Health Service</i>
NICE	<i>National Institute for Health and Clinical Excellence</i>
QALY	<i>Quality-adjusted life year</i> (années de vie gagnées ajustées sur la qualité de vie)
QdV	Qualité de vie
RVO	<i>Rechtsversicherungsordnung</i> (Code d'assurance sociale du Reich)
SGB	<i>Sozialgesetzbuch</i> (Code de la sécurité sociale)

SpiBu	<i>Spitzenverband Bund der Krankenkassen</i> (Confédération fédérale des caisses d'assurance maladie)
StZG	<i>Stammzellgesetz</i> (loi sur les cellules souches)
TFG	<i>Transfusionsgesetz</i> (loi sur les transfusions)
TPG	<i>Transplantationsgesetz</i> (loi sur la transplantation)
VerfO	<i>Verfahrensordnung</i> (règles de procédure)
vfa	<i>Verband Forschender Arzneimittelhersteller</i> (Association des entreprises pharmaceutiques pratiquant la recherche)
ZEKO	<i>Zentrale Ethikkommission bei der Bundesärztekammer</i> (Commission centrale d'éthique de l'ordre fédéral des médecins allemands)

GLOSSAIRE

Allocation	Attribution de ressources réduites/limitées (<i>alocare</i> [lat.] = placer)
Budgétisation sectorielle	Fixation des quantités de moyens pour les divers domaines (secteurs) de la santé.
Concept de la limite d'efficacité	Un concept proposé par l'IQWiG pour calculer le montant de remboursement d'un nouveau médicament par une mise à jour des rapports coût-utilité des médicaments disponibles jusqu'alors pour une indication donnée. De même que les montants fixes, le concept de la limite d'efficacité part donc des prix existants.
Études confirmatives	Études cliniques servant à confirmer ou à infirmer une hypothèse établie auparavant.
Évolution démographique-épidémiologique	Suite à l'allongement de l'espérance de vie et à un taux de natalité relativement faible, la part des personnes âgées dans l'ensemble de la population augmente. Il en résulte une augmentation des maladies chroniques qui apparaissent au fil de l'âge.
Financement solidaire	Les prestations et autres dépenses des caisses d'assurance maladie sont financées par les cotisations. À cet effet, les assurés et les employeurs versent des cotisations dépendantes de leurs revenus et indépendantes des risques, ce qui leur permet d'acquérir des droits à des prestations indépendamment de leurs cotisations.
Indication	La notion d'indication désigne la raison justifiant suffisamment du point de vue médical l'application d'une procédure donnée de diagnostic ou de thérapie.
Lois visant à freiner les coûts	Les lois visant à freiner les coûts, promulguées dans les années soixante-dix et quatre-vingt, avaient pour but de réguler l'utilisation des prestations de l'assurance maladie, entre autres par le biais de la participation des assurés et de budgétisations, déchargeant ainsi la situation financière des caisses d'assurance maladie de régime légal.
Morbidité	Taux de maladies non mortelles.
Mortalité	Taux de maladies mortelles par rapport à l'ensemble de la population.
Niveau macro	Le niveau macro englobe tous les domaines publics de la société.
Niveau méso	Le niveau méso englobe les différents domaines du système de santé.
Niveau micro	Le niveau micro correspond au traitement des patients individuels.
Paramètre de remplacement	Les points terminaux de remplacement sont en règle générale des marqueurs physiologiques ou biochimiques, que l'on mesure relativement rapidement et simplement, et auxquels on accorde une fonction de prédiction des points terminaux des patients. Pour obtenir des renseignements fiables sur l'efficacité d'un traitement, il faut qu'il existe

	<p>une relation causale étroite entre le paramètre de remplacement et le point final effectif. La relation causale de la plupart des paramètres de remplacement n'est pas prouvée, ce qui remet en question la valeur de la prédiction relative aux points terminaux cliniques.</p>
Points terminaux des patients	<p>Morbidité, mortalité, qualité de vie en rapport avec l'état de santé.</p>
Principe de la stabilité des cotisations	<p>Selon ce principe, les parties contractantes, côté caisses maladie et prestataires, doivent fixer des prix permettant d'exclure une augmentation des cotisations, à moins que le traitement médical nécessaire ne puisse pas être garanti même après épuisement des réserves de rentabilité.</p>
Principe du maximum	<p>En ce qui concerne l'exploitation de réserves de rentabilité, le principe du maximum signifie l'amélioration du résultat au moyen d'une quantité donnée de ressources.</p>
Principe du minimum	<p>En ce qui concerne l'exploitation de réserves de rentabilité, le principe du minimum signifie la réalisation d'un résultat défini en utilisant moins de ressources.</p>
Rapport coût-efficacité	<p>Le rapport coût-efficacité résulte des coûts par unité d'utilité, par exemple par QALY.</p>
Recherche sur le transfert	<p>L'objet de la recherche sur le transfert est la vérification de l'utilité dans des situations réelles à la différence des conditions d'études artificielles.</p>
Recherche sur les traitements	<p>L'objet de la recherche sur les traitements est le traitement sanitaire et, dans un sens plus strict, médical de notre population, sa planification, son organisation, sa réglementation, son évaluation et son optimisation.</p>
Utilité (thérapeutique)/dommage	<p>Dans sa note sur les méthodes, l'IQWiG définit la notion d'utilité thérapeutique comme le résultat positif de cause à effet d'une intervention médicale et entend par la notion de dommage le résultat négatif de cause à effet également généré par une intervention médicale, du point de vue des points terminaux biologiques du patient. Conformément à l'article 2, paragraphe 3 de l'AM-NutzenV, l'utilité d'un médicament est l'effet thérapeutique pour le patient, notamment l'amélioration de son état de santé, la réduction de la durée de la maladie, la prolongation de la survie, la diminution des effets secondaires ou une amélioration de la qualité de vie.</p>
Utilité supplémentaire	<p>Utilité venant s'ajouter à la thérapie comparée appropriée. Aux termes de l'article 2, paragraphe 4 de l'AM-NutzenV, l'utilité supplémentaire d'un médicament est un gain quantitatif ou qualitatif pour les patientes et les patients, tel qu'il est défini au paragraphe 3, par rapport à la thérapie comparée appropriée.</p>

Membres du Conseil d'éthique allemand

Prof. Dr. iur. Edzard Schmidt-Jortzig, ancien ministre fédéral (président)
Prof. Dr. med. Christiane Woopen (vice-présidente)
Prof. Dr. theol. Eberhard Schockenhoff (vice-président)
Prof. Dr. med. Axel W. Bauer
Prof. Dr. phil. Alfons Bora
Wolf-Michael Catenhusen, ancien secrétaire d'État
Prof. Dr. rer. nat. Stefanie Dimmeler
Prof. Dr. med. Frank Emmrich
Prof. Dr. phil. Dr. h. c. Volker Gerhardt
Hildegund Holzheid, ancienne présidente de la Cour constitutionnelle bavaroise et du Tribunal régional supérieur de Munich
Prof. Dr. theol. Dr. h. c. Wolfgang Huber, ancien évêque
Prof. Dr. theol. Christoph Kähler, ancien évêque
Prof. Dr. rer. nat. Regine Kollek
Dr. theol. Dr. rer. pol. Anton Losinger, évêque auxiliaire
Prof. Dr. phil. Weyma Lübbe
Prof. Dr. med. Dr. phil. Dr. theol. h. c. Eckhard Nagel
Dr. phil. Peter Radtke
Prof. Dr. med. Jens Reich
Ulrike Riedel, avocate, ancienne secrétaire d'État du Land de Saxe-Anhalt
Dr. iur. Dr. h. c. Jürgen Schmude, ancien ministre fédéral
Prof. Dr. iur. Dres. h. c. Spiros Simitis
Prof. Dr. iur. Jochen Taupitz
Dr. h. c. Erwin Teufel, ancien ministre-président du Land de Bade-Wurtemberg
Prof. Dr. rer. nat. Heike Walles
Kristiane Weber-Hassemer, ancienne secrétaire d'État du Land de Hesse
Dipl.-Psych. Dr. phil. Michael Wunder

Secrétariat

Dr. rer. nat. Joachim Vetter (directeur)
Dr. theol. Katrin Bentele
Carola Böhm
Ulrike Florian
Petra Hohmann
Torsten Kulick
Dr. Nora Schultz
Theresia Sunadi