

Document d'information relatif à l'utilisation du off-label

Contexte

Il convient de faire une distinction importante entre l'utilisation du off-label pour des raisons médicales (lorsqu'il n'existe pas d'option reconnue) et pour des raisons économiques (lorsqu'il existe des options thérapeutiques reconnues, mais que d'autres options non reconnues, mais plus économiques peuvent être utilisées). L'Union européenne et le Luxembourg ont adopté un système d'homologation robuste et strict pour les médicaments dans le but de garantir le niveau le plus élevé de sécurité pour les patients. Toutefois, les organismes de santé¹ de certains pays européens ont commencé à promouvoir l'utilisation off-label² de certains médicaments alors que des médicaments déjà approuvés sont disponibles et contournant ainsi le cadre réglementaire rigoureux.

Analyse

Ce débat est assez polarisé. Il devrait se concentrer sur les situations dans lesquelles l'utilisation du off-label est appropriée et celles où elle ne l'est pas. Les tests rigoureux et exhaustifs, notamment plusieurs années d'essais cliniques, et les analyses complètes des bienfaits par rapport aux risques potentiels qui sont imposés pour obtenir l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament sont conçus pour garantir que seuls les médicaments à la fois sûrs et efficaces pour une indication particulière sont commercialisés dans l'UE. En ce qui concerne les médicaments biologiques, la procédure centralisée est obligatoire et donne lieu à une autorisation unique de mise sur le marché qui est valable dans tous les pays de l'Union européenne. Lorsqu'on compare les médicaments, l'intégralité des caractéristiques des produits (telles que décrites dans le résumé des caractéristiques du produit approuvé par l'EMA) doit être prise en compte. Dans de nombreux cas, les notices de développement et d'enregistrement sont complètement différentes, contenant souvent des descriptions distinctes et plus précises en matière d'efficacité et d'innocuité. De même, les modalités d'administration varient, avec une composition complète (à la fois qualitative et quantitative), un conditionnement et une administration différents.

¹ Dans le cadre du présent document, le terme *organismes de santé* désigne les administrations nationales de la santé, les organismes d'évaluation des technologies de santé/d'efficacité des coûts, les organismes d'assurances sociales et autres organismes officiels, à l'exclusion des autorités réglementaires.

² Le terme *utilisation off-label* dans le cadre du présent document désigne toute utilisation d'un produit médical autorisé non couverte par les modalités de l'autorisation de mise sur le marché, y compris l'utilisation du produit pour une indication différente, à une dose différente ou dans un groupe de patients non spécifié dans le résumé des caractéristiques du produit (SmPC).

D'un point de vue scientifique, l'utilisation du off-label peut apporter un soulagement dans un certain nombre de cas si les patients ne disposent pas actuellement d'options de traitement adéquates. Il serait simplement logique que, dans certaines circonstances, cette forme de traitement soit également remboursée par l'assurance maladie. Ces circonstances pourraient être les suivantes :

- 1) Prescription off-label par un médecin, en fonction d'une évaluation professionnelle et sous la supervision du médecin traitant du patient. Le médecin doit être en mesure d'adresser une demande motivée et fondée auprès de la CNS (Caisse nationale de Santé) afin d'obtenir un remboursement pour son patient.
- 2) Utilisation du off-label à plus grande échelle, dans le cadre d'un programme de besoin non satisfait, en l'absence d'indication enregistrée pour le traitement.

La considération des aspects financiers de la part des organismes de santé nationaux ne doit pas compromettre la sécurité des patients ni enfreindre la législation de l'UE. L'utilisation du off-label pour des raisons purement économiques est inacceptable. Elle enfreint le cadre réglementaire européen, risque de compromettre la sécurité du patient et crée une incertitude juridique en ce qui concerne la responsabilité du produit. En outre, la promotion de l'utilisation du off-label pour des raisons économiques de la part des organismes de santé décourage le développement de nouveaux médicaments ou de nouvelles indications et dissuade l'innovation. Seul un besoin médical non satisfait peut justifier le contournement des circonstances contrôlées d'une homologation.

Motivation

Ce débat ignore la raison absolue pour laquelle un médicament doit satisfaire les exigences d'homologation les plus strictes. Cela remonte assez loin dans le passé, mais l'énorme scandale provoqué par la Thalidomide à la fin des années 1950 et au début des années 1960 nous a appris l'importance de soumettre tout médicament à des exigences d'homologation strictes avant d'autoriser son administration à certains groupes de patients ou pour certaines indications. Il n'est pas question de revenir sur cette décision (tolérance zéro, sauf en cas de besoin non satisfait). Commencer à utiliser un médicament non testé peut aboutir à un résultat catastrophique. Le cas ci-dessus fut la base du renforcement de la législation concernant les médicaments qui est toujours en vigueur aujourd'hui.

En outre, le prix des médicaments au Luxembourg dépend directement des prix appliqués à l'étranger qui pour leur part sont dans la vaste majorité des cas le résultat de débats au sein d'un comité de tarification indépendant, en fonction d'un dossier bien étayé soumis par la société.