



# Fiche d'information

---

Date :

15 octobre 2014

---

## Médicaments orphelins (Orphan Drugs)

Les médicaments orphelins sont destinés au traitement de maladies rares (touchant moins de cinq personnes sur 10 000). Les coûts du développement et de la mise sur le marché d'un médicament destiné à traiter ces maladies sont les mêmes que pour un autre médicament et il est difficile de les amortiser par les ventes escomptées du produit.

### Statut de médicament orphelin

En Suisse, le statut de médicament orphelin, octroyé sur demande par Swissmedic, donne droit à certains avantages (Art. 4 et ss OASMéd). La loi sur les produits thérapeutiques (LPT<sub>h</sub>) et ses ordonnances prévoient une autorisation simplifiée de mise sur le marché pour ce type de médicaments. De plus, le droit suisse prévoit une réduction ou décharge des émoluments pour les demandes d'autorisation de mise sur le marché de ces médicaments (Art. 65, al 6 LPT<sub>h</sub>, Art. 6, al 1 OEPT), la possibilité d'un support scientifique de la part de Swissmedic (Art. 25 OASMéd), ainsi qu'un allègement de la documentation scientifique requise lors du dépôt de la demande d'autorisation (Art. 26 OASMéd).

De plus, certaines dispositions de la Loi sur les produits thérapeutiques (LPT<sub>h</sub>) permettent d'améliorer l'approvisionnement en médicaments orphelins qui ne sont pas autorisés en Suisse: par exemple, les médicaments contre des maladies mortelles (en partie des médicaments orphelins) peuvent faire l'objet d'une autorisation exceptionnelle pour une durée limitée, pour autant que celle-ci soit compatible avec la protection de la santé, qu'une grande utilité thérapeutique en soit attendue et qu'il n'existe pas de médicament équivalent (Art. 9 al. 4 LPT<sub>h</sub>).

Dans le cadre de la deuxième étape de la révision de la loi sur les produits thérapeutiques (LPT<sub>h</sub>), dont délibère actuellement le Parlement, le Conseil fédéral propose des mesures incitatives pour le développement des médicaments à usage pédiatrique importants contre des maladies rares. En outre, les Chambres fédérales examinent dans ce contexte l'opportunité d'introduire des mesures incitatives visant à améliorer le développement et l'approvisionnement de tous les médicaments destinés à soigner des maladies rares en général, telles que l'exclusivité commerciale.

### Remboursement

Environ 70% des médicaments orphelins autorisés par Swissmedic sont remboursés par l'assurance obligatoire des soins. Une prise en charge exceptionnelle est également possible pour des médicaments qui ne figurent pas sur la liste, s'ils remplissent les critères fixés depuis mars 2011 dans les articles 71a et 71b de l'Ordonnance sur l'assurance maladie (OAMal) conformément à la jurisprudence établie de longue date par le Tribunal fédéral. L'OFSP a fait procéder à une évaluation par un institut indépendant de l'application par les assureurs de ces deux articles.

#### Informations complémentaires :

Office fédéral de la santé publique, division Communication et Campagnes, section Communication, [media@bag.admin.ch](mailto:media@bag.admin.ch)  
[www.bag.admin.ch](http://www.bag.admin.ch)  
Cette publication est également disponible en allemand et en italien.

Les résultats (<http://www.bag.admin.ch/aktuell/00718/01220/index.html?lang=fr&msg-id=52175>) montrent que ces dispositions ont permis jusqu'à un certain point une unification des procédures auprès des assureurs et des médecins-conseils et une prise de décision plus rapide. L'évaluation a toutefois aussi montré que des améliorations restent nécessaires dans plusieurs domaines. Par exemple il manque parfois des informations essentielles dans les demandes de prise en charge soumises par les médecins traitants, ce qui retarde le processus. La réglementation actuelle en matière de remboursement pose également des difficultés aux assureurs-maladie. En raison des réticences des fabricants à abaisser le prix de certains médicaments, il existe probablement encore un potentiel d'épargne supplémentaire. Le concept maladies rares prévoit que l'OFSP examine comment améliorer la collaboration entre médecins traitants, médecins-conseil et assurances et comment améliorer la prise en charge de certains médicaments.

**Informations complémentaires :**

Office fédéral de la santé publique, division Communication et Campagnes, section Communication, [media@bag.admin.ch](mailto:media@bag.admin.ch)

[www.bag.admin.ch](http://www.bag.admin.ch)

Cette publication est également disponible en allemand et en italien.