

# Le cas de la petite Pia relance le débat sur le prix des médicaments innovants

2 millions d'euros pour Pia... et les autres ?

## Le médicament très cher de Pia et d'autres nouveau-nés va être remboursé



Cette publication a vu le jour grâce au soutien financier de l'Open Society Foundations

### Nous avons porté plainte

# Prix exorbitants

Le Zolgensma est remboursé depuis décembre. C'est un médicament horriblement cher, qui peut sauver chaque année la vie de plusieurs petits patients, comme celle de bébé Pia. Mais des prix exorbitants comme celui de ce médicament mettent sous pression notre système de santé. C'est pourquoi nous avons porté plainte auprès de l'Autorité de la concurrence.

Birgit Janssen et Martine Van Hecke

**P**rès de 2 millions d'euros. C'est le montant réclamé par Novartis pour son médicament, le Zolgensma. Bien que ce soit là un exemple extrême, les autres firmes pharmaceutiques sont aussi de plus en plus nombreuses à pratiquer des prix vertigineux pour des médicaments. Il s'agit souvent de remèdes pour des maladies mortelles, pour lesquelles il n'existe pas, ou peu d'autres

solutions valables. Non seulement les firmes concernées abusent ainsi de leur position de monopole – ce qui est illégal – mais encore elles hypothèquent tout le système de soins de santé. Car il y a beaucoup d'autres Pia. Et ces montants colossaux peuvent empêcher le remboursement d'autres médicaments prometteurs. Des mesures structurelles s'imposent dès lors pour encadrer la fixation des prix. C'est ce que nous réclamons depuis des années. En portant plainte aujourd'hui contre Novartis, nous tirons une nouvelle fois le signal d'alarme.

### Médicament vital

Dans le cas présent, il s'agit d'un médicament contre l'amyotrophie spinale (SMA). Cette maladie héréditaire rare peut prendre plusieurs formes. La plus fréquente, de type 1, touche les très jeunes enfants et, en l'absence de traitement, son issue est fatale. Ces petits patients fabriquent trop peu d'une protéine particulière, parce qu'il leur manque un petit bout d'ADN. Cela entraîne progressivement la mort des cellules nerveuses dans la moelle épinière et la paralysie de tous les muscles, empêchant ainsi de s'asseoir, marcher, manger et même respirer. Jusqu'à récemment, il n'existait aucun traitement.

Une aide respiratoire, de la kinésithérapie ou une alimentation par sonde pouvaient quelque peu soulager les symptômes, mais cela n'allait pas plus loin.

### Tarif scandaleux pour traitement unique

C'est la firme pharmaceutique Biogen qui a commercialisé le premier traitement contre la SMA, sous le nom Spinraza. Prix demandé ? 265 000 euros par an, la vie durant. C'est la position dominante de Biogen qui lui a permis de pratiquer un tel prix. Car il n'existait pas d'autre alternative pour assurer une meilleure et plus longue existence des petites victimes du SMA. Et cette firme ne le savait que trop bien.

Trois ans plus tard, Novartis a sorti un concurrent, le Zolgensma. Dans d'autres secteurs, la concurrence aurait fait baisser les prix, mais ce n'est manifestement pas ainsi que ça se passe avec les médicaments. Novartis a suivi la tendance donnée par le Spinraza et a commercialisé son Zolgensma au prix de 2 millions d'euros. Le Zolgensma semble au moins aussi efficace que le Spinraza. Il améliore l'espérance de vie de la plupart des petits malades qui en bénéficient, leur permet de respirer de façon indépendante et de s'asseoir. Certains

## Le Zolgensma : de bons résultats, mais un prix aberrant

parviennent même à marcher seuls. Le traitement prend le mal à la racine en ajoutant le petit bout d'ADN manquant. Il est également moins invasif qu'avec le Spinraza, et c'est en théorie un traitement unique. C'est pourquoi le Zolgensma est privilégié chez les tout jeunes enfants. Mais on n'en connaît pas encore les effets à long terme. Plus tôt le médicament est administré, meilleurs sont les résultats. C'est d'ailleurs une des raisons pour lesquelles le SMA est dépisté chez les nouveaux-nés lors de la piquûre de talon.

### Plantureux bénéfiques

Novartis et Biogen – et beaucoup d'autres firmes également – clament sur tous les tons que les montants faramineux réclamés pour de tels médicaments sont essentiels. Ils les justifient systématiquement par leurs coûts de recherche et de développement des >

## Le Zolgensma en chiffres

Coûts de recherche et développement\*



512 millions d'euros

Chiffre d'affaires après 18 mois



1,1 milliard d'euros

Prix réclamé\*\*



2,1 millions d'euros

Impact budgétaire pour la Belgique pour 3 ans de remboursement\*\*



47,5 millions d'euros

Durée moyenne d'un brevet



13 ans

\* Montant estimé sur base de tous les rapports financiers disponibles émanant des différentes firmes qui ont participé au développement. Les données manquantes ont été estimées sur base de paramètres utilisés dans la littérature scientifique.

\*\* Il s'agit des chiffres disponibles publiquement. Les autorités ont en effet négocié une réduction, mais son importance reste secrète.

interview

## “Eccœurant, ce que Novartis ose réclamer”

Une amyotrophie spinale a été diagnostiquée chez Pia en avril 2019. Un crowdfunding a permis à ses parents de réunir quelque 2 millions d'euros pour pouvoir lui administrer le médicament Zolgensma.



Photo : Hendrik De Schrijver

Ellen De Meyer  
Maman de Pia, 3 ans,  
souffrant de SMA

### Comment va Pia maintenant ?

“Pia est devenue aujourd’hui un robuste bambin. Depuis septembre, elle fréquente une école maternelle ordinaire, et cela se passe très bien, moyennant un peu d’accompagnement. C’est aussi une vraie pipelette, elle n’arrête pas de parler. Elle peut aussi manger toute seule et elle se sert très bien de ses petits bras et ses petites mains. Elle ne parvient pas encore à marcher toute seule, mais elle peut très bien se déplacer sans aide dans sa chaise roulante. Elle commence à s’exercer avec un robot de marche. Elle a en effet une grande soif d’indépendance.”

### Et si le crowdfunding avait échoué ?

On n’aura heureusement jamais la réponse à cette question, mais les chances de survie de Pia n’étaient guère brillantes à l’époque. Sans traitement, elle serait morte endéans deux ans. Il existait bien un autre

médicament déjà remboursé à ce moment, le Spinraza, mais il n’avait pas eu l’effet escompté avec Pia. Il avait bien stoppé la régression, mais nous ne constatons pas de progrès dans le développement de l’enfant. Avec ce traitement, elle risquait fort de devoir rester couchée toute sa vie et même de ne pas pouvoir parler. Nous craignons de la voir tomber dans une sorte d’état végétatif. Ce n’était pas la vie que nous voulions pour elle.”

### Quelle a été votre réaction quand vous avez entendu parler du Zolgensma ?

“L’existence d’un autre médicament nous a évidemment d’abord remplis d’espoir. Jusqu’à ce que nous en connaissions le prix. A ce moment, le Zolgensma n’était encore approuvé qu’aux Etats-Unis. Novartis avait bien un programme pour y donner accès à des enfants ailleurs dans le monde, mais il fallait allonger 2,1 millions de dollars. Nous avons longtemps négocié avec la firme elle-même, et envisagé différentes options. Par exemple, une étude dans laquelle elle aurait encore pu être incluse. Mais sans succès. Nous avons alors

fait tout ce qui était possible pour constituer un dossier susceptible de convaincre nos autorités de nous aider. Mais sans résultat. Nous sommes extraordinairement heureux que notre crowdfunding ait obtenu le résultat espéré, mais il est regrettable que nous ayons dû y consacrer tout ce temps. Si notre action avait échoué, nous y aurions gaspillé les derniers mois de sa vie.”

### Pouvez-vous comprendre de tels prix ?

“Non, les prix réclamés par ces firmes pour des médicaments contre des maladies orphelines sont vraiment exagérés. Les patients souffrant d’une maladie rare risquent d’être laissés de côté. Car les autorités seront réticentes à rembourser de tels montants. Et nous comprenons que la sécurité sociale doive faire des choix. Il n’est tout simplement pas possible de tout rembourser. Mais il est moins grave de savoir que le médicament dont votre enfant a besoin n’existe pas, que de savoir qu’il existe mais qu’il est tellement cher que vous n’avez pas les moyens de vous le procurer. Notre sentiment à l’égard de Novartis est dès lors ambigu. D’une part, nous sommes bien sûr reconnaissants à la firme d’avoir sorti un médicament qui a sauvé la vie de Pia, mais d’autre part nous sommes scandalisés par les sommes qu’elle ose réclamer. J’espère que votre plainte auprès de l’Autorité de la concurrence l’obligera à justifier son prix. Car je pense que Novartis en est totalement incapable.”

> médicaments. Mais leur communication sur ces coûts n'a rien de transparent. C'est pourquoi nous avons fait nous-mêmes l'exercice à leur place. L'investissement de Biogen dans le développement du Spinraza a été récupéré dans l'année. Même chose pour le Zolgensma. Nous estimons le coût de développement de ce médicament à 512 millions d'euros, un montant récupéré après un an déjà. Moins de deux ans et demi après la commercialisation du Zolgensma, Novartis avait déjà encaissé près de quatre fois cette somme. Sachant qu'un nouveau médicament est protégé en moyenne pendant 13 ans par son brevet, il y a donc pas mal de bénéfices en perspective. Ces bénéfices sont surtout consacrés à récompenser (massivement) les actionnaires, et pas à investir dans de nouvelles recherches. C'est donc le contribuable qui paie les dividendes versés aux actionnaires des firmes. Par-dessus le marché, les grandes firmes pharmaceutiques ne font souvent que peu de recherches propres sur ces médicaments. On constate que, ces dernières années, les géants du secteur scrutent surtout le marché pour dénicher les molécules prometteuses élaborées par de plus petites firmes. Elles mettent ensuite un gros paquet d'argent sur la table pour acquérir les droits sur les médicaments en question, voire l'entreprise elle-même. Il en est allé de même avec le Zolgensma, développé en fait par la petite société AveXis. Mais son concept venait encore d'ailleurs, à savoir de l'institut de recherche d'un hôpital américain financé essentiellement avec de l'argent public. AveXis a certes obtenu ensuite le droit exclusif de poursuivre le développement du Zolgensma et de le commercialiser, mais une bonne partie de la recherche avait donc été payée par le contribuable américain.

### **Remboursé avec une réduction**

Fort heureusement, notre pays a négocié avec quelques autres pays, dans le cadre de l'initiative Beneluxa, une réduction pour ces deux médicaments, afin de pouvoir accorder un remboursement

## **Les coûts de développement étaient récupérés après moins d'un an**

temporaire. Le remboursement du Spinraza est entré en vigueur en septembre 2018, celui du Zolgensma en décembre 2021. La réduction finalement obtenue par les autorités reste hélas secrète. Nous soupçonnons néanmoins que le prix final est encore beaucoup trop élevé par rapport à l'avantage social obtenu. Selon des calculs officiels, il aurait fallu pour cela baisser de 75 % le prix du Zolgensma. Mais il est peu vraisemblable que Novartis ait accepté une telle réduction.

Même si le Spinraza et le Zolgensma sont des exemples extrêmes, on assiste de plus en plus souvent à la commercialisation de médicaments à des prix vertigineux. Pour beaucoup de traitements du cancer également, le coût de développement est entièrement récupéré après deux à cinq ans seulement.

Une analyse des Mutualités Chrétiennes montre que, depuis 2015, le budget consacré aux médicaments est systématiquement dépassé largement. Sur six années, on a dépensé 1,3 milliard d'euros de plus que ce qui avait été budgétisé. Et cet argent ne peut naturellement pas aller à des secteurs qui en ont un besoin criant, comme les infirmières, les soins dentaires ou psychologiques par exemple.

### **Réglementation insuffisante**

N'y a-t-il donc pas de règles contre ces pratiques ? Et bien oui. Ce que font Biogen et Novartis est selon nous strictement interdit par la loi. La différence entre les frais engagés et le prix réclamé n'est pas raisonnable. Ces firmes abusent de leur situation de monopole pour imposer un prix excessif. Dans ces conditions, c'est à l'Autorité de la concurrence d'intervenir. C'est pourquoi, après avoir déjà porté plainte pour le Spinraza il y a plus de deux ans, nous en faisons aujourd'hui

de même pour le Zolgensma. Mais notre première plainte n'a reçu aucune suite concrète jusqu'ici. C'est tout simplement incompréhensible. L'Autorité de la concurrence fait montre de beaucoup de retenue quand il s'agit de médicaments encore protégés par un brevet. Mais ce sont justement ces médicaments qui posent les plus gros problèmes. L'absence d'action est justifiée par des arguments qui ne tiennent guère la route. Les prix élevés (et les bénéfices qui vont avec) sont ainsi présentés comme la récompense d'investissements à risque. Les autorités craignent qu'une intervention conduise les firmes à réduire leurs investissements dans des médicaments innovants. Mais c'est justement la grosse marge bénéficiaire apportée par certains types de médicaments qui incite les firmes à s'y concentrer et à investir moins ou pas du tout dans d'autres besoins importants de la société parce qu'ils sont moins rentables. Ensuite, les autorités croient naïvement que la concurrence fera automatiquement baisser les prix. Mais l'exemple du Spinraza et du Zolgensma montre clairement que les firmes préfèrent suivre la tendance vers des prix exorbitants.

### **Et maintenant ?**

Les prix et le remboursement des médicaments ont beau être régulés par toute une série de lois, il est clair que cela ne suffit plus. Une révision s'impose pour obtenir une fixation équitable des prix, avec à la fois une marge bénéficiaire correcte pour les entreprises et un coût abordable pour les autorités et le patient. Les autorités de la concurrence doivent également oser intervenir contre les abus. Vous trouverez les dernier état de la situation concernant nos plaintes sur [www.testachats.be/medicamentsabordables](http://www.testachats.be/medicamentsabordables) 🍀