

Quel serait l'impact d'un prix juste pour les médicaments en Belgique ?

Analyse sur base de 7 médicaments

*Anne Hendrickx, Bénédicte Vos, Jérôme Vrancken,
Alain Bourda et Bart Demyttenaere*



ETUDE

**Quel serait l'impact d'un prix juste pour
les médicaments en Belgique ?**
Analyse sur base de 7 médicaments

Service Études et Politiques de santé

Table des matières

INTRODUCTION	5
A. Coût des médicaments onéreux	5
B. Mécanisme de fixation du prix d'un médicament.....	7
C. Création d'un modèle de prix juste et calculateur du prix juste.....	8
D. Objectif de l'étude	10
1. Données et méthodologie	11
1.1. Médicaments retenus pour l'étude	11
1.2. Données intégrées dans le calculateur	13
2. Résultats du calculateur, pour les 7 médicaments étudiés	15
2.1 Calcul du prix juste	15
2.2 Impact sur les dépenses de santé en Belgique	17
3. Contextualisation des résultats	19
3.1. Eléments de réflexion concernant les résultats par médicament.....	19
3.2. Discussion des paramètres du modèle de prix juste	19
CONCLUSIONS ET RECOMMANDATIONS.....	21
BIBLIOGRAPHIE	23
ANNEXES – Utilisation du calculateur Solidaris pour les 7 médicaments de l'étude.....	24
1 Zolgensma – 4.878 patients.....	25
2 Zolgensma – 0,17/100.000	27
3 Spinraza	29
4 Entresto	31
5 Jardiance.....	33
6 Cosentyx	35
7 Opdivo	37
8 Lonsurf	39

Table des figures

Figure 1 : Coût moyen par patient en 2020 pour les 5 médicaments oncologiques les plus coûteux pour l'assurance maladie	6
Figure 2 : Présentation générale du modèle de prix juste de l'Association Internationale de la Mutualité (AIM)	8
Figure 3 : Description des composantes du modèle de prix juste de l'Association Internationale de la mutualité (AIM)	9
Figure 4 : Pourcentage du prix juste selon le modèle, par comparaison au prix actuellement payé (prix par traitement)	15
Figure 5 : Comparaison du coût des médicaments, entre les dépenses actuelles nettes et les dépenses justes.....	17

Table des tableaux

Tableau 1 : Coût moyen par patient par an pour les 10 médicaments les plus chers.....	5
Tableau 2 : Coût total et coût moyen par patient pour les 5 médicaments oncologiques les plus coûteux pour l'assurance maladie – patients Solidaris.....	6
Tableau 3 : Economies potentielles en utilisant le calculateur de prix juste de l'AIM en Allemagne	10
Tableau 4 : Médicaments et indications retenues pour l'étude des économies potentielles en utilisant le calculateur de prix juste de l'AIM	11
Tableau 5 : Dépenses réelles pour les 7 médicaments de l'étude en 2020.....	12
Tableau 6 : Données utilisées pour le calcul du prix juste	14
Tableau 7 : Rapport entre le prix par traitement actuel et le prix juste.....	16
Tableau 8 : Dépenses réelles et économies potentielles avec le juste prix	18
Tableau 9 : Economie potentielle en fonction du montant de R&D (en euros).....	20

INTRODUCTION

A. Coût des médicaments onéreux

Les médicaments remboursés représentent une partie importante des dépenses de santé : plus de 5,4 milliards d'euros par an sur un budget de près de 32 milliards d'euros pour les soins de santé (*Comité de l'assurance, 2022*), et les médicaments récents sont une des principales causes de la croissance des coûts pour l'assurance maladie (*INAMI-MORSE, 2021*). Ce sont en effet les dépenses pour les **médicaments délivrés à l'hôpital aux patients ambulatoires** (en hospitalisation de jour) qui explosent ces dernières années avec des **taux de croissance autour de 20% par an¹**.

Ces médicaments récents délivrés par les hôpitaux aux patients ambulatoires (traités durant la journée, sans passer la nuit) sont souvent très chers. Ils traitent des maladies graves, dont certaines sont mortelles, et touchent un nombre restreint de patients mais à un coût par patient extrêmement élevé : de 188.000 à plus de 450.000 euros par patient et par an pour les 10 médicaments les plus chers par patient (tableau 1). Ces 10 médicaments sont tous des médicaments dits « orphelins », c'est-à-dire des médicaments qui traitent des maladies rares (telles que des maladies métaboliques ou la mucoviscidose) dont ils ralentissent souvent l'évolution sans toutefois guérir le patient.

Les coûts présentés dans le tableau 1 sont les coûts payés par l'assurance maladie en moyenne pour chacun des patients traités parmi les affiliés Solidaris en 2020². Pour estimer le coût total par patient pour chaque médicament, il faut multiplier par la durée du traitement, souvent égale à la durée de vie du patient (10 ans ou beaucoup plus) : on atteint donc des **montants par patient de plusieurs millions d'euros !**

Tableau 1 : Coût moyen par patient par an pour les 10 médicaments les plus chers

Indication/maladie	Molécule	Nom commercial	Coût par patient Solidaris en 2020 (en euros)	Nombre de patients Solidaris
mucopolysaccharidose de type VI	Galsulfase	Naglazyme®	454.217	3
Syndrome Hémolytique et Urémique atypique / hémoglobi-nurie paroxystique nocturne	Eculizumab	Soliris®*	264.304	20
maladie de Pompe	Alglucosidase alfa	Myozyme®	255.378	9
amyotrophie spinale (SMA)	Nusinersen	Spinraza®*	255.316	46
maladie de Gaucher de type I	Imiglucérase	Cerezyme®	246.027	12
maladie de Gaucher de type I	Éliglustat	Cerdelga®	245.056	5
mucopolysaccharidose de type II	Idursulfase	Elaprase®	239.031	4
Mucoviscidose	Ivacaftor	Kalydeco®*	195.928	12
maladie de Fabry	Migalastat	Galafold®	192.707	5
hémophilie A	Émicizumab	Hemlibra®*	187.810	29

* Pour ces 4 médicaments, un « contrat » (voir section B.) avec des restitutions confidentielles a été signé entre la firme et le ministre des affaires sociales ; le coût réel est donc inférieur.

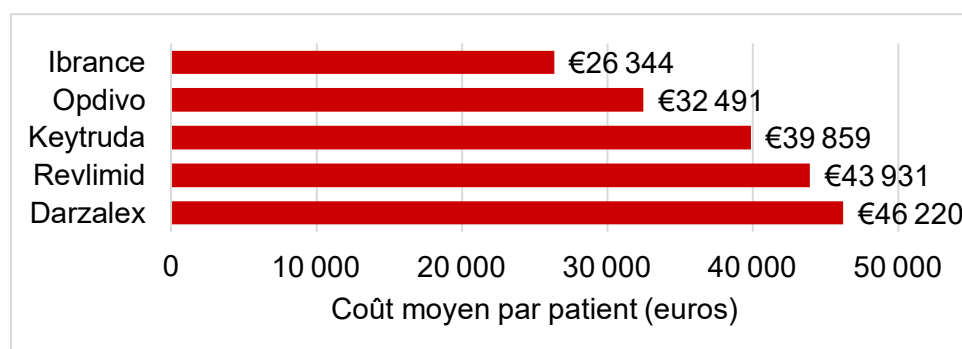
Source : Solidaris (2020)

¹ Chiffre repris du tableau 14 p.19 de la référence INAMI-MORSE.

² L'étude utilise les coûts et budgets pour les médicaments en 2020 en raison de la non-disponibilité des données INAMI complètes pour 2021 à la date de rédaction.

D'autres médicaments délivrés à l'hôpital ont un prix un peu moins élevé par patient mais touchent un nombre de patients plus important et font dès lors partie des médicaments qui coûtent le plus à l'assurance maladie. C'est le cas des médicaments contre le cancer qui sont le poste de dépenses le plus important pour les médicaments à l'hôpital. En 2020, l'assurance maladie a dépensé (en brut³) plus de 1,3 milliards d'euros⁴ pour les médicaments antinéoplasiques et agents immunomodulants de la classe ATC L01⁵ utilisés pour traiter les cancers.

Figure 1 : Coût moyen par patient en 2020 pour les 5 médicaments oncologiques les plus coûteux pour l'assurance maladie



Source : Solidaris (2020)

Ces 5 médicaments contre le cancer qui grèvent le plus le budget (Figure 1) ont coûté 686 millions d'euros (bruts) à l'assurance maladie en 2020, soit 12% des dépenses totales (brutes) pour les médicaments. Keytruda a lui tout seul représente plus de 300 millions de dépenses (brutes).

Tableau 2 : Coût total et coût moyen par patient pour les 5 médicaments oncologiques les plus coûteux pour l'assurance maladie – patients Solidaris

Molécule	Nom commercial	Position	Nombre de patients	Dépenses Solidaris (en euro)	Coût moyen en 2020 par patient Solidaris (en euro)
Pembrolizumab	Keytruda®	1 ^{er}	1441	57.436.858	39.859
Lenalidomide	Revlimid®	2 ^{ème}	679	29.828.970	43.931
Nivolumab	Opdivo®	5 ^{ème}	589	19.137.360	32.491
Palbociclib	Ibrance®	8 ^{ème}	705	18.572.723	26.344
Daratumumab	Darzalex®	26 ^{ème}	209	9.660.000	46.220

*nom comm. = nom commercial

Position = position dans le classement des dépenses les plus élevées par médicament pour les affiliés Solidaris

Source : Solidaris (2020)

³ Dépenses brutes çàd avant déduction des restitutions faites dans le cadre des contrats confidentiels (voir section B.).

⁴ Source : données INAMI.

⁵ Classification Anatomical Therapeutic Chemical (ATC) de l'Organisation mondiale de la Santé.

Pour ces 5 médicaments oncologiques, un « contrat » avec des restitutions confidentielles est ou a été signé entre la firme et le ministre des affaires sociales et le coût réel est donc inférieur.

Le coût par patient présenté au tableau 2 ne reflète pas le coût d'un traitement **complet** pour la plupart des médicaments. D'une part, un grand nombre de patients doivent interrompre leur traitement (à cause notamment des effets secondaires) ou décèdent malheureusement en cours de traitement. Comme le montrent les données de l'Agence Intermutualiste (IMA-AIM 2022), plus de 2/3 des patients traités avec une immunothérapie entre 2016 et 2018 étaient en effet décédés fin 2019.

Par ailleurs, le tableau présente les dépenses en 2020, or certains traitements sont à cheval sur plusieurs années et/ou durent plus que 12 mois. **Pour Opdivo par exemple, si on regarde le coût moyen pour les affiliés Solidaris encore en vie 1 an après le démarrage du traitement, on monte à 126.939 €, pour une durée moyenne de traitement de 550 jours.**

Une minorité de médicaments soit très pointus (comme pour les cancers), soit concernant un très petit nombre de patients (maladies rares) représente une grande part des dépenses pour les médicaments et sont à la source d'une véritable explosion des coûts ; les **médicaments contre le cancer** de la classe ATC L01⁶ **sont en effet passés de 368 millions à 1.370 millions entre 2013 et 2020, soit une augmentation de 1 milliard d'euros en 7 ans**⁷.

B. Mécanisme de fixation du prix d'un médicament

Le prix d'un nouveau médicament remboursé est le résultat de négociations entre la firme pharmaceutique et le ministre des affaires sociales, sur base d'une proposition de la Commission de remboursement des médicaments de l'INAMI.

Le prix qui est demandé au départ par la firme pharmaceutique est libre, il n'est absolument pas lié aux coûts de recherche ou de production. Les négociations portent ensuite sur la valeur thérapeutique du médicament⁸ et son impact budgétaire, et constituent souvent un bras de fer entre l'industrie pharmaceutique et les représentants du système de santé.

Pour les médicaments chers et en particulier pour les médicaments contre le cancer, **les accords sur le prix entre le ministre et la firme pharmaceutique sont le plus souvent secrets**. Ces accords sont souvent appelés « contrats article 81 » ou « article 111 » en référence à l'article dans l'arrêté royal qui réglemente le remboursement des médicaments⁹.

Il n'y a **aucune transparence sur les restitutions octroyées pour chaque médicament**, ce qui rend impossible toute analyse de coût pour ces médicaments, tant avec des éventuels comparateurs en Belgique qu'avec l'étranger. Ce système de négociations secrètes permet aux firmes pharmaceutiques de demander des prix élevés, afin de prétendre qu'elles ont obtenu ce prix facial et de négocier ce même prétendu prix dans les pays voisins. Ensuite, les firmes accordent des ristournes plus ou moins importantes, et tout aussi confidentielles, à la plupart des pays.

En Belgique seul le pourcentage moyen de restitutions sur l'ensemble des médicaments sous contrat durant une année est rendu public (INAMI-MORSE, 2021). Il s'élevait pour 2020 à 41,19% du prix facial et les restitutions représentaient 754 millions d'euros.

⁶ Les autres médicaments contre le cancer des classes ATC L02, L03 et L04 sont passés de 50 millions en 2013 à 239 millions en 2020.

⁷ Dépenses brutes çàd avant déduction des restitutions faites dans le cadre des contrats confidentiels (voir section B). Source : Données INAMI.

⁸ En utilisant des modèles de prix basé sur la valeur (« value-based pricing ») qui font intervenir le concept théorique de « volonté de payer » des systèmes de santé (« willingness to pay »).

⁹ Initialement c'était les articles 81 et suivants de l'arrêté royal du 21 décembre 2001 qui réglementait ces conventions. Cet arrêté a été remplacé par l'arrêté du 1^{er} février 2018 où ces contrats sont régis par les articles 111 et suivants.

Il est souvent difficile de garder à l'esprit que ces restitutions ne sont que des « flux financiers » sans aucune signification en ce qui concerne la valeur du médicament ; en effet, plus une firme demande un prix de départ « gonflé », plus elle donnera des restitutions pour arriver au prix qu'elle était prête à accepter. Il n'y a aucune économie additionnelle, simplement des dépenses « gonflées » compensées par des ristournes « gonflées ».

Pour 2023, d'après les estimations techniques de l'INAMI, **les restitutions représenteront plus de 1,4 milliard d'euros** (Comité de l'assurance, 2022). En seulement 3 ans, ces restitutions ont donc pratiquement doublé. Comment interpréter cette croissance ? Est-ce que les prix faciaux demandés augmentent ou est-ce que les prix réels baissent ? C'est clairement la 1^{ère} hypothèse puisque les dépenses réelles (après déduction de ces restitutions) vont augmenter de 812 millions sur la même période.

La littérature internationale montre d'ailleurs une même réalité ; entre 2009 et 2021 le prix net (après ristournes) de lancement des médicaments aux Etats-Unis a par exemple augmenté de 20% chaque année, passant d'un prix médian par médicament de 2.115 dollars à un prix médian de 180.007 dollars (Rome B. et al., 2022).

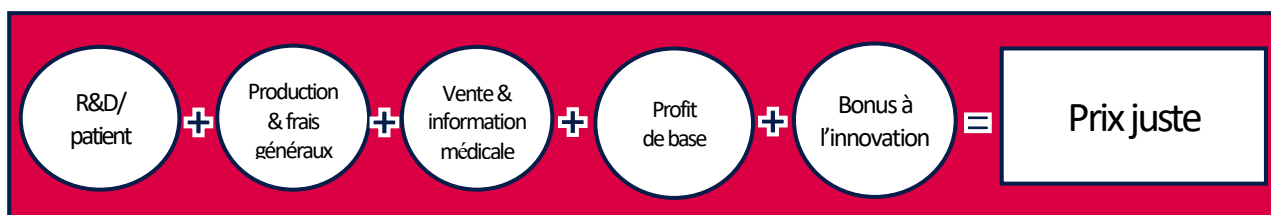
C. Création d'un modèle de prix juste et calculateur du prix juste

Face à cette opacité organisée sur les prix réels des médicaments, à l'augmentation constante des prix demandés et à celle des dépenses liées aux médicaments remboursés, l'Association Internationale de la Mutualité (AIM), en étroite collaboration avec Solidaris, a mis au point un modèle¹⁰ permettant de **calculer des prix justes et transparents pour les médicaments** (AIM, 2019).

L'objectif du modèle est de trouver le fragile équilibre entre les intérêts divergents des firmes qui développent les médicaments et doivent les commercialiser d'une part, et des systèmes de santé qui les financent et doivent continuer à avoir les moyens de donner accès aux médicaments innovants d'autre part.

Ce modèle vise à proposer un prix juste tant pour les systèmes de santé que pour les firmes pharmaceutiques qui mettent les médicaments sur le marché. Il se base sur des critères objectifs prédéfinis intégrant les coûts des fabricants ainsi que des marges raisonnables, et rémunère l'innovation liée à la valeur thérapeutique du médicament (Figure 2). Les prix justes européens sont des prix totalement transparents : ils sont publics et leur mode de calcul est connu de tous.

Figure 2 : Présentation générale du modèle de prix juste de l'Association Internationale de la Mutualité (AIM)



Source : Association Internationale de la Mutualité (2019)

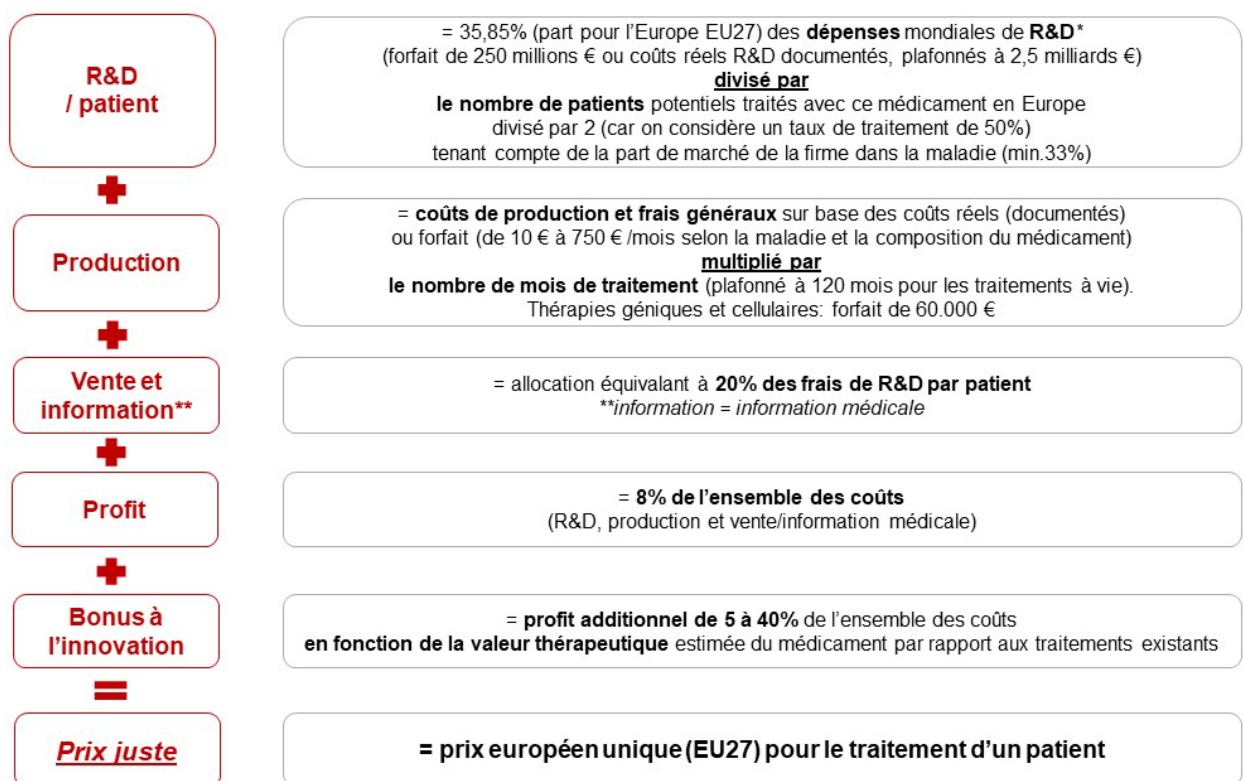
Le modèle de prix juste fixe un **prix européen unique par traitement** lorsqu'un nouveau médicament arrive sur le marché pour une nouvelle indication.

¹⁰ Pour plus d'information, voir : https://www.aim-mutual.org/wp-content/uploads/2021/10/AIMfairpricingModel_September2021_FINAL_FR.pdf

Il permet cependant de faire une différenciation du prix en fonction du pouvoir d'achat¹¹ de chaque pays européen, accroissant ainsi la solidarité intra-européenne entre les pays les plus riches et les pays à plus bas pouvoir d'achat. Afin d'éviter le commerce parallèle engendré par des prix différents entre pays, qui risquerait de freiner l'accessibilité dans les pays à bas revenus, un principe de fonds « de compensation » entre pays devrait alors être mis en place, les pays riches compensant le prix moindre des pays plus fragiles. Les firmes pharmaceutiques auraient alors le même intérêt à commercialiser leur médicament dans chaque pays.

Chaque paramètre du modèle est défini plus précisément dans la figure 3.

Figure 3 : Description des composantes du modèle de prix juste de l'Association Internationale de la Mutualité (AIM)



*Les dépenses de recherche et développement (au forfait ou en frais réels) couvrent l'ensemble des frais de R&D de la firme jusqu'au moment de l'autorisation de mise sur le marché du médicament. Les frais imputés aux nouveaux médicaments incluent les coûts de recherche pour les autres médicaments dont la R&D a été abandonnée et qui ne sont pas arrivés sur le marché ("coût de l'échec").

Source : Solidaris (2022) sur base du modèle AIM (2019)

Sur base de ce modèle, l'AIM a développé un outil pratique ; un « calculateur » qui permet de déterminer un prix juste pour les nouveaux traitements, disponible librement sur internet <https://fairpricingcalculator.eu/>.

Solidaris a développé la version en français du **calculateur**, également disponible à l'adresse www.lejusteprixdesmedicaments.be.

¹¹ Calculé par le produit intérieur brut par habitant.

Un membre de l'AIM, la caisse d'assurance maladie allemande Techniker Krankenkasse (TK), en collaboration avec l'université de Brême, a étudié l'utilisation du calculateur de l'AIM sur 7 médicaments récents représentatifs des divers domaines en croissance (Muth L., 2021)¹².

L'étude a montré que les prix pratiqués aujourd'hui en Allemagne sont de deux à treize fois trop élevés¹³.

Selon cette étude allemande, en appliquant la ristourne moyenne calculée en pondérant la ristourne de chacun des 7 médicaments sélectionnés pour l'étude par le volume de vente de chacun de ces médicaments (soit **63,34%**) à l'ensemble des médicaments sous brevet, l'assurance maladie légale (GKV) en **Allemagne aurait économisé 13 milliards d'euros annuellement** (tableau 3).

Tableau 3 : Economies potentielles en utilisant le calculateur de prix juste de l'AIM en Allemagne

Molécule	Nom commercial	Dépenses GKV nettes 2019	Dépenses GKV au prix de l'AIM 2019	Economies potentielles prix GKV 15.07.2021	Potentiel d'économies prix GKV 15.07.2021 [%]
Onasemnogen-Abeparvovec	Zolgensma	NA		NA	
Nusinersen	Spinraza	13.729.200 €	1.571.137 €	12.158.063 €	88,56%
Sacubitril-Valsartan	Entresto	186.611.500 €	86.421.551 €	100.189.949 €	53,69%
Empagliflozin	Jardiance	198.084.200 €	221.467.133 €	-23.382.933 €	-11,80%
Secukinumab	Cosentyx	336.341.700 €	51.255.204 €	285.086.496 €	84,76%
Nivolumab	Opdivo	453.619.400 €	82.197.307 €	371.422.093 €	81,88%
Trifluridin/Tipiracil	Lonsurf	23.807.800 €	1.497.111 €	22.310.689 €	93,71%
		1.212.193.800 €	444.409.443 €	767.784.357 €	63,64%
GKV- net médicaments sous brevet		20.637.000.000 €		13.071.148.992 €	63,34%

Source : TK (2021)

D. Objectif de l'étude

Solidaris a décidé d'utiliser le modèle de prix juste développé en collaboration avec l'AIM et de calculer le prix juste en Belgique pour les 7 médicaments utilisés dans l'étude allemande de TK, et d'extrapoler le résultat à l'ensemble des nouveaux médicaments remboursés depuis 2015.

L'année 2015 a en effet marqué un tournant symbolique avec le remboursement pour la 1^{ère} fois de traitements touchant une large population (affectée par l'hépatite C) avec des prix¹⁴ de plus de 40.000€ par patient. D'autre part, six sur les 10 médicaments qui coûtent le plus cher à l'INAMI sont remboursés depuis 2015 ou après.²

¹² <https://lejusteprixdesmedicaments.be/wp-content/uploads/tk-aim-fair-pricing-calculator-fr.pdf>

¹³ Sauf pour le médicament Jardiance pour lequel TK a calculé une augmentation de prix avec le calculateur suite à l'utilisation du forfait mensuel de 50€ pour le coût de production (supérieur au prix).

¹⁴ Faciaux (donc avant restitutions dans les contrats)

1. DONNÉES ET MÉTHODOLOGIE

1.1. Médicaments retenus pour l'étude

Nous avons utilisé le calculateur avec les 7 mêmes molécules que celles de l'étude allemande de TK afin de profiter de l'expertise offerte par cet assureur et par l'université de Brême. Ces molécules sont pertinentes car elles sont représentatives de la diversité des traitements innovants remboursés actuellement. Elles comportent en effet :

- 2 traitements pour des maladies (**ultra-)**rare, dont une traitée par **thérapie génique** (Zolgensma) qui présente le prix (facial) le plus élevé par administration (près de 2 millions d'euros pour une administration unique) actuellement ;
- 2 traitements contre le **cancer**, qui est la maladie pour laquelle les dépenses en médicaments augmentent le plus fortement, et dont l'un (le mélanome) est **10 fois plus fréquent** que l'autre (le cancer gastrique métastatique) ;
- 3 traitements **chroniques** dont un qui touche plus de **1,5% de la population**, ce qui permet des coûts de production très bas.

Cette sélection reflète bien le coût actuel des traitements innovants car les médicaments orphelins traitant les maladies rares (telles que les maladies métaboliques) et les traitements contre le cancer dépassent aujourd'hui le milliard de dépenses nettes.

Trois médicaments (Entresto, Cosentyx et Lonsurf) parmi les 7 ne sont en outre pas remboursés sous contrat, ce qui est de plus en plus rare, et permet donc un calcul exact de l'impact de l'application du modèle.

Le calcul du prix juste se fait pour chaque indication¹⁵ d'un médicament. Les coûts de recherche, le nombre de patients qui seront traités et la durée du traitement peuvent en effet varier fortement d'une maladie/condition à l'autre traitée par le même médicament. Les indications analysées dans l'étude de TK et de Solidaris sont présentées dans le tableau 4.

Tableau 4 : Médicaments et indications retenues pour l'étude des économies potentielles en utilisant le calculateur de prix juste de l'AIM

<u>Molécule</u>	<u>Médicament</u> (nom commercial)	<u>Indication dans l'étude TK/Solidaris</u>
Onasemnogen-abeparvovec	Zolgensma®	Amyotrophie spinale (SMA) 5q de type 1 ou jusqu'à 3 copies du gène SMN2*
Nusinersen	Spinraza®	Amyotrophie spinale (SMA) 5q*
Sacubitril-Valsartan	Entresto®	Insuffisance cardiaque chronique symptomatique à fraction d'éjection réduite*
Empagliflozine	Jardiance®	Diabète de type 2 (en monothérapie ou en association avec d'autres traitements)*

¹⁵ Une indication d'un médicament est une condition médicale/maladie pour laquelle ce médicament est utilisé. Il peut s'agir de l'ensemble de la population de patients atteints de la maladie ou seulement d'une partie limitée à un sous-type de la maladie, à une certaine ligne de traitement ou à une catégorie d'âge spécifique.

Secukinumab	Cosentyx®	psoriasis en plaques modéré à sévère, spondylarthrite ankylosante, rhumatisme psoriasique et spondyloarthrite axiale non radiographique**
Nivolumab	Opdivo®	mélanome avancé non résecable ou métastatique (en monothérapie ou en association à l'ipilimumab)***
Trifluridine/Tipiracil	Lonsurf®	cancer gastrique métastatique (CGm) incluant l'adénocarcinome de la jonction gastro-oesophagienne (précédemment traités avec au moins deux protocoles de traitement systémique au stade avancé de la maladie)***

* Seule indication existant pour le médicament

** Calcul effectué pour l'ensemble des indications

*** Autres indications non-prises en compte : le mélanome est la 1^{ère} indication pour laquelle Opdivo est autorisé mais ce médicament est également utilisé pour de nombreux autres cancers¹⁶ ; pour Lonsurf, le cancer gastrique est la 2^{ème} indication faisant l'objet d'un remboursement (après le carcinome colorectal métastaté)

Pour ces 7 médicaments, l'assurance maladie belge a déboursé près de 190 millions d'euros en dépenses brutes.

Après déduction de la restitution moyenne pour 2020 pour les médicaments sous contrat de 41.19%, on obtient des dépenses nettes en 2020 de l'ordre de 130 millions d'euros pour ces 7 médicaments. Cette méthode d'estimation du coût net est la seule possibilité étant donné la confidentialité totale sur les ristournes réellement accordées dans le cadre des conventions secrètes.

Tableau 5 : Dépenses réelles pour les 7 médicaments de l'étude en 2020

Médicament (nom commercial)	Molécule	Dépenses nettes 2020
Spinraza®	Nusinersen	23.421.350 € (1)
Entresto®	Sacubitril- Valsartan	14.508.150 €
Jardiance®	Empagliflozine	10.358.238 € (1)
Cosentyx®	Secukinumab	25.920.955 €
Opdivo®	Nivolumab	52.146.329 € (1)
Lonsurf®	Trifluridine/Tipiracil	3.221.352 € (2)
Zolgensma®	Onasemnogen- abeparvovec	0 € (3)
Total		129.576.374 €

(1) Pour les médicaments sous contrat, estimation en enlevant 41,19% (= ristourne moyenne en 2020 - rapport MORSE 2021 p.65) aux dépenses brutes.

(2) Cas particulier : médicament en catégorie F (prix facial différent du remboursement mais publié) donc les dépenses nettes sont connues.

(3) Le Zolgensma n'était pas encore remboursé en 2020.

Source : INAMI – calculs Solidaris

¹⁶ Cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC), carcinome à cellules rénales (CCR), lymphome de Hodgkin classique (LHc), cancer épidermoïde de la tête et du cou (SCCHN), carcinome urothélial et carcinome épidermoïde de l'oesophage (CEO).

Le modèle de prix juste de l'AIM et son calculateur calculent un prix européen unique. Cependant le modèle permet de faire une différenciation du prix en fonction du pouvoir d'achat de chaque pays européen, accroissant ainsi la solidarité intra-européenne entre les pays les plus riches et les pays à plus bas pouvoir d'achat via un fonds de compensation par exemple. TK a choisi pour son étude l'option de prix différencié (soit + 20% pour l'Allemagne) et Solidaris a suivi la même méthode. Pour la Belgique, le prix est donc le prix moyen européen majoré de 18%.

1.2. Données intégrées dans le calculateur

Afin d'intégrer dans le calculateur les données les plus pertinentes pour les 7 molécules retenues, nous avons validé les données utilisées dans l'étude allemande.

Après vérification, nous avons conservé pour chaque médicament les hypothèses retenues par TK en termes de population de patients et de coût de recherche et développement (R&D), soit 250 millions d'euros pour chaque médicament pour la ou les indications étudiées¹⁷. La prévalence de la maladie pour chaque molécule et indication qui a été utilisée dans notre calcul est reprise de l'étude de TK (données allemandes) et est compatible avec celle de la Belgique.

Des corrections mineures ont été apportées afin de respecter plus strictement les hypothèses retenues dans le modèle de l'AIM ou pour être en accord avec le dossier introduit en Belgique auprès de la CRM.¹⁸

Pour le Zolgensma, 2 simulations sont présentées :

- La première utilise le nombre de patients atteints de SMA de type I et II calculé sur base de la prévalence et de l'incidence de cette pathologie dans un article scientifique publié récemment (*Thielen 2022*), soit 13.607 patients potentiellement traitée sur une période de 10 ans. Ce nombre total de patients est ensuite restreint dans notre étude à la proportion que représente l'union européenne dans le modèle AIM, soit 35.85% du total, ce qui donne **4.878 patients potentiels** ;
- La deuxième, beaucoup plus conservatrice, utilise la prévalence utilisée par TK dans son étude, soit 0.17/100.000 habitants pour la population européenne, ce qui donne **761 patients européens (EU 27) potentiels** sur une période de 10 ans. Ce calcul ne tient compte que de la SMA de type I et ne prend pas en compte les nouveaux patients (incidence) qui naîtront durant la période de 10 ans considérée.

Le prix juste par traitement calculé en fonction de ces 2 simulations passe de 250.000 euros pour la première simulation¹⁹ à plus de 1 million pour la seconde.

Il est important de garder à l'esprit que dans les 2 simulations, l'hypothèse retenue pour le calcul du coût et du prix actuel du Zolgensma est que cette thérapie génique (qui remplace un gène défectueux) pour un coût brut de près de 2 millions d'euros ne sera administrée qu'une seule fois par patient. Il n'est cependant pas exclu qu'un retraitement soit nécessaire après un certain nombre d'années.

C'est le prix de 250.000 euros qui est utilisé dans la partie 2 de l'étude qui décrit et analyse les résultats.

Le tableau 6 détaille les paramètres utilisés pour chaque médicament.

¹⁷ comme précisé ultérieurement, des coûts de R&D plus élevés n'auraient eu que très peu d'influence sur le résultat final

¹⁸ Les adaptations sont :

- Durée de traitement de Spinraza : 120 mois (versus 34 dans l'étude TK)
- Durée de traitement de Opdivo : 24 mois (versus 60 dans l'étude TK)
- Coût de traitement mensuel de Jardiance : 10 € en raison du très grand volume (versus 50 dans l'étude TK)

¹⁹ L'auteur fait également une simulation de prix pour le Zolgensma basée sur la couverture des frais réels (« cost-based ») et l'octroi d'un profit lié à la valeur thérapeutique du médicament, et arrive à un prix de 380.000 euros.

Tableau 6 : Données utilisées pour le calcul du prix juste

	Zolgensma	Spinraza	Entresto	Jardiance	Cosentyx	Opdivo	Lonsurf
R&D mondiale	Forfait de 250 millions €						
Prévalence ou incidence de l'indication ou des indications retenues dans l'étude	4.878 patients - 0,17 /100.000 habitants	1,22 /100.000 habitants	0,66% de la population	1,51% de la population	0,13% de la population	254,9 /100.000 /an	22,2 /100.000 /an
Population cible européenne de cette/ces indications*	4.878 - 761	5.460	2.953.500	6.757.250	581.750	11.406.775	993.450
= R&D/patient	73.493€ - 471.245 €	32.833 €	182 €	80 €	924 €	47 €	180 €
Coûts de production	60.000 €	250 € /mois	50 € /mois	10 €/mois	150 €/mois	150 €/mois	50 €/mois
X durée de traitement	1 fois	120 mois	120 mois	120 mois	120 mois	24 mois	2 mois
= Production	60.000 €	30.000 €	6.000 €	1.200 €	18.000 €	3.600 €	100 €
Vente & info médicale	20% de R&D						
Profit	8% de tous les coûts (R&D, production, vente et info)						
Bonus à l'innovation % de tous les coûts (R&D, production, vente et info)	35%	40%	15%	10%	35%	15%	10%
Prix juste (belge)**	250.059 € - 1.055.460 €	121.199 €	9.026 €	1.804 €	32.245 €	5.307 €	441 €
Part de la R&D dans le prix	29% - 45%	27%	2%	4%	3%	1%	41%
Part de la production dans le prix	24% - 6%	25%	66%	67%	56%	68%	23%

*Nombre de patients affectés par cette maladie/indication sur 10 ans (à diviser par 2 pour le nombre qui sera traité pour cette maladie/indication).

** Dans l'étude nous retenons pour la Belgique le prix juste européen adapté au niveau de vie belge (soit + 18%)

Source : Solidaris – utilisation du calculateur AIM/Solidaris

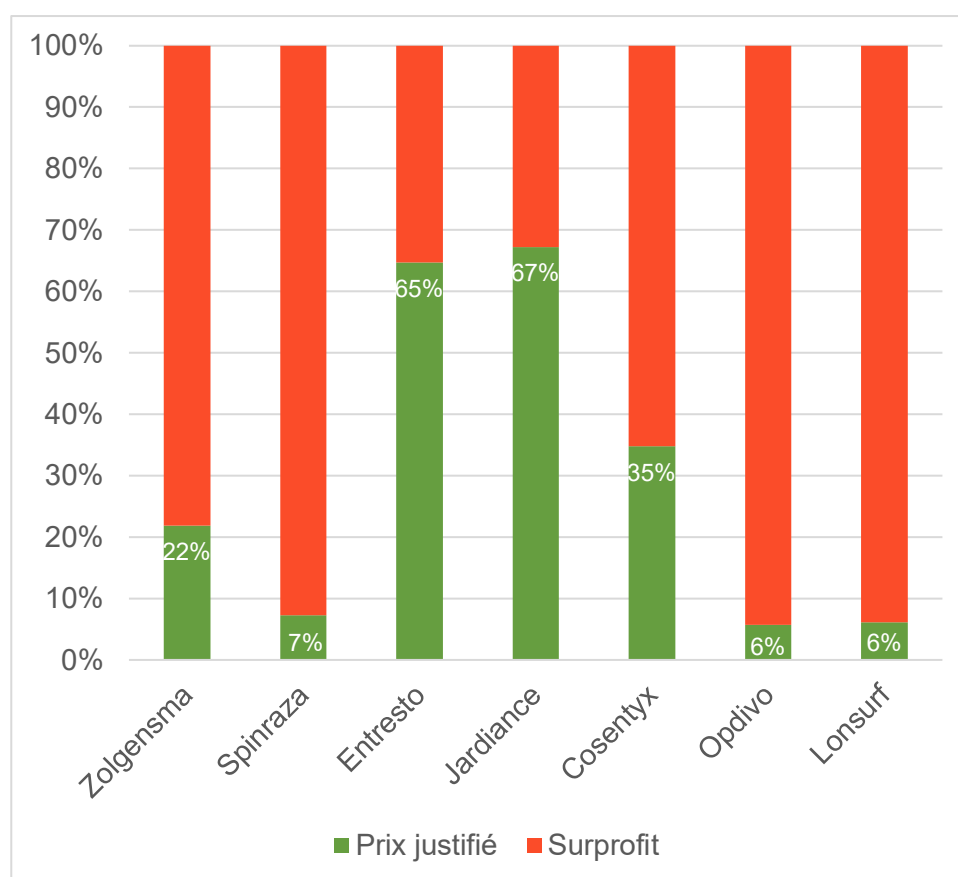
2. RÉSULTATS DU CALCULATEUR, POUR LES 7 MÉDICAMENTS ÉTUDIÉS

2.1 Calcul du prix juste

En appliquant les paramètres du modèle de prix juste de l'AIM, Solidararis a calculé le prix juste pour la Belgique pour 7 médicaments. Ce calcul tient compte du pouvoir d'achat en Belgique par rapport aux autres pays européens, soit le prix juste européen majoré de 18%²⁰.

En appliquant le modèle, le **prix juste se situe entre 6% et 67% du prix réel actuel**, selon le médicament.

Figure 4 : Pourcentage du prix juste selon le modèle, par comparaison au prix actuellement payé (prix par traitement)



Source : calculs Solidararis (2020)

Avec les négociations actuelles (y compris les ristournes dans les contrats secrets), les firmes pharmaceutiques couvrent très largement leurs coûts et engrangent des **surprofits allant de 33 à 94% du prix**.

²⁰ Le modèle et son calculateur calculent un prix européen unique. Cependant le modèle permet de faire une différenciation du prix en fonction du pouvoir d'achat de chaque pays européen, accroissant ainsi la solidarité intraeuropéenne entre les pays les plus riches et les moins riches. TK a choisi l'option de prix différencié (+ 20% pour l'Allemagne) et Solidararis a suivi la même méthode. Pour la Belgique, le prix est donc 18% plus élevé que le prix moyen européen.

Comme le montre le tableau 7, pour 3 médicaments (Spinraza, Opdivo et Lonsurf), **le prix actuel est plus de 10 fois supérieur à un prix considéré comme « juste ».**

Tableau 7 : Rapport entre le prix par traitement actuel et le prix juste

	Zolgensma	Spinraza **	Entresto **	Jardiance **	Cosentyx **	Opdivo	Lonsurf
Prix actuel*	1.143.855	1.665.617	13.943	2.683	92.661	93.568	7.191
Prix juste*	250.059	121.199	9.026	1.804	32.245	5.307	441
Actuel/juste	5 fois	14 fois	1,5 fois	1,5 fois	3 fois	18 fois	16 fois

*par traitement, en euros

** prix pour 10 ans de traitement

Source : calculs Solidaris

Les coûts actuels payés pour les traitements sont d'autant plus dérangeants que ces médicaments, comme tous les médicaments, ont une efficacité limitée.

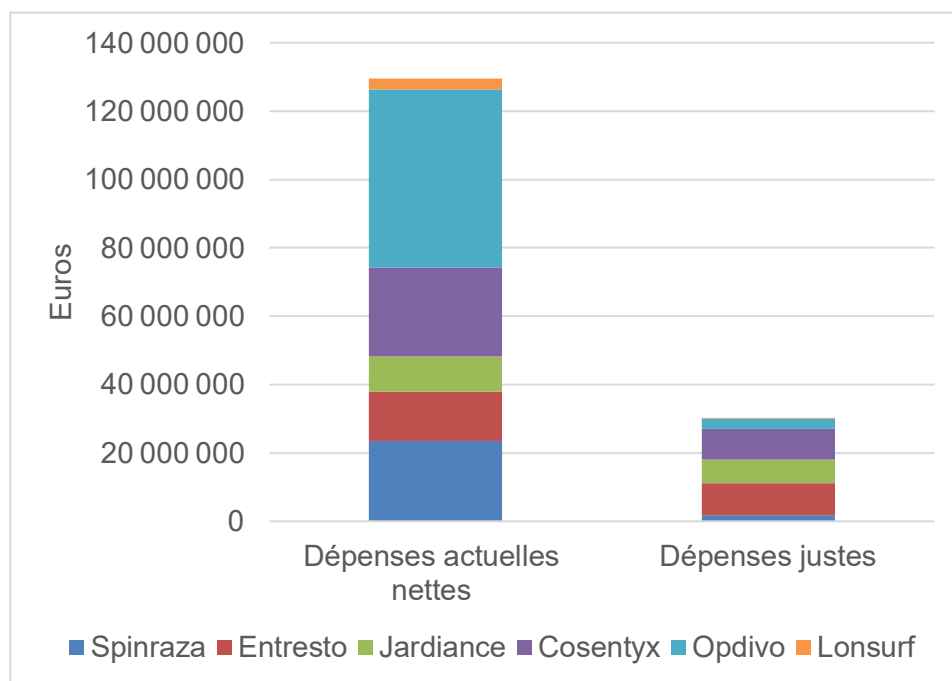
Le cas des traitements contre le cancer est particulièrement interpellant à la lumière des conclusions de diverses études, dont celle du Centre fédéral d'expertise des Soins de santé (KCE, 2021) qui démontre que l'on observe une augmentation importante des dépenses brutes et du coût moyen des traitements, mais sans amélioration manifeste de la survie globale.

Ce constat est confirmé par nos chiffres Solidaris qui montrent que pour les 2 traitements anticancéreux étudiés, seulement 19% des patients traités²¹ par Lonsurf et 32% de ceux traités par Opdivo sont encore en vie actuellement. Pour les patients décédés, des coûts moyens (brut) de traitement de respectivement 7.411 € et 34.356 € ont pourtant été mis à charge de l'assurance maladie pour ces traitements.

**Si le prix juste avait été appliqué pour les 7 médicaments de l'étude pour
lesquels 130 millions ont été dépensés en 2020,
plus de 99 millions d'euros auraient été économisés,
soit en moyenne 76,67% ou les trois-quarts du prix payé actuellement.**

²¹ depuis le début du remboursement en 2017 pour Lonsurf et 2016 pour Opdivo.

Figure 5 : Comparaison du coût des médicaments, entre les dépenses actuelles nettes et les dépenses justes



Source : calculs Solidaris (dépenses INAMI 2020)

2.2 Impact sur les dépenses de santé en Belgique

Les nouveaux médicaments remboursés à partir de 2015 représentaient un peu moins de 2 milliards d'euros de dépenses brutes en 2020²². Pour près de 1,4 milliard de dépenses pour ces médicaments, il y a un contrat secret avec une restitution. Si on retire la restitution moyenne pour les médicaments sous contrat en 2020 (41,19%), on a donc dépensé 1,381 milliards pour les médicaments remboursés depuis 2015 ou plus tard.

Avec le prix juste, on aurait payé 322 millions pour ces médicaments et économisé plus de 1 milliard d'euros (tableau 8).

²² Calcul Solidaris sur base des données de l'INAMI.

Tableau 8 : Dépenses réelles et économies potentielles avec le juste prix

Dépenses 2020	Montant (euros)
Pour les sous-brevets remboursés à partir de 2015	1.949.245.638
Dont avec contrat	1.379.426.580
Restitution moyenne de 41,19%	(568.185.808)
Dépenses réelles nettes	1.381.059.830
Calcul du prix juste	
Pourcentage moyen d'économie	-76,67%
Prix juste	322.201.258,32
Economie si le prix juste était appliqué	1.058.858.572

Source : Calcul Solidaris (dépenses INAMI 2020)

Si le prix juste tel que calculé pour les 7 médicaments sélectionnés était appliqué, la Belgique paierait 4 fois moins pour les médicaments innovants.

**La somme qui pourrait être économisée chaque année,
soit 1 milliard d'euros
représente 20% des dépenses pour les médicaments.**

3. CONTEXTUALISATION DES RÉSULTATS

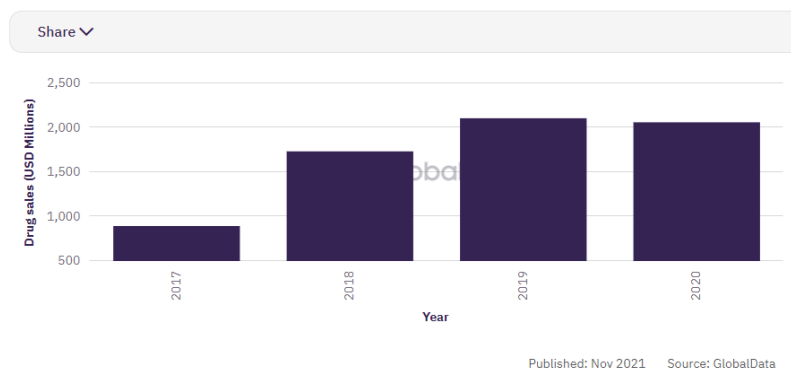
3.1. Éléments de réflexion concernant les résultats par médicament

L'analyse des résultats par médicament fait émerger deux constats :

- **Un orphelin n'est pas un orphelin !**

Les médicaments orphelins traitent des maladies rares, voire ultra-rares. Comme on l'a vu au tableau 1, le prix payé par patient est particulièrement élevé (plus de 180.000 € par an par patient pour les 10 médicaments les plus chers). Les firmes pharmaceutiques justifient ce prix en raison du faible nombre de patients et de la nécessité d'amortir la recherche sur cette petite population-cible. Le besoin de soutien à la recherche pour les maladies rares ne fait aucun doute, **cependant, petit nombre de patients ne veut pas forcément dire trop petit pour un prix raisonnable**. Le Spinraza avec un potentiel de 5.460 patients en Europe et un coût de traitement de 255.000€ par an par patient (brut en Belgique) génère des recettes de plus de 2 milliards de dollars par an au niveau mondial, très loin de l'esprit du médicament orphelin avec une rentabilité fragile !

The Global Drug sales of Spinraza (2017 - 2025, USD Millions)



Cette nuance dans la taille de la population-cible du médicament n'est pas assez prise en compte aujourd'hui. Dans le modèle de prix juste, la recherche est répartie sur le nombre de patients spécifique au médicament. Un médicament qui touche 10 fois plus de patients aura donc une composante de coût lié à la recherche divisée par 10. Ce prix juste répartit de manière plus équitable les ressources entre les firmes pharmaceutiques qui font une recherche utile et empêche que certaines fassent des surprofits.

- **Les traitements contre le cancer sont très largement surpayés.**

A l'analyse des 2 médicaments oncologiques de l'étude qui sont administrés pour des cancers dont la fréquence est très différente nous constatons, tant pour les 11.406.775 patients européens potentiellement traités par Opdivo (uniquement pour l'indication mélanome) que pour les 993.450 potentiellement traités par Lonsurf que **le prix est respectivement de 18 et 16 fois trop élevé !** Sachant que plus de 1 milliard d'euros est dépensé annuellement en Belgique pour les traitements médicamenteux du cancer, le gaspillage de ressources est gigantesque.

Avec un prix juste, les économies pour le système de santé des pays les plus riches seraient énormes, mais c'est surtout la situation des pays avec les revenus les plus bas qui serait améliorée.

3.2. Discussion des paramètres du modèle de prix juste

- R&D :

L'argument fréquemment avancé par les firmes pharmaceutiques pour défendre les prix élevés des nouveaux traitements est le coût de la recherche et la nécessité de récupérer les investissements faits

pour développer les nouveaux médicaments. Il est important de tenir compte de cet aspect si l'on souhaite continuer à soutenir l'innovation²³.

Dans le modèle, on prévoit par défaut un montant forfaitaire (donc ne nécessitant pas de justificatifs) de 250 millions d'euros par médicament pour les frais mondiaux de R&D alloué à ce médicament. Le modèle permet également à la firme pharmaceutique d'amortir des coûts réels supérieurs (moyennant justification comptable) jusqu'à un plafond de 2,5 milliards d'euros. Ce plafond a été fixé en tenant compte des analyses donnant le coût calculé selon la méthodologie la plus avantageuse pour l'industrie²⁴.

Si on applique ce montant maximal de 2,5 milliards pour la recherche, les résultats changent étonnamment peu. Comme le montre le tableau 9, l'assurance maladie économiserait encore 59% de ses dépenses actuelles pour les médicaments récents, soit plus de 800 millions d'euros par an.

Cette faible influence des coûts de R&D mondiale se comprend mieux à l'analyse de la dernière ligne du tableau 6 qui montre que le montant de recherche et développement par patient est un élément négligeable (qui représente 1 à 4% du prix juste) pour 4 des 7 médicaments étudiés.

La taille de la population de patients sur laquelle la recherche est amortie a par contre un impact plus important sur la part de la R&D comme on peut le voir pour les 3 médicaments étudiés avec population restreinte où cette part représente entre 27 et 41% du prix juste.

Tableau 9 : Economie potentielle en fonction du montant de R&D (en euros)

	Spinraza	Entresto	Jardiance	Cosentyx	Opdivo	Lonsurf	Moyenne pondérée
Dépenses actuelles (2020) nettes	23.421.350	14.508.150	10.358.238	25.920.955	52.146.329	3.221.352	
Economie:							
si 250 millions R&D :	93%	35%	33%	65%	94%	94%	76,67%
si 800 millions R&D :	84%	30%	22%	61%	94%	85%	72,4%
si 2,5 milliards R&D :	56%	15%	-	47%	94%	56%	59,2%

Source : *Calculs Solidaris*

- Coûts de production :

Les coûts de production constituent quant à eux les 2/3 des coûts pour les traitements chroniques ou de longue durée dans le modèle. Ces coûts de production sont basés sur des forfaits allant de 50 à 250€ par mois qui sont larges si on les compare aux coûts réels qu'on retrouve dans la littérature (*Barber, 2020*).

²³ Le modèle AIM/Solidaris soutient particulièrement l'innovation « utile » via le bonus à l'innovation qui permet un profit additionnel de 5 à 40% en lien avec l'utilité du médicament pour le patient.

²⁴ "Le processus de développement des médicaments nécessite des investissements, estimés entre 60 millions et 2,6 milliards de dollars, bien que la plupart des estimations avoisinent les 800 millions de dollars." (*Van der Gronde, 2017*)- traduction Solidaris. Le coût maximal de 2,6 milliards tient compte du coût d'opportunité, c'est le bénéfice que la firme aurait pu faire en investissant autrement son argent, pour la moitié de la valeur de l'investissement.

CONCLUSIONS ET RECOMMANDATIONS

Les prix des nouveaux médicaments sont négociés de manière secrète la plupart du temps et sont en croissance constante. Le poids des médicaments récents dans les dépenses de santé est problématique. Les médicaments orphelins et les médicaments contre le cancer en particulier bénéficient du système actuel de fixation des prix et obtiennent des prix plus de 10 fois supérieurs à ce qui serait nécessaire pour couvrir les frais de développement et de production de ces médicaments tout en rémunérant les actionnaires et en valorisant l'innovation utile. Le modèle développé par l'AIM et Solidaris en est l'illustration incontestable. Le potentiel d'économies annuelles de 1 milliard d'euros devrait faire réfléchir plus d'un patient et plus d'un décideur politique...

Afin d'avancer dans la direction d'un prix juste pour les médicaments en Belgique, Solidaris fait les recommandes de :

1) Utiliser le « prix juste » comme élément de négociation pour le prix des nouveaux médicaments.

La Commission de remboursement des médicaments instaurée auprès de l'INAMI formule aujourd'hui les propositions de remboursement pour les nouveaux médicaments au ministre des Affaires sociales sans qu'aucun élément relatif au coût réel des médicaments pour le fabricant ne soit pris en compte. **Solidaris recommande d'ajouter un critère d'évaluation des dossiers de remboursement ; le prix juste calculé sur base du modèle AIM/Solidaris et son calculateur.** Ce prix pourra dès lors être utilisé comme point de départ dans les négociations avec la firme, en complément à celui demandé par la firme. La discussion sur un modèle de prix basé sur les coûts des firmes pharmaceutiques permettra de créer une certaine transparence sur les coûts.

2) Revoir le prix des médicaments orphelins en fonction de leur rentabilité.

5²⁵ des 10 médicaments orphelins les plus chers sont sortis de la période de protection des brevets ou sur le point d'en sortir. Pour les médicaments orphelins, même si le brevet est expiré, le marché peut être tellement petit ou complexe qu'aucune alternative générique ou biosimilaire n'est commercialisée. Certaines firmes d'originaux utilisent même des stratégies pour retarder l'arrivée des alternatives comme c'est le cas pour le Soliris (GaBi, 2020). Ces médicaments maintiennent donc indéfiniment leur coût exorbitant²⁶. **Solidaris recommande d'appliquer les principes du modèle AIM/Solidaris de couverture des coûts afin de déterminer si les médicaments orphelins justifient le maintien des prix actuels.**

3) Restaurer de la transparence dans les prix.

Les experts et les décideurs politiques sont actuellement dans l'incapacité de décider d'un remboursement correct par manque d'information tant sur les prix appliqués à l'étranger que ceux appliqués en Belgique sur les alternatives. L'application du modèle de prix juste au niveau européen permettrait une transparence totale sur les prix et les coûts. Dans l'attente de cette transparence complète, **Solidaris recommande d'accroître la transparence au niveau belge en assouplissant la confidentialité autour des contrats, notamment afin :**

- **de donner accès aux prix réels négociés dans les contrats aux membres de la Commission de remboursement des médicaments;**

²⁵ Naglazyme, Soliris, Myozyme, Cerezyme et Cerdelga sont remboursés depuis plus de 12 ans, ce qui est la durée habituelle durant laquelle un médicament est protégé par un brevet.

²⁶ A l'exception des baisses de prix imposées pour les « vieux médicaments » : <https://www.INAMI.fgov.be/fr/themes/cout-remboursement/par-mutualite/medicament-produits-sante/remboursement/specialites/Pages/mesure-diminution-vieux-medicaments.aspx>

- **de rendre public les montants des restitutions par classe de médicaments** (sans divulguer le montant par médicament individuel qui est protégé par la confidentialité des contrats).

4) Appuyer l'utilisation du modèle AIM/Solidaris au niveau européen.

La Belgique aura la présidence du Conseil de l'Union Européenne durant le 1^{er} semestre 2024. **Solidaris recommande de saisir cette opportunité pour mettre à l'agenda la discussion entre Etats membres sur l'implémentation d'un modèle de prix européen juste (« fair price »).**

5) Tester le calculateur !

Les simulations faites pour les 7 médicaments utilisés dans l'étude à l'aide du calculateur de prix juste de Solidaris disponible sur www.lejusteprixdesmedicaments.be se trouvent en annexe.

Solidaris vous recommande de tester le calculateur avec un ou plusieurs de ces exemples afin de vous familiariser avec son utilisation et de pouvoir l'utiliser ensuite afin d'évaluer vous-mêmes le prix juste que la sécurité sociale devrait payer pour les médicaments.

BIBLIOGRAPHIE

Association Internationale de la mutualité (AIM). AIM offers a tool to calculate fair and transparent European prices for accessible pharmaceutical innovations. [En ligne]. [Design-AIMs-fair-pricing-model-Accompanying-paper-to-the-fair-pricing-calculator_08062021.pdf](https://aim-mutual.org/design-aims-fair-pricing-model-accompanying-paper-to-the-fair-pricing-calculator_08062021.pdf) (aim-mutual.org)

Barber M, Gotham D, Khwairakpam G, Hill A. Price of a hepatitis C cure: Cost of production and current prices for direct-acting antivirals in 50 countries. J Virus Erad. 2020; 6(3):100001. DOI: 10.1016/j.jve.2020.06.001.

Comité de l'assurance, INAMI. Note 2022/262 : Budget 2023 - Assurance soins de santé, dépenses pour prestations, estimations techniques du service pour les exercices 2022 et 2023, nouveau calcul. 19/09/2022. *Disponible sur demande*.

Generics and Biosimilars Initiative (GaBi). Alexion delays Soliris biosimilar until 2025. 2020. [En ligne]. <https://www.gabionline.net/policies-legislation/Alexion-delays-Soliris-biosimilar-until-2025>

IMA-AIM. Caractéristiques démographiques et socio-économiques des patients immunothérapie. 2022. [En ligne]. <https://aim-ima.be/Caracteristiques-demographiques-et?lang=fr>

INAMI-MORSE. Monitoring Of Reimbursement Significant Expenses MORSE. Rapport 2021. [En ligne]. https://www.INAMI.fgov.be/SiteCollectionDocuments/rapport_morse_2020.pdf

Neyt Mattias, Devos Carl, Thiry Nancy, Silversmit Geert, De Gendt Cindy, Van Damme Nancy, Castanares-Zapatero Diego, Fairon Nicolas, Hulstaert Frank, Verleye Leen. Les médicaments innovants contre le cancer ont-ils toujours une réelle valeur ajoutée? Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE). 2021. KCE Reports 343. DOI : 10.57598/R343BS.

Muth L., Neitemeier S., Dammann D., Steimle T., Glaeske G. AIM Fair Pricing Calculator für patentgeschützte Arzneimittel Ein Ansatz zur Ermittlung gerechterer Arzneimittelpreise in der EU und darüber hinaus. 2021. [En ligne]. [AIM Fair Pricing Calculator fur patentgeschutzte Arzneimittel.pdf](https://aim-fair-pricing-calculator.uni-bremen.de) (uni-bremen.de)

Rome B., Egilman A., Kesselheim A. Trends in Prescription Drug Launch Prices, 2008-2021. JAMA. 2022;327(21):2145-2147. doi: 10.1001/jama.2022.5542.

Thielen FW, Heine RJSD, Berg SVD, Ham RMTT, Groot CAU. Towards sustainability and affordability of expensive cell and gene therapies? Applying a cost-based pricing model to estimate prices for Libmeldy and Zolgensma. Cytotherapy. 2022 Dec;24(12):1245-1258. DOI: 10.1016/j.jcyt.2022.09.002. Epub 2022 Oct 8. PMID: 36216697.

Van der Gonde T., Uyl-de Groot C.A., Pieters T., Addressing the challenge of high-priced prescription drugs in the era of precision medicine: A systematic review of drug life cycles, therapeutic drug markets and regulatory frameworks, PloS ONE 12(8): e0182613. 2017), 2017. Available at: <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0182613>

ANNEXES – UTILISATION DU CALCULATEUR SOLIDARIS POUR LES 7 MEDICAMENTS DE L'ETUDE

1 Zolgensma – 4.878 patients

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT ET DE LA POPULATION DE PATIENTS

Type de maladie

Manuel

Estimation de la population totale de patients (prévalence/incidence/nombre de patients)

4 878 patients / période de 10 ans

Population cible (automatique)

4 878 patient (période de 10 ans)

Population traitée (automatique)

50%

Coût global de la R&D pour le développeur de médicaments

€250 000 000

Nombre de concurrents attendus (part de marché)

1 concurrent (1/2 du marché)

Composition du médicament/Coût de production

Thérapie génique ou cellulaire(€60 000/pour un traitement)

Durée moyenne du traitement en mois

1

Vente et information médicale (automatique)

20% du coût de la R&D

Profit de base (automatique)

8% du coût total

NIVEAU D'INNOVATION BASÉ SUR LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

5%

Le médicament est indiqué pour une maladie potentiellement mortelle ou chroniquement débilitante

30%

Le médicament est curatif (la maladie est guérie) ou a un impact majeur sur l'évolution de la maladie

COMPOSANTES DU PRIX JUSTE (par traitement et par patient)

Coût de la R&D	€73 493,23
Coût de production	€60 000,00
Vente et information médicale	€14 698,65
Profit de base	€11 855,35
Prime à l'innovation	€51 867,16

CALCUL DU PRIX JUSTE

Prix juste par traitement et par patient	€211 914,39
--	--------------------

Commentaires :

Prix juste pour la Belgique	€250 058,98
-----------------------------	--------------------

2 Zolgensma – 0,17/100.000

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT ET DE LA POPULATION DE PATIENTS

Type de maladie

Maladie ultra-rare

Estimation de la population totale de patients (prévalence/incidence/nombre de patients)

0,17 / 100.000 (prévalence)

Population cible (automatique)

761 patient (période de 10 ans)

Population traitée (automatique)

50%

Coût global de la R&D pour le développeur de médicaments

€250 000 000

Nombre de concurrents attendus (part de marché)

1 concurrent (1/2 du marché)

Composition du médicament/Coût de production

Thérapie génique ou cellulaire(€60 000/pour un traitement)

Durée moyenne du traitement en mois

1

Vente et information médicale (automatique)

20% du coût de la R&D

Profit de base (automatique)

8% du coût total

NIVEAU D'INNOVATION BASÉ SUR LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

5%

Le médicament est indiqué pour une maladie potentiellement mortelle ou chroniquement débilante

30%

Le médicament est curatif (la maladie est guérie) ou a un impact majeur sur l'évolution de la maladie

COMPOSANTES DU PRIX JUSTE (par traitement et par patient)

Coût de la R&D	€471 245,48
Coût de production	€60 000,00
Vente et information médicale	€94 249,10
Profit de base	€50 039,57
Prime à l'innovation	€218 923,10

CALCUL DU PRIX JUSTE

Prix juste par traitement et par patient	€894 457,25
--	--------------------

Commentaires :

Prix juste pour la Belgique	€1 055 459,55
-----------------------------	----------------------

3 Spinraza

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT ET DE LA POPULATION DE PATIENTS

Type de maladie

Maladie ultra-rare

Estimation de la population totale de patients (prévalence/incidence/nombre de patients)

1,22 / 100.000 (prévalence)

Population cible (automatique)

5 460 patient (période de 10 ans)

Population traitée (automatique)

50%

Coût global de la R&D pour le développeur de médicaments

€250 000 000

Nombre de concurrents attendus (part de marché)

0 concurrent (marché total)

Composition du médicament/Coût de production

Médicament chimique orphelin (€250/mois)

Durée moyenne du traitement en mois

120

Vente et information médicale (automatique)

20% du coût de la R&D

Profit de base (automatique)

8% du coût total

NIVEAU D'INNOVATION BASÉ SUR LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

5%

Le médicament est indiqué pour une maladie potentiellement mortelle ou chroniquement débilitante

5%

Le médicament n'a pas d'alternative

30%

Le médicament est curatif (la maladie est guérie) ou a un impact majeur sur l'évolution de la maladie

COMPOSANTES DU PRIX JUSTE (par traitement et par patient)

Coût de la R&D	€32 832,68
Coût de production	€30 000,00
Vente et information médicale	€6 566,54
Profit de base	€5 551,94
Prime à l'innovation	€27 759,68

CALCUL DU PRIX JUSTE

Prix juste par traitement et par patient	€102 710,83
Prix juste par mois de traitement par patient	€855,92
Prix juste par année de traitement	€10 271,08

Commentaires :

Prix juste pour la Belgique	€121 198,78
-----------------------------	--------------------

4 Entresto

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT ET DE LA POPULATION DE PATIENTS

Type de maladie

Maladie chronique

Estimation de la population totale de patients (prévalence/incidence/nombre de patients)

0,66% de la population totale

Population cible (automatique)

2 953 500 patient (période de 10 ans)

Population traitée (automatique)

50%

Coût global de la R&D pour le développeur de médicaments

€250 000 000

Nombre de concurrents attendus (part de marché)

2 concurrents (1/3 du marché)

Composition du médicament/Coût de production

Médicament chimique (€50/mois)

Durée moyenne du traitement en mois

120

Vente et information médicale (automatique)

20% du coût de la R&D

Profit de base (automatique)

8% du coût total

NIVEAU D'INNOVATION BASÉ SUR LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

5%

Le médicament est indiqué pour une maladie potentiellement mortelle ou chroniquement débilitante

10%

Le médicament a permis une amélioration importante de la qualité de vie

COMPOSANTES DU PRIX JUSTE (par traitement et par patient)

Coût de la R&D	€182,07
Coût de production	€6 000,00
Vente et information médicale	€36,41
Profit de base	€497,48
Prime à l'innovation	€932,77

CALCUL DU PRIX JUSTE

Prix juste par traitement et par patient	€7 648,74
Prix juste par mois de traitement par patient	€63,74
Prix juste par année de traitement	€764,87

Commentaires :

Prix juste pour la Belgique	€9 025,51
------------------------------------	------------------

5 Jardiance

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT ET DE LA POPULATION DE PATIENTS

Type de maladie

Maladie chronique

Estimation de la population totale de patients (prévalence/incidence/nombre de patients)

1,51% de la population totale

Population cible (automatique)

6 757 250 patient (période de 10 ans)

Population traitée (automatique)

50%

Coût global de la R&D pour le développeur de médicaments

€250 000 000

Nombre de concurrents attendus (part de marché)

2 concurrents (1/3 du marché)

Composition du médicament/Coût de production

Manuel

Médecine manuel/Coût de production

€10,00

Durée moyenne du traitement en mois

120

Vente et information médicale (automatique)

20% du coût de la R&D

Profit de base (automatique)

8% du coût total

NIVEAU D'INNOVATION BASÉ SUR LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

5%

Le médicament est indiqué pour une maladie potentiellement mortelle ou chroniquement débilante

5%

Le médicament a montré un gain de survie globale par rapport au comparateur allant jusqu'à 6 mois ou a un impact mineur sur le cours de la maladie

COMPOSANTES DU PRIX JUSTE (par traitement et par patient)

Coût de la R&D	€79,58
Coût de production	€1 200,00
Vente et information médicale	€15,92
Profit de base	€103,64
Prime à l'innovation	€129,55

CALCUL DU PRIX JUSTE

Prix juste par traitement et par patient	€1 528,69
Prix juste par mois de traitement par patient	€12,74
Prix juste par année de traitement	€152,87

Commentaires :

Prix juste pour la Belgique	€1 803,85
-----------------------------	------------------

6 Cosentyx

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT ET DE LA POPULATION DE PATIENTS

Type de maladie

Maladie chronique

Estimation de la population totale de patients (prévalence/incidence/nombre de patients)

0,13% de la population totale

Population cible (automatique)

581 750 patient (période de 10 ans)

Population traitée (automatique)

50%

Coût global de la R&D pour le développeur de médicaments

€250 000 000

Nombre de concurrents attendus (part de marché)

2 concurrents (1/3 du marché)

Composition du médicament/Coût de production

Médicament biologique (€150/mois)

Durée moyenne du traitement en mois

120

Vente et information médicale (automatique)

20% du coût de la R&D

Profit de base (automatique)

8% du coût total

NIVEAU D'INNOVATION BASÉ SUR LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

5%

Le médicament est indiqué pour une maladie potentiellement mortelle ou chroniquement débilante

30%

Le médicament est curatif (la maladie est guérie) ou a un impact majeur sur l'évolution de la maladie

COMPOSANTES DU PRIX JUSTE (par traitement et par patient)

Coût de la R&D	€924,37
Coût de production	€18 000,00
Vente et information médicale	€184,87
Profit de base	€1 528,74
Prime à l'innovation	€6 688,23

CALCUL DU PRIX JUSTE

Prix juste par traitement et par patient	€27 326,21
Prix juste par mois de traitement par patient	€227,72
Prix juste par année de traitement	€2 732,62

Commentaires :

Prix juste pour la Belgique	€32 244,93
-----------------------------	-------------------

7 Opdivo

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT ET DE LA POPULATION DE PATIENTS

Type de maladie

Cancer

Estimation de la population totale de patients (prévalence/incidence/nombre de patients)

254,90 / 100.000 (incidence annuelle)

Population cible (automatique)

11 406 775 patient (période de 10 ans)

Population traitée (automatique)

50%

Coût global de la R&D pour le développeur de médicaments

€250 000 000

Nombre de concurrents attendus (part de marché)

2 concurrents (1/3 du marché)

Composition du médicament/Coût de production

Médicament biologique (€150/mois)

Durée moyenne du traitement en mois

24

Vente et information médicale (automatique)

20% du coût de la R&D

Profit de base (automatique)

8% du coût total

NIVEAU D'INNOVATION BASÉ SUR LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

5%

Le médicament est indiqué pour une maladie potentiellement mortelle ou chroniquement débilante

10%

Le médicament a montré un gain de survie globale par rapport au comparateur de plus de 6 mois ou a un impact *modéré* sur le cours de la maladie

COMPOSANTES DU PRIX JUSTE (par traitement et par patient)

Coût de la R&D	€47,14
Coût de production	€3 600,00
Vente et information médicale	€9,43
Profit de base	€292,53
Prime à l'innovation	€548,49

CALCUL DU PRIX JUSTE

Prix juste par traitement et par patient	€4 497,58
Prix juste par mois de traitement par patient	€187,40
Prix juste par année de traitement	€2 248,79

Commentaires :

Prix juste pour la Belgique	€5 307,15
-----------------------------	------------------

8 Lonsurf

DESCRIPTION DU MÉDICAMENT ET DE LA POPULATION DE PATIENTS

Type de maladie

Cancer

Estimation de la population totale de patients (prévalence/incidence/nombre de patients)

22,20 / 100.000 (incidence annuelle)

Population cible (automatique)

993 450 patient (période de 10 ans)

Population traitée (automatique)

50%

Coût global de la R&D pour le développeur de médicaments

€250 000 000

Nombre de concurrents attendus (part de marché)

0 concurrent (marché total)

Composition du médicament/Coût de production

Médicament chimique (€50/mois)

Durée moyenne du traitement en mois

2

Vente et information médicale (automatique)

20% du coût de la R&D

Profit de base (automatique)

8% du coût total

NIVEAU D'INNOVATION BASÉ SUR LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

5%

Le médicament est indiqué pour une maladie potentiellement mortelle ou chroniquement débilante

5%

Le médicament a montré un gain de survie globale par rapport au comparateur allant jusqu'à 6 mois ou a un impact mineur sur le cours de la maladie

COMPOSANTES DU PRIX JUSTE (par traitement et par patient)

Coût de la R&D	€180,43
Coût de production	€100,00
Vente et information médicale	€36,09
Profit de base	€25,32
Prime à l'innovation	€31,65

CALCUL DU PRIX JUSTE

Prix juste par traitement et par patient	€373,49
Prix juste par mois de traitement par patient	€186,75

Commentaires :

Prix juste pour la Belgique	€440,72
-----------------------------	----------------

LES PUBLICATIONS DU SERVICE ETUDES ET POLITIQUES DE SANTE
DE SOLIDARIS MUTUALITÉ SONT TÉLÉCHARGEABLES SUR LE SITE DE
L'INSTITUT SOLIDARIS

[Institut Solidaris \(institut-solidaris.be\)](http://institut-solidaris.be)



SERVICE ETUDES ET POLITIQUES DE SANTE
DE SOLIDARIS MUTUALITÉ
RUE SAINT-JEAN, 32/38 - 1000 BRUXELLES
Téléphone : 02/515.03.93. – mail : Etudes@solidaris.be

EDITEUR RESPONSABLE :
JEAN-PASCAL LABILLE
Rue Saint-Jean 32/38 – 1000 Bruxelles