



LES 10 MEDICAMENTS LES PLUS CHERS (NOTE – ETUDE MUTUALITES LIBRES)

Le tableau ci-dessous¹ donne un aperçu des **10 médicaments avec les dépenses les plus élevées par patient** en 2019 parmi les membres des Mutualités Libres² (dépenses à charge de l'assurance obligatoire) Il s'agit de médicaments pour des traitements dont le coût est élevé, principalement des traitements de longue durée et/ou des traitements pour des maladies rares. Les dépenses totales à charge de l'assurance obligatoire pour les 10 médicaments "les plus chers" pour les Mutualités Libres s'élèvent à **25.552.692** euros.

Clés de lecture

- Les dépenses figurant dans le tableau ne reflètent pas le coût réel de tous les médicaments. Depuis 2010, des entreprises peuvent en effet conclure une convention avec l'INAMI sur le remboursement de leurs médicaments, ce que l'on appelle "l'art. 81/111". Grâce à ces conventions, un médicament (souvent très coûteux) est remboursé temporairement, alors que certaines incertitudes demeurent, par exemple quant à l'efficacité clinique ou à la rentabilité du produit. La convention prévoit certaines règles de compensation financière et peut éventuellement être liée à l'atteinte de certains résultats de santé ou à la collecte de données d'études supplémentaires.
 - Le nombre de médicaments sous contrat est limité dans ce top 10. De nombreux médicaments étaient en effet déjà remboursés depuis longtemps avant que le système de contrats ne soit mis en place. Le tableau indique si un contrat a été conclu pour un médicament bien précis.
- Trois groupes de médicaments sont fortement représentés dans le top 20 des dépenses : les facteurs de coagulation (utilisés en cas d'anomalies spécifiques de la coagulation du sang telles que l'hémophilie), les médicaments utilisés en cas de troubles métaboliques rares (maladie de Pompe,

¹ Pp 4 et suivantes

² Le tableau n'est donc pas à comparer au top 25 des dépenses en médicaments régulièrement publié par l'INAMI.

maladie de Fabry...), et les nouveaux traitements contre le cancer. Ces affections touchent relativement peu de personnes, mais les dépenses par personne sont très élevées.

- Par rapport à 2018, nous n'observons pas de changements majeurs dans le top 10. Un certain nombre de nouvelles molécules, principalement utilisées en oncologie, apparaissent toutefois dans le top 20.

Les différentes affections

- Les **maladies métaboliques héréditaires** sont des maladies qui sont causées, par exemple, par l'absence d'une certaine enzyme dans le métabolisme, ce qui provoque des dommages.
 - Le traitement peut être réalisé en administrant l'enzyme manquante. Notons qu'il existe peu d'alternatives (et donc peu de concurrence) vu le caractère très rare de la maladie. Le coût de ces médicaments orphelins est souvent très élevé et diminue peu au fil des ans, même si ceux-ci sont parfois depuis longtemps sur le marché.
 - L'évolution des dépenses dans cette classe de médicaments est principalement due à une **évolution des dépistages génétiques** (meilleure détection des patients et donc plus de patients traités) et à une **posologie** qui dépend généralement du poids du patient et évolue donc avec l'âge.
 - Les médicaments orphelins sont non seulement peu connus, mais aussi **très coûteux**. Pour leur utilisation, certains principes de précaution doivent être observés. En raison de la rareté de l'affection, les données sur l'efficacité sont souvent limitées.
 - La gravité de la maladie et le coût élevé du traitement justifient une intervention de l'assurance obligatoire envers le patient, mais des optimisations de l'indemnité restent possibles.
- Les **facteurs de coagulation du sang**
 - Globalement, les dépenses ont connu une forte augmentation ces dernières années. Cette augmentation est principalement due au **facteur de coagulation VIII**, utilisé pour traiter les patients atteints d'hémophilie A, la forme la plus courante d'hémophilie. En deuxième lieu, l'augmentation est à imputer au facteur de coagulation IX (données de l'INAMI). L'augmentation de la consommation de facteurs de coagulation est également influencée par les **changements dans les stratégies de traitement des patients hémophiles**.
 - Le **coût d'un traitement avec facteurs de coagulation est élevé**. Cela peut affecter le coût qui sera pratiqué pour les nouveaux médicaments pour cette maladie, par exemple **la thérapie génique**. Il est possible que le prix de revient actuel soit proposé comme référence pour fixer le prix de ces nouveaux médicaments.
 - Les **conditions de remboursement ont été adaptées** en 2019. L'objectif de ce changement était double : d'une part, améliorer la qualité des soins grâce au suivi et au traitement des hémophiles dans un centre spécialisé et, d'autre part, rationaliser les prescriptions et l'utilisation des facteurs de coagulation. Plus d'informations [ici](#). Plusieurs réductions de prix ont également été effectuées lors de cette révision des conditions, afin, entre autres, de compenser l'augmentation du volume.
 - Par patient, les coûts peuvent varier d'une année à l'autre, étant donné que l'utilisation des facteurs de coagulation dépend de plusieurs facteurs qui diffèrent d'année en année.

- **Oncologie**

- Les médicaments en oncologie ne figurent pas dans le top 10, mais certains se trouvent bel et bien dans le top 20.
- La forte augmentation des coûts n'apparaît pas seulement dans nos chiffres, mais elle se manifeste également dans le récent rapport MORSE, disponible sur le site web de l'INAMI³. Par exemple, en 2019, les dépenses INAMI pour la classe L01X ont augmenté pour atteindre plus d'1 milliard d'euros, soit près de 40 % des dépenses hospitalières. De plus en plus de traitements combinés sont également utilisés, ce qui augmente le coût du traitement.
- Cette augmentation montre l'importance de la maîtrise des dépenses en matière de médicaments, et ce sans compromettre l'accessibilité pour le patient. Les éléments qui peuvent contribuer à garder la croissance des dépenses sous contrôle comprennent notamment la mise en place d'un « horizon scanning » et l'attribution d'un budget maximum pour certains groupes de médicaments ou pathologies.

³https://www.inami.fgov.be/SiteCollectionDocuments/Rapport_MORSE_%20donnees%20jusque_2019.pdf

	Code ATC	Molécule	Nom	Nombre de patients Mutualités Libres	Coût par patient par an	Indication	Remarque
1	A16AB08	Galsulfase	Naglazyme®	1	754.622 €	Traitement enzymatique substitutif à long terme chez des patients dont le diagnostic de mucopolysaccharidose VI (maladie de Maroteaux-Lamy), un trouble métabolique rare, a été confirmé.	<ul style="list-style-type: none"> - Médicament orphelin pour une maladie rare (maladie orpheline). Une maladie orpheline est une maladie potentiellement mortelle ou gravement invalidante qui ne touche pas plus de 5 personnes sur 10.000 dans l'Union européenne (pour la Belgique max. 5.000 personnes). - L'évolution des dépenses dans cette classe de médicaments est principalement due à une évolution des dépistages génétiques (meilleure détection des patients et donc plus de patients traités) et à une posologie (dosage) qui dépend généralement du poids du patient. - Utilisation limitée aux hôpitaux (non disponible dans les officines publiques). - Etant donné leur coût, d'une part, et la connaissance souvent limitée de ces maladies, d'autre part, le remboursement de ces médicaments est souvent soumis à certaines conditions. - Les demandes de remboursement sont examinées par un Collège, composé de médecins/spécialistes de la maladie et de son traitement, et de médecins-conseils. - Il existe relativement peu de données sur l'efficacité et la sécurité, notamment en raison de la rareté de la maladie.
2	A16AB07	Alglucosidase alfa	Myozyme®	10	333.986 €	Traitement enzymatique substitutif à long terme (ERT = Enzyme Replacement Therapy) chez les patients dont le diagnostic de la maladie de Pompe (trouble métabolique congénital) a été confirmé. Peut entraîner une faiblesse croissante des muscles	<ul style="list-style-type: none"> - Médicament orphelin pour une maladie rare. - L'évolution des dépenses dans cette classe de médicaments est principalement due à une évolution des dépistages génétiques (meilleure détection des patients) et à une posologie qui dépend généralement du poids du patient. - Utilisation limitée aux hôpitaux (non disponible dans les officines publiques). - Etant donné leur coût, d'une part, et la connaissance souvent limitée de ces maladies, d'autre part, le remboursement de ces médicaments est souvent soumis à certaines conditions.

						squelettiques et des muscles respiratoires pouvant conduire à des problèmes moteurs et respiratoires.	<ul style="list-style-type: none"> - Les demandes de remboursement sont examinées par un Collège, composé de médecins/spécialistes de la maladie et de son traitement, et de médecins-conseils. - Il existe relativement peu de données sur l'efficacité et la sécurité, notamment en raison de la rareté de la maladie.
3	A16AB02	Imiglucerase	Cerezyme ®	5	315.014 €	Traitement enzymatique substitutif à long terme chez les patients dont le diagnostic de maladie de Gaucher non neuronopathique (type 1) ou neuronopathique chronique (type 3) (trouble métabolique congénital rare) a été confirmé.	<ul style="list-style-type: none"> - Maladie rare. - L'évolution des dépenses dans cette classe de médicaments est principalement due à une évolution des dépistages génétiques (meilleure détection des patients et donc plus de patients traités) et à une posologie qui dépend généralement du poids du patient. - Utilisation limitée aux hôpitaux (non disponible dans les officines publiques). - Le Cerezyme n'a pas de statut d'orphelin. - Le remboursement ne passe pas par un Collège. - Il existe relativement peu de données sur l'efficacité et la sécurité, notamment en raison de la rareté de la maladie.
4	R07AX02	Ivacaftor	Kalydeco®	5	244.180 €	Utilisé pour certaines formes de mucoviscidose .	<ul style="list-style-type: none"> - Médicament orphelin. - Remboursé depuis le 01/02/2016. Ce médicament a été enregistré via une convention entre l'entreprise et l'INAMI ("art. 81/111"). - Il concerne une nouvelle classe de médicaments pour le traitement de la mucoviscidose (nouveau mécanisme d'action). Utilisation limitée aux hôpitaux. - Le remboursement de ce médicament est soumis à certaines conditions. - Les demandes de remboursement sont examinées par un Collège, composé de médecins/spécialistes de la maladie et de son traitement, et de médecins-conseils.
5	A16AX14	migalastat	Galafold ®	2	208.805 €	Patients atteints de la maladie de Fabry (déficit en alpha-galactosidase A) (maladie métabolique héréditaire rare) - traitement oral.	<ul style="list-style-type: none"> - Médicament orphelin pour une maladie rare. - L'évolution des dépenses dans cette classe de médicaments est principalement due à une évolution des dépistages génétiques (meilleure détection des patients et donc plus de patients traités) et à une posologie qui dépend généralement du poids du patient. - Utilisation limitée aux hôpitaux (non disponible dans les officines publiques).

							<ul style="list-style-type: none"> - Etant donné leur coût, d'une part, et la connaissance souvent limitée de ces maladies, d'autre part, le remboursement de ces médicaments est souvent soumis à certaines conditions. - Les demandes de remboursement sont examinées par un Collège, composé de médecins/spécialistes de la maladie et de son traitement, et de médecins-conseils. - Il existe relativement peu de données sur l'efficacité et la sécurité, notamment en raison de la rareté de la maladie.
6	A16AB03	Agalsidas e alfa	Replagal ®	4	185.469 €	Traitement enzymatique substitutif à long terme chez les patients dont le diagnostic de la maladie de Fabry (déficit en alpha-galactosidase A) (maladie métabolique héréditaire rare) a été confirmé.	<ul style="list-style-type: none"> - Médicament orphelin pour une maladie rare. - L'évolution des dépenses dans cette classe de médicaments est principalement due à une évolution des dépistages génétiques (meilleure détection des patients et donc plus de patients traités) et à une posologie qui dépend généralement du poids du patient. - Utilisation limitée aux hôpitaux (non disponible dans les officines publiques). - Etant donné leur coût, d'une part, et la connaissance souvent limitée de ces maladies, d'autre part, le remboursement de ces médicaments est souvent soumis à certaines conditions. - Les demandes de remboursement sont examinées par un Collège, composé de médecins/spécialistes de la maladie et de son traitement, et de médecins-conseils. - Il existe relativement peu de données sur l'efficacité et la sécurité, notamment en raison de la rareté de la maladie.
7	L04AA25	Eculizumab	Soliris ®	15	184.196 €	Utilisé, entre autres, pour le syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) et l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN).	<ul style="list-style-type: none"> - Trouble de la coagulation. - Utilisation limitée aux hôpitaux (non disponible dans les officines publiques). - Premier enregistrement en 2009 (HPN, hémoglobinurie paroxystique nocturne), puis élargissement de l'indication (SHUa, syndrome hémolytique et urémique atypique) qui entrent en ligne de compte pour une transplantation rénale, où l'insuffisance rénale terminale est causée par un SHUa). Cette dernière indication a été remboursée via une convention entre l'entreprise et l'INAMI ("art. 81/111").
8	B02BD03	Factor VIII inhibitor	Feiba	1	159.900 €	Facteur de coagulation activé. Comporte différents facteurs de coagulation et est utilisé pour le traitement	<ul style="list-style-type: none"> - Appartient à la classe des facteurs de coagulation. - En général, les dépenses consacrées à ce type de médicaments ont fortement augmenté ces dernières années. Feiba appartient à la classe appelée "complexe

		bypassing activity				<p>et la prévention des hémorragies et comme traitement de substitution pour les interventions chirurgicales en cas d'hémophilie A avec inhibiteur du facteur VIII et d'hémophilie B avec inhibiteur du facteur IX. Est également utilisé en cas d'hémorragie sévère potentiellement mortelle chez des patients non hémophiles avec des inhibiteurs acquis des facteurs VIII, XI et XII.</p>	<p>prothrombique activé contre les anticorps du facteur VIII" (FEIBA = Factor Eight Inhibitor Bypassing Activity). Utilisation limitée aux hôpitaux (non disponible dans les officines publiques). Ces médicaments ne sont pas toujours utilisés selon un planning fixe, mais leur utilisation et leur durée dépendent de divers facteurs qui peuvent varier d'une année à l'autre. Les coûts peuvent donc également différer d'une année à l'autre.</p> <ul style="list-style-type: none"> - Depuis le 01/07/2019, il existe un meilleur cadre pour le remboursement (pour plus d'infos, voir le site de l'INAMI). - Remboursé uniquement : <ul style="list-style-type: none"> o s'il est administré à l'hôpital chez un patient souffrant d'une hémorragie sévère caractérisée par un ou plusieurs des facteurs suivants : menaçant la vie et/ou menaçant les membres et/ou menaçant un organe et/ou une hémorragie dans le système nerveux central, et atteint d'hémophilie A, d'hémophilie B, de la maladie de Von Willebrand de type 1, 2 ou 3, d'un déficit d'un facteur de la coagulation lié à la présence d'inhibiteurs du facteurs de coagulation, de la maladie de Glanzmann (thrombasthénie) avec une absence de réponse antérieure ou actuelle aux transfusions plaquettaires ou lorsque les plaquettes ne sont pas facilement disponibles, de déficience congénitale en proconvertine. Le traitement se fait en concertation avec le centre de référence. o s'il est prescrit pour le traitement et la prévention des hémorragies survenant chez les patients présentant un déficit d'un facteur de la coagulation lié à la présence d'inhibiteurs des facteurs de coagulation, s'il est prescrit par un médecin spécialiste en médecine interne, hématologie, pédiatrie ou hématologie pédiatrique attaché à un centre de référence.
9	A16AB04	Agalsidas e beta	Fabrazyme®	9	151.161 €	<p>Pour un traitement enzymatique substitutif à long terme chez les patients dont le diagnostic</p>	<ul style="list-style-type: none"> - Médicament orphelin pour une maladie rare. - L'évolution des dépenses dans cette classe de médicaments est principalement due à une évolution des dépistages

						de la maladie de Fabry (déficit en alpha-galactosidase A) (maladie métabolique congénitale rare) a été confirmé.	<p>génétiques (meilleure détection des patients et donc plus de patients traités) et à une posologie qui dépend généralement du poids du patient.</p> <ul style="list-style-type: none"> - Utilisation limitée aux hôpitaux (non disponible dans les officines publiques). - Etant donné leur coût, d'une part, et la connaissance souvent limitée de ces maladies, d'autre part, le remboursement de ces médicaments est souvent soumis à certaines conditions. - Les demandes de remboursement sont examinées par un Collège, composé de médecins/spécialistes de la maladie et de son traitement, et de médecins-conseils. - Il existe relativement peu de données sur l'efficacité et la sécurité, notamment en raison de la rareté de la maladie.
10	B02BD02	Coagulation factor VIII	Recombinate ®, Factane ®, Octanate ®, Refacto ®, Novoeight ®, Nuwiq ®, Advate ®, Kovaltry ®, etc.	97	136.283 €	Divers médicaments pour le traitement et la prévention des hémorragies chez les patients atteints d'hémophilie A (déficit congénital du facteur VIII).	<ul style="list-style-type: none"> - Médicament pour la coagulation - En général, les dépenses consacrées à ce type de médicaments ont fortement augmenté ces dernières années. - Depuis le 01/07/2019, il existe un meilleur cadre pour le remboursement (pour plus d'infos, voir le site de l'INAMI).