

Evolution des prescriptions de médicaments orphelins en oncologie : en France, et à l'échelle d'un établissement hospitalier.

Philippe GORRY¹, Barbara LORTAL² et Dominique BREILH³

¹ Groupe de Recherche en Economie Théorique et Appliquée (GREThA), UMR CNRS 5113, Université de Bordeaux, 33608 Pessac, France

² Pharmacie, Institut Bergonié, 33076 Bordeaux, France

³ Pharmacie Groupe Hospitalier Sud, CHU de Bordeaux, 33604 Pessac.

Correspondance : philippe.gorry@u-bordeaux.fr

RESUME

Les « médicaments orphelins » (OD, Orphan Drug) est le terme consacré aux médicaments destinés aux maladies rares. Ce statut apporte pour les firmes, des incitations réglementaires et financières : exclusivité de marché, et remboursement des essais cliniques, selon les agences. Avec l'attribution par la Food & Drug Administration (FDA) et l'Agence Européenne du Médicaments (EMA), du statut OD à plus de 500 molécules en développement, cette législation a contribué à l'élaboration de nombreux produits innovants. Du fait de leur prévalence, les cancers rares bénéficient de cette législation. Aujourd'hui, 50% des anticancéreux mis sur le marché sont des OD, et 7 des 10 médicaments les plus vendus aux USA en 2011 étaient des OD, véritables blockbusters, rapportant pour certains plus de 1Md\$ de chiffre d'affaires annuel. La disponibilité de ces médicaments avec leur coût très élevé soulève un débat autour de la soutenabilité de nos systèmes sociaux dans un contexte macroéconomique défavorable.

Nous avons essayé de documenter cette situation à plusieurs niveaux : (1) en faisant un état des lieux des OD anticancéreux mis sur le marché ou en développement, (2) en mesurant l'évolution des dépenses des OD prescrits en France, et enfin (3) en évaluant sur 2 sites hospitaliers pilotes la prescription de ces médicaments.

Nous montrons une explosion des demandes de statuts OD avec un 1/4 des demandes en oncologie, concentrées sur un faible nombre de cancers rares, demandes faites par les start-up, mais exploitées par les grands groupes pharmaceutiques, avec une régulation peu sélective par les agences (FDA, EMA), pour des coût de traitement beaucoup plus élevé, avec une forte croissance annuelle, responsable de 2/3 des remboursement d'anticancéreux, pour des molécules au SMR très moyen, impactant le budget des établissements hospitaliers.

Mots Clés : Médicaments orphelins, cancer, politique de santé, économie du médicament

Classification JEL : I1, L65, O3