

Hôpital Cantonal

CONSEIL d'ETHIQUE CLINIQUE

Monsieur le Professeur
Henri BOUNAMEAUX
Directeur du Département de
Médecine Interne des HUG

Genève, le 4 mai 2003.

AVIS CONSULTATIF DU CONSEIL D'ETHIQUE CLINIQUE AU SUJET DE L'ALLOCATION DES MEDICAMENTS ET DES TRAITEMENTS CÔUTEUX

1. Pour le médecin en charge d'un malade, ci-après dénommé *médecin traitant*, le devoir essentiel, dicté par le principe de bienfaisance, est de défendre l'administration au malade des meilleurs traitements disponibles en termes d'efficacité, sans considération de coût, dans la mesure où ceux-ci sont mis à disposition par l'institution et pour autant qu'ils aient été démontrés comme plus efficaces que les approches thérapeutiques existantes. Ce médecin a également un devoir d'information vis-à-vis de son patient sur les différentes possibilités thérapeutiques à disposition. Toutefois, il n'appartient pas au médecin traitant de prendre des décisions de rationnement à l'échelon individuel. De plus, le médecin traitant doit se montrer loyal envers l'institution et il doit s'abstenir de critiquer auprès des patients d'éventuelles décisions de celle-ci de ne pas mettre à disposition un traitement coûteux. Il reconnaît ainsi qu'il n'a pas la mission et, le plus souvent, pas la vision globale qui doit présider à ce type d'allocation.
2. Le *devoir de l'institution* est de gérer des ressources nécessairement limitées dans le souci de la justice et de l'équité, dans la plus grande transparence. Le critère du coût du nombre global d'années de vie de bonne qualité (QALYs) gagnées par l'introduction d'un traitement onéreux doit être pris en compte, mais il ne saurait être le seul critère d'allocation. En effet, au jeu du coût des QALYs, les patients atteints de pathologies rares et dont le pronostic est grave, seront toujours prérêtés par rapport à ceux qui sont atteints de pathologies fréquentes. Le fait de souffrir d'une pathologie rare est déjà une source d'inégalité en termes de ressources consacrées à la recherche, et donc à des progrès thérapeutiques potentiels. Il serait injuste d'ajouter à ce désavantage la limitation de l'accès à des traitements efficaces, mais coûteux. De plus, dans une situation de limitation sérieuse des ressources et/ou de rapport coût-efficacité défavorable, le principe de justice exige une égalité des sacrifices entre les patients, pour éviter l'apparition d'une médecine à deux vitesses.
3. Pour pouvoir gérer avec justice l'attribution des ressources en général, et ce d'autant plus quand il s'agit de ressources coûteuses, l'Institution doit prendre les *décisions d'allocation à un niveau qui permette une vision d'ensemble des besoins des patients dont elle a la charge*. C'est pourquoi, notre Conseil estime que la procédure de décision pour l'introduction de ce type de prestation doit être discutée au sein des HUG au plus haut niveau, c'est à dire par une instance qui a la vue d'ensemble des moyens et des missions des hôpitaux publics genevois.

I. INTRODUCTION

La dimension éthique de l'introduction de nouvelles thérapeutiques a fait l'objet d'une saisine du Conseil d'éthique clinique des HUG par la direction du Département de médecine interne. Celle-ci souhaite une orientation éthique sur le choix d'introduire ou non une nouvelle thérapeutique aux HUG. Elle a formulé les trois questions suivantes :

- *quels sont les critères qui devraient être remplis avant l'introduction d'une nouvelle thérapeutique au sein des HUG ?*
- *dans quelle mesure les impératifs économiques peuvent (doivent)-ils intervenir dans cette décision ?*
- *dans la mesure où les impératifs économiques doivent être pris en considération, quels seraient les organes consultatif et décisionnaire ?*

Avant d'entrer de plein pied dans les questions complexes soulevées par cette saisine, il convient de les situer dans le contexte des rapports entre l'éthique et l'économie, notamment quant aux différents niveaux dans l'allocation des ressources (micro-allocation, c'est à dire la distribution des ressources au niveau du patient, méso-allocation, ou attribution des ressources au sein d'une institution comme les HUG, et macro-allocation, soit le rôle de l'Etat dans les choix d'attribution de ses revenus, comme l'éducation, la santé, la sécurité, etc.). C'est l'objet de ce chapitre introductif.

1.1 Situation du problème

Cette saisine pose la question des tensions entre les impératifs éthiques et les contraintes économiques dans l'allocation des ressources thérapeutiques « rares », au sens où l'entendent les économistes. Il s'agit bien des ressources qui ont un coût d'opportunité et dont la distribution implique nécessairement des choix d'allocation explicites ou implicites. En ce sens, parler d'allocation de ressources, c'est poser d'emblée une question de nature économique. Ainsi, la deuxième question de la saisine semble tautologique : agréer un nouveau médicament ou une nouvelle thérapeutique, c'est choisir parmi des alternatives qui représentent chacune un usage particulier de ressources finies, choix qui entre par définition dans l'orbite du raisonnement économique.

Le terme de « rationnement », souvent utilisé dans ce contexte, est assez trompeur. En effet, il renvoie soit à des situations de pénurie liées à des circonstances hors de la norme (rationnement en temps de guerre, p.ex.), soit à des circonstances où la rareté impose des décisions « tragiques », c'est-à-dire des choix entre des bénéficiaires d'une prestation essentielle indivisible, comme des organes vitaux à allouer à des patients en liste d'attente de transplantation. Or, même dans les décisions d'allocation de ressources ordinaires où il n'y a pas rationnement dans ce sens extrême, il y a nécessité de choisir dans un contexte où la dimension économique est présente.

Pour notre Conseil, la question fondamentale revient à d'identifier les arguments à l'appui de tel ou tel choix de nouveaux traitements qui sont recevables au plan éthique et d'analyser les conflits entre les contraintes économiques inhérentes à ces choix et les obligations éthiques qui incombent aux soignants et à l'institution de santé. Alors que pour la plupart des biens ordinaires, c'est le marché qui réalise l'allocation de façon automatique et anonyme, les ressources médicales ne sont jamais et nulle part au monde soumises aux seules règles du marché, et cela pour plusieurs raisons. Premièrement, la loi de l'offre et de la demande ne joue pas ici, puisque les coûts des prestations n'incombent que très partiellement au patient et qu'ils lui sont donc « invisibles ». Ensuite, les asymétries d'information majeures qu'impliquent la relation soignant-soigné et les externalités considérables liées à la santé ont pour conséquence que le « laissez-faire » en matière de traitements médicaux, c'est-à-dire l'allocation de ressources médicales selon les règles du marché libre, relève de l'utopie. Enfin, des enjeux d'éthique essentiels entrent en lice à tous les niveaux des processus d'allocation, depuis le niveau « micro » des choix thérapeutiques au lit du malade jusqu'aux grandes orientations macroéconomiques de politique sanitaire. C'est pourquoi l'analyse économique qui accompagne à des degrés divers les décisions d'allocation à tous ces niveaux doit être comprise comme une aide à la décision, mais en aucun cas comme un outil décisif.

1.2. Micro- et mésoallocation

Même si la saisine nous interroge en termes très généraux sur la place de la rationalité économique dans l'admission de nouveaux traitements, elle renvoie implicitement au travail passé du Conseil d'éthique des HUG. En effet, la question des traitements très onéreux a été soumise au Conseil d'éthique des HUG une première fois en mars 2000. A cette époque, le Pr. Philippe de MOERLOOSE avait saisi le Conseil d'éthique

clinique au sujet d'un traitement particulièrement coûteux par le médicament hémostatique NOV07®) (facteur VII recombinant humain activé). Le prix de ce traitement pour un patient hémophile devant affronter une intervention chirurgicale était évalué à environ CHF 30'000.-, mais il pouvait dépasser les CHF 100'000.- en cas de complications. Le Conseil avait conclu à l'époque qu'aucune des exigences éthiques pour un rationnement justifiable n'était remplie en l'occurrence et qu'il était donc impératif de fournir au patient un médicament dont le caractère indiqué et l'absence d'alternative ne faisaient pas de doute. Tout récemment, une question écrite informelle de même origine et sur le même sujet fut posée au Pr. JC. CHEVROLET, président du Conseil d'éthique clinique des HUG et elle reçut de sa part une réponse similaire, lors bien même que la somme en jeu était plus considérable.

Il est vrai que ce sont typiquement les questions de micro-allocation concernant un traitement particulièrement onéreux pour un petit nombre de patients qui déclenchent le débat d'éthique sur l'allocation de ressources (que l'on considère, par exemple, la controverse sur le même sujet à Bâle en 1996 à propos de l'ancien Conseiller fédéral Peter TSCHUDI). En effet, la question du traitement exceptionnellement coûteux d'un ou de deux patients, traitement dont on redoute qu'il fasse « sauter la banque », met l'institution au pied du mur. La question de l'allocation de ressources prend alors un caractère radical et urgent. Or, cette coloration « micro » donnée d'emblée à la discussion ne doit pas nous faire perdre de vue que la question posée concerne en réalité les critères institutionnels d'adoption d'un nouveau traitement, indépendamment d'un patient particulier. Les principes éthiques qui président à ces choix institutionnels, comme c'est le cas pour la présente saisine au fond, et comme c'est la question que les HUG en tant qu'entité doivent résoudre, sont ceux qui gouvernent la « méso-allocation » des ressources. Ils ne sont pas identiques à ceux qui sous-tendent les options qui se présentent au médecin face à un patient singulier. Il faut donc se garder de la confusion entre deux types d'enjeux éthiques distincts, qui concernent respectivement :

-le médecin amené à choisir de traiter ou non un patient donné au moyen d'un traitement particulièrement coûteux, le cas échéant en le comparant à des alternatives (micro-allocation) ;

-les autorités institutionnelles qui doivent choisir d'adopter ou non une nouvelle modalité thérapeutique, souvent en la comparant à des traitements d'ores et déjà acceptés (méso-allocation).

Bien entendu macro- ou méso-allocation, et micro-allocation interagissent. Par exemple, en cas de restriction drastique d'une prestation ou d'un service, entraînant le décès visible d'individus, ou une morbidité importante, suite à des choix tragiques par manque de moyens alloués, le corps social, *via* le débat politique, peut amener des changements dans l'allocation au niveau macro ou méso. Ce fut le cas pour la dialyse aux Etats-Unis dans les années septante. Après plusieurs décès visibles de malades auxquels la dialyse avait été refusée de principe en raison de leur âge, cette technique s'est vue remboursée par l'assurance sociale après un changement de politique de l'Etat, donc une révision de la macro-allocation des ressources.

1.3. Nouveaux traitements et nouveaux médicaments

La question des coûts liés à l'introduction de nouveaux traitements est souvent assimilée à celle des nouveaux médicaments. Or, même si les médicaments constituent souvent la part la plus visible des thérapeutiques, ils ne sont de toute évidence pas synonymes à l'ensemble des traitements appliqués dans une institution hospitalière. Un certain nombre de réalités comptables sont utiles pour mettre cette différence en perspective. Rappelons que le budget de la pharmacie des HUG représente moins de 4 p.cent du budget total de cette institution, alors que cette proportion se monte à 82 p.cent pour les salaires. Nous laissons le lecteur imaginer les implications administratives, syndicales et politiques très contrastées que des efforts de rationalisation pourraient avoir dans ces deux domaines bien différents, à savoir les médicaments d'un côté, les emplois de l'autre. Cela ne justifie évidemment pas une quelconque complaisance face à l'augmentation inquiétante des dépenses dues aux médicaments (près de 10 p.cent par an actuellement dans les HUG) et à la nécessité d'une réflexion argumentée à ce sujet.

Compte tenu de ce que les médicaments très coûteux pour traiter des maladies rares sont souvent les déclencheurs de la réflexion éthique dans ce domaine, il convient de relever certaines caractéristiques du budget « médicaments » des HUG. Si l'on considère le classement des médicaments en fonction de la dépense qu'ils engendrent pour les HUG (prix unitaire multiplié par la quantité prescrite, chiffres 2001), on constate qu'il est difficile d'incriminer un petit nombre de molécules qui seraient à elles seules responsables d'un fardeau financier disproportionné. Ce dernier est assez largement réparti sur un grand nombre de rubriques. Par ailleurs, si l'on analyse le « top 15 » des médicaments les plus coûteux, on y trouve certes des médicaments très innovateurs et très chers (en coût unitaire), mais aussi des produits

banals et bon marché, comme l'albumine et les poches de perfusion de NaCl. Dans ce cas, c'est uniquement l'énormité des quantités prescrites qui propulse au sommet du classement ces humbles nécessités du quotidien médical.

Les innovations thérapeutiques au coût unitaire élevé soulèvent quant à elles une problématique d'éthique assez troublante : comment concevoir l'équité entre deux catégories de malades dépendants de médicaments très onéreux, soit ceux qui ont une pathologie fréquente et où la décision d'adopter le médicament onéreux a des conséquences financières lourdes, mais relativement prévisibles (exemples: COMBIVIR[®], HERCEPTIN[®], MABTHERA[®]), ou les patients qui souffrent d'une maladie rare et chez qui cette même décision implique un fardeau financier plus erratique et plus difficile à planifier (exemple : NOV07[®], CEREZYME[®]) ? Intuitivement, on peut penser que la personne souffrant d'une maladie rare est déjà désavantagée dans sa prise en charge ordinaire (soins compétents plus difficiles à trouver dans le réseau de soins primaire, maladie orpheline moins bien connue) et que ce serait ajouter une discrimination supplémentaire que d'adopter des critères purement utilitaristes dans l'introduction de nouveaux médicaments, puisque de tels critères sont structurellement biaisés en faveur des pathologies les plus courantes.

La question centrale pour maîtriser l'augmentation du coût des médicaments dans l'hôpital est celui de l'évaluation de l'innovation médicale associée aux nouveaux produits. C'est la responsabilité de la Commission des médicaments présidée par le Pr. Pierre DAYER. Celle-ci évalue les innovations médicamenteuses sur la base de trois critères (entretien du Directeur médical des HUG avec A. MAURON du 21.11.02):

1. la valeur ajoutée du point de vue médical ;
2. la valeur ajoutée du point de vue de l'enseignement (le concept pédagogique sous-jacent est qu'il convient de donner au médecin en formation la maîtrise des médicaments réellement utiles et spécifiques, plutôt que de couvrir tous les médicaments « *me-too* »);
3. subsidiairement, et à bénéfice médical égal, la minimisation des coûts.

La liste des médicaments des HUG est tendanciellement plus sélective que celle des autres centres hospitalo-universitaires de Suisse. Néanmoins, à l'heure actuelle, il est difficile de refuser l'inscription d'un nouveau médicament à la liste des spécialités disponibles à l'hôpital dès l'instant où les spécialistes du domaine médical concerné jugent qu'il s'agit d'une innovation indispensable, ou à tout le moins, très importante dans leur domaine. Du même coup, les pressions et les conflits d'intérêts qui se manifestent à ce niveau sont considérables.

II. LES VALEURS ETHIQUES EN JEU

2.1 Interprétation des principes au niveau micro

Au lit du malade, les valeurs éthiques propres à l'activité médicale sont mises en jeu de façon directe.

C'est à la fois le droit et le devoir du médecin prescripteur de les respecter et de les faire respecter. Dès lors qu'un traitement fait partie du catalogue des prestations que l'institution accepte par principe de fournir, c'est l'intérêt médical du patient (principe de bienfaisance) ainsi que son consentement libre et éclairé (principe d'autonomie) qui doivent inspirer toute décision médicale. En d'autres termes, si un traitement onéreux est reconnu et qu'il est mis à disposition par l'institution de soins et que, pour un patient donné, si ce traitement est médicalement indiqué pour sauver la vie de ce malade ou obtenir pour lui un bienfait médical important au prix d'inconvénients et de risques acceptables pour lui, s'il n'existe pas d'alternative thérapeutique sensiblement équivalente et que ce patient consent au traitement, le médecin est alors obligé de lui prescrire le dit traitement.

De plus, sous l'angle de la justice, il serait inique de refuser au patient B ce qui a été accordé au patient A se trouvant dans une situation médicale similaire, sous prétexte que c'est B qui a généré le surcroît de dépenses perçues comme exceptionnellement douloureuses. Au niveau de la micro-allocation des ressources, l'exigence d'équité commande ainsi la non-discrimination, mais aussi l'absence de favoritisme entre les patients.

Au niveau de l'allocation entre patients, l'argumentation économique a une portée limitée. S'il existe des alternatives sensiblement équivalentes, il convient de favoriser le traitement qui est, *ceteris paribus*, le moins cher. En termes d'analyse économique, le médecin doit considérer comme pertinents les arguments

qui relèvent de la minimisation des coûts et l'identification du traitement le plus économiquement avantageux parmi les options thérapeutiques disponibles. En dehors de ces situations, l'analyse coût-efficacité ou coût-utilité qui permet de comparer différentes stratégies à l'aide d'un dénominateur commun, le rapport coût efficacité ou coût-utilité, a une valeur indicative pour le médecin traitant. Elle lui offre en effet la possibilité, lorsqu'une telle analyse existe, de comparer le traitement concerné avec ce que la société admet communément, ou ce qui peut être considéré comme cher, voire prohibitif, car très coûteux pour un surcroît d'efficacité minime. S'il se trouve devant un tel cas de figure, le médecin traitant ne peut porter seul le poids d'une décision de restriction ou de rationnement. En effet, celui-ci doit pouvoir rester essentiellement au service de l'intérêt médical « raisonnable » du patient, faute de quoi son rôle serait fondamentalement redéfini comme celui d'un simple gestionnaire des corps et de la santé, aux ordres d'une superstructure institutionnelle et économique qui lui imposerait des finalités étrangères à sa mission principale. D'un autre côté, le médecin traitant ne peut assumer seul la responsabilité d'un traitement au rapport coût-efficacité peu favorable et décider à discrétion de l'utilisation de ressources financières qui pourraient servir à d'autres fins. C'est une expression de la responsabilité sociale du médecin.

On notera toutefois que ce cadre éthique n'offre pas d'excuse à l'acharnement thérapeutique, car il n'implique aucune obligation de fournir à un patient un traitement d'utilité marginale ou très douteuse. En effet, le droit-créance du patient à être traité n'est valable que si le bénéfice attendu du traitement est significatif (cf. chez BURROWS 2002, la controverse sur l'administration de protéine C recombinante chez un patient âgé atteint de sepsis et souffrant de lourdes co-morbidités). Par ailleurs, il n'entre pas dans nos vues de défendre une vision hippocratique intégriste du médecin, qui l'obligerait à obtenir coûte que coûte pour son patient n'importe quel bénéfice, même le plus insignifiant, et cela sans considération aucune des fardeaux financiers générés pour la collectivité. Il convient de garder cet élément à l'esprit lorsqu'il s'agit de formuler des directives de bonne pratique clinique, en particulier dans le domaine des investigations diagnostiques visant à exclure des pathologies très improbables. Il faut prendre garde aux injustices que la médecine défensive génère, car celles-ci s'exercent d'abord aux dépens de l'intérêt des autres patients, sans parler de ceux de la collectivité.

2.2 Interprétation des principes au niveau institutionnel

Les valeurs éthiques dont le respect et la promotion incombent à l'institution de soins ne coïncident pas en tout point avec celle du médecin et du soignant au lit du malade. En effet, l'institution doit chercher à maximiser l'utilité médicale résultant des soins administrés aux patients qui lui confient leur santé. Sa perspective doit donc être celle du bien commun, dont on sait qu'elle peut conduire à des priorités différentes de celles du patient individuel (EDDY 1992). L'institution doit ainsi gérer l'allocation des ressources thérapeutiques à l'intérieur du cadre économique par définition non extensible fourni par son budget. D'autre part, toutefois, elle doit tenir compte de trois impératifs de nature non économique :

- 1. sa mission d'hôpital public, ouvert à tous et dernier recours sanitaire des personnes qui se trouveraient exclues d'une prise en charge ailleurs dans le réseau de soins ;
- 2. sa vocation spécifique d'institution hospitalo-universitaire, avec une mission de recherche, d'enseignement et de centre de référence clinique ;
- 3. des contraintes éthiques spécifiques relevant du principe de justice.

C'est surtout le troisième point qui appelle un commentaire dans ce rapport. En effet, Il n'est pas facile de traduire au niveau institutionnel des exigences d'équité et de non-discrimination qui sont relativement évidentes au lit du malade. Il n'en reste pas moins que l'identité éthique et politique de l'hôpital public dépend de choix clairs en matière de justice distributive. Ces choix sont conceptuellement premiers par rapport aux analyses économiques. En effet, celles-ci ne sont que des outils qui, dans l'idéal, permettent d'identifier la palette optimale de prestations thérapeutiques à l'intérieur d'un cadre prescrit par le respect de valeurs éthiques relevant de la justice distributive. Les défenseurs les plus enthousiastes de l'analyse coût-utilité et des QALYs (*Quality Adjusted Life Years*: nombre d'années de vie supplémentaires liées à un traitement, corrigé par une mesure de la qualité de vie associée à ces années - facteur généralement défini comme étant compris entre 0 et 1) qui affirment que ces outils peuvent s'accommoder d'un large éventail de présupposés éthiques (WILLIAMS 1996). Or, cette affirmation de neutralité axiologique de l'analyse coût-utilité est très controversée (SEEDHOUSE 1995, DOYAL 1995). Même si on lui accorde crédit, il n'est pas éthiquement inacceptable et intellectuellement médiocre de se réfugier derrière l'analyse économique ou la soi-disant « loi du marché » pour neutraliser l'exigence éthique de justice distributive. Il incombe à l'hôpital public de définir par quels moyens il entend donner « à chacun ce qui lui revient » et à matérialiser l'exigence fondamentale de justice en santé, quitte à utiliser avec discernement les analyses coût-efficacité et coût-utilité propres à la réalisation optimale de cet objectif.

Les lignes directrices éthiques au niveau de la méso-allocation institutionnelle devraient donc être :

- respecter le droit de tout un chacun aux soins et ne pas seulement piloter le système au vu du meilleur bénéficiaire sanitaire agrégé ;
- accepter que l'équité puisse parfois peser plus lourd que l'optimalité (définie en termes de rapport coût-efficacité) ;
- dans l'analyse économique, jouer le jeu du bien public, sans fragmenter les populations dont l'intérêt collectif est évalué. Il s'agit donc d'éviter de diviser la perspective collective dans le sens d'une médecine à deux vitesses, et donc à deux éthiques, qui obéirait au slogan « *Hippocrate pour les riches, l'analyse coût-efficacité pour les autres* » ;
- prêter une attention particulière aux besoins spécifiques des plus faibles, qu'il s'agisse des plus défavorisés au plan socio-économique, des marginaux, ou encore ceux dont la « faiblesse » est due à la malchance d'avoir une maladie rare et dont le traitement est coûteux.

Il faut rappeler à cet égard que l'institution hospitalo-universitaire est aussi la dernière ligne de défense pour les malades dont la situation médicale est la plus complexe et la moins ordinaire.

Ainsi, même si certains estiment qu'en macro-allocation des ressources, et il en irait de même en méso-allocation, par exemple à l'intérieur des HUG, les enjeux sont purement politiques et non moraux, notre Conseil plaide pour qu'il n'en soit rien et que les règles éthiques rappelées ci dessus soient respectées dans tous les cas de figure.

En fait, en méso- (comme en macro-allocation *a fortiori*), on ne parle jamais de personnes, de patients, mais de services, même si, ultimement, ces services sont toujours destinés à des individus. Comme le choix difficile est toujours de décider qui pourrait être exclu d'un service, il est évidemment plus facile d'exclure des services que des personnes. Etablir des priorités entre les services implique un système d'évaluation accepté, crédible et fiable, ainsi qu'un consensus sur des valeurs. Ce consensus doit être démocratique, transparent et il faut qu'il respecte l'opinion de tous les acteurs impliqués, après un débat ouvert et transparent. Ainsi, à l'évidence, l'établissement de priorités doit-il être explicite et les critères de choix connus de tous. Repérer et définir les valeurs sur lesquelles reposent les choix est néanmoins une tâche très difficile, nous y reviendrons plus loin.

Enfin, le niveau de décision en vue de la mise en route de la méso-allocation doit être clairement défini. Des décisions prises au niveau départemental risquent d'aboutir à des incohérences (par exemple pour les patients traités dans différents départements qui n'auraient pas pris la même décision d'allocation), ou elles pourraient défavoriser certaines catégories de malades. Par ailleurs, il n'est pas certain que la Commission des médicaments ait à disposition tous les éléments permettant de prendre toutes les décisions relatives à l'introduction des traitements nouveaux, notamment coûteux, bien que son préavis soit très important en la matière et son rôle d'expert incontestable. Le niveau du choix des priorités d'allocation des traitements coûteux, médicamenteux ou autres, doit donc impérativement être élevé, c'est-à-dire à un niveau où la vue d'ensemble des priorités institutionnelles est réalisable.

III. UNE STRATEGIE EN DEUX ETAPES

3.1 En premier lieu : rationaliser.

Dans l'évaluation de nouveaux traitements onéreux et de leur adoption éventuelle, le raisonnement devrait se dérouler en deux étapes. La première étape vise à examiner l'éventail des nouveaux traitements aux moyens des arguments qu'appliquerait le clinicien individuel à la fois chevronné et impartial. Pour ce faire, on peut s'inspirer des « trois stratégies » de SINGER (1997) :

- I. Don't do things that don't work.*
- II. Don't do things that do work but that people don't want.*
- III. Don't do things inefficiently. "*

Les sources d'inefficience qui peuvent survenir au niveau institutionnel sont souvent liées aux éventuels conflits d'intérêt associés à l'adoption d'un nouveau médicament ou traitement. Le médecin hospitalo-universitaire est en même temps chercheur et cette activité de recherche clinique engendre souvent des dépendances économiques dans la gestion même d'un service et le recrutement des collaborateurs. Or il est inefficace -et éthiquement douteux- d'adopter un nouveau traitement à l'utilité relativement marginale, dès lors que les vraies raisons qui militent pour son adoption tiennent plus à l'intérêt des soignants-chercheurs et du service hospitalier concerné qu'à ceux des patients. C'est pourquoi cette première étape

exige une attention particulière aux conflits d'intérêts et, concrètement, un renforcement des règles procédurales destinées à les modérer, sinon à les empêcher complètement. Il convient donc que les organes décisionnels en matière de nouveaux médicaments, de nouveaux équipements ou de nouvelles procédures, se donnent des règles de transparence et de récusation les plus sévères. Celles-ci doivent être accompagnées de sanctions institutionnelles, voire pénales (qu'on se réfère à la Loi Fédérale sur les Produits Thérapeutiques), en cas de violation de ces mêmes règles.

3.2 L'étape de l'analyse coût-efficacité

Au delà de ces règles préliminaires, on entre dans la seconde étape, qui fait appel à l'analyse économique proprement dite. Les analyses coût-efficacité ont une place légitime dans la décisions de méso-allocation. En effet, de telles analyses, lorsqu'elles existent et quand elles sont fiables, permettent de situer une stratégie thérapeutique par comparaison avec d'autres stratégies couramment acceptées. Une telle démarche peut conduire à de bonnes surprises, lorsque des types de prise en charge à première vue onéreux se révèlent en réalité plus efficaces que des modes de traitement classiques et favorisés par la tradition (GASPOZ 1998).

Des considérations éthiques interviennent dans les analyses coût-efficacité au niveau de leur méthodologie comme de l'exploitation des résultats. Au niveau de la méthodologie, le point central est celui de la perspective adoptée par l'analyse, le terme « perspective » étant ici entendu dans son sens technique (GOLD et al. 1996). Il s'agit, dans l'évaluation d'un nouveau médicament ou d'une nouvelle technique, d'envisager l'ensemble des personnes potentiellement affectées par son introduction et susceptibles d'en bénéficier ou d'en supporter les coûts. C'est la perspective sociétale qui sera donc privilégiée plutôt que celle de tel ou tel acteur économique, à commencer par les HUG eux-mêmes, ou tel ou tel service hospitalier.

Au niveau décisionnel, les choix inspirés par l'analyse coût-efficacité pourront conduire à considérer comme discutables certaines prestations très coûteuses par QALY gagné. La décision de renoncer à une telle prestation exige une attention toute spéciale à deux enjeux éthiques : le principe de justice et l'existence d'obligations « non négociables » au regard de l'éthique, quels que puissent être les résultats de l'analyse économique.

3.2.2 Le principe de justice et l'égalité des sacrifices

Comme cela a déjà été dit plus haut, le principe de justice commande que tous les patients soient fondamentalement considérés comme égaux quant à leurs droits-créance (*entitlements*) vis-à-vis des prestations médicales. Dans la situation d'une limitation sérieuse des ressources et/ou d'un rapport coût-efficacité défavorable, le principe de justice devient un *principe d'égalité des sacrifices*. S'il est envisagé de renoncer à quelque prestation au coût excessif, mais d'une utilité non négligeable, alors l'équité consiste dans une égalité du sacrifice à imposer à tous les bénéficiaires potentiels de cette prestation, quel que soit leur statut social, économique ou asséculologique. Il est en particulier inadmissible qu'un patient hospitalisé dans le secteur privé puisse obtenir une prestation qu'une analyse économique aurait conduit à refuser à un patient purement public, « LAMal ». On objectera peut-être à cela que le patient privé a droit à une telle prestation car il « se la paie », soit sur ses propres ressources, soit par ses primes d'assurance complémentaire. Cette interprétation est une chimère car, en réalité, aucun patient ne paie le « vrai » prix d'une prestation médicale. Dans notre système helvétique, tout patient soigné tire, à des degrés certes variables, un chèque sur le compte de la solidarité sociale.

3.2.3 Des obligations non négociables

L'analyse coût-efficacité est fondamentalement légitime car elle est une réponse rationnelle à une nécessité incontournable, celle d'établir des priorités dans l'allocation de ressources qui sont structurellement insuffisantes au regard de « l'idéal » tel qu'il est désiré par les professionnels de la santé et les patients, sans compter les malades potentiels que sont tous les citoyens. Lorsque des choix difficiles doivent être faits, le principe de justice commande qu'il soit procédé selon des critères à la fois scientifiques, c'est-à-dire ouverts au libre examen et à la critique, et participatifs, c'est-à-dire perméables aux valeurs et aux attentes exprimées par toutes les personnes concernées, en premier lieu les patients. La valeur proprement éthique de telles analyses est qu'elle permettent de tenir à distance les critères arbitraires fondés sur les rapports de force entre personnes, entre disciplines médicales, et entre catégories professionnelles. Elles contribuent donc à rendre les décisions d'allocation plus impartiales.

Il n'en reste pas moins que les analyses économiques ont d'importantes limites théoriques et méthodologiques. Les économistes de la santé eux-mêmes sont souvent critiques de la manière dont les analyses coût-efficacité sont utilisées à mauvais escient dans les décisions d'allocation. En particulier, dans la situation fréquente où une innovation apporte un gain d'efficacité thérapeutique associé à des coûts plus élevés, le calcul du *ratio* marginal coût-efficacité n'est pas décisif à lui seul et des jugements de valeur explicites sont incontournables. En effet, les coûts supplémentaires associés au nouveau traitement sont autant de coûts d'opportunité, qui devront être financés par une ré-allocation de ressources soustraites à d'autres activités et/ou catégories de bénéficiaires, ce qui implique forcément un jugement éthique et politique (DONALDSON, 2002).

Par ailleurs, on sait que l'usage dépourvu d'esprit critique de la notion de QALY conduit à des injustices grossières, comme la discrimination par l'âge ou par la gravité de la pathologie (DOYAL, 1995). Un autre paradoxe bien connu, lié à de telles analyses, veut que l'agrégation de bénéficiaires mineurs, mais largement dispensés par le système de santé, finit par peser plus lourd que des prestations salvatrices pour un petit nombre de patients (DANIELS, 1994). De tels défauts conceptuels peuvent certes être corrigés, mais s'ils le sont, c'est forcément au nom d'une certaine idée de l'équité dans les soins de santé : en un mot, au nom de l'éthique. Du même coup, la prétention du raisonnement économique à décider souverainement « du plus grand bien pour le plus grand nombre » s'annule d'elle-même. A ces difficultés, une solution « démocratique » est parfois proposée. Elle consiste à consulter le public directement sur ses préférences face à ces dilemmes moraux difficiles. Or, cette approche est bien moins prometteuse qu'il n'y paraît premier abord. Ce qu'il est convenu d'appeler « l'opinion du public » est très dépendant de la méthode et du contexte dans lequel il est amené à s'exprimer. A cela s'ajoute le fait que c'est le citoyen bien portant qui s'exprime au nom du malade qu'il sera un jour, ce qui représente une différence de perspective évidente et presque insurmontable. Les analyses économiques, les enquêtes d'opinion ou autres « *focus groups* » ne peuvent donc pas se substituer à l'affirmation de principes d'éthique clairs qui définissent l'identité morale de l'institution de soins.

Quels que soient les résultats d'une analyse économique, il existe des pratiques qu'elles ne peuvent jamais légitimer. Il s'agit au premier chef de l'abandon du patient. Tout patient a droit aux soins de base, y compris celui pour lequel un calcul utilitariste montrerait que les ressources libérées par son non-traitement pourraient être réinvesties de façon plus efficaces pour d'autres catégories de patients. Ce principe n'excuse pas l'acharnement thérapeutique, car la prévention de ce dernier ne repose pas sur le rationnement des soins, mais sur le refus de mettre en oeuvre des traitements futiles. La médecine n'a pas vocation à préparer le terrain au miracle, c'est pourquoi le médecin a le droit et le devoir de refuser de mettre en route des traitements dont la réussite est par trop improbable.

Ne pas informer certains patients sur les traitements onéreux possibles pourrait constituer une autre tentation. Outre qu'à l'âge d'Internet, cette tactique est souvent vouée à l'échec, il s'agirait d'un manquement manifeste à l'obligation de transparence et d'information loyale qui incombe aux médecins et à toute la communauté hospitalière.

IV. CONCLUSION

La valeur éthique qui doit présider à l'introduction de nouveaux traitements est essentiellement la justice distributive. La santé est un besoin humain fondamental, car il conditionne largement la participation à la vie sociale. De plus, l'ampleur des moyens nécessaires pour restaurer ou maintenir sa santé est essentiellement imprévisible pour l'individu, contrairement à d'autres besoins élémentaires, comme l'alimentation par exemple. Il est donc logique que l'accès aux soins de santé soit un droit-créance, auquel correspond pour le système de santé une obligation de soins égale pour tous, à proportion de leurs besoins et indépendamment des moyens matériels personnels de chacun.

Dans le monde réel, où tous les besoins ne peuvent être satisfaits, cela implique que trois principes éthiques gouvernent l'allocation des ressources de soins soient respectés :

- la priorité aux besoins les plus sévères et les plus urgents;
- l'égalité des chances d'accès aux soins pour ceux dont le besoin est comparable;
- l'égalité de sacrifice face à une situation de rationnement.

Au niveau institutionnel, l'adoption de nouveaux traitements nécessite une évaluation en deux étapes, la première fondée sur l'évaluation de la valeur ajoutée du traitement et la seconde sur une prise en compte plus large de considérations économiques et du rapport coût-efficacité. La première

étape vise à éviter le gaspillage et les conflits d'intérêts. Cela implique une attention particulière aux situations suivantes :

- ne pas adopter de médicaments « *me-too* » ;
- ne pas maintenir de traitements obsolètes lorsque le nouveau traitement est clairement meilleur et son coût égal ou inférieur ;
- renforcer l'obligation de déclarer tout conflit d'intérêt potentiel des personnes intervenant ans la décision d'adopter un nouveau traitement ;
- renforcer le pouvoir de négociation économique de l'institution face aux fournisseurs de produits et services.

La seconde étape utilise explicitement les outils de l'analyse économique (coût-efficacité, coût-utilité). Dans la décision finale, les règles d'éthiques suivantes sont essentielles :

- être attentif aux possibilités de choix discriminatoires (maladies rares contre maladies fréquentes, besoins vitaux contre besoins moins importants, situations sans ou avec alternatives thérapeutiques);
- respecter les obligations non négociables dues au patient en toutes circonstances ;
- se donner des procédures transparentes et qui ne dissimulent pas aux soignants et au public d'éventuelles décisions impopulaires.

Pr. Jean-Claude CHEVROLET
Président

Copies: Pr. Pierre DAYER, Directeur Médical ; Dr François LOEW, CEC Belle-Idée.

REFERENCES

- Brunner H. (1996). Bull Méd suisses 78: 609.
- Burrows, R., D. Crippen, et al. (2002). "Ethics roundtable: Using new, expensive drugs." Crit Care 6: 473-8.
- Donaldson, C., G. Currie, et al. (2002). "Cost effectiveness analysis in health care: contraindications." BMJ 325(7369): 891-4.
- Doyal, L. (1998). Public participation and the moral quality of healthcare rationing." Qual Health 7(2): 98-102.
- Eddy, D. M. (1992). "Clinical decision making: from theory to practice. Cost-effectiveness analysis. Conversation with my father." JAMA 267(12): 1669-75.
- Gaspoz, J. M. (1998). Management strategies of myocardial infarction. From the onset of symptoms to long-term risk prevention: The viewpoint of cost-effectiveness analysis. Faculté de Médecine. Genève, Université de Genève: 122.
- Gold, M. R., J. E. Siegel, et al., Eds. (1996). Cost-Effectiveness in Health and Medicine. Oxford, Oxford University Press.
- Rawles, J. (1989). "Castigating QALYS." J Med Ethics 15(3): 143-7.
- Seedhouse, D. (1995). "The way around health economics' dead end." Health Care Anal 3(3): 205-210.
- Singer, P. A. (1997). "Resource allocation: beyond evidence-based medicine and cost effectiveness analysis." ACPJ Club 127(3): A1 6-8.
- Ubel, P. A., J. Baron, et al. (2001). "Preference for equity as a framing effect." Med Decis Making 1(3): 180-9.
- Williams, A. (1996). "QALYS and ethics: a health economist's perspective." Soc Sci Med 43(12): 1795-804.