

Bundesgerichtsentscheid 9C_334/2010 / Arrêt du Tribunal fédéral 9C_334/2010 / Swiss Supreme Court decision 9C_334/2010

Regeste und Auszüge / Regeste et extraits de l'arrêt / Regest and extracts*

Regeste des Entscheids vom 23. November 2010

Gegenstand: Orphan Drug (Myozyme® bei Morbus Pompe); Kostenübernahme ausserhalb der Spezialitätenliste; Wirtschaftlichkeitsprüfung.

Dass arzneimittelrechtlich die Orphan-Drug-Zulassung für ein Medikament (hier: Myozyme) erfolgt ist, bedeutet nicht automatisch, dass dessen Einsatz einen hohen therapeutischen Nutzen darstellt, weil die Zulassung nach Art. 14 Abs. 1 lit. f HMG einen solchen nicht voraussetzt.¹

Die Frage, ob ein hoher therapeutischer Nutzen – als Voraussetzung für die Kostenübernahme ausserhalb der Spezialitätenliste² – vorliegt, ist sowohl in allgemeiner Weise als auch bezogen auf den konkreten Einzelfall zu beurteilen³; in casu mangels Nachweises mittels klinischer Studien und im konkreten Einzelfall verneint.⁴ Selbst wenn ein hoher therapeutischer Nutzen erwiesen wäre, müsste eine Leistungspflicht aus Wirtschaftlichkeitsgründen, d.h. mangels eines angemessenen Kosten-Nutzen-Verhältnisses verneint werden.⁵ Für die Beurteilung dieses Verhältnisses anwendbare Kriterien,⁶ Notwendigkeit der Verallgemeinerungsfähigkeit derselben,⁷ Anwendbarkeit auch auf Orphan-Disease-Fälle.⁸

Regeste de l'arrêt du 23 novembre 2010

Enjeux: médicaments orphelins (Myozyme® dans la maladie de Pompe); prise en charge d'un médicament

* The English-language translation is the editors' and not a version authorized by the Swiss Supreme Court: only the original German-language wording is binding. La traduction en français est celle des éditeurs et n'est pas une version autorisée par le Tribunal fédéral. Seule la version originale en allemand fait foi.

1 5.3. These references are to the sequential points made in the court case. Verweise im Original. Références dans l'original. Source: <http://vlex.ch/vid/-233301082>; complete decision in German: www.bger.ch/fr/index/jurisdiction/jurisdiction-inherit-template/jurisdiction-recht/jurisdiction-recht-urteile2000.htm; Decision 9C_334/2010.

2 5.1 and 5.2

3 6.4 and 6.5

4 6.6–6.10

5 7

6 7.6

7 7.7

8 7.8

ne figurant pas dans la liste des spécialités; examen du caractère économique.

Que l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament orphelin (en l'occurrence: le Myozyme) ait été délivrée en fonction de la législation topique ne signifie pas automatiquement que l'utilisation de ce médicament revête une utilité thérapeutique élevée, parce que l'autorisation de mise sur le marché selon l'art. 14 al. 1 let. f LPT ne requiert pas une telle utilité.¹

La question de savoir s'il existe une utilité thérapeutique élevée – en tant que condition pour la prise en charge d'un médicament ne figurant pas dans la liste des spécialités² – doit être jugée aussi bien d'une façon générale qu'en lien avec le cas particulier³; en l'espèce, l'utilité a été niée à défaut de preuve par des études cliniques et relatives au cas particulier.⁴

Même si une utilité thérapeutique élevée était prouvée, l'obligation de prester devrait être niée pour des motifs d'économicité, c'est-à-dire à défaut d'un rapport raisonnable entre coûts et utilité.⁵ Critères applicables pour juger de ce rapport,⁶ exigences relatives au caractère généralisable de ces critères,⁷ applicabilité aussi aux cas de maladies orphelines.⁸

Regest of the November 23rd 2010 decision

Issue: orphan drug (Myozyme for Pompe's disease); reimbursement outside the speciality list; verification of cost-effectiveness.

That legal pharmaceutical approval was given for an orphan drug (in this case Myozyme) does not automatically mean that its use must have a high therapeutic benefit, because authorization under Article 14 paragraph 1 letter f HMG does not require such a benefit as prerequisite.¹

The question of whether a high therapeutic benefit – as a precondition for coverage of costs outside the speciality list² – exists, must be assessed both in general terms and in relation to the specific case³; in this case both a lack of evidence from clinical trials and the individual circumstances meant approval was denied.⁴

Even if a high therapeutic benefit were established, an obligation to cover the costs would still have to be denied for reasons of economic viability, i.e., because of the lack of a reasonable cost-effectiveness ratio.⁵ Ap-

plicable criteria to assess this ratio,⁶ requirement of generalizability of the same ratio,⁷ applicability to orphan disease cases.⁸

Aus dem Entscheid

«6.9 [...] Eine lebensverlängernde Wirkung der Therapie ist weder in allgemeiner Weise noch im konkreten Fall dokumentiert. Die Beschwerdegegnerin kann mit Hilfe anderer Massnahmen (Beatmung, Gehstöcke) – wenn auch eingeschränkt – ihr Leben weiterführen.»

«7.6 Die Rechtsprechung hat ansatzweise versucht, anstelle der bisher auf politischer Ebene nicht festgelegten Kriterien die Kosten-Nutzen-Beziehung zu beurteilen.»

«7.6.3 [...] In verschiedenen gesundheitsökonomischen Ansätzen werden Beträge in der Grössenordnung von maximal ca. Fr. 100 000.– pro gerettetes Menschenlebensjahr noch als angemessen betrachtet.⁹ Das stimmt in der Grössenordnung überein mit den für Therapien in der Schweiz üblicherweise maximal aufgewendeten Kosten. [...] Diese Grössenordnung ist auch im Vergleich mit anderen Bereichen stimmig, in denen es darum geht, bestimmte Aufwendungen zu treffen, um Menschenleben zu retten, z.B. im Bereich der Unfall- und Krankheitsprävention; soweit dafür in der Schweiz bisher explizite Kosten-/Wirksamkeitsüberlegungen angestellt wurden, werden Grenzkostenwerte zwischen 1 und maximal 20 Mio. Franken pro gerettetes Menschenleben bzw. zwischen Fr. 25 000 und Fr. 500 000 pro gerettetes Menschenlebensjahr als haltbar erachtet.¹⁰ Dabei handelt es sich bei den höheren Werten um Bereiche, in denen es um die Prävention gegen Gefahrenquellen geht, welche von Menschen verursacht werden und völlig unbeteiligte andere Menschen bedrohen; aufgrund des generellen Verbots, andere an Leib und Leben zu schädigen, dürfte es sich rechtfertigen, in dieser Hinsicht höhere Aufwendungen zu Lasten des Verursachers zu fordern als im Bereich der von der Sozialversicherung bezahlten Behandlung gegen Krankheiten, die von niemandem verschuldet wurden.»

«7.7 Eine Beurteilung der Verhältnismässigkeit bzw. Kosten-Wirksamkeit anhand verallgemeinerungsfähiger Kriterien drängt sich insbesondere aus Gründen der Rechtsgleichheit auf¹¹ [...] Ohne besondere Recht-

fertigung wäre es mit der Rechtsgleichheit und der Gleichwertigkeit aller Menschen nicht vereinbar, einzelnen Versicherten Leistungen zu erbringen, die anderen Versicherten in gleicher Lage nicht erbracht würden.¹² Umgekehrt formuliert folgt daraus, dass in rechtsgleicher Anwendung des Verhältnismässigkeitsprinzips für einzelne Versicherte nur so hohe Leistungen erbracht werden dürfen, wie sie in verallgemeinerungsfähiger Weise für alle anderen Personen in vergleichbarer Situation auch erbracht werden könnten. Leistungen zu erbringen, die nicht verallgemeinert werden können, verletzt die Rechtsgleichheit.»

«7.8 Im Lichte dieser Grundsätze müsste im zu beurteilenden Fall, selbst wenn ein hoher therapeutischer Nutzen erwiesen wäre, eine Leistungspflicht aus Wirtschaftlichkeitsgründen, d.h. mangels eines angemessenen Verhältnisses zwischen den Kosten – hier insgesamt rund Fr. 750 000.– bis Fr. 900 000.– (für die streitigen eineinhalb Jahre) – und dem Nutzen verneint werden. Die Beurteilung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses kann [...] auch nicht mit dem Argument umgangen werden, dass es sich um eine Einzelfallbeurteilung in einem Orphan-Disease-Fall handle. Denn es gibt zahlreiche Personen, die zwar nicht an Morbus Pompe, aber an anderen Krankheiten leiden, welche vergleichbare Einschränkungen der Lebensqualität zur Folge haben (z.B. chronisch-obstruktive Lungenkrankheit [COPD]). Statistisch sind beispielsweise 2,8% der schweizerischen Wohnbevölkerung ab 15 Jahren in ihrem Gehvermögen auf weniger als 200 m beschränkt,¹³ was rund 180 000 Personen entspricht, die mit einer ähnlich eingeschränkten Lebensqualität wie die Beschwerdegegnerin leben müssen. Mit einem Aufwand von rund Fr. 500 000.– pro Jahr liesse sich möglicherweise bei den meisten dieser Menschen die Lebensqualität in vergleichbarem Ausmass wie bei der Beschwerdegegnerin verbessern, sei dies z.B. durch operative Massnahmen, die bisher aus Kostengründen nicht durchgeführt werden, durch [...] grosszügigere Gewährung von Pflegeleistungen oder schliesslich dadurch, dass – analog zum Off-Label-Use von Medikamenten – auch Mittel und Gegenstände abgegeben werden, die nicht in der grundsätzlich abschliessenden Mittel- und Gegenständeliste¹⁴ aufgeführt sind, aber doch die Lebensqualität signifikant erhöhen würden. Würde bei der Beschwerdegegnerin ein solcher Aufwand betrieben, wäre im Lichte der Rechtsgleichheit (vorne E. 7.7) kein Grund ersichtlich, allen anderen Patienten in vergleichbarer Lage einen gleichen Aufwand zu verwei-

9 SVR 2009 KV Nr. 1 S. 1, 9C_56/2008 E. 3.8 mit Hinweis; G Marckmann. Kosteneffektivität als Allokationskriterium aus gesundheitsethischer Sicht. Zimmermann-Acklin M, Halter H (ed.). Rationierung und Gerechtigkeit im Gesundheitswesen. Beiträge zur Debatte in der Schweiz. Basel: EMH; 2007, S. 213 ff., 220 ff.; Szucs TD. Gesundheitsökonomische Aspekte der chronischen Herzinsuffizienz. Schweiz Ärztezeitung. 2003;84(46):2431 ff., 2434.

10 H Seiler. Risikobasiertes Recht. Wieviel Sicherheit wollen wir? Bern: Stämpfli; 2000, S. 153f.

11 Art. 8 Abs. 1 BV.

12 BGE 122 I 343 E. 4d S. 350; BGE 114 Ia 1 E. 8 S. 4 ff.; K Amstutz. Das Grundrecht auf Existenzsicherung. Bern: Stämpfli; 2002, S. 104ff.; Martenet V. Géométrie de l'égalité. Zürich: Schulthess; 2003, S. 551f.; Müller JP, Schefer M. Grundrechte in der Schweiz. Bern: Stämpfli; 4. Aufl. 2008, S. 668f.

13 Stand/Status as per 2007; Bundesamt für Statistik (ed.). Statistisches Jahrbuch der Schweiz 2010. Zürich: NZZ Libro; 2010, S. 323.

14 Art. 20 ff. KLV; BGE 136 V 84 E. 2.2 S. 86; BGE 134 V 83 E. 4.1 S. 85 ff.

15 Stand/Status as per 2007; ca. 55,2 Mrd. Franken/francs; Bundesamt für Statistik (ed.). Statistisches Jahrbuch der Schweiz 2010. Zürich: NZZ Libro; 2010, S. 340.

16 Stand/Status as per 2007; ca. 521 Mrd. Franken/francs; Bundesamt für Statistik (ed.). Statistisches Jahrbuch der Schweiz 2010. Zürich: NZZ Libro; 2010, S. 124.

gern. Dadurch entstünden jährliche Kosten von rund 90 Mrd. Franken. Das ist rund das 1,6-Fache der gesamten Kosten des Gesundheitswesens¹⁵ oder etwas mehr als 17% des gesamten Bruttoinlandprodukts der Schweiz.¹⁶ Die obligatorische Krankenpflegeversicherung ist offensichtlich nicht in der Lage, für die Linderung eines einzigen Beschwerdebildes einen derartigen Aufwand zu bezahlen. Ist der Aufwand nicht ver-allgemeinerungsfähig, so kann er aus Gründen der Rechtsgleichheit auch im Einzelfall nicht erbracht werden.»

Extraits de l'arrêt

«6.9 [...] Un effet de la thérapie sur la durée de vie n'est documenté ni de manière générale ni dans le cas particulier. La défendante peut poursuivre sa vie avec l'aide d'autres moyens (ventilation, cannes) – même si c'est de manière limitée.»

«7.6 La jurisprudence a tenté dans plusieurs cas de rendre une décision sur le rapport coût-efficacité en remplacement de critères qui n'ont jusqu'à présent pas été fixés au niveau politique.»

«7.6.3 [...] Dans différents contextes d'économie de la santé, des dépenses d'un ordre maximal d'environ 100 000 francs par année de vie sauvée sont considérés comme raisonnables.⁹ Comme ordre de grandeur, ceci correspond tout à fait aux coûts maximaux habituellement utilisés pour des thérapies en Suisse. Cet ordre de grandeur correspond aussi en comparaison avec d'autres domaines dans lesquels il s'agit de déterminer des dépenses pour sauver la vie humaine, par exemple dans le domaine de la prévention des accidents et des maladies; dans la mesure où une réflexion explicite a jusqu'à présent été menée en Suisse sur le rapport coût-efficacité, des limites de coûts entre 1 et 20 millions de francs par vie sauvée, ou de 25 000 à 500 000 francs par année de vie sauvée, ont été considérés comme acceptables.¹⁰ Les valeurs supérieures concernent ici des domaines où il s'agit de prévention contre des sources de danger causées par des humains et qui menacent d'autres humains qui ne sont par ailleurs pas impliqués; en raison de l'interdit général de causer des dommages à la vie ou l'intégrité physique d'autrui, il serait justifié d'exiger des dépenses plus élevées dans ces cas de la part des personnes responsables, que concernant les traitements à charge de l'assurance sociale contre des maladies qui ne sont causées par personne.»

«7.7 Une évaluation de l'économicité, ou du rapport coût-efficacité, sur la base de critères généralisables s'impose particulièrement en raison de l'égalité en droit¹¹ [...]. Sans justification particulière, il ne serait pas compatible avec l'égalité en droit ou avec l'égalité de valeur des êtres humains de couvrir pour un assuré une prestation qui ne serait pas couverte pour d'autres assurés se trouvant dans la même situation.¹² En

d'autres termes, il s'ensuit que dans une application égale en droit du principe d'économicité, on ne peut couvrir pour les individus assurés que des prestations dans une hauteur qui pourrait également être couverte de manière généralisable pour toutes les autres personnes en situation comparable. Couvrir des prestations qui ne peuvent pas être généralisées est contraire au principe d'égalité en droit.»

«7.8 A la lumière de ces principes, il faudrait dans le cas examiné refuser un devoir de prestation même si une utilité thérapeutique élevée était démontrée, en raison de l'absence d'un rapport proportionné entre les coûts – ici environ 750 000 à 900 000 francs (pour l'année et demie en question) – et l'utilité. L'évaluation du rapport coût-efficacité ne peut [...] pas non plus être contournée avec l'argument qu'il s'agit d'un cas particulier dans une maladie orpheline. Car il y a un grand nombre de personnes, qui ne souffrent pas de la maladie de Pompe, mais qui souffrent d'autres maladies ayant pour conséquence une limitation similaire de la qualité de vie (par exemple la broncho-pneumopathie chronique obstructive). Statistiquement, par exemple, 2,8% de la population suisse âgée de plus de 15 ans est limitée dans son périmètre de marche à 200 mètres,¹³ ce qui correspond à environ 180 000 personnes qui doivent vivre avec une limitation de la qualité de vie similaire à celle de la défendante. Avec une dépense d'environ 500 000 francs par année il serait probablement possible d'améliorer la qualité de vie de la plupart de ces personnes de manière comparable à celle de la défendante, que ce soit par des interventions chirurgicales qui n'ont jusqu'à présent pas été conduites pour des raisons de coûts, par [...] une attribution plus généreuse de soins infirmiers, ou finalement en mettant à disposition – de manière analogue à l'usage off-label des médicaments – des interventions et des dispositifs qui ne sont pas dans la liste – à la base une liste d'exclusions –,¹⁴ mais qui amélioreraient la qualité de vie de manière significative. Si une telle prestation était couverte pour la défendante, il n'y aurait aucune base à la lumière de l'égalité en droit (E 7.7) pour refuser une prestation similaire à tous les autres patients en situation comparable. Ceci occasionnerait des coûts annuels d'environ 90 milliards de francs. Ceci correspond à 1,6 fois le coût total du système de santé¹⁵ ou à un peu plus de 17% du PIB total de la Suisse.¹⁶ L'assurance maladie obligatoire n'est clairement pas en mesure de payer une telle dépense pour le soulagement d'un seul tableau clinique. Si la dépense n'est pas généralisable, elle ne peut pas sur la base de l'égalité en droit être couverte dans le cas particulier non plus.»

Selected citations

«6.9 [...] Neither in a general manner nor in this specific case is an improvement of life-expectancy result-

ing from therapy documented. The defendant can continue her life with the help of other measures (assisted ventilation, crutches) – even if to a limited degree.»

«7.6 Case law has in several instances made rudimentary attempts to decide on the relationship between cost and utility, in replacement of evaluation criteria which have up until now not been set down at the political level.»

«7.6.3 [...] In several health economical situations, spending of the order of 100 000.– francs per saved life year is considered reasonable.⁹ This order of magnitude corresponds with the usual maximum amount spent on therapies in Switzerland. This amount is also in line with other domains which involve meeting certain expenses to save human life, for example in the prevention of accidents and disease; inasmuch as considerations of explicit cost-effectiveness have been made in Switzerland, ceiling costs between 1 and 20 million francs per life saved are considered acceptable, or between 25 000 and 500 000 per year of life saved.¹⁰ The higher values, however, concern areas where prevention targets sources of danger caused by human beings, who place entirely uninvolved third-persons in danger; because of the general principle prohibiting endangering life or causing harm to others, it might in this context be justifiable to demand higher financial expense from those causing such danger, than the costs encountered in the domain of treatments paid by social insurance for diseases, which were not caused by anyone.»

«7.7 An evaluation of efficiency, or cost-effectiveness, on the basis of generalisable criteria is especially important on the grounds of legal equality.¹¹ [...] Without specific justification, it would not be concordant with legal and human equality, to provide individual insured persons with coverage, which would be denied others in the same situation.¹² In other words, it follows that in an equal application of the principle of proportionality, individual insured persons should only be afforded coverage for sums, which could be provided in a generalisable manner to all other persons in a similar situation. To provide coverage which cannot be generalised transgresses legal equality.»

«7.8 In the light of these principles, for the case in question, an obligation of coverage would have to be denied even if a high therapeutic efficacy were proven, on grounds of economic efficiency, that is, the lack of a proportionate relationship between costs – here approximately 750 000.– to 900 000.– (for the 1½ years in dispute) – and utility. The assessment of cost in relation to effectiveness cannot [...] be circumvented with the argument that this decision deals with an isolated case of an orphan disease. The reason is that there are numerous persons not suffering from Pompe's disease, but from other conditions, which cause a similar degree of limitation in quality of life (for example chronic obstructive pulmonary disease). Statistically and as an example, 2.8% of the resident Swiss population aged over 15 years are limited in their walking range to below 200m,¹³ This corresponds to approximately 180 000 people who are obliged to live with similar limitations in their quality of life as the defendant. With a contribution of approximately 500 000.– per year, it is likely that the quality of life of most of these persons could be increased to a degree comparable to that of the defendant, be it through surgical interventions which have not been conducted until now for reasons of cost, through [...] more generous provision of nursing care or ultimately by providing, in a manner similar to off-label drug-use, interventions or devices not featuring on the list of excluded interventions and devices¹⁴, which however would be expected to significantly increase quality of life. Were such an expense to be covered in this case of appeal, there would be no apparent reason to deny, on the basis of legal equality (E. 7.7), similar coverage to all other patients in comparable situations.. Were this the case it would give rise to yearly costs of approximately 90 billion francs. This corresponds to approximately 1.6 times the entire cost of the health-care system,¹⁵ or a little more than 17% of Swiss GDP.¹⁶ Compulsory health insurance is clearly not in a position to meet such expenses for relieving suffering in a single disease situation. If the expense is not generalisable to others, then on grounds of legal equality it cannot be covered in an isolated case.»