



Service des soins de santé

# Rapport annuel du Fonds spécial de solidarité (FSS) 2021



## Sommaire

<b>I. LE FONDS SPECIAL DE SOLIDARITE (FSS) .....</b>	<b>3</b>
<b>1. Le Fonds spécial de solidarité (FSS) : un filet de sécurité complémentaire .....</b>	<b>3</b>
<b>2. Cadre juridique et procédures .....</b>	<b>3</b>
<b>3. Objectifs du rapport .....</b>	<b>4</b>
<b>4. Interventions du FSS .....</b>	<b>4</b>
<b>II. DONNÉES CHIFFRÉES .....</b>	<b>5</b>
<b>1. Nature des décisions .....</b>	<b>5</b>
a. Données chiffrées sur la nature des décisions .....	5
b. Discussion des données chiffrées sur la nature des décisions .....	12
<b>2. Accords dépendant du type de prestation .....</b>	<b>14</b>
a. Données chiffrées sur les accords selon le type de prestation .....	14
b. Discussion des données sur les accords selon la classe de prestations .....	14
<b>3. Données détaillées 2021 .....</b>	<b>16</b>
a. Accords selon le type de prestations .....	16
b. Prestations générant les dépenses les plus élevées et le plus grand nombre de patients en 2021 .....	18
<b>4. Prestations pour lesquelles le Collège des médecins-directeurs recommande un remboursement structurel (nomenclature, chapitre IV, la Liste...) .....</b>	<b>22</b>
a. Médicaments et préparations magistrales .....	23
b. Implants, dispositifs médicaux et autres prestations .....	27
<b>5. Questions sur lesquelles le Conseil souhaite attirer l'attention en ce qui concerne la bonne gestion du FSS. ....</b>	<b>28</b>
a. Demandes pour des indications off-label de médicaments .....	28
b. Demandes pour des molécules très anciennes, connues depuis longtemps et souvent initialement incluses dans le chapitre IV, voire le chapitre I .....	28
c. Demandes pour des médicaments disponibles sur le marché européen, mais pas en Belgique, ou pour des médicaments qui ne sont pas disponibles sur le marché européen, mais bien aux États-Unis ou ailleurs dans le monde .....	28
d. Demandes concernant des médicaments pour lesquels les firmes mettent fin à une mise à disposition (usage compassionnel/programmes médicaux d'urgence) .....	29
e. Demandes pour des médicaments temporairement indisponibles sur le marché belge alors qu'ils sont inclus dans le remboursement ordinaire .....	30
f. Demandes de traitements à domicile .....	30
g. Demandes concernant des complications iatrogènes dans le cadre de traitements/d'interventions non remboursés .....	30
<b>6. Rôle du FSS dans le remboursement des médicaments et des dispositifs médicaux .....</b>	<b>31</b>
a. Médicaments .....	31
Médicament sans autorisation de mise sur le marché .....	31
Médicament bénéficiant d'une autorisation de mise sur le marché, mais pour lequel aucune procédure CRM n'a encore été engagée .....	31
Médicament avec autorisation de mise sur le marché avec une procédure CRM déjà en cours ..	31
Médicament sous contrat mais Demande au FSS pour une autre indication .....	32
Intervention du FSS en cas d'avis de la CRM ( négatif ou proposition de prix) .....	32

## 2 - Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

b. Dispositifs médicaux .....	32
Manque de données sur la valeur scientifique et l'efficacité .....	32
Interventions du FSS basées sur un cadre d'indications convenu après évaluation par un groupe de travail ad hoc du CMD .....	33
Soins médicaux qui ne peuvent être dispensés qu'à l'étranger .....	33
<b>7. Rôle vis-à-vis d'autres organes créés dans le cadre du régime d'assurance maladie obligatoire .....</b>	<b>34</b>
<b>III. CONCLUSION GÉNÉRALE .....</b>	<b>35</b>

## I. Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

### 1. Le Fonds spécial de solidarité (FSS) : un filet de sécurité complémentaire

Le Fonds spécial de solidarité (ci-après : FSS) est un filet de sécurité complémentaire à la couverture « ordinaire » de l'assurance soins de santé. Ce Fonds accorde aux patients atteints d'une affection grave une intervention financière pour certaines prestations médicales pour lesquelles aucun remboursement n'est prévu et qui sont particulièrement onéreuses.

Le FSS existe depuis 1990 au sein de l'INAMI. Le FSS n'est pas un fonds typique avec des actifs acquis et des réserves, mais il dispose d'un budget annuel qui est fixé par le Conseil général. Pour l'année 2021, ce budget était de 8. 246 milliers d'euros.

Le FSS étant fréquemment appelé à intervenir pour de nouvelles prestations (médicaments, implants, techniques...), le Collège des médecins-directeurs est particulièrement bien placé pour capter de nouveaux besoins et, sur la base de ses propres observations, le Collège peut également faire des propositions à d'autres organes de l'assurance obligatoire visant à instaurer un remboursement structurel pour de nouvelles prestations.

C'est le Collège des médecins-directeurs (CMD) qui décide de l'octroi d'interventions et qui en fixe le montant. Ce Collège est composé des médecins-directeurs (ou de leurs représentants) de tous les organismes assureurs et de médecins-fonctionnaires de l'INAMI. Il est présidé par un médecin-conseiller général de l'INAMI. Le travail du FSS est préparé et encadré par des fonctionnaires de la direction médicale du Service des soins de santé de l'INAMI : 2,5 ETP de médecins, 1,5 ETP d'attachés, 3,2 ETP de gestionnaires de dossiers administratifs et 0,75 ETP de collaborateurs IT.

Sauf en période de fin d'année et de vacances, le Collège se réunit en principe chaque semaine afin d'assurer un délai de traitement le plus court possible pour les dossiers à traiter par le FSS.

## 2. Cadre juridique et procédures

a) Le fonctionnement du FSS est régi par l'article 25 de la loi coordonnée le 14 juillet 1994<sup>1</sup> et n'a pas subi de modifications depuis 2015... Cet article stipule qu' il est créé, au sein du Service des soins de santé, un Fonds spécial de solidarité (FSS) financé par un prélèvement sur les ressources visées à l'article 191 dont le montant ainsi que la partie de celui-ci qui est allouée aux interventions accordées en vertu de l'article 25quater/1, § 2, sont fixés, pour chaque année civile, par le Conseil général.

b) Le FSS peut intervenir dans l'une des situations suivantes :

- L'indication pour laquelle le médecin a prescrit la prestation est rare (article 25bis).
- Le patient souffre d'une affection rare (article 25ter, § 1<sup>er</sup>).
- Le patient souffre d'une affection rare qui nécessite des soins continus et complexes (article 25ter, § 2).
- Le patient a besoin de dispositifs médicaux et/ou de prestations qui sont des techniques médicales innovantes (à l'exclusion des médicaments) (article 25quater).
- Pour un médicament qui fait l'objet d'un programme d'usage compassionnel ou d'un programme médical d'urgence et qui répond à un besoins médical non rencontré (création d'une cohorte via l'article 25quater/1).

---

<sup>1</sup> L'art. 25 de la loi coordonnée le 14 juillet 1994 relative à l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités, MB 27 août 1994.

#### 4 - Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

- Un enfant atteint d'une maladie chronique grave a besoin d'un traitement (article 25quinquies).
- Le patient a besoin de soins à l'étranger (article 25sexies).
- Le spécialiste prescripteur peut également faire appel au FSS pour un patient dans le cadre d'un besoin médical non rencontré (*Unmet Medical Need*) (uniquement pour le remboursement de médicaments).

Depuis octobre 2019, l'envoi des demandes des organismes assureurs se fait via le système de transfert électronique de documents sécurisé Tresorit. L'ensemble de la procédure de demande et de traitement à l'INAMI se déroule depuis lors sans papier.

Il est également important de mentionner que le service FSS a cherché à augmenter la transparence de l'information aux patients et aux dispensateurs de soins en publiant en 2019 sur le site web du FSS le modèle de prescription médicale spécifique rédigé par le médecin-spécialiste. Cette prescription médicale spécifique est un document essentiel du dossier de demande et est censée fournir toutes les informations pertinentes sur la nature de la pathologie, la nature du traitement pour lequel une intervention est demandée, les éventuelles complications ou éventuels effets secondaires des traitements déjà effectués, les raisons pour lesquelles les éventuelles solutions alternatives thérapeutiques ne peuvent être retenues, etc.

Vous trouverez des informations sur la législation relative au FSS et les documents à joindre à une demande (et toutes sortes d'autres informations) sur le site web de l'INAMI.

### 3. Objectifs du rapport

Le rapport annuel de 2021 fait le point sur les dossiers traités dans le cadre du FSS durant cette année et les décisions qui ont été prises par le Collège des médecins-directeurs, ainsi que sur les dépenses et le type de prestations pour lesquelles une intervention a été demandée. Une analyse détaillée de l'évolution de ces données par rapport aux années précédentes est également réalisée.

Il est dans l'intérêt général que le Collège, dans l'exécution de sa mission légale, veille strictement à ce que le FSS soit absolument le dernier recours pour octroyer une intervention aux « cas dignes d'intérêt » pour des prestations qui ne sont remboursées par aucune autre source.

Ce rapport répond à l'article 25decies de la loi coordonnée le 14 juillet 1994, qui est libellé comme suit :

« Le Collège des médecins-directeurs établit, chaque année, à l'intention du Comité de l'assurance et du Conseil général, un rapport contenant un inventaire des décisions. Ce rapport peut également contenir des propositions ou suggestions en vue de l'amélioration ou de l'adaptation de l'assurance soins de santé. »

### 4. Interventions du FSS

Remarques préliminaires :

- Les données de ce rapport concernent *les décisions prises en 2021*, quelle que soit la date de la demande ou la date des prestations. Le temps de préparation du dossier entre le moment où le dossier est reçu par l'INAMI et la décision étant relativement court, les montants calculés sur la base des demandes par rapport aux montants calculés sur la base des décisions sont proches les uns des autres, mais ne correspondent pas entièrement.
- La date d'octroi ou d'exécution de la prestation est parfois antérieure de plusieurs années à la date de demande d'intervention du FSS. Le délai de prescription de 3 ans est interrompu à la date d'introduction de la demande auprès de l'organisme assureur.

## II. Données chiffrées

### 1. Nature des décisions

#### a. Données chiffrées sur la nature des décisions

Calculées sur la base de toutes les décisions prises de 2019 à 2021 inclus.

#### **Tableau 1 : Nature des décisions**

Précisions :

Si les soins n'ont pas encore été dispensés, une demande peut être introduite préalablement aux soins. Il s'agit d'une « demande de principe ».

Un dossier de demande est « non fondé » pour le FSS si le patient peut bénéficier d'une intervention de l'assurance maladie obligatoire par le biais d'une autre réglementation.

En cas de « refus », la demande ne répond pas aux critères de l'article 25 de la loi SSI.

En cas d'« accord », la demande répond aux critères de l'article 25 de la loi SSI.





Nature des décisions	2019						2020						2021					
	Nombre de décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)	Nombre décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)	Nombre de décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)
Accords, demandes de principe art. 25quater	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Accords, art. 25quinquies	132	67	473.524	0	0	473.524	159	82	2.217.544	0	0	2.217.544	148	73	1.473.549	0	0	1.473.549
Accords, demandes de principe art. 25quinquies	21	19	0	0	0	0	12	11	0	0	0	0	9	8	0	0	0	0
Accords, art. 25sexies	7	7	350.291	5.383	41.346	397020	10	7		3.608	7.872	11.480	8	8	2.288	10.300	31.406	43.994
Accords, demandes de principe art. 25sexies	9	7	0	0	0	0	14	9	0	0	0	0	17	9	0	0	0	0
<b>Sous-total accords</b>	<b>1281</b>	<b>740</b>	<b>3.213.365</b>	<b>5.383</b>	<b>41.346</b>	<b>3.260.094</b>	<b>1393</b>	<b>777</b>	<b>6.157.926</b>	<b>3.608</b>	<b>7.872</b>	<b>6.169.406</b>	<b>1424</b>	<b>819</b>	<b>4.395.543</b>	<b>10.300</b>	<b>31.406</b>	<b>4.437.249</b>
Refus prestations	102	94					84	81					97	93				

## 8 - Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

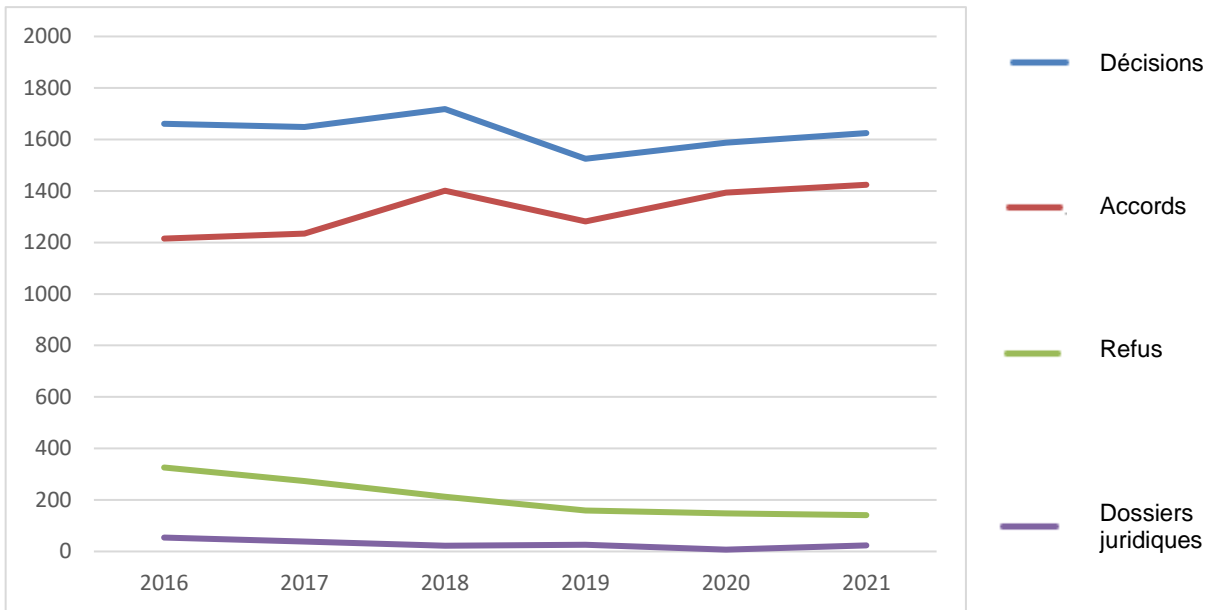
Nature des décisions	2019						2020						2021					
	Nombre de décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)	Nombre décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)	Nombre de décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)
Refus demandes de principe, prestations	45	45					51	51					37	37				
Refus art. 25sexies	4	2					3	3					1	1				
Refus demandes de principe, art. 25sexies	8	8					10	6					6	4				
<b>Sous-total refus</b>	<b>159</b>	<b>149</b>					<b>148</b>	<b>141</b>					<b>141</b>	<b>135</b>				
Demandes non fondées	42	41					26	24					23	22				
Demandes retirées par les OA	0	0					2	2					4	4				
Demandes clôturées	6	4					7	6					0	0				

Nature des décisions	2019						2020						2021					
	Nombre de décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)	Nombre décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)	Nombre de décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)
Demandes tardives	3	3					0	0					2	1				
Demandes non recevables							1	1					5	5				
Demandes de révisions, décisions retenues	8	7					4	4					2	2				
Exécution des tribunaux du travail, soins dispensés en Belgique	24	19	174.101	0	0	174.101	6	6	27.258			27.258	23	8	74.182	0	0	74.182

10 - Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

Nature des décisions	2019						2020						2021					
	Nombre de décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)	Nombre décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)	Nombre de décisions	Nombre de patients	Frais médicaux (euros)	Frais de séjour (euros)	Frais de voyage (euros)	Dépenses totales (euros)
Exécution des tribunaux du travail, soins dispensés à l'étranger	2	2	5441			5441	1	1	1.022			1.022	1	1	0	475	378	853
<b>Sous-total autres</b>	<b>85</b>	<b>76</b>	<b>179542</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>179542</b>	<b>47</b>	<b>44</b>	<b>28.280</b>			<b>28.280</b>	<b>60</b>	<b>43</b>	<b>74.182</b>	<b>475</b>	<b>378</b>	<b>75.035</b>
<b>Totaux</b>	<b>1.525</b>	<b>965</b>	<b>3.392.907</b>	<b>5.383</b>	<b>41.346</b>	<b>3.439.636</b>	<b>1.588</b>	<b>962</b>	<b>6.186.206</b>	<b>3.608</b>	<b>7.872</b>	<b>6.197.686</b>	<b>1.625</b>	<b>997</b>	<b>4.469.725</b>	<b>10.775</b>	<b>31.784</b>	<b>4.512.284</b>

Figure 1 : Évolution sur 5 ans du nombre de décisions (2016-2021)



Il est fait remarquer que le nombre total de demandes traitées avait fortement baissé en 2019, mais qu'il y a depuis lors à nouveau une augmentation constante. Il en va de même pour le nombre de patients concernés, qui s'élève à environ 1 000 patients par an en 2021. Cependant, il faut également noter que 2018 était une année de rattrapage à la suite de la mise en place en 2017 d'une nouvelle application pour suivre les demandes d'intervention ; les chiffres de 2018 sont donc biaisés à la hausse, alors que ceux de 2017 sont anormalement bas.

On constate une augmentation au niveau des décisions favorables (accords) et une diminution progressive au niveau des refus, passant de 284 en 2016 à 141 en 2021 pour un nombre total de décisions en hausse.

On constate également une baisse du nombre de jugements et d'arrêts des tribunaux et cours du travail à exécuter. Celui-ci passe de 54 en 2016 à 26 en 2019. On constate une nouvelle baisse significative de ce nombre, qui passe à 7, en 2020, ce qui est lié aux circonstances de la COVID-19 au cours de cette année-là. En 2021, ce nombre a de nouveau augmenté pour atteindre 24 en raison d'un rattrapage.

À la fin de l'année 2021, il y a encore 12 procédures qui sont pendantes en première instance devant les tribunaux du travail depuis plus de 5 ans.

b. **Discussion des données chiffrées sur la nature des décisions**

**Tableau 2 : Dépenses relatives aux décisions sur les demandes avec factures pour les dépenses déjà engagées**

Année	Dépenses totales
2015	2.198.652€
2016	2.784.342€
2017	2.079.994€
2018	2.780.373€
2019	3.439.636€
2020	6.201.280€
2021	4.512.284€

Ces chiffres font référence aux dépenses relatives aux décisions prises par le Collège au cours de cette année civile. Ce tableau ne comprend donc pas les montants relatifs aux demandes de principe pour lesquelles aucune dépense n'a encore été effectuée au moment de la décision.

Le paiement des interventions du FSS pour les prestations *effectuées* au cours d'une année civile (indépendamment de la date de la décision du FSS) est en réalité étalé sur quatre ans. Cela peut s'expliquer par le fait que les demandes d'intervention du FSS peuvent être soumises jusqu'à 3 ans après la date d'exécution de la prestation et que, dans un certain nombre de cas, il y a un retard important dans la facturation par les dispensateurs.

Le tableau 3 montre donc que les dépenses comptabilisées sur 4 années consécutives doivent être analysées pour faire une estimation réaliste des interventions FSS pour une année civile donnée.

Il convient donc de noter que les montants mentionnés dans la colonne « total presté » du Tableau 3 ne sont ni complets ni définitifs pour les années 2019, 2020 et 2021. Cela signifie également que le total des dépenses comptabilisées pour ces mêmes années présente une augmentation très prononcée par rapport aux années précédentes.

**Tableau 3 : Ventilation des dépenses comptabilisées par année de prestation (en euros) sur la base des paiements effectués par les organismes assureurs (Rapport d’audit actuariat 2021)**

Presté	Comptabilisé						Total presté
	2016	2017	2018	2019	2020	2021	
2013	863.165						2.064.025
2014	142.799	493.538					2.211.692
2015	995.152	282.838	840.043				2.773.603
2016	665.618	846.699	362.238	363.720			2.238.275
2017		469.214	1.375.943	239.959	208.580		2.293.696
2018			519.045	1.396.542	275.941	453.645	2.645.174
2019				959.284	4.008.171	915.910	5.883.364
2020					1.268.914	2.286.018	3.554.932
2021						1.115.832	1.115.832
Total comptabilisé	2.666.734	2.092.289	3.097.269	2.959.505	5.761.606	4.771.404	

Remarque :

- On parle de données comptabilisées lorsqu'on prend, pour date de référence, la date à laquelle la prestation est comptabilisée par l'organisme assureur.
- On parle de données prestées lorsqu'on prend, pour date de référence, la date à laquelle la prestation a effectivement été prestée.
- L'année au cours de laquelle la décision d'accorder une intervention est prise par le FSS peut différer à la fois de l'année au cours de laquelle l'intervention a été comptabilisée et de l'année au cours de laquelle la prestation elle-même a été effectuée ou délivrée.

Depuis 2018, on observe une croissance constante des dépenses liées aux interventions du FSS.

La forte augmentation observée de ces dépenses est due principalement à une augmentation du prix des prestations pour lesquelles une intervention est demandée et pas (tellement) à une augmentation du nombre de demandes.

Le Collège donne désormais souvent des accords de principe pour des prestations qui n'ont pas encore été effectuées au moment où le CMD traite le dossier de demande. Il s'agit souvent de prestations extrêmement coûteuses pour lesquelles un accord préalable est plus que souhaitable, car il n'est pas raisonnable d'attendre de la part d'un assuré qu'il s'engage lui-même financièrement sans avoir la certitude qu'une intervention du FSS suivra.

C'est particulièrement vrai pour la thérapie génique et les traitements oncologiques pour les enfants. En 2020-2021, les montants fixés par le biais d'accords de principe sont particulièrement élevés. Ces montants ne sont

## 14 - Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

pas toujours inclus dans les tableaux ci-dessus, car pas toutes les dépenses n'ont été réalisées jusqu'à l'année de référence.

Cela concerne surtout des interventions pour des médicaments tels que Zolgensma, Revcovi et Qarziba. Le montant demandé pour ce type de médicaments est de 3 044 817 euros pour les années 2020-2021.

Par conséquent, il est et demeure important que le FSS dispose d'un budget suffisamment important pour continuer à servir d'ultime bouée de sauvetage dans des situations médicales graves où toutes les solutions alternatives thérapeutiques remboursables ont été épuisées ou n'existent pas. Une sous-utilisation supposée du budget alloué au cours d'une année civile donnée peut déjà se transformer en important surcoût l'année civile suivante sans que cela ne soit prévisible.

## 2. Accords dépendant du type de prestation

### a. Données chiffrées sur les accords selon le type de prestation

**Ce tableau ne comprend que les prestations de santé effectuées en Belgique, donc pas à l'étranger, et il ne comprend pas non plus l'exécution de décisions de justice.**

**Tableau 4 : Accords selon le type de prestation**

	Montant de l'intervention (euros)			Nombre de décisions			Nombre de patients			Moyenne arithmétique du montant des interventions par patient (euros)		
	2019	2020	2021	2019	2020	2021	2019	2020	2021	2019	2020	2021
Médicaments	2.309.862	5.462.725	3.813.058	897	972	987	495	529	522	4.666	10.327	7.305
Implants	131.795	126.022	206.637	24	12	21	21	12	21	6.276	40.502	9.840
Instruments, prothèses, orthèses	57.154	142.068	64.511	34	49	36	23	34	22	2.485	4.178	2.932
Alimentation spéciale	5.896	5.737	9.620	25	26	26	6	6	7	983	956	1.374
Nouvelles techniques	25.812	24.005	11.100	7	4	3	5	4	3	5.162	6001	3.700
Pansements et pommades	250.001	217.284	99.938	80	85	58	15	13	10	16.667	16.714	9.994
Plan de traitement	49.751	54.114	153.251	22	24	46	16	13	21	3.109	4.163	7.298
<b>Total</b>	<b>2.830.271</b>	<b>6.031.955</b>	<b>4.358.116</b>	<b>1.089</b>	<b>1.172</b>	<b>1.177</b>	<b>581</b>	<b>611</b>	<b>606</b>	<b>4.871</b>	<b>9.872</b>	<b>7.192</b>

### b. Discussion des données sur les accords selon la classe de prestations

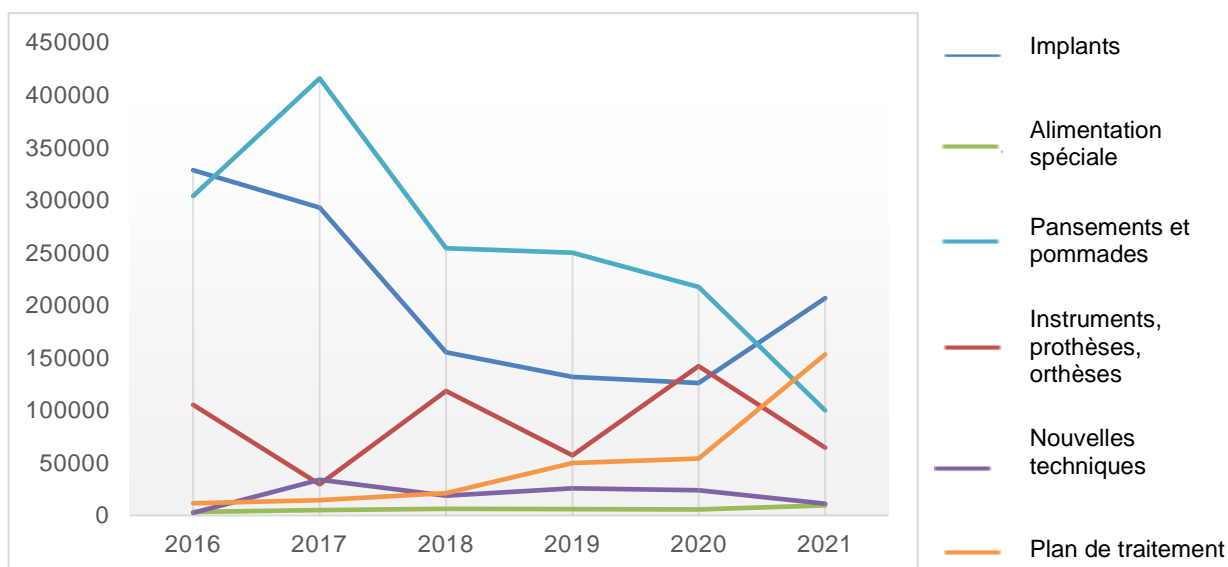
Le tableau 4 montre qu'en 2019, 2020 et 2021, comme dans le passé, les médicaments représentent la plus grande part des dépenses. Le nombre de patients est stable et ne varie que légèrement d'une année à l'autre. Les montants augmentent de manière significative. Pour les médicaments, le montant passe de 3 626 euros par dossier de demande en 2018 à 7 305 euros en 2021, avec un pic au-dessus de 10 000 euros en 2020.

Pour les autres prestations, on constate une diminution du nombre d'interventions pour les implants, les pansements et les pommades, mais une augmentation pour les plans de traitement et de soins.





Figure 3 : Évolution des dépenses par catégorie de médicaments (hors médicaments)



### 3. Données détaillées 2021

#### a. Accords selon le type de prestations

Remarques :

- Les données concernant les accords ne comprennent que les décisions pour lesquelles le montant de l'intervention a été fixé en application des articles 25bis à 25quinquies inclus de la loi SSI (les accords sur les demandes de principe ne sont pas inclus).
- Un même patient peut introduire des demandes concernant plusieurs types de prestations, par exemple un implant et un médicament. Il est alors repris dans chacune des rubriques concernées. Il peut également demander une prolongation pour la même prestation que celle pour laquelle il a déjà obtenu une intervention par le passé, auquel cas il ne sera compté qu'une seule fois.
- Les décisions relatives à l'exécution de jugements et d'arrêts des tribunaux et cours du travail et les décisions déléguées aux OA sont incluses dans ces tableaux.

**Tableau 5 : Accords selon le type de prestation (détails 2021)**

Accords	Montant de l'indemnité (euros)	Nombre de décisions	Nombre de patients	Intervention moyenne par patient en euros	Coût moyen par décision en euros	Médiane du coût par décision en euros	Part de chaque type de prestation dans le total des dépenses (2021) (%)
<b>Médicaments</b>	3.813.058	987	522	7.305	3.867	651	71
<b>Implants</b>	206.637	21	21	9.840	9.840	15.079	5
<b>Instruments, appareils, orthèses</b>	64.511	36	22	2.932	1.792	268	4
<b>Alimentation spéciale</b>	9.620	26	7	1.374	370	124	2
<b>Nouvelles techniques</b>	11.100	3	3	3.700	3.700	3.400	1
<b>Pansements et pommades</b>	99.938	58	10	9.994	1.723	1.213	4
<b>Plan de traitement</b>	153.251	46	21	7.298	3.331	692	3
<b>Total</b>	<b>4.358.116</b>	<b>1.177</b>	<b>606</b>				

En 2021, 1 177 décisions positives ont été prises pour 606 patients pour un montant total de dépenses de 4 358 116 euros. Le montant moyen de l'intervention par patient s'élève à 7 192 euros et le coût moyen par décision s'élève à 3 703 euros. Il s'agit d'une augmentation significative par rapport à 2018, où l'intervention moyenne par patient était de 4 022 euros et l'intervention moyenne par décision de 2 153 euros.

b. **Prestations générant les dépenses les plus élevées et le plus grand nombre de patients en 2021**

Vous trouverez ci-après les données des prestations pour lesquelles les dépenses les plus importantes ont été effectuées pendant la période considérée, quel que soit le nombre de demandes ou de bénéficiaires pour la prestation donnée.

**Tableau 6 : Top 10 des prestations représentant les dépenses les plus élevées en 2021 (décidées et payées en 2021, mais éventuellement déjà effectuées avant 2021)**

	Prestation	Dépenses en euros
1.	Lutetium ocréotate (PRRT)	543.648
2.	Acide chénodésoxycholique (Xenbilox, Leadiant...)	435.230
3.	Dinutuximab bêta (Qarziba)	405.797
4.	Recombinant elapegamase-lvlr (Revcovi)	345.674
5.	Cerliponase alfa (Brineura)	307.806
6.	Immunoglobulines (Sandoglobuline, Ivegam, Multigam, Privigen, Octagam...)	237.177
7.	Letermovir (Prevymis)	199.909
8.	Éculizumab (Soliris)	175.601
9.	Implant cochléaire	171.418
10.	Foscarnet (Foscavir)	135.473

Les dépenses totales pour ces 10 prestations s'élèvent à 2 957 732 euros, soit 65 % des dépenses totales de 2021.

Neuf prestations sur dix concernent des spécialités pharmaceutiques ou des préparations magistrales. Les numéros 2 et 4 proviennent du même fabricant : Leadiant Biosciences.

Les implants cochléaires, le Revcovi et le Qarziba sont des prestations coûteuses pour lesquels l'accord d'intervention est généralement un accord de principe. Pour celles-ci, les dépenses ne sont donc réalisées que plus tard et, par conséquent, dans un certain nombre de cas, elles n'apparaissent pas dans les dépenses 2019 à 2021 inclus.

Figure 4 : Comparaison du TOP 10 des médicaments par année (2019-2021) (décidés et payés la même année).

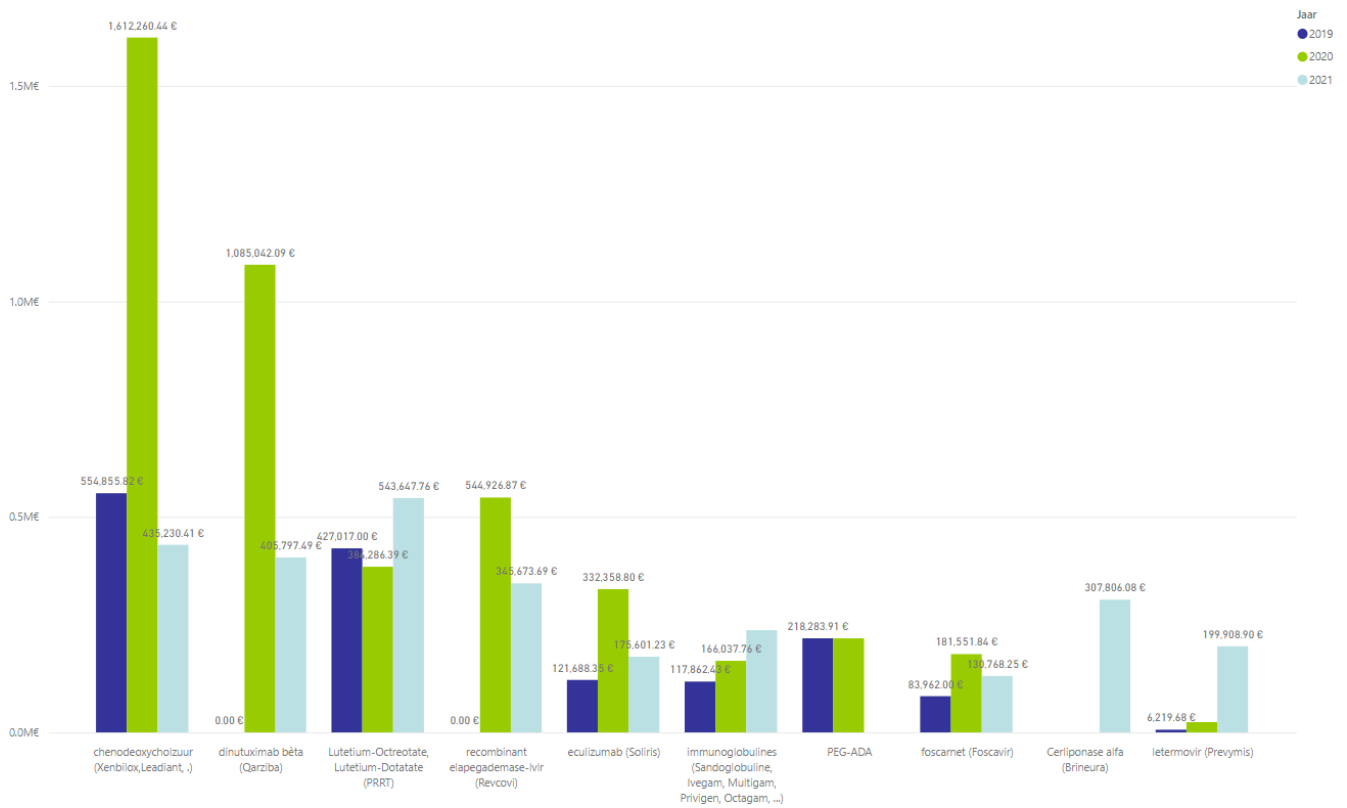


Tableau 7 : Des prestations (autres que des médicaments) représentant les dépenses les plus élevées en 2021 (décidées et payées en 2021, mais éventuellement déjà effectuées avant 2021)

	Prestation	Dépenses en euros
1.	Implant cochléaire	171.418
2.	Traitement de patients atteints d'EB	99.938
3.	Plan de traitement <sup>2</sup> de désensibilisation avant transplantation rénale	53.888
4.	Magnétoencéphalographie (MEG)	26.250

Les dépenses comptabilisées en 2021 pour ces prestations s'élèvent à 519 639 euros.

<sup>2</sup> Les plans de traitement ne sont pas analysés avec la classe de prestation « médicament », même lorsqu'ils ne concernent effectivement que plusieurs médicaments (comme cela est le cas dans le cadre de la désensibilisation avec transplantation rénale).

## 20 - Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

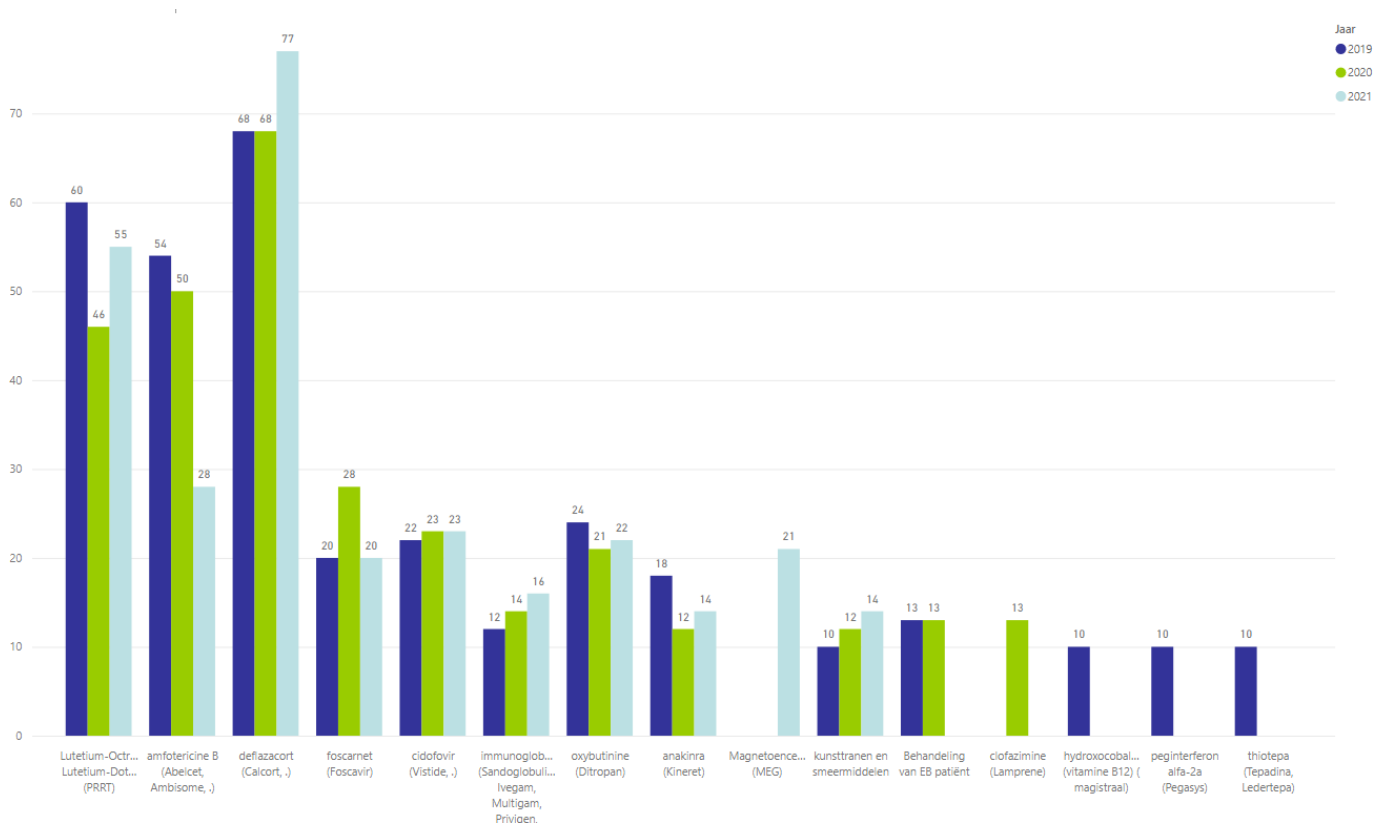
Voici les données relatives aux prestations représentant le plus grand nombre de bénéficiaires. Elles ne représentent cependant pas nécessairement les dépenses les plus importantes au sein du FSS.

**Tableau 8 : Top 10 des prestations représentant le plus de patients en 2021 (décidées et payées en 2021, mais éventuellement déjà effectuées avant 2021).**

	Prestation	Nombre de patients	Dépenses en euros
1.	Déflazacort (Calcort...)	77	21.613
2.	Lutetium ocréotate, Lutetium dotatate (PRRT)	55	543.648
3.	Amphotéricine B (Abelcet, Ambisome...)	28	41.464
4.	Cidofovir (Vistide...), foscarnet (Foscavir)	23	63.699
5.	Oxybutynine (Ditropan)	22	26.747
6.	Magnétoencéphalographie (MEG)	21	26.250
7.	Foscarnet (Foscavir)	20	130.768
8.	Immunoglobulines (Sandoglobuline, Ivegam, Multigam, Privigen, Octagam...)	16	237.176
9.	Anakinra (Kineret)	14	43.540
10.	Larmes artificielles et lubrifiants	14	4.227

Les dépenses totales pour ces 10 prestations s'élèvent à 1 139 132 euros, soit 25 % des dépenses totales en 2021. Il s'agit de dépenses concernant 290 patients sur un total de 960 patients (30 % des patients). Là encore, 9 prestations sur 10 concernent des médicaments.

Figure 5 : Évolution des prestations représentant le plus grand nombre de patients par an (2019-2021).



#### Précisions concernant la figure 4

Les interventions pour l'**acide chénodésoxycholique (Xenbilox)** ont constitué l'une des plus grosses dépenses du FSS au cours des dernières années. Il s'agit cependant d'une matière première très ancienne dont les coûts de production sont extrêmement bas et les coûts de développement inexistants.

Cette molécule était initialement utilisée dans le traitement des calculs biliaires et a ensuite obtenu le statut de médicament orphelin pour la maladie rare de la xanthomatose cérébrotendineuse (XCT) par l'EMA pour la firme Leadiant. On estime que 25 à 30 patients sont touchés par cette maladie en Belgique.

Même si le dossier de demande de Leadiant mentionne deux autres produits à base d'acide biliaire (au lieu de l'acide chénodésoxycholique), à savoir Orphacol et Kolbam, ces produits ont aussi, à côté d'une toxicité hépatique moindre, une efficacité significativement inférieure. Par conséquent, l'acide chénodésoxycholique est considéré comme le seul produit réellement utile dans le traitement (à vie) de la XCT. La firme Leadiant s'était entre-temps construit un monopole confortable depuis des années en achetant les autres produits concurrents et en les retirant du marché. Depuis, Leadiant a déjà été condamnée pour cela dans plusieurs pays. En outre, le prix du « médicament orphelin » Xenbilox est devenu environ quatre cents fois plus élevé que le produit original. Il s'est par ailleurs avéré que Leadiant n'avait pas réalisé d'investissements importants dans la recherche de nouveaux médicaments dans le cadre du remboursement de l'indication XCT.

Les patients atteints de XCT étant fortement dépendants de ce médicament entre-temps très coûteux, l'assurance maladie en Belgique et dans plusieurs autres pays ont été mises devant le fait accompli par la firme. Le fabricant n'a jamais adressé de demande à la commission compétente, à savoir la Commission de remboursement des médicaments.

Quant à la situation en Belgique, jusqu'en octobre 2018, l'acide chénodésoxycholique était préparé de manière magistrale par les pharmaciens hospitaliers de l'UZ Leuven et de l'UZ Antwerpen pour les patients atteints de XCT. En 2020, il y avait un traitement en cours pour 10 patients financé par le FSS. Les résultats de l'analyse effectuée par le laboratoire belge OMCL Sciensano ont montré que la matière première d'un lot particulier contenait trop d'impuretés. En octobre 2018, l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé

(AFMPS) a donc décidé de retirer de la vente tous les médicaments préparés à partir de la matière première de ce lot jusqu'au niveau du patient.

Il fallait trouver une solution à court terme pour éviter une augmentation des complications neuropathiques chez ces patients. La seule solution alternative pour ces patients était d'importer la spécialité Leadiant des Pays-Bas. Le prix était de 14 000 euros (hors frais) par boîte de 100 capsules. L'achat auprès d'autres grossistes internationaux coûtait même encore plus cher : entre 24 000 et 27 000 euros par boîte de 100 capsules. Les hôpitaux universitaires concernés ont cherché des solutions alternatives, et la substance active, l'acide chénodésoxycholique, est depuis redevenue disponible pour les préparations magistrales. En raison du retard dans la facturation, le pic des dépenses se situe en 2020 et, pour 2021, la situation est revenue au niveau précédent.

Le FSS fixe l'intervention à 75 % du prix facturé avec une intervention personnelle pouvant aller jusqu'à 1 250 euros par an. Cette situation est jusqu'à présent restée inchangée.

Cependant, il est souhaitable d'avoir un remboursement structurel qui inclut la substance active dans la liste des préparations magistrales remboursées.

**Qarziba** a également constitué un poste de dépenses important pour le FSS, mais il est remboursé au titre du chapitre IV en remboursement ordinaire depuis le 1<sup>er</sup> avril 2020. Les dépenses en 2021 concernent donc encore les interventions pour les conditionnements livrés avant le 1<sup>er</sup> avril 2020.

**Lutetium octroate et Lutetium dotatate (PRRT : thérapie par radionucléides par récepteurs peptidiques)** figurent depuis de nombreuses années dans le top 5 des prestations, à la fois en termes de nombre de patients et de dépenses. Ils sont inclus dans le remboursement ordinaire depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2022 pour un maximum de 4 cycles. L'arriéré de facturation par les hôpitaux concernés est considérable si bien que ce médicament restera donc certainement un poste de dépenses important en 2022.

**Revcovi** est un traitement dans lequel le FSS intervient pour le déficit en adénosine désaminase (déficit en ADA) de manière temporaire, dans l'attente d'une greffe de cellules souches ou d'une thérapie génique. Le déficit en ADA est rare et implique une déficience de l'enzyme (protéine) adénosine désaminase. Le traitement est à vie, sauf si une greffe de cellules souches peut avoir lieu.

Le CMD reçoit régulièrement des demandes d'intervention dans l'**alimentation médicale** pour des patients atteints de maladies métaboliques. L'assurance maladie rembourse depuis plusieurs années déjà l'alimentation particulière en cas de maladies métaboliques monogéniques héréditaires rares (AR du 8.11.1998).

Compte tenu du fait qu'il existe désormais une réglementation spécifique pour l'alimentation médicale, le FSS n'approuvera plus à l'avenir les demandes d'intervention pour les nouveaux patients. Pour les patients qui bénéficient actuellement déjà d'une intervention, le Collège souhaite parvenir à une réglementation qui leur permette de passer au remboursement ordinaire.

#### 4. Prestations pour lesquelles le Collège des médecins-directeurs recommande un remboursement structurel (nomenclature, chapitre IV, la Liste...)

Pour la gestion du FSS, le Collège des médecins-directeurs continue à faire face à de nombreux défis concernant l'intervention pour les médicaments, les implants, les dispositifs médicaux et le positionnement par rapport à d'autres organes de l'assurance obligatoire qui travaillent activement dans les mêmes domaines.

Le tableau ci-dessous présente les prestations et indications pour lesquelles des décisions ont été prises au cours de la période 2019-2021 et pour lesquelles un remboursement ordinaire est considéré comme souhaitable par le Collège. Le CMD n'accorde pas nécessairement une intervention financière pour chacune de ces prestations.

Enfin, ces défis permettent d'avoir une vision critique des conditions et critères du Fonds, qui devrait se traduire par une modification concrète de l'article 25 de la loi SSI.



a. **Médicaments et préparations magistrales**

Médicaments et préparations magistrales pour lesquels le Collège recommande une inclusion dans le remboursement structurel.

**Tableau 9 : Médicaments**

Prestation	Indications
Amphotéricine B (Abelcet, Ambisome...)	Prévention de l'infection par <i>Aspergillus</i> après une transplantation pulmonaire
Anakinra (Kineret)	Nouvel élargissement des indications : pleuropéricardite récurrente réfractaire, syndrome de Schnitzler.
Globuline antithymocyte (ATGAM)	Indication enregistrée : anémie aplasique
Busulfan (Busilvex)	Conditionnement d'une deuxième greffe de cellules souches
Cerliponase alfa (Brineura)	Céroïde-lipofuscinose neuronale
Cidofovir (Vistide)	Immunosuppression : CMV réfractaire, infection à adénovirus
Clofazimine (Lamprène)	Infections mycobactériennes
Déflazacort (Calcort, Flantadin)	Myopathie de Duchenne
Éculizumab (Soliris)	Hémoglobinurie paroxystique nocturne, syndrome hémolytique et urémique (réduire progressivement la nécessité de quatre transfusions préalables dans le chapitre IV).
Fidaxomicine (Difclir)	Utilisation ambulatoire sans hospitalisation préalable mais basée sur un antibiogramme et prescrite par un spécialiste
Acide folinique (Rescuvoлин, Lederfoline)	Déficiência cérébrale en acide folique
Sulfate de fomépizole (Fomépizole)	Intoxication au glycol
Foscarnet (Foscavir)	Immunosuppression : CMV réfractaire, herpès réfractaire
Imipénème (Imipénème-Cilastatine Fresenius Kabi)	Infections mycobactériennes
Immunoglobulines (Sandoglobuline, Ivegam, Multigam, Privigen, Octagam...)	Myasthénie réfractaire, rejet réfractaire de greffe d'organe, thrombocytopénie néonatale transitoire. Octagam est remboursé à partir du 1.2.2023. Pour le traitement du rejet médié par les anticorps (RMA) après une transplantation rénale, il existe une demande de remboursement de la part de la Société belge de transplantation (SBT), mais en raison de la disponibilité limitée des immunoglobulines, il y a actuellement peu de place pour l'élargissement des indications. Sandoglobuline, Ivegam et Multigam ne sont plus disponibles sur le marché belge.
Immunoglobulines anti-CMV (Cytotect, Megalotect)	Élargissement à d'autres transplantations d'organes pour lesquelles il existe des preuves d'utilité et à des transplantations de cellules souches où elles sont utilisées comme antiviral ; autorisé uniquement à titre prophylactique.
Iode (Lipiodol UF)	Pour la chimio-embolisation du lymphœdème après une lésion post-chirurgicale d'un vaisseau lymphatique thoracique.
Larmes artificielles et lubrifiants	Élargissement du forfait du syndrome de Sjögren à d'autres maladies
Letermovir (Prevymis)	Diminution de l'âge pour la prévention. Utilisation dans les infections à CMV réfractaires. Prevymis n'est autorisé qu'à titre prophylactique.
Chlorhydrate de méthylphénidate (Rilatine à libération prolongée, Concerta)	Narcolepsie  La procédure pour la Ritaline à libération prolongée a depuis été achevée. Le remboursement pour l'indication de la narcolepsie suivra bientôt.
Mexilétine (Mexitil, Mexilétine, Namuscla)	Indication enregistrée pour les maladies rares suivantes : myotonie non dystrophique ; la mexilétine a été commercialisée comme antiarythmique pendant des décennies.

24 - Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

Prestation	Indications
	<p>La procédure pour Namuscla a été achevée en 2020, mais un prix demandé trop élevé a entraîné un avis négatif sur le remboursement de la spécialité.</p> <p>Cependant, une recommandation a été faite à la Commission de remboursement des produits et prestations pharmaceutiques (CRPPP) pour rembourser la mexilétine magistrale. Des discussions sont actuellement en cours avec le producteur de la matière première afin d'introduire un dossier auprès de la CRPPP.</p>
Acide mycophénolique (Myfortic)	Enregistré uniquement pour la transplantation rénale. Élargissement de l'indication enregistrée à d'autres organes transplantés.
Phénylbutyrate de sodium (Ammonaps)	<p>Indication enregistrée pour la maladie rare suivante : troubles du cycle de l'urée</p> <p>Le bureau de la CRM a demandé à la firme d'introduire un dossier. La firme a choisi d'en soumettre un pour Ravicti (phénylbutyrate de glycérol), qui est identique d'un point de vue thérapeutique, mais qui a meilleur goût et des indications plus larges. Les négociations contractuelles ont commencé et sont actuellement en cours.</p>
Nitazoxanide (Alinia)	Indication enregistrée comme antiparasitaire
Omalizumab (Xolair)	Kératoconjonctivite sévère et réfractaire chez les enfants ayant une acuité visuelle réduite
Palbociclib (Ibrance)	Hommes atteints d'un cancer du sein.
Peginterféron alpha-2a (Pegasys)	Thrombocytémie essentielle, polycythémie, maladie myéloproliférative chronique.
Pyridostigmine retard (Mestinon Retard)	Myasthénie grave
Recombinant elapegedemase-lvlr (Revcovi)	<p>Indication enregistrée pour la maladie rare suivante : DICS.</p> <p>Pas d'autorisation en Belgique (cf. AFMPS), ni de procédure EMA (mais bien FDA) – dans le cas du DICS-ADA, il existe une option pour la thérapie génique Strimvelis (la thérapie enzymatique n'est pas remboursée dans l'UE dans le cas du DICS-ADA).</p>
Hormone thyroïdienne (L-thyroxine injectable)	Pour les affections pour lesquelles la forme orale ne peut être utilisée.
Sildénafil (Viagra, Revatio)	Sclérodémie systémique avec ulcère digital.
Thiotépa (Tepadina, Ledertepa)	Élargissement à toutes les indications enregistrées
Vedolizumab (Entyvio)	Pour les patients de moins de 18 ans, la firme doit modifier le résumé des caractéristiques du produit (« SmPc ») sur la base des données de sécurité/et d'efficacité chez les jeunes de moins de 18 ans.

**Tableau 10 : Préparations magistrales**

Prestation	Indications
3,4-Diaminopyridine	Syndrome de Lambert-Eaton, ataxie pré-cérébelleuse.
Acide hydroxybutyrique	Troubles du métabolisme des acides gras.
Hydroxocobalamine (vitamine B12)	Troubles du métabolisme des acides aminés, troubles du métabolisme des acides gras, hyperhomocystéinémie...
Phénylbutyrate de sodium	Déficit en ornithine transcarbamylase.
Sérum autologue	Sécheresse oculaire très sévère.
Thiosulfate de sodium	Calciphylaxie chez les patients dialysés.
Vitamines A, D, E, K	Remboursées comme aliments à des fins médicales chez les enfants souffrant de malabsorption sévère. Les produits figurent sur la liste jointe à l'AR du 23.11.2021 dans le titre 2 « Nutrition médicale » §250000. Remboursées depuis le 1.6.2019.
Oxybutinine (pour instillation vésicale)	Vessie neurogène en cas de spina bifida.
Acide chénodésoxycholique	Xanthomatose cérébrotendineuse.
Ciclosporine en collyre	Pathologies de la surface oculaire, de la cornée et intraoculaires
Cannabidiol	Syndrome de Lennox-Gastaut, Dravet et sclérose tubéreuse( indications EMA)
Phénelzine	Dépression réfractaire sévère.
Oméprazole	Enfants de moins de 2 ans.
Élargissement des pansements actifs et autorisation pour toutes les dimensions d'un type de pansement donné	Épidermolyse bulleuse

**Tableau 11 : Prestations pour lesquelles le FSS a traité des demandes dans le passé qui ont été incluses dans le remboursement ordinaire pendant la période 2019-2021**

Prestation	Indications
Botox (toxine botulique de type A)	Élargissement de l'indication à la migraine chronique (version bêta de l'ICHD-3) chez les patients sans abus médicamenteux à partir du 1.3.2019.
Kineret (anakinra)	Élargissement de l'indication au traitement de la maladie de Still de l'adulte insuffisamment contrôlée, en association avec le méthotrexate, sans méthotrexate en cas d'intolérance documentée ou si le traitement par méthotrexate n'est pas adapté, chez les adultes assurés âgés d'au moins 18 ans à partir du 1.4.2019.
Verzenio (abemaciclib)	Remboursé à partir du 1.6.2019 pour le cancer du sein avancé ou métastatique à récepteur hormonal positif et HER2 négatif.
Metoject (méthotrexate)	Remboursé pour les patients traités par méthotrexate per os ou une autre forme parentérale de méthotrexate à partir du 1.6.2019.
Norditropine (somatotropine)	Traitement du retard dans la croissance en longueur chez un enfant au lieu du traitement du nanisme. Également traitement chez un enfant présentant un déficit sévère en somatotropine secondaire à une chirurgie ou une radiothérapie à partir du 1.7.2019.
Prevymis (letermovir)	Remboursé pour la prévention des poussées de CMV ou d'une maladie à CMV, chez un adulte séropositif au CMV (R+) après une greffe de cellules souches allogéniques pour un traitement d'une durée maximale de 100 jours à partir du jour de la greffe (début jusqu'à 28 jours après la greffe) à partir du 1.12.2019.

26 - Le Fonds spécial de solidarité (FSS)

Genotonorm et Omnitrope (somitropine)	Remboursé pour le traitement du retard de la croissance en longueur chez un enfant. Également traitement chez un enfant présentant un déficit sévère en somatotropine secondaire à une chirurgie ou une radiothérapie à partir du 1.5.2020.
Zentel, Eskazole (ibendazole)	Remboursé pour le traitement de l'échinococcose causée par <i>Echinococcus granulosus</i> (échinococcose kystique ou hydatidose) ou <i>Echinococcus multilocularis</i> pour une dose maximale de 800 mg par jour à partir du 1.7.2020.
Foscan(temoporphine)	Remboursé pour le traitement du carcinome épidermoïde palliatif étendu à la région de la tête et du cou, pour lequel un traitement antérieur a échoué et qui n'entre pas en ligne de compte pour un traitement curatif par chirurgie, radiothérapie ou chimiothérapie à partir du 1.9.2020.
Adcetris (flacon de poudre pour solution pour perfusion 50 mg)	Ajout d'une indication en plus de la monothérapie : lymphome anaplasique à grandes cellules systémique (LAGCs), non traité précédemment et ALK-positif (avec IPI $\geq$ 2) ou ALK-négatif (tous les IPI) (et en association avec cyclophosphamide, doxorubicine et prednisone) depuis le 1.4.2021.
Zerbaxa flacon de poudre pour solution à diluer pour perfusion 1 g/0,5 g 20 ml (ceftolozane/ tazobactam)	Antibactérien à usage systémique ; a été ajouté au chapitre I depuis le 1.8.2021.
Vfend (voriconazole)	Élargissement de l'indication : le traitement, depuis le 1.8.2021, d'une mycose avérée ou d'une mycose suspectée chez un patient atteint de la COVID-19 ( mesure COVID).
Noxafil (posaconazole)	Élargissement de l'indication : traitement, depuis le 1.8.2021, d'une mycose avérée ou éventuellement suspectée chez un patient atteint de la COVID-19 ( mesure COVID).
Alunbrig (brigatinib)	Remboursé depuis le 1 <sup>er</sup> septembre 2021 pour le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé avec réarrangement d'ALK (ALK-positif) qui n'a pas été prétraité par un inhibiteur d'ALK. La positivité de l'ALK doit être démontrée par au moins un test validé pour le cancer du poumon : IHC, ISH ou SNG (séquençage de nouvelle génération) dans des laboratoires qui peuvent garantir la validation des procédures de test pour une période d'évaluation allant jusqu'à 12 semaines (§ 370108) ou pour des périodes renouvelables allant jusqu'à 1 an (§ 370208).
Ribavirine (comprimés enrobés 200 mg, 400 mg) (45°, chapitre 4bis)	Remboursé depuis le 1.9.2021 pour le traitement en monothérapie d'une personne assurée qui se trouve dans la situation suivante et qui répond simultanément aux critères suivants : assuré ayant subi une transplantation d'organe ou de cellules souches ou ayant été traité pour une affection maligne, une hépatite E chronique, une altération de l'assimilation des immunosuppresseurs ou un traitement inapproprié. Les conditions de remboursement tiennent compte d'un maximum de 1 000 mg par jour et d'une durée de traitement de 2 périodes de traitement réussies de 3 mois maximum. La catégorie de remboursement B 246 concerne les infections chroniques dues à l'hépatite C ou à l'hépatite E.
Zolgensma flacon de solvant pour solution pour perfusion (onasemnogene abeparvovec)	Depuis le 1.12.2021, ce médicament orphelin est remboursé pour le traitement de l'amyotrophie spinale 5q (SMA) chez les assurés atteints de SMA de type I symptomatique ou de SMA présymptomatique avec jusqu'à 3 copies du gène SMN2. Il existe un contrat « art. 111 » avec l'INAMI.
Entyvio (seringue préremplie, solution injectable préremplie 108 mg/0,68 ml)	Depuis le 1.12.2021, le traitement d'entretien (sous-cutané) de la rectocolite hémorragique sévère chez un assuré âgé d'au moins 18 ans et le traitement d'entretien (sous-cutané) chez un assuré atteint de la maladie de Crohn qui ont déjà bénéficié d'un remboursement du traitement sont remboursés.

b. **Implants, dispositifs médicaux et autres prestations**

Implants, dispositifs médicaux et autres prestations pour lesquels le Collège recommande une inclusion dans le remboursement ordinaire.

**Tableau 12 : Implants et dispositifs médicaux**

Prestation	Indications
Implants cochléaires	IC controlatéral chez les malvoyants et les malentendants, enfants et adultes (par ex. Usher). La Commission a lancé une initiative, mais le rapport d'évaluation n'a pas encore commencé.
Implants du tronc cérébral	Surdit� bilat�rale, neurofibromatose. Pas de dossier de la firme, pas d'initiative de la Commission/du Ministre.
Stent carotidien	St�nose de la carotide.
Magn�toenc�phalographie (MEG)	�pilepsie r�fractaire, pr�chirurgie
Implants chirurgicaux � allongement automatique	Enfants.
PleurX	Soins palliatifs � domicile en cas de pleur�sie maligne et d'ascite maligne.
R�vision de proth�ses de cheville	Adaptation des modalit�s. �tait d�j� rembours� auparavant, en vigueur depuis le 1.7.2022.
Irrigation transanale (Peristeen).	Incontinence f�cale. Le dossier est en cours aupr�s de la Commission de remboursement des produits et prestations pharmaceutiques (CRPPP).

**Tableau 13 : Prestations pour lesquelles le FSS a trait  des demandes dans le pass  qui ont  t  incluses dans le remboursement ordinaire pendant la p riode 2019-2021**

Prestation	Indications et date d'entr�e en vigueur
Restauration dentaire complexe	Cancer et patients atteints d'anodontie en vigueur depuis le 1.1.2020.
Manchettes et gants �lastiques	Lympho�d�me des membres sup�rieurs, acquis ou cong�nital en vigueur depuis le 1.2.2021.
Valves endobronchiques Zephyr	Emphys�me pulmonaire en vigueur depuis le 1.2.2020.
Pansements actifs	En vigueur depuis le 1.10.2019.

## 5. Questions sur lesquelles le Conseil souhaite attirer l'attention en ce qui concerne la bonne gestion du FSS.

Le FSS est confronté à plusieurs défis concernant les demandes de médicaments (6.a), les dispositifs médicaux (6.b) ainsi que son rôle vis-à-vis d'autres organes dans le cadre de l'assurance maladie obligatoire (7). Enfin, ces défis nous amènent à porter un regard critique sur les conditions et les critères d'éligibilité à l'intervention du FSS (5).

Comme nous l'avons déjà mentionné précédemment, les médicaments représentent le poste de dépenses le plus important du FSS. Cette catégorie représente également le plus grand défi pour le FSS.

Le Collège des médecins-directeurs observe un certain nombre de problèmes et de points d'attention à cet égard.

### a. Demandes pour des indications off-label de médicaments

Dans le cas d'indications off-label, il n'est pas toujours question de preuves scientifiques suffisantes.

Le défi du Collège consiste à estimer de manière réfléchie si les preuves disponibles sont suffisantes pour supposer que l'utilisation *off-label* est justifiée. Dans le cas d'une affection (très) rare, il n'est toutefois pas évident d'évaluer à partir de quand les preuves scientifiques sont suffisantes pour l'indication *off-label* demandée.

En outre, le point de vue du Collège n'est pas toujours confirmé en première instance et en appel par les tribunaux et cours du travail, assistés en cela par des experts médicaux qui se fondent sur les mêmes preuves limitées.

Pour certaines indications off-label, mais pas toutes, il apparaît que le programme de recherche clinique a été abandonné ou que l'Agence européenne des médicaments a refusé l'autorisation. Ces informations ne sont pas largement diffusées et sont donc difficiles à vérifier.

Pour les autres indications off-label, l'autorisation de mise sur le marché et le remboursement structurel sont imminents. Le FSS est par ailleurs confronté à des médecins demandant une intervention pour leur(s) patient(s) avant même la date de début du remboursement structurel.

### b. Demandes pour des molécules très anciennes, connues depuis longtemps et souvent initialement incluses dans le chapitre IV, voire le chapitre I

Ces (très) vieilles molécules sont « recyclées » pour une indication rare, et leur prix est alors multiplié par cent ou plus. Les problèmes liés au Xenbilox (acide chénodésoxycholique initialement utilisé pour dissoudre les calculs biliaires) ont été expliqués plus haut dans ce rapport annuel, mais ce n'est pas le seul cas. Busilvex (forme intraveineuse du busulfan), Ammonaps (phénylbutyrate de sodium inscrit à la Pharmacopée européenne) et Sibnayal (granulés à libération prolongée de citrate de potassium et de bicarbonate de potassium) sont similaires.

### c. Demandes pour des médicaments disponibles sur le marché européen, mais pas en Belgique, ou pour des médicaments qui ne sont pas disponibles sur le marché européen, mais bien aux États-Unis ou ailleurs dans le monde

De tels médicaments doivent être importés de manière individuelle, ce qui peut entraîner des prix extrêmement élevés. Le défi pour le CMD consiste à exercer sa compétence discrétionnaire de telle manière qu'un équilibre soit assuré entre le prix de la grande distribution/du pharmacien et le coût à charge du patient.

Le Collège constate que cet exercice devient de plus en plus difficile. Les informations au sujet du prix ex-usine<sup>3</sup> sont rares, et on observe des différences de prix énormes entre les prix des différentes grandes distributions, entre les prix d'une même grande distribution, entre les prix de la grande distribution et ce qui est facturé par le pharmacien au patient...

Si le Collège souhaite répondre aux besoins et aux attentes des patients, il n'a pas pour mission de soutenir ou d'encourager des modèles économiques non objectivés.

Pour les médicaments qui ne sont plus disponibles en Belgique mais qui le sont encore à l'étranger, la Commission de remboursement des médicaments (CRM) est réticente à l'idée de les inclure dans le chapitre IVbis (ce qui signifierait un remboursement sur la base de la facture).

Certaines firmes pharmaceutiques donnent l'impression d'essayer de faire rembourser leurs médicaments « par le biais du FSS », à un prix déterminé uniquement par la firme et sans introduire de dossier de remboursement auprès de la CRM de l'INAMI.

Quelle devrait donc être la position du Collège, sachant que la procédure de la CRM et les négociations contractuelles auront un impact évident sur le prix ? Le Collège intervient cependant pour le montant total des factures pour les enfants malades chroniques (article 25quinquies). La firme n'est donc pas incitée à poursuivre les négociations de prix.

Le FSS a également dû faire face à l'application d'un taux de TVA de 21 % pour les médicaments non enregistrés auprès de l'EMA et importés de l'extérieur de l'UE. Apparemment, il existe aussi une certaine ambiguïté quant à l'application des règles de TVA. Le cas du médicament Revcovi (voir aussi plus haut) mérite d'être mentionné.

Le médicament Revcovi est importé des États-Unis. Pour un traitement coûtant environ un million d'euros par patient, le taux de TVA a un impact significatif sur le budget du FSS. Ces derniers temps, le FSS a reçu des demandes pour deux patients. Le Collège a constaté que, pour un même médicament, la TVA est facturée à 21 % dans un cas, alors que dans un autre cas, elle n'est facturée qu'à 6 %.

Une explication possible pourrait être que des différences d'interprétation existent dans la lecture de la législation fiscale par les firmes qui gèrent l'importation du médicament de façon pratique et concrète.

Cependant, il n'y a pas d'arguments solides justifiant que l'on accepte qu'un médicament vital et extrêmement coûteux soit par-dessus le marché soumis au taux de TVA de luxe de 21 %. Pour les médicaments coûteux, un taux de 21 % représente une dépense supplémentaire pour le FSS pouvant aller jusqu'à plusieurs centaines de milliers d'euros pour un seul traitement. Il existe une correspondance entre le CMD et le Service public fédéral Finances demandant que le taux de TVA sur les médicaments soit également uniformisé au taux minimum pour ces médicaments importés. La proposition consiste à appliquer un taux de TVA uniforme de 6 % à tous les médicaments répondant à la définition suivante : « *Si la destination est l'utilisation comme médicament (à usage humain) à des fins de traitement et/ou de guérison d'un patient (sous surveillance médicale) et si la valeur ajoutée de ce médicament pour le patient est reconnue par les autorités médicales faisant autorité.* »

d. **Demandes concernant des médicaments pour lesquels les firmes mettent fin à une mise à disposition (usage compassionnel/programmes médicaux d'urgence)**

Il arrive régulièrement que des firmes pharmaceutiques mettent gratuitement un médicament à la disposition des patients, pour ensuite mettre fin à cette mise à disposition après quelques mois seulement. Cela peut exister pour des indications off-label et pour des indications in-label. Dans ce dernier cas, il arrive aussi que le fabricant cesse la mise à disposition dans le cadre de programmes médicaux d'urgence à court terme.

---

<sup>3</sup> § 1<sup>er</sup>, 6<sup>o</sup>, de l'article 25septies : « La demande d'intervention doit comporter au moins : pour les médicaments importés, le prix ex-usine pratiqué dans le pays dont ils sont importés. »

Le Collège constate alors que le médecin prescripteur ne rejette pas la faute sur le fabricant et trouve qu'il va de soi que l'INAMI prenne en charge le financement au prix du marché.

Ces situations mettent le Collège devant le fait accompli et sous pression, et elles placent souvent le patient dans une position difficile. Le défi pour le Collège, à travers ses décisions, est toujours d'envoyer indirectement le signal à ces firmes que le FSS n'a pas du tout pour vocation de résoudre ce genre de situations. En même temps, le Collège veut toujours s'assurer que les patients ne sont pas abandonnés à leur sort dans de telles circonstances.

e. **Demandes pour des médicaments temporairement indisponibles sur le marché belge alors qu'ils sont inclus dans le remboursement ordinaire**

Ce type de demandes s'est multiplié ces derniers temps. Le médicament prévu (ou une autre solution alternative non remboursée) doit alors être importé de l'étranger sur une base individuelle. Certaines de ces demandes répondent au critère de maladie rare. Cela risque ainsi de créer une discrimination entre des patients qui ont par exemple besoin du même traitement oncologique. Imaginons que l'un est atteint d'une maladie rare qui répond aux critères légalement définis du FSS, tandis qu'un autre ne peut prétendre à une intervention du FSS parce que les critères pour le faire ne sont pas remplis (par ex. mitomycine dans le carcinome de l'appendice ou le cancer de la vessie).

Pour la raison susmentionnée, il n'est **pas équitable** de laisser le FSS intervenir pour des médicaments qui sont temporairement indisponibles sur le marché belge alors qu'ils sont inclus dans le remboursement ordinaire. L'intervention du FSS dans ces circonstances ne fait d'ailleurs pas partie de sa mission légale. Il convient de noter qu'une loi est en vigueur depuis plusieurs années, précisément pour résoudre ce problème, mais que les arrêtés d'exécution font malheureusement toujours défaut.

Le Collège peut utiliser les critères classiques de l'article 25 dans cette situation, mais en réalité, le FSS n'est pas le mieux placé pour rembourser les coûts supplémentaires pour le patient résultant d'une indisponibilité temporaire sur le marché belge. On attend ici les arrêtés d'exécution de la loi du 20 décembre 2019. Dans ce cas, une compensation des coûts supplémentaires pour le patient sera élaborée en collaboration avec l'INAMI. En effet, le problème suivant se pose : Si le patient achète un médicament à l'étranger, il est remboursé au taux belge, mais si un pharmacien belge importe le médicament de l'étranger, aucune intervention n'est possible dans le cadre du régime de remboursement ordinaire.

f. **Demandes de traitements à domicile**

Le Collège reçoit également de plus en plus de demandes d'intervention pour des traitements à domicile, alors que ces derniers sont bel et bien remboursés lorsqu'ils sont utilisés pour un patient hospitalisé. Si ce patient séjourne à domicile, par exemple dans le cadre de la médecine palliative, il n'y a pas d'intervention de l'AMI. Des exemples incluent des traitements avec des cathéters PleurX, du matériel de drainage...

Certains médicaments ne sont par ailleurs remboursés que s'ils sont administrés à l'hôpital ou si le traitement a commencé à l'hôpital (Ondansetron, Difclir, Colistine, albumine), alors que des traitements ambulatoires ou extra-muros sont parfaitement possibles dans de nombreux cas.

Le Collège estime qu'avec l'évolution des connaissances et des possibilités en matière de pratique et, en particulier, d'hospitalisation à domicile, il est souhaitable de reconsidérer de façon critique certaines règles d'application et conditions de remboursement.

g. **Demandes concernant des complications iatrogènes dans le cadre de traitements/d'interventions non remboursés**

Le Collège traite désormais également des demandes d'intervention pour des complications iatrogènes dans le cadre de traitements/d'interventions chirurgicales non remboursés (par ex. chirurgie bariatrique).



## 6. Rôle du FSS dans le remboursement des médicaments et des dispositifs médicaux

### a. Médicaments

Des demandes d'intervention du FSS sont introduites pour plusieurs nouveaux médicaments, avec un impact budgétaire imprévisible mais potentiellement très élevé. Des médicaments tels que Zolgensma, Revcovi, Qarziba et Strimvelis ont déjà été cités dans le présent rapport annuel. Il s'agit aussi généralement de médicaments pour lesquels aucun prix n'a été octroyé par le SPF Économie au moment de la demande et qui sont tellement chers qu'ils peuvent perturber considérablement l'équilibre budgétaire au sein du FSS et de l'assurance obligatoire. Il s'agit cependant de médicaments pour lesquels la demande d'intervention est tout à fait conforme aux critères du FSS. Il s'agit de nouveaux médicaments qui ne disposent pas encore d'enregistrement auprès de l'EMA ou d'autorisation de mise sur le marché (AMM) en Belgique, ou pour lesquels une procédure de remboursement CRM n'a été entamée que peu de temps auparavant et dont on ne sait pas encore s'ils seront inclus dans le remboursement « structurel » ou dans un contrat « art. 111 – 112 - 113 ».

Dans la pratique, le FSS est souvent confronté à un certain nombre de problèmes liés à la politique en matière de médicaments.

#### MEDICAMENT SANS AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ

On peut ici prendre le médicament Tibsovo (ivosidénib) à titre d'exemple. Il s'agit d'un médicament non enregistré. Une demande de programme d'usage compassionnel (compassionate use) ne peut être faite qu'une fois que la procédure de l'EMA est au stade final et que les coûts sont alors à la charge de la firme. Malgré l'absence d'autorisation de mise sur le marché, il s'avère que ce médicament est toujours proposé, et un dossier de demande d'intervention du FSS va être déposé. La question se pose alors de savoir qui peut être tenu responsable de la sécurité de l'utilisation d'un médicament non enregistré sans autorisation de mise sur le marché : le CMD, l'AFMPS ou le médecin prescripteur.

#### MEDICAMENT BENEFICIAIRE D'UNE AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ, MAIS POUR LEQUEL AUCUNE PROCÉDURE CRM N'A ENCORE ÉTÉ ENGAGÉE

Ici, l'intervention du FSS est déterminée sur la base du prix ex-usine (après importation de l'étranger ou non). Là encore, il existe une possibilité (voire même un risque) que la firme pharmaceutique obtienne un accès impropre mais effectif au marché belge par le biais du FSS sans avoir l'intention d'engager une procédure de remboursement ordinaire. Étant donné que le Collège dispose d'un pouvoir discrétionnaire, il peut s'appuyer sur des experts de la CRM pour une analyse pharmacoeconomique (limitée) dans le cadre de son processus décisionnel, mais même pour le traitement de maladies extrêmement rares, prévoir un remboursement structurel (lire : ordinaire) comme solution alternative à un règlement par le biais de la CRM n'entre pas dans le champ de la mission légale du FSS. On peut également ajouter ici la question de l'éventuelle valeur de précédent du montant (prix) d'une intervention du FSS s'il devait être considéré comme acquis à l'occasion d'éventuelles négociations de prix ultérieures au sein de la CRM et pour une adaptation légale.

#### MEDICAMENT AVEC AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ AVEC UNE PROCÉDURE CRM DÉJÀ EN COURS

Dans ce cas, l'issue de la procédure CRM en cours est encore inconnue au moment où un dossier de demande est soumis à l'examen du FSS. Les problèmes relatifs à la tarification correcte et à la valeur de précédent se posent également ici. Le problème est que le Collège ne peut pas garder un dossier en délibéré jusqu'à ce que les résultats de la procédure CRM soient connus, car il s'agit de dossiers qui concernent des patients individuels atteints d'une maladie grave, rare et souvent vitale.

Des problèmes se posent également en ce qui concerne la manière de gérer un programme médical d'urgence. Il existe des cas où un tel programme s'interrompt de façon soudaine et unilatérale ou pour lequel le nombre de patients pouvant être inclus s'avère être très limité sans que l'on communique les critères d'inclusion avec transparence. Les patients qui ne voient pas leurs besoins médicaux apaisés de cette manière viennent donc frapper à la porte du FSS. Pourtant, ils devraient raisonnablement pouvoir se faire aider par le biais du programme médical d'urgence.

## MEDICAMENT SOUS CONTRAT MAIS DEMANDE AU FSS POUR UNE AUTRE INDICATION

Il est donc question dans ces cas de médicaments qui sont effectivement inclus dans le remboursement ordinaire, bien qu'avec un contrat, mais pour lesquels le remboursement ordinaire n'intervient pas pour toutes les indications existantes. Ici, une autre distinction peut être faite entre les médicaments pour lesquels une indication particulière n'est pas enregistrée auprès de l'Agence européenne des médicaments (EMA), par ex. Dupixent pour l'alopecie totale, et les médicaments pour lesquels une autre indication est bel et bien enregistrée auprès de l'EMA mais non remboursée dans le cadre du remboursement ordinaire (par ex. Rydapt). Le FSS doit attirer l'attention du groupe de travail « contrats » sur le fait que tout chiffre d'affaires généré par la firme est partiellement compensé dans le contrat grâce à une intervention du FSS.

## INTERVENTION DU FSS EN CAS D'AVIS DE LA CRM ( NEGATIF OU PROPOSITION DE PRIX)

Il convient ici de faire une distinction entre :

- un avis négatif dû à des doutes quant à la valeur thérapeutique.
- un avis positif avec une proposition de diminution de prix, suivi d'un retrait du dossier par la firme pharmaceutique.
- un avis négatif dû à un prix excessif demandé par la firme.

Dans le premier cas, le FSS n'octroie généralement pas d'intervention, en se basant sur l'analyse scientifique de la CRM. Toutefois, un avis négatif seul de la CRM n'est pas une raison suffisante pour refuser d'intervenir dans un dossier (contrairement à un avis négatif du Ministre). Il faut donc pouvoir justifier le refus d'intervention via les critères de l'article 25 (le traitement doit avoir une efficacité prouvée et être considéré comme une approche physiopathologique spécifique de la pathologie par les instances médicales faisant autorité). Ainsi, en cas de doutes raisonnables sur la valeur thérapeutique, le FSS ne peut accorder lui-même une intervention.

Dans le second cas, le FSS peut intervenir si le dossier répond à tous les critères de l'article 25. Toutefois, son intervention est limitée au prix proposé par la CRM et ne peut en aucun cas être supérieure à celui-ci, même dans la situation où la CRM a demandé une baisse de prix importante de plus de 80% par exemple (paragraphe 2 de l'article 25).

Enfin, dans la troisième situation, comme repris ci-dessus, un avis négatif de la CRM seul ne permet pas de refuser d'emblée un dossier au FSS. Ainsi, si la seule justification de l'avis négatif pour la CRM est le prix excessif demandé par la firme, malgré une efficacité scientifique suffisante, le FSS ne peut pas s'appuyer sur cet avis pour refuser son intervention, le rapport coût-bénéfice n'entrant pas dans les critères de l'article 25 (avis du service juridique de l'INAMI). Il existe ici un risque que la firme retire alors son dossier avant que le Ministre n'ait pu remettre son avis et que le FSS se retrouve coincé avec des dossiers pour lesquels les firmes demandent des prix excessifs, avec une validité scientifique qui n'est pas remise en cause par la CRM et qui répondent aux critères de l'article 25. Un refus d'intervention du FSS dans ces conditions, ou une intervention avec une diminution drastique du prix, mettrait le patient dans une situation financière pouvant être dramatique. Un tribunal pourrait alors estimer que l'intervention accordée par le FSS ne peut pas être considérée comme « raisonnable », malgré le pouvoir discrétionnaire du Collège. Une obligation du tribunal d'intervenir à un prix jugé excessif par la CRM mettrait nos instances en porte-à-faux et renforcer le pouvoir des firmes pharmaceutiques.

### b. Dispositifs médicaux

## MANQUE DE DONNEES SUR LA VALEUR SCIENTIFIQUE ET L'EFFICACITE

Il s'agit du problème général bien connu concernant les dispositifs médicaux. Par rapport aux médicaments, il y a souvent un manque de littérature scientifique qui démontre objectivement et scientifiquement la valeur ajoutée dans le traitement et les soins des patients. Cela complique considérablement l'évaluation par rapport aux conditions et critères légaux d'une demande d'intervention du FSS pour un dispositif médical. Le marquage CE apposé sur un dispositif médical garantit que les exigences essentielles sont respectées et que les prestations, la sécurité et les avantages du dispositif médical sont considérés comme prouvés pour les conditions d'utilisation visées par le fabricant. Cependant, le caractère factuel (evidence-based) des dispositifs médicaux n'est pas toujours démontré ou ne peut pas toujours l'être de la même manière que pour les

médicaments. Par conséquent, il existe peu de garanties quant à la valeur scientifique et à l'efficacité. Cela s'applique également à l'utilisation off-label de dispositifs médicaux et aux dispositifs médicaux dont l'indication n'est pas remboursée par l'assurance obligatoire pour de bonnes raisons bien qu'il s'agisse d'une indication on-label.

#### **INTERVENTIONS DU FSS BASEES SUR UN CADRE D'INDICATIONS CONVENU APRES EVALUATION PAR UN GROUPE DE TRAVAIL AD HOC DU CMD**

Les besoins et le niveau de preuve pour l'utilisation d'implants cochléaires ont été évalués par un groupe de travail spécifique mis en place dans le giron du Collège, avec la participation d'experts externes et de fonctionnaires de la section implants du Service des soins de santé (direction médicale) de l'INAMI. Un certain nombre d'indications avec des critères spécifiques ont été délimitées à la suite de ces discussions, ce qui a conduit le Collège à octroyer des interventions du FSS dans un cadre très précis en attendant le remboursement structurel. Il s'agit ici souvent de demandes pour de très jeunes enfants pour lesquels l'acquisition précoce d'un appareil cochléaire fait toute la différence pour le développement de la parole, entre autres, et aura par conséquent un impact fondamental sur leur vie future.

Il en va de même pour la magnétoencéphalographie préopératoire dans l'épilepsie réfractaire, pour les cas où une décision chirurgicale ne peut être prise sur la base des examens standard.

#### **SOINS MEDICAUX QUI NE PEUVENT ETRE DISPENSES QU'A L'ETRANGER**

Suite aux demandes d'intervention pour le traitement par **Strimvelis** (thérapie génique administrée exclusivement dans un hôpital de Milan, choisi par la firme pharmaceutique), des solutions ont été recherchées et finalement trouvées auprès du service Relations internationales et de la section juridique, cf. circulaire OA n° 2021/135 (date d'entrée en vigueur 21.4.2021).

Le Strimvelis est un traitement très coûteux, pas du tout disponible en Belgique.

Un accord préalable du CMD et la remise du document S2 par le médecin-conseil ne sont pas possibles pour ce traitement, car il n'existe pas de solution alternative à ce traitement. Strimvelis n'est pas inclus dans le remboursement ordinaire de l'assurance obligatoire belge. Cependant, l'affection pour laquelle Strimvelis est utilisé comme traitement répond aux critères d'intervention du FSS. Sur la base de l'art. 25sexies de la loi SSI, le FSS intervient également dans les frais de voyage et de séjour liés à des traitements dispensés à l'étranger si un document européen S2 a été délivré par le médecin-conseil de l'organisme assureur avant le traitement. Toutefois, un document S2 n'est délivré que pour les prestations comprises dans le paquet global de l'assurance obligatoire belge qui sont effectuées dans un autre pays de l'UE. Lors de la délivrance d'un document S2, celui-ci ne peut pas être délivré si certaines des options de traitement sont exclues à l'étranger. Par conséquent, le cumul d'un document S2 avec la prise en charge d'une prestation dans le cadre du FSS est exclu. Compte tenu des éléments décrits ci-dessus, la circulaire OA n° 2021/135 vise à apporter une solution pour un certain nombre de cas où il est question d'un cumul entre un document S2 (« autorisation préalable » pour un traitement à l'étranger) et la décision du CMD au titre de l'article 25sexies de la loi SSI.

La procédure et les données statistiques sont présentées dans la circulaire 2021/135.

Dans le cadre des soins dispensés à l'étranger, le Collège constate de plus en plus souvent que le suivi post-traitement des patients continue à se faire à l'étranger alors que, dans un bon nombre de cas, ce suivi devrait être tout à fait possible dans le pays d'origine. L'organisme assureur délivre un S2, et il est à chaque fois demandé au FSS d'intervenir dans les frais de voyage et de séjour. Ce type de demandes ne pourra que se multiplier à l'avenir et suppose probablement l'élaboration de réglementations plus spécifiques pour déterminer dans quels cas ce suivi doit absolument être effectué à l'étranger et pour quels aspects cela n'est pas nécessaire. Il faudra certainement aussi envisager des modalités de remboursement spécifiques pour les traitements pour lesquels le choix (responsable) est fait de ne les proposer que dans un ou plusieurs centres de référence en Europe, désignés et déterminés par la firme pharmaceutique (par ex. les thérapies géniques).

## 7. Rôle vis-à-vis d'autres organes créés dans le cadre du régime d'assurance maladie obligatoire

Le CMD signale à la direction de la politique pharmaceutique du Service des soins de santé et à la CRM les médicaments que le Collège recommande d'inclure dans le remboursement « ordinaire » par le biais d'une procédure classique (voir également le tableau 1 au point 4).

### La Commission de remboursement des médicaments (CRM)

Comme déjà expliqué dans ce rapport annuel, le Collège reçoit de plus en plus souvent des demandes concernant des médicaments pour lesquels une procédure de remboursement est toujours en cours auprès de la CRM ou pour lesquels aucun dossier de remboursement n'a encore été soumis par la firme pharmaceutique et pour lesquels, par conséquent, aucune procédure n'a été engagée par la CRM non plus.

Il arrive également que des demandes d'intervention soient soumises au FSS pour des médicaments dont le dossier de demande a été retiré par la firme au cours de la procédure de remboursement. Le défi pour le Collège, dans ces domaines, est de ne pas interférer avec la mission de la CRM. Le Collège doit adopter une approche extrêmement prudente lorsqu'il traite de telles demandes. En effet, l'idée n'est pas de fixer des interventions dont le montant pourrait avoir un impact sur les négociations de prix (futures) entre les firmes pharmaceutiques et la CRM.

Le Collège doit toujours s'assurer qu'il ne contourne pas les critères de remboursement existants.

Dans les cas où l'âge est le seul critère de remboursement non rempli pour bénéficier du remboursement structurel, le FSS peut – dans des circonstances très exceptionnelles – octroyer une intervention jusqu'à la date où le critère d'âge est effectivement rempli. Dans le cas d'un médicament remboursable à partir de 18 ans alors que le patient n'a que 17 ans, le Collège a en effet déjà octroyé des interventions jusqu'à l'âge de 18 ans, cependant à la condition expresse que les conditions et critères du FSS soient également remplis en même temps (par ex. qu'il soit question d'une indication rare en raison du caractère réfractaire de l'affection). Le défi du FSS consiste dans de tels cas à trouver un équilibre correct entre, d'une part, le fait d'éviter le contournement des critères de remboursement habituels et, d'autre part, la volonté de répondre aux besoins du patient. De telles interventions dans le cadre du Fonds restent toutefois exceptionnelles.

### La Commission de remboursement des implants et des dispositifs médicaux invasifs (CRIDMI) et les Conseils techniques

Comme pour les médicaments, l'objectif n'est pas que le Collège fixe des interventions pour des dispositifs médicaux qui pourraient avoir une influence sur les négociations de prix entre les firmes et la CRIDMI. Comme pour la CRM, le Collège doit s'assurer qu'il ne contourne pas les critères de remboursement établis par la CRIDMI.

### III. Conclusion générale

Le présent rapport annuel est une représentation des données (chiffrées) les plus importantes concernant les demandes introduites au FSS durant l'année 2021, en perspective avec les données des années précédentes. Ces données indiquent en elles-mêmes très bien la raison d'être du FSS.

Pour les patients entrant en ligne de compte, le FSS apporte une contribution substantielle en éliminant ou en réduisant considérablement les soucis financiers qui peuvent facilement survenir dans des circonstances où une maladie grave et rare s'accompagne de traitements qui s'améliorent sans cesse mais qui deviennent cependant de plus en plus onéreux.

La plupart des dépenses du Fonds sont consacrées aux médicaments. Les dépenses du Fonds sont également fortement liées aux nouvelles prestations (médicaments, implants, techniques, etc.).

La manière dont le FSS est géré par le CMD lui permet de fonctionner comme une tour de guet permanente sur une partie importante des soins de santé. Le Collège tient à partager les observations et les constats faits depuis cette tour de guet avec les autres acteurs de l'assurance obligatoire. Les recommandations résultant des observations et des constatations ont été énumérées dans le présent rapport annuel en fonction de la recommandation de leur inclusion dans le remboursement ordinaire.

Pour la bonne gestion du FSS, il est très important que le Collège agisse constamment en fonction de l'intérêt général et qu'il contribue à le préserver, mais en même temps, le Collège doit veiller avec beaucoup d'empathie à ce que l'intérêt individuel d'un patient gravement malade puisse être respecté lorsqu'il est confronté à la possibilité et à la nécessité de traiter son état avec un traitement coûteux qui n'est pas (encore) inclus dans le remboursement ordinaire. Dans ce contexte, un certain nombre de points d'attention et de préoccupations ont été détaillés dans ce rapport annuel.

En outre, il y a différentes prestations que le Collège conseille d'intégrer dans le remboursement structurel, et le Collège est confronté à différents défis qui y sont liés. En effet, dans un certain nombre de cas, le FSS est encore appelé à intervenir pour des prestations, principalement des médicaments, pour lesquelles les procédures traditionnelles de remboursement n'ont jamais été achevées et pour lesquelles il n'est pas prévu de le faire.

Il ne fait aucun doute que le FSS, outre la couverture ordinaire de l'assurance maladie obligatoire, assume toujours un rôle important pour de nombreux patients qui passeraient sinon de toute façon à travers les mailles du filet de l'assurance maladie obligatoire. Les observations et les remarques faites, ainsi que les nombreux défis auxquels le FSS est confronté, conduisent à la question urgente de savoir comment réviser au mieux l'art. 25 de la loi relative à l'assurance obligatoire pour y apporter des réponses et des solutions.