

NE_GERICHTE CDP.2012.354 vom 18. Mai 1999

NE Tribunal cantonal, 1999-05-18, FR

Quelle: https://mcp.opencaselaw.ch/entscheid/ne_gerichte_CDP.2012.354_d19990518

FR: NE_GERICHTE CDP.2012.354 du 18 mai 1999

IT: NE_GERICHTE CDP.2012.354 del 18 maggio 1999

Regeste

Assurance-invalidité. Prise en charge exceptionnelle d'un médicament hors liste des spécialités. Caractère efficace, approprié et économique de la préparation. Définition du meilleur rapport prix-efficacité.

Erwägungen

E. 1

LAI, les assurés ont droit aux mesures médicales nécessaires au traitement des infirmités congénitales jusqu'à l'âge de 20 ans révolus. Est réputée infirmité congénitale toute maladie présente à la naissance accomplie de l'enfant (art. 3 al. 2 LPGA). A teneur des articles 13 al. 2 LAI et 3 RAI, il revient au Conseil fédéral d'établir, dans une ordonnance spéciale, la liste des infirmités pour lesquelles les mesures médicales sont accordées et d'exclure cas échéant la prise en charge du traitement d'infirmités peu importantes. Faisant usage de cette délégation de compétence, le Conseil fédéral a édicté l'ordonnance sur les infirmités congénitales (OIC) et listé exhaustivement les maladies concernées dans une annexe, dont les troubles congénitaux du métabolisme des acides aminés et des protéines tel que la phénylcétonurie (ch. 452).

Le droit de l'assuré à de telles mesures existe, à l'inverse du régime prévu par l'article 12 LAI, indépendamment de la possibilité d'une future réadaptation dans la vie professionnelle (art. 8 al. 2 LAI), le but de la réadaptation étant de supprimer ou diminuer l'atteinte à la santé intervenue suite à une infirmité congénitale (ATF115 V 202 cons. 4e/cc). Les mesures médicales comprennent notamment le traitement entrepris dans un établissement hospitalier ou à domicile par le médecin ou, sur les prescriptions de celui-ci, par le personnel paramédical, sauf la logopédie et la thérapie psychomotrice, ainsi que les médicaments ordonnés par le médecin (art. 14 al. 1 LAI). En règle générale, la personne assurée n'a droit qu'à des mesures proportionnées, qui sont nécessaires et adaptées pour atteindre le but de réadaptation visé, et non aux actes les meilleurs possibles selon les circonstances données. La loi entend en effet simplement garantir une réadaptation qui soit nécessaire mais aussi suffisante dans le cas d'espèce. En outre, le résultat prévisible d'une mesure de réadaptation doit se situer dans un rapport raisonnable avec son coût (ATF131 V 167 cons. 3, 124 V 108, p.110 cons. 2a et les références).

b) Sont considérés comme mesures médicales nécessaires au traitement d'une infirmité congénitale tous les actes dont la science médicale a reconnu qu'ils sont indiqués et qu'ils tendent au but thérapeutique visé d'une manière simple et adéquate (art.

E. 2

des chiropraticiens,

E. 3

des personnes fournissant des prestations sur prescription ou sur mandat d'un médecin ou d'un chiropraticien;

b.

les analyses, médicaments, moyens et appareils diagnostiques ou thérapeutiques prescrits par un médecin ou, dans les limites fixées par le Conseil fédéral, par un chiropraticien;

c.

une participation aux frais des cures balnéaires prescrites par un médecin;

d.

les mesures de réadaptation effectuées ou prescrites par un médecin;

e.2

le séjour à l'hôpital correspondant au standard de la division commune;

f.3

fbis.4

le séjour en cas d'accouchement dans une maison de naissance (art. 29);

g.

une contribution aux frais de transport médicalement nécessaires ainsi qu'aux frais de sauvetage;

h.5

les prestations des pharmaciens lors de la remise des médicaments prescrits conformément à la let. b.

1Nouvelle teneur selon le ch. I 3 de la LF du 13 juin 2008 sur le nouveau régime de financement des soins, en vigueur depuis le 1erjanv. 2011 (RO200935176847 ch. I;FF20051911).2Nouvelle teneur selon le ch. I de la LF du 21 déc. 2007 (Financement hospitalier), en vigueur depuis le 1erjanv. 2009 (RO20082049;FF20045207).3Abrogée par le ch. I de la LF du 21 déc. 2007 (Financement hospitalier), avec effet au 1erjanv. 2009 (RO20082049;FF20045207).4Introduite par le ch. I de la LF du 21 déc. 2007 (Financement hospitalier), en vigueur depuis le 1erjanv. 2009 (RO20082049;FF20045207).5Introduite par le ch. I de la LF du 24 mars 2000, en vigueur depuis le 1erjanv. 2001 (RO20002305;FF1999727).

1Les prestations mentionnées aux art. 25 à 31 doivent être efficaces, appropriées et économiques. L'efficacité doit être démontrée selon des méthodes scientifiques.

2L'efficacité, l'adéquation et le caractère économique des prestations sont réexaminés périodiquement.

Le département désigne, après avoir consulté la commission compétente:

a.

les prestations fournies par les médecins ou les chiropraticiens dont les coûts ne sont pas pris en charge par l'assurance obligatoire des soins ou le sont à certaines conditions;

b.1

les prestations visées à l'art. 25, al. 2 et 25a, al. 1 et 2, de la loi qui ne sont pas fournies par les médecins ou les chiropraticiens;

c.

les prestations nouvelles ou controversées dont l'efficacité, l'adéquation ou le caractère économique sont en cours d'évaluation; il détermine les conditions et l'étendue de la prise en charge des coûts par l'assurance obligatoire des soins;

d.

les mesures de prévention visées à l'art. 26 de la loi, les prestations en cas de maternité visées à l'art. 29, al. 2, let. a et c, de la loi et les soins dentaires visés à l'art. 31, al. 1, de la loi;

e.

les moyens et appareils au sens de l'art. 52, al. 1, let. a, ch. 3, de la loi qui doivent être pris en charge par l'assurance obligatoire des soins; il fixe des montants maximaux pour leur remboursement;

f.

la participation aux frais de cures balnéaires prévue à l'art. 25, al. 2, let. c, de la loi; cette participation sert à couvrir les frais de cure qui ne le sont pas par d'autres prestations de l'assurance obligatoire des soins; elle peut être versée 21 jours au plus par année civile;

g.

la contribution aux frais de transport et de sauvetage prévue à l'art. 25, al. 2, let. g, de la loi; les transports médicalement nécessaires d'un hôpital à l'autre font partie du traitement hospitalier;

h.2

la procédure d'évaluation des soins requis;

i.3

le montant des contributions en fonction du besoin en soins prévues à l'art. 25a, al. 1 et 4 de la loi.

1Nouvelle teneur selon le ch. I de l'O du 24 juin 2009, en vigueur depuis le 1erjanv. 2011 (RO200935256847 ch. II 2).2Introduite par le ch. I de l'O du 24 juin 2009, en vigueur depuis le 1erjanv. 2011 (RO200935256847 ch. II 2).3Introduite par le ch. I de l'O du 24 juin 2009, en vigueur depuis le 1erjanv. 2011 (RO200935256847 ch. II 2).

1L'assurance obligatoire des soins prend en charge les coûts d'un médicament admis dans la liste des spécialités et utilisé pour une autre indication que celle autorisée par l'institut ou prévue par la limitation fixée dans la liste des spécialités, au sens de l'art. 73, si:

a.

l'usage du médicament constitue un préalable indispensable à la réalisation d'une autre prestation prise en charge par l'assurance obligatoire des soins et que celle-ci est largement prédominante; ou

b.

l'usage du médicament permet d'escompter un bénéfice élevé contre une maladie susceptible d'être mortelle pour l'assuré ou de lui causer des problèmes de santé graves et chroniques et que, faute d'alternative thérapeutique, il n'existe pas d'autre traitement efficace autorisé.

2 Elle prend en charge les coûts du médicament seulement si l'assureur a donné une garantie spéciale après avoir consulté le médecin-conseil.

3 Le rapport entre la somme à rembourser et le bénéfice thérapeutique du médicament doit être adéquat. L'assureur fixe le montant du remboursement. Le prix maximal est celui qui figure dans la liste des spécialités.

1 Introduit par le ch. I de l'O du 2 fév. 2011, en vigueur depuis le 1^{er} mars 2011 (RO2011653).

E. 4

a) A teneur de l'article 25 LAMal, l'assurance obligatoire des soins prend en charge les coûts des prestations qui servent à diagnostiquer ou traiter une maladie et ses séquelles (al. 1). Elles englobent notamment les analyses, les médicaments, les moyens et les appareils diagnostiques ou thérapeutiques prescrits par un médecin ou, dans les limites fixées par le Conseil fédéral, par un chiropraticien (al. 2 let. b). Les prestations citées à l'article 25 LAMal doivent être efficaces, appropriées et économiques, l'efficacité devant être démontrée selon des méthodes scientifiques (art. 32 al. 1 LAMal). Une prestation est réputée efficace lorsqu'on peut objectivement en attendre le résultat thérapeutique visé par le traitement de la maladie, à savoir la suppression la plus complète possible de l'atteinte à la santé somatique ou psychique (ATF 130 V 532 cons. 2.2). L'utilité thérapeutique d'un médicament doit être prouvée scientifiquement. A cet égard, il ne suffit pas de se fonder sur les résultats concrets du traitement dans un cas isolé mais bien d'apprécier l'efficacité des résultats obtenus par un traitement de manière générale. En sus des méthodes purement scientifiques, on peut également se fonder, par exemple, sur des statistiques. L'essai clinique est la méthode la plus fiable pour prouver l'efficacité mais les effets d'une thérapie doivent pouvoir être observés objectivement, le résultat doit être reproductible, et le lien de causalité entre l'agent thérapeutique et son effet doit être avéré (ATF 133 V 115 cons. 3.2.1). Il sied de préciser que si la notion du caractère scientifiquement reconnu a été remplacée par celle de l'efficacité lors de la révision de l'assurance-maladie pour tenir compte des traitements relevant de médecines complémentaires (FF 1992 77, p. 140), cette jurisprudence reste néanmoins valable en tant qu'elle porte sur la nature des preuves scientifiques admissibles. Le caractère approprié s'apprécie en fonction du bénéfice diagnostique ou thérapeutique de l'application dans le cas particulier en tenant compte des risques qui y sont liés au regard du but thérapeutique (ATF 127 V 138 cons. 5).

L'adéquation relève en principe de critères médicaux et se confond au demeurant avec la question de l'indication médicale : lorsque celle-ci est clairement établie, le caractère approprié de la prestation l'est alors également (ATF 125 V 95 cons. 4a). La question de l'efficacité et de l'adéquation d'une mesure doit certes être évaluée principalement au regard de considérations médicales mais les circonstances personnelles, familiales et sociales doivent toutefois aussi être prises en compte (arrêt du TF du 21.09.2012 [9C_940/2011] cons. 3.1 et les arrêts cités). Quant au critère d'économicité, il concerne le rapport entre les coûts et le bénéfice de la mesure lorsque, dans le cas concret, différentes formes et/ou

méthodes de traitement efficaces et appropriées entrent en ligne de compte pour soigner une maladie (ATF 130 V 532 cons. 2.2). En présence de plusieurs alternatives thérapeutiques, il y a lieu en effet de choisir la variante la moins chère, ou plus exactement celle qui présente le meilleur rapport prix-efficacité ("mit dem besten Kosten-/Nutzen-Verhältnis"; ATF 136 V 395 cons. 7.4). Le concept de l'économicité du traitement ne doit pas être interprété dans un sens trop restreint. Le Tribunal fédéral a précisé que la comparaison stricte des coûts entre en ligne de compte seulement si les alternatives thérapeutiques en présence sont équivalentes. Ainsi, si l'une d'entre elles se révèle plus efficace et appropriée qu'une autre, elle aussi efficace et appropriée, il doit être vérifié dans chaque cas d'espèce si la mesure peut être qualifiée d'économique eu égard à l'ensemble des circonstances et la pratique en la matière (ATF 132 V 32 cons. 6.5.1 et l'arrêt cité). Le Tribunal fédéral a par exemple admis, en observant qu'il s'agissait d'un cas à la limite supérieure de la proportionnalité, que la prescription d'un médicament était plus efficace et adaptée qu'un placement dans un établissement spécialisé bien que celui-là présente un coût 3,5 fois plus élevé que celui-ci (ATF 126 V 334 ; d'autres exemples à l'ATF 132 V 32 cons. 6.5.1 in fine). En revanche, lorsqu'il n'existe qu'un seul traitement possible, cette relation entre les coûts et le bénéfice de la mesure ne peut être examinée que sous l'angle de la proportionnalité, et seule une disproportion manifeste entre les frais du traitement et les effets escomptés pourra fonder le refus de prester. La question de la valeur thérapeutique élevée doit être appréciée proportionnellement au coût du traitement : plus le bénéfice est élevé, plus les coûts sont justifiés (ATF 136 V 395 cons. 7.4). Autrement dit, les caisses-maladie doivent assumer des mesures onéreuses lorsqu'il n'existe aucune autre méthode à disposition et que le principe de proportionnalité n'y fait pas obstacle (ATF 109 V 41 cons. 2b). L'évaluation du rapport coût-efficacité fondée sur des critères objectifs permet de préserver l'égalité juridique : lorsque les ressources de l'Etat ne sont pas illimitées, une distribution aussi équitable que possible entre les administrés se trouvant dans une situation similaire est souhaitable (ATF 136 V 395 cons. 7.7). b) Afin de garantir que les trois critères précités soient remplis, l'article 33 LAMal prévoit que les prestations remboursées soient définies en détail; ce système fait la distinction selon le type de fournisseurs de prestations et/ou la nature de la prestation dispensée, et est concrétisé par l'article 33 OAMal (ATF 129 V 167 cons. 3.2). S'agissant en particulier des prestations de l'article 25 al. 2 let. b LAMal (analyses, médicaments, moyens et appareils diagnostiques), le législateur a voulu fixer précisément le catalogue légal des prestations prises en charge et instauré pour ce faire le système de liste positive (ATF 130 V 532 cons. 3.4), ce qui implique que les assureurs ne peuvent, au titre de l'assurance obligatoire, prendre en charge d'autres frais que ceux prévus par la loi (art. 34 LAMal). Partant, conformément à l'article 52 al. 1 let. b LAMal (en corrélation avec les art. 34 et 37e OAMal), après avoir consulté la Commission fédérale des médicaments et dans le respect des principes figurant aux articles 32 al. 1 et 43 al. 6 LAMal, l'OFSP a établi la liste des préparations pharmaceutiques et médicaments confectionnés, avec les prix (liste des spécialités; annexe 4 de l'OPAS). Cette liste a un caractère exhaustif et contraignant (ATF 134 V 83 cons. 4.1 et les références citées). Par conséquent, la prise en charge par l'assurance-maladie obligatoire d'une prestation correspondant à un produit thérapeutique suppose que celui-ci soit inscrit sur la liste des spécialités. En d'autres termes, le système légal exclut la prise en charge par l'assurance obligatoire des soins d'un médicament s'il n'a pas préalablement été admis dans le catalogue édicté (RAMA 2003, p. 299, cons. 3.2; arrêt du 09.01.2008 [K 147/06] cons. 4.1). Il découle de ce qui précède que même si un médicament qui ne figure pas sur la liste des spécialités est prescrit par un médecin et est

efficace, approprié et économique au sens de l'article 32 al. 1 LAMal, il n'a pas à être pris en charge par l'assurance-maladie obligatoire (ATF 134 V 83 cons. 4.1; Eugster, *Krankenversicherung*, in *Soziale Sicherheit*, p. 513 n° 347) ni, par voie de conséquence, par l'assurance-invalidité (cf. supra cons. 3a; ATF 123 V 53 cons. 2b/cc). c) En l'espèce, le recourant reproche à l'intimé d'avoir constaté de manière incomplète et inexacte les faits pertinents et d'avoir violé le droit fédéral en ne considérant pas que le Kuvan répondait aux critères d'efficacité, d'adéquation et d'économie alors qu'il a produit toutes les preuves utiles à cette démonstration, et qu'il constituait une mesure médicale nécessaire au traitement de son infirmité congénitale. Il relève que l'efficacité du Kuvan pour combattre l'hyperphénylalaninémie chez les adultes et les enfants dès 4 ans atteints de phénylcétonurie (PCU) ou de déficit en tétrahydrobioptérine (BH4) qui ont été identifiés comme répondeurs à ce type de traitement a été démontrée par des études scientifiques menées sur de nombreux patients, que son remboursement est accordé par les systèmes de santé de plusieurs pays d'Europe et que sa commercialisation en Suisse a été autorisée par Swissmedic. Se fondant sur les avis du Dr B., son médecin traitant, et du Prof. C., spécialiste en pédiatrie moléculaire, le recourant fait état des résultats positifs concrets du traitement sur l'évolution de son propre état de santé, de la simplicité de la posologie, des bénéfices sur sa qualité de vie au quotidien ainsi que de l'économie réalisée à long terme sur les coûts engendrés par les restrictions alimentaires auxquelles il devrait se soumettre et les éventuelles séquelles dont il pourrait souffrir. A la lumière du dossier, il apparaît toutefois que l'intimé a pris en compte, pour fonder son analyse, l'ensemble des avis médicaux et études scientifiques produits par le recourant ainsi que de la position que les mandataires de celui-ci ont pu lui exposer tant par écrit qu'au cours d'un entretien. L'intimé ne conteste d'ailleurs pas les arguments selon lesquels la préparation Kuvan s'avère efficace, adaptée et économique pour traiter l'affection du recourant. Il estime cependant qu'il n'y avait en l'espèce pas lieu de discuter de la présomption légale de l'article 32 al. 1 LAMal comme l'a fait longuement le recourant dans la mesure où, le Kuvan ne figurant pas sur la liste des spécialités de l'OFSP, il était déjà en droit d'opposer un refus à l'assuré pour ce seul motif. L'avis de l'intimé n'est pas critiquable : on ne saurait en particulier pas suivre le recourant lorsqu'il soutient que le remboursement du médicament litigieux par l'assurance-invalidité devrait être ordonné du seul fait que celui-ci remplit les critères d'efficacité, d'adéquation et d'économicité et est au bénéfice d'une autorisation de Swissmedic. En effet, le fait de contrôler de cas en cas la présomption légale de l'article 32 al. 1 LAMal et de permettre en conséquence la prise en charge d'un médicament donné alors qu'il ne figure pas sur la liste des spécialités porterait atteinte à la sécurité du droit et au principe de l'égalité de traitement entre les assurés. Admettre le contraire reviendrait de surcroît à contourner le système de la liste exhaustive et contraignante établie par l'OFSP tel que prévu par le législateur et dont le juge ne peut pas étendre le contenu par un raisonnement analogique (cf. supra cons. 3b; RAMA 1988 n° U 61, p. 449 cons. 1). Il est vrai qu'un certain nombre de médicaments hors liste sont susceptibles de traiter de manière tout aussi efficace, appropriée et économique les mêmes affections qu'un médicament enregistré. Il est vrai aussi que les procédures d'admission sur la liste peuvent s'avérer longues et s'achever néanmoins par une décision négative, ce qui peut paraître insatisfaisant si le motif de refus repose sur un critère de nature exclusivement économique. Ce nonobstant, de tels inconvénients sont une conséquence inhérente au système légal (ATF 134 V 83 cons. 4.2; arrêts du TF du 12.04.2012 [9C_92/2012] cons. 4.2, 31.10.2011 [9C_912/2010] cons. 5.3, 10.10.2003 [K 83/03] et 01.09.2003 [K 63/02] cons. 3.2). Partant, quels que soient les motifs pour

lesquels le Kuvan ne figure pas à ce jour sur la liste de spécialités, on ne peut pas conclure que cette solution sorte du cadre de la délégation du législateur ou constitue une violation de l'interdiction de l'arbitraire prohibé par l'article

E. 9

Cst. En outre, contrairement à l'avis du recourant, le fait que ce médicament soit actuellement en cours d'évaluation par l'OFSP selon la procédure prévue aux articles 31 et suivants de l'OPAS justifie d'autant moins l'intervention du juge dans l'établissement de la liste sous le couvert d'un contrôle de la légalité (arrêt du TF du 22.02.2005 [I 270/04] cons.3.2). d) On relèvera encore brièvement que les indications données par l'OFAS dans son courrier du 2 avril 2011 selon lesquelles le Kuvan pouvait exceptionnellement être pris en charge dans des cas motivés et pour autant que quatre conditions médicales cumulatives soient remplies ne sauraient lier la Cour de céans. D'estimées à assurer l'application uniforme des prescriptions légales, les instructions de l'administration, en particulier celles de l'autorité de surveillance, visent à unifier voire codifier la pratique des organes d'exécution; elles ont notamment pour but d'éviter, dans la mesure du possible, que les caisses rendent des décisions viciées qu'il faudra ensuite annuler ou révoquer et d'établir des critères généraux d'après lesquels sera tranché chaque cas d'espèce et cela aussi bien dans l'intérêt de la praticabilité que pour assurer une égalité de traitement des ayants droit. Selon la jurisprudence, ces instructions n'ont de conséquence qu'à l'égard de l'administration; elles ne créent pas de nouvelles règles de droit et donnent le point de vue de l'administration sur l'application de celles qui existent déjà et non pas une interprétation contraignante de celles-ci. Le juge des assurances en contrôle donc librement la légalité et doit s'en écarter si elles établissent des normes non conformes aux dispositions légales applicables (ATF 129 V 200 cons. 3.2, ATF 127 V 57 , p. 61 cons. 3a, ATF 126 V 64 , p. 68 cons. 4b, ATF 125 V 377 , p. 379 cons. 1c et les références). En l'occurrence, il paraît douteux que les conditions posées par l'OFAS soient conformes au système légal voulu par le législateur s'agissant des médicaments ne figurant pas sur la liste des spécialités. Cela étant, cette question peut demeurer indécise pour les motifs qui suivent. Le fait qu'il est médicalement établi que le recourant ne remplissait pas deux des quatre exigences requises, puisqu'il souffre d'un déficit de l'enzyme phénylalanine hydroxylase et non d'un déficit de synthèse en BH4 et que le régime alimentaire hypoprotéiné qu'il a suivi durant de nombreuses années était efficace et a permis d'endiguer les effets néfastes de sa pathologie, n'est dès lors pas déterminant. 5. a) Le Tribunal fédéral a néanmoins reconnu que dans certaines situations exceptionnelles, il s'avérait nécessaire de prescrire un médicament qui ne figure pas dans la liste des spécialités ou qui y figure pour une indication autre que celles pour lesquelles il avait été autorisé, lorsqu'une maladie entraînant une menace pour la vie du patient ou une atteinte à sa santé grave et chronique ne pourrait être traitée autrement de manière efficace, par manque d'alternatives thérapeutiques (ATF 136 V 395 cons. 5.2, 131 V 349 cons. 2.3 et 4, 130 V 532 cons. 6.1; arrêt du TF du 31.10.2011 [9C_912/2010] cons. 5.4). Pour concrétiser cette jurisprudence, le législateur a introduit l'article 71b al. 1 OAMal qui règlemente la prise en charge des coûts d'un médicament ne figurant pas sur la liste des spécialités. Il prévoit que l'assurance obligatoire des soins prend en charge les coûts d'un médicament prêt à l'emploi autorisé par l'institut si les conditions mentionnées à l'article 71a al. 1 let. a ou b OAMal sont remplies, c'est-à-dire si l'usage du médicament constitue un préalable indispensable à la réalisation d'une autre prestation prise en charge par l'assurance obligatoire des soins et que celle-ci est largement prédominante (let. a), ou s'il permet d'escompter un bénéfice élevé contre une maladie susceptible d'être mortelle pour l'assuré ou de lui causer des

problèmes de santé graves et chroniques et que, faute d'alternative thérapeutique, il n'existe pas d'autre traitement efficace autorisé (let. b). Les exigences ayant trait au caractère efficace, approprié et économique de la préparation doivent être réunies et le médicament ne pourra être administré à charge de l'assurance que s'il existe des raisons sérieuses d'admettre qu'il présente une utilité thérapeutique (curative ou palliative) importante. A cet égard, on doit s'inspirer des conditions auxquelles Swissmedic autorise pour une durée limitée la distribution ou la remise de médicaments contre des maladies mortelles dont la mise sur le marché n'est pas autorisée (art. 9 al. 4 LPTh; arrêt du TF du 06.10.2008 [9C_56/2008] cons. 2.3). Une telle autorisation suppose que des résultats intermédiaires d'études cliniques indiquent que l'utilisation du médicament procurera un bénéfice thérapeutique notable (art. 19 al. 1 let. c OASMéd). Cette autorisation permet exceptionnellement l'accès immédiat à un médicament contre une maladie mortelle lorsqu'il n'existe pas d'autre possibilité thérapeutique, accès que la procédure complète, longue et laborieuse, rendrait impossible (arrêt du TF du 06.09.2004 [2A.469/2003] cons. 3.3). Les médicaments importants pour des maladies rares bénéficient quant à eux d'une procédure simplifiée d'autorisation de mise sur le marché (art. 15 al. 1 let. f LPTh). L'article 26 al. 1 OASMéd prévoit ainsi que l'institut tiendra dûment compte de la rareté de la maladie à traiter et de la difficulté qui en découle de conduire des essais cliniques dans l'optique des exigences relatives à la documentation scientifique requise pour l'autorisation (art. 5 ou 11 OEMéd). Cela ne signifie pas pour autant que l'on puisse déposer un dossier superficiel, incomplet ou insuffisant scientifiquement pour obtenir l'autorisation pour un médicament orphelin. Le commentaire de Swissmedic précise que doit être prise en compte la taille réaliste que peut avoir une étude clinique vu la rareté de la maladie et le fait que les investissements consentis pour ces médicaments peuvent être extrêmement réduits à cause du marché cible restreint. Si on appliquait aux orphan drugs les critères permettant l'autorisation et la prescription des autres médicaments, cela aurait en pratique pour effet que les patients souffrant de maladies rares ne pourraient jamais être traités, ce qui serait choquant. Le Tribunal fédéral a ainsi admis qu'en raison de la rareté des maladies concernées et de l'absence de procédure d'autorisation, il n'existe pas autant de résultats scientifiques que pour les autres médicaments et que les critères prévalant pour la preuve de l'efficacité ne peuvent être appliqués aussi strictement que pour l'intégration à la liste des spécialités. Des résultats déjà publiés seront ainsi acceptés par l'institut à la place de rapports d'étude exhaustifs (Commentaires sur les médicaments orphelins, Swissmedic, p. 3). S'il n'existe pas d'études démontrant l'efficacité thérapeutique, celle-ci ne peut cependant être admise au motif qu'un résultat a été obtenu dans le cas concret (ATF 136 V 395 cons 6.5). b) Le recourant requiert la mise en œuvre d'une expertise pour déterminer si le traitement pour le Kuvan tend au but thérapeutique visé de manière simple et adéquate chez les patients atteints de phénylcétonurie . Si la garantie constitutionnelle du droit d'être entendu confère notamment au justiciable le droit de faire administrer des preuves essentielles (ATF 127 V 431 cons. 3a), ce droit ne s'étend pas à la mise en œuvre d'études de l'ampleur et de la nature de celles qu'un fabricant de produits thérapeutiques est censé fournir à l'appui d'une procédure tendant à la commercialisation en Suisse d'une préparation donnée, le juge n'ayant à ce titre pas à se substituer aux entreprises pharmaceutiques. L'administration d'un tel mode de preuve par un juge reviendrait de plus à contourner le principe selon lequel seuls les médicaments de la liste des spécialités sont remboursés puisqu'il suffirait à un justiciable de requérir une telle expertise judiciaire chaque fois qu'un médicament n'est pas pris en charge parce qu'il ne figure pas sur la liste.

La demande d'expertise doit donc être écartée et le point de savoir si le Kuvan présente un bénéfice thérapeutique notoire dans le cas de la PCU doit être examiné en fonction des données à disposition de la Cour de céans. Il convient à cet égard de rappeler que l'utilité thérapeutique en soi est une question de fait. En revanche, savoir si l'utilité thérapeutique est élevée est une question de droit (ATF 136 V 395 cons. 6.3). c) En l'occurrence, il n'est pas contestable que la PCU soit potentiellement une source d'atteintes graves et chroniques compte tenu des complications qu'elle est susceptible d'entraîner. Il est établi que des taux excessifs prolongés de phénylalanine dans le sang peuvent en effet causer des troubles neurologiques irréversibles chez l'enfant et des déficits cognitifs et des troubles psychiatriques chez l'adulte. Il est sans pertinence que les atteintes soient dues à une complication de la maladie, en l'occurrence l'excès de phénylalanine, plutôt qu'à la pathologie en tant que telle, dès lors que le médicament dont la prise en charge est contestée vise à éviter ce type de conséquences de l'atteinte. Il n'est pas non plus contestable que la phénylcétonurie soit une maladie rare. Il ressort du rapport médical établi le 15 avril 2011 par le Prof. C. que l'incidence de cette maladie est de 1:8000 en Suisse, ce qui correspond à dix cas par année, et que 20 % d'entre eux seulement sont potentiellement responsables au médicament Kuvan. Selon l'Agence européenne des médicaments (EMA), qui est l'organisme européen qui évalue, coordonne et supervise le développement des nouveaux médicaments à usage humain et vétérinaire dans l'Union européenne, le Kuvan a été désigné "médicament orphelin" le 8 juin 2004 vu le faible nombre de patients atteints. Il en résulte que l'efficacité de ce traitement, en particulier le bénéfice thérapeutique qu'on est en mesure d'en attendre de manière générale, doit être déterminé sur la base d'une documentation scientifique peu étoffée. Il ressort des documents produits par le recourant que l'EMA a octroyé à Merck une autorisation de mise sur le marché du Kuvan valide dans toute l'Union européenne en date du 2 décembre 2008 sur la base de deux études principales conduites sur 135 patients atteints de déficit de la PHA et de trois études préalables menées par le groupe pharmaceutique sur 16 patients atteints d'un déficit de BH4. Ces études ont en effet démontré un bénéfice thérapeutique sur les malades testés puisque leurs taux de phénylalanine dans le sang ont baissé notablement consécutivement au traitement. Compte tenu de l'autorisation de l'EMA, plusieurs pays européens dont la France, l'Allemagne et la Belgique ont prévu la prise en charge du Kuvan par leurs systèmes nationaux d'assurance. Il en ressort également que le Kuvan a été autorisé sur le marché suisse par Swissmedic en date du 12 octobre 2009. Selon les informations données par cet institut, la préparation a fait l'objet de deux essais cliniques randomisés, contrôlés contre placebo, comprenant 489 patients de 8 à 48 ans atteints de phénylcétonurie respectivement 45 patients de 4 à 12 ans atteints de phénylcétonurie avec réponse pharmacodynamique à la BH4, et dont les résultats, détaillés dans la notice, attestent de l'efficacité du Kuvan dans la diminution des taux sanguins de phénylalanine ainsi que dans l'accroissement de la tolérance aux apports alimentaires en phénylalanine. L'utilité thérapeutique du Kuvan, autrement dit son efficacité, est donc scientifiquement prouvée. d) En ce qui concerne l'adéquation du traitement au cas d'espèce, il ressort de différents rapports médicaux établis par le Dr B., médecin traitant, depuis 2005, date à partir de laquelle le recourant a commencé à prendre du dichlorhydrate de saproptérine (substance active du Kuvan), que le traitement médicamenteux est facile à suivre (prise journalière de deux comprimés par voie orale) et a un impact notablement positif sur l'état de santé du recourant puisqu'il lui permet de garder son taux de phénylalanine dans les normes. En outre, le traitement au dichlorhydrate de saproptérine diminue de manière drastique les restrictions alimentaires auxquelles le patient

est obligé de se soumettre à défaut (régime de type végétarien détaillé sous let. e ci-dessous). e) Demeure dès lors litigieuse la question de savoir si la prise du Kuvan constitue la seule méthode thérapeutique pour contrer les conséquences néfastes de la phénylcétonurie, et dans la négative, quelle méthode thérapeutique est celle qui présente le meilleur rapport prix-efficacité ("mit dem besten Kosten-/Nutzen-Verhältnis"). Il est avéré que les effets indésirables de la phénylcétonurie peuvent être évités de manière efficace au moyen d'un contrôle strict de l'alimentation du recourant, en diminuant ou en supprimant tous les aliments riches en protéines pouvant contenir de la phénylalanine. Une diète exempte de phénylalanine permet en effet de garder le taux de phénylalanine dans le sang dans les valeurs admissibles et non toxiques au même titre que la prise du Kuvan, ainsi qu'en témoigne d'ailleurs le cas du recourant lui-même qui y a été soumis de sa naissance jusqu'à l'âge de 7 ans et grâce à laquelle il n'a connu aucun trouble du développement physique ou neurologique. Ce régime est cependant extraordinairement contraignant, suppose une vigilance constante de toute la famille de l'adolescent et a des conséquences très sérieuses sur les activités sociales et scolaires de celui-ci. Entendue lors de l'audience du 4 juillet 2013, la mère du recourant a détaillé la nature du régime que son fils a dû suivre de sa naissance à l'âge de 7 ans, avant que lui soit prescrit le traitement par BH4, et qu'il devrait à nouveau suivre si le Kuvan ne lui était plus prescrit. Du fait des caractéristiques de sa pathologie, X. ne peut pas absorber plus de 400 mg de phénylalanine par jour, ce qui signifie que tous les aliments qu'il entendait consommer doivent être pesés et contrôlés au regard d'une table indiquant le taux de phénylalanine contenu dans chaque denrée alimentaire afin de s'assurer de ne pas dépasser la limite toxique journalière. Dans les faits, compte tenu de leur taux élevé de phénylalanine, de nombreux aliments ne sont pas du tout appropriés à un régime hypoprotéiné et doivent donc être exclus de l'alimentation du patient, à tout le moins introduites en quantités infimes, tels que la viande, le poisson et la charcuterie, les œufs, les laitages, le fromage, le pain, les légumineuses (lentilles, petits pois, etc.) et les fruits oléagineux; en effet, 100 gr de gruyère, par exemple, contenant 1400 mg de phénylalanine, X. ne peut en consommer que 28 gr pour atteindre déjà la limite journalière toxique de phénylalanine. D'autres aliments, dont la concentration en phénylalanine est modérée, peuvent être consommés en quantité raisonnable. Il en va ainsi des fruits et légumes en général, et notamment des pommes de terre, dont 100 gr contiennent 100 mg de phénylalanine. Enfin, certains fruits et légumes ainsi que le sucre, le miel, le beurre et l'huile végétale, qui contiennent peu ou pas de phénylalanine, peuvent être consommés de manière plus étendue, auxquels s'ajoutent les produits de substitution hypoprotéinés. A cet égard, le recourant a allégué que, bien que la gamme de ces produits ne cesse de s'étoffer avec le temps, de très nombreux aliments bannis ne peuvent toujours pas être remplacés, de sorte que la diversité alimentaire du patient PCU s'avère encore à ce jour extrêmement restreinte, étant précisé qu'au suivi d'un régime rigoureux s'ajoute la prise nécessaire de compléments nutritionnels afin de pallier aux éventuelles carences qu'un régime hypoprotéiné pourrait entraîner. On ne saurait donc comparer le régime draconien que le recourant devrait suivre sans traitement médicamenteux à la discipline alimentaire demandée aux personnes diabétiques ou allergiques, qui malgré les restrictions que leurs maladies leur imposent disposent encore d'une palette étendue d'aliments diversifiés. Aux yeux de la Cour de céans, l'alternative thérapeutique que constitue le régime alimentaire, compte tenu de son caractère extrêmement contraignant et compliqué ainsi que de la personne et du parcours du patient, n'est pas raisonnablement exigible de l'intéressé. Celui-ci, aujourd'hui âgé de 16 ans, a eu l'occasion d'expliquer que l'abandon du régime

alimentaire conventionnel au moment de la prise du traitement au BH4 avait été un bouleversement dans la vie quotidienne de sa famille car, en pouvant enfin étoffer de manière notable le choix de son alimentation, sa famille et lui ont pu accéder à une vie sociale normale, ce que les contraintes quotidiennes liées à la préparation des repas les empêchaient de faire auparavant (partir en camp ou en vacances, manger à l'extérieur ou chez des tiers); en outre, la prise du médicament réduit de manière quasi totale le risque d'une absorption toxique accidentelle. Il appert ainsi que le régime conventionnel est une mesure moins efficace et, surtout, moins appropriée dans le cas d'espèce que le Kuvan, de sorte que ces deux alternatives ne peuvent être considérées comme équivalentes. Le critère de l'économicité, qui se définit comme le meilleur rapport coût-efficacité, ne saurait dès lors s'opérer que par une comparaison stricte des prix des deux mesures (cf. supra, cons. 4a). Il ressort du dossier que les coûts du Kuvan se chiffraient à environ 39'000 francs par année. Ce montant, s'il est certes élevé, se situe bien en-dessous de la limite absolue de 100'000 francs par année posée par la jurisprudence (cf. ATF 136 V 395 cons. 7.6.3). En outre et surtout, il représente un surcoût relatif par rapport aux coûts engendrés par le régime alimentaire. En effet, les décomptes produits par l'office intimé permettent de constater que les prestations pharmaceutiques dont le recourant a bénéficié et qui ont été facturées à l'assurance-invalidité (aliments de substitution et compléments nutritifs) se sont élevées à 3'956.95, 4'033.90 et 9'059.80 francs entre 1999 et 2001 (premier âge) et à 14'881.65, 14'737.35, 20'546.05 et 23'631.70 francs entre 2002 et 2005 (enfance), ce qui représente un gain d'environ 50 % en moyenne par rapport au Kuvan. Cela étant dit, compte tenu des besoins énergétiques d'un jeune homme de l'âge du recourant et des prix actuels des produits spéciaux, il est vraisemblable que ces coûts seraient encore majorés, diminuant d'autant la différence de prix avec le traitement médicamenteux. Il découle de ce qui précède que le traitement par Kuvan est la mesure thérapeutique la plus efficace, appropriée et économique compte tenu de l'ensemble des circonstances, eu égard au bénéfice que le recourant peut en attendre non seulement du point de vue de son état de santé mais aussi de sa qualité de vie générale et celle de ses proches. L'intimé doit donc prendre en charge le médicament litigieux sous l'angle du cas exceptionnel. 6. Dans un dernier moyen, le recourant reproche à l'intimé une inégalité de traitement entre lui et plusieurs autres assurés en faveur desquels le remboursement du traitement Kuvan par l'assurance-invalidité a été accepté par les offices de leurs cantons de domicile respectifs. De même, il fait grief à l'intimé d'avoir accepté la prise en charge de l'ancien traitement au BH4 durant plusieurs années alors qu'il n'était pas non plus sur la liste des spécialités et ne disposait que d'une autorisation spéciale de Swissmedic. Vu le sort du recours, il n'y a toutefois pas lieu de traiter de ces questions. 7. Ce qui précède conduit donc à l'admission du recours, à l'annulation de la décision querellée et à la mise à la charge de l'OAI des frais de la cause (art. 69 al. 1bis LAI). L'avance de frais effectuée par le recourant lui sera remboursée. L'intimé versera au recourant une indemnité de dépens déterminée sans égard à la valeur litigieuse mais d'après l'importance et la complexité du litige (art. 61 let. g LPGA). Les mandataires du recourant n'ayant pas déposé un état des honoraires et des frais, les dépens seront fixés sur la base du dossier (art. 66 al. 1 et 2 TFrais). L'activité déployée par Me D. et Me E. respectivement Me F. peut être évaluée à quelques 15 heures. Eu égard au tarif usuellement appliqué par la Cour de céans de l'ordre de 250 francs de l'heure (3'750 francs), des débours à raison de 10 % des honoraires (375 francs; art. 65 TFrais) et de la TVA au taux de 8 % (330.60 francs), l'indemnité de dépens est fixée, arrondie, à 4'455 francs.

Export aus OpenCaseLaw (CC0). Verbindlich ist allein der vom erlassenden Gericht veröffentlichte Originaltext. Quellen-URL siehe oben.