

4.6 « Off label use », « unlicensed use » et « compassionate use »

En matière de médicaments, les utilisations du type « off label use », « unlicensed use » et « compassionate use » ne sont pas réglées par la loi sur les produits thérapeutiques, mais sont généralement admises comme faisant partie de la liberté thérapeutique du médecin.

Selon l'art. 32 al. 1 première phrase LAMal, les prestations prises en charge par l'assurance obligatoire des soins définies aux art. 25 à 31 LAMal doivent être efficaces, appropriées et économiques. Les critères d'efficacité, d'adéquation et d'économicité sont cumulatifs.

En vertu de l'art. 52 al. 1 let. b LAMal, seuls sont en principe remboursés les médicaments figurant dans la liste des spécialités, qui est la *liste positive* et exhaustive des préparations pharmaceutiques et des médicaments confectionnés pris en charge (ATF 139 V 375 consid. 4.2, avec diverses références).

« Par ailleurs, les préparations pharmaceutiques sont uniquement remboursées si leur emploi est conforme aux indications et aux prescriptions d'utilisation enregistrées auprès de Swissmedic (ATF 130 V 532 consid. 5.2). L'emploi d'un médicament en dehors de ces indications et prescriptions est considéré comme une utilisation « hors liste » ou « off label » et ne fait donc en principe pas partie des prestations prises en charge par l'assurance obligatoire. »¹

Les art. 71 a à 71 d OAMal règlent la prise en charge par l'assurance obligatoire de médicaments pour des traitements « off label » ou hors liste des spécialités dans des cas particuliers². Ces dérogations visent à garantir l'accès à des médicaments ne figurant pas dans la liste des spécialités pour le traitement de maladies mortelles ou de problèmes de santé graves et chroniques.

La prise en charge des frais de médicaments est traitée au [chapitre 4.7](https://leitfaden.samw.fmh.ch/fr/guide-pratique-bases-juridique/4-prestation-lamal/4-7-prise-en-charge-lamal.cfm) (<https://leitfaden.samw.fmh.ch/fr/guide-pratique-bases-juridique/4-prestation-lamal/4-7-prise-en-charge-lamal.cfm>).

Off label use

Selon la jurisprudence du Tribunal fédéral (ATF 134 IV 175), on parle de « off label use » lorsqu'« un médicament est délivré en dehors de l'indication ou du dosage autorisé ».

Dans ses [directives](https://www.samw.ch/fr/Ethique/Apercu-des-themes/Recherche-avec-l-etre-humain.html) (<https://www.samw.ch/fr/Ethique/Apercu-des-themes/Recherche-avec-l-etre-humain.html>) médico-éthiques "Distinction entre thérapie standard et thérapie expérimentale dans le cadre individuel"³, l'Académie suisse des sciences médicales (ASSM) définit le terme d'« off label use » comme « l'utilisation de médicaments prêts à l'emploi, autorisés en Suisse, qui s'écarte de l'utilisation autorisée et publiée dans le compendium des médicaments (p.ex. utilisation d'un médicament pour une indication non enregistrée, pour un groupe d'âge non autorisé ou administration dans une dose, une forme ou une durée non autorisées) ». L'utilisation hors indication est fréquente dans de nombreuses disciplines médicales (en particulier en pédiatrie, gynécologie, oncologie et gériatrie) parce que beaucoup de médicaments n'ont pas fait l'objet de recherches pour les groupes de patients concernés et n'ont donc pas été autorisés expressément à leur intention.

Les médicaments en « off label use » sont remboursés par l'assurance-maladie selon des critères stricts⁴. En vertu de leur devoir de diligence médicale, les médecins portent la responsabilité de tout écart : ils doivent pouvoir justifier que l'utilisation hors liste correspond à l'état actuel de la science. Dans le cadre de leur devoir de diligence, ils doivent se conformer aux art. 3 et 26 LPT. Selon l'art. 3 LPT, le devoir de diligence lors d'une utilisation en rapport avec des produits thérapeutiques impose de prendre toutes les mesures requises par l'état de la science et de la technique afin de ne pas mettre en danger la santé d'autrui. L'art. 26 al. 1 LPT le concrétise davantage : « les règles reconnues des sciences pharmaceutiques et médicales doivent être respectées lors de la prescription [et] de la remise [...] de médicaments ». Les médecins doivent en outre attirer l'attention de leurs patientes et patients sur le fait que le droit de l'assurance-maladie n'autorise la prise en charge de l'utilisation « off label » qu'à des conditions très restrictives (cf. [chapitre 4.7](https://leitfaden.samw.fmh.ch/fr/guide-pratique-bases-juridique/4-prestation-lamal/4-7-prise-en-charge-lamal.cfm) (<https://leitfaden.samw.fmh.ch/fr/guide-pratique-bases-juridique/4-prestation-lamal/4-7-prise-en-charge-lamal.cfm>)).

[samw.fmh.ch/fr/guide-pratique-bases-juridique/4-prestation-lamal/4-7-prise-en-charge-lamal.cfm](https://www.samw.ch/fr/guide-pratique-bases-juridique/4-prestation-lamal/4-7-prise-en-charge-lamal.cfm))). Enfin, les médecins qui prescrivent un stupéfiant pour une indication différente de celle qui est autorisée doivent l'annoncer aux autorités cantonales⁵.

Compassionate use

Selon les [directives](https://www.samw.ch/fr/Ethique/Apercu-des-themes/Recherche-avec-l-etre-humain.html) (<https://www.samw.ch/fr/Ethique/Apercu-des-themes/Recherche-avec-l-etre-humain.html>) précitées de l'ASSM, le « compassionate use » (traduction littérale : « usage compassionnel ») désigne l'administration d'un médicament non (encore) autorisé à des patients en dehors du cadre d'un essai clinique. La révision de la LPTh a élargi cette définition. Selon le nouveau libellé de l'art. 9 a LPTh, les indications de médicaments pouvant bénéficier d'une autorisation à durée limitée sur la base de documents incomplets peuvent être étendues aux préparations destinées à traiter des maladies susceptibles d'entraîner ou une invalidité. Aussi bien des traitements médicamenteux que diagnostiques (p.ex. médicaments radiopharmaceutiques utilisés à des fins diagnostiques) peuvent être autorisés provisoirement pour un usage compassionnel. L'art. 9 a LPTh s'applique tant aux médicaments à usage humain qu'aux médicaments à usage vétérinaire.

Unlicensed use

Le « unlicensed use », c'est-à-dire l'utilisation d'un médicament prêt à l'emploi non autorisé en Suisse, a été simplifié. Swissmedic peut donner à certains médecins ou certaines cliniques l'autorisation d'administrer des médicaments n'étant encore qu'au stade des essais cliniques à des patients qui ne participent pas à ces essais. Il peut par ailleurs autoriser dans certaines conditions l'importation d'un médicament, limitée dans le temps ou en termes de quantités, afin de pallier l'indisponibilité passagère d'un médicament identique autorisé en Suisse.

Par ailleurs, le « Conseil fédéral peut autoriser l'importation, en petites quantités, par les professionnels visés à l'art. 25 al. 1 let. b et c dans les limites de leur droit de remettre des médicaments, de médicaments prêts à l'emploi, non autorisés à être mis sur le marché et non soumis à ordonnance, pour lesquels il est prouvé qu'aucun médicament de substitution et équivalent n'est autorisé ».⁶

Thérapies non établies administrées à certains patients

La qualité scientifique des nouvelles thérapies et des nouveaux protocoles est en général évaluée dans le cadre de projets de recherche. Une nouvelle thérapie peut toutefois être administrée à certains patients sur la base d'une décision thérapeutique, indépendamment de tout projet de recherche. On parle alors de thérapie expérimentale dans le cadre individuel.

Les [directives](https://www.samw.ch/fr/Ethique/Apercu-des-themes/Recherche-avec-l-etre-humain.html) (<https://www.samw.ch/fr/Ethique/Apercu-des-themes/Recherche-avec-l-etre-humain.html>) médico-éthiques de l'ASSM « Distinction entre thérapie standard et thérapie expérimentale dans le cadre individuel » définissent ces notions et renseignent sur les droits et les obligations des médecins et des patients lorsque des thérapies expérimentales sont appliquées en dehors de tout projet de recherche.

Les thérapies non établies s'appliquent en particulier,

- lorsqu'il n'existe pas encore de traitement standard pour une indication déterminée, ou
- lorsque le traitement standard n'est pas ou plus efficace chez un patient.

Si une thérapie non établie est commandée par l'intérêt d'une patiente ou d'un patient à l'issue d'une comparaison de tous les protocoles standards, il n'y a pas réellement de début de recherche. Les limites entre thérapie non établie et recherche peuvent toutefois être fluctuantes. Si on cherche à obtenir des connaissances généralisées pouvant être appliquées au-delà de la décision d'administrer le traitement en ce lieu et à ce moment à un patient déterminé, il s'agit en général de recherche (cf. [chapitre 6.2](https://leitfaden.samw.fmh.ch/fr/guide-pratique-bases-juridique/6-recherche-et-registre/62-recherche-sur-l-etre-humain.cfm) (<https://leitfaden.samw.fmh.ch/fr/guide-pratique-bases-juridique/6-recherche-et-registre/62-recherche-sur-l-etre-humain.cfm>)).

1 ATF 142 V 325 consid. 2.3 (trad. FMH).

2 Iris Herzog-Zwitter, Roger von Moos, Sécurité de l'approvisionnement et des patients compromise ? BMS 2022;103(42):30-33.

3 cf. « Distinction entre thérapie standard et thérapie expérimentale dans le cadre individuel », Directives médico-éthiques de l'ASSM (2014, adaptées en 2015). [Lien](https://www.samw.ch/fr/Ethique/Apercu-des-themes/Recherche-avec-l-etre-humain.html). (<https://www.samw.ch/fr/Ethique/Apercu-des-themes/Recherche-avec-l-etre-humain.html>)

4 Art. 71 a - 71 d OAMal.

5 Art. 11 al. 1^{bis} LStup.

6 Art. 20 al. 2^{bis} LPT^h.

Dernière mise à jour le 12.06.2026