



Chambre des communes  
Comité permanent de la santé (HESA)

**« Les difficultés d'accès au traitement et aux médicaments pour les Canadiens atteints de maladies rares et orphelines. »**

Octobre 2018

Présentation de :

**Horizon Therapeutics Canada**

**Personne-ressource :**

John Haslam  
Directeur général  
Horizon Therapeutics Canada  
9131, rue Keele, pièce 4A  
Vaughan (Ontario) L4K 0G7  
[jhaslam@horizonpharma.com](mailto:jhaslam@horizonpharma.com)

## Table des matières

Introduction .....	2
PROCYSBI® - pour le traitement de la cystinose néphropathique .....	3
Programme d'accès spécial (PAS) de Santé Canada .....	4
L'importance de l'innovation dans le traitement des maladies rares .....	6
Recommandations au Comité permanent de la santé .....	9

## Introduction

Horizon Therapeutics Canada (Horizon) accueille favorablement la présente étude intitulée ***Les difficultés d'accès au traitement et aux médicaments pour les Canadiens atteints de maladies rares et orphelines***, qui a été entreprise par le Comité permanent de la santé de la Chambre des communes (HESA).

Horizon est une nouvelle société pharmaceutique innovatrice au Canada qui se concentre sur la mise au point et la commercialisation de médicaments pour les indications de maladies rares et de maladies rhumatismales. Horizon vise à améliorer la vie des Canadiens atteints de maladies rares en offrant des thérapies novatrices au Canada de façon sécuritaire, opportune et durable. Notre engagement envers nos patients (en particulier dans le domaine des maladies rares) repose sur notre investissement personnel dans la vie des gens qui profitent des bienfaits de nos médicaments, à partir du diagnostic jusqu'aux soins continus. Cette étude est donc urgente et touche directement notre mission d'entreprise et notre travail quotidien.

Comme vous l'avez appris dans cette étude jusqu'à présent, les patients canadiens atteints de maladies rares sont parmi les plus vulnérables aux lacunes dans l'accès aux traitements et aux soins. Ils ont besoin d'une attention particulière de la part de notre système de santé et des décideurs en matière de santé. Par définition, chaque maladie rare ne touche qu'un petit nombre de patients répartis dans notre pays relativement vaste. Le niveau des connaissances scientifiques et cliniques disponibles pour diagnostiquer et gérer ces affections est fragmenté et peut varier considérablement selon la maladie, la géographie locale et d'autres circonstances particulières. Les possibilités de traitement offertes peuvent également être limitées : seulement 60 p. 100 des traitements approuvés à l'échelle mondiale pour les maladies rares le sont au Canada, et ces approbations arrivent souvent des années plus tard qu'aux États-Unis.<sup>1</sup>

Horizon est membre de Médicaments innovateurs Canada, de BIOTECanada et d'un forum pour d'autres innovateurs dans le domaine des maladies rares, qui est impatient de discuter avec le Comité à propos de cette étude. La présente demande vise à compléter ces efforts et à répondre spécifiquement à certaines des questions soulevées concernant notre médicament, le PROCYSBI®, indiqué pour le traitement de la cystinose néphropathique.

---

<sup>1</sup> Voir la section de la Canadian Organization for Rare Disorders intitulée *About Our Work*. Cliquer [ici](#) pour la consulter.

## PROCYSBI® - pour le traitement de la cystinose néphropathique

Notre produit, soit le PROCYSBI (bitartrate de cystéamine), demeure le premier et le seul médicament approuvé par Santé Canada pour le traitement de la cystinose néphropathique. Il s'agit d'une maladie progressive qui peut devenir mortelle si elle n'est pas traitée. L'observance d'un traitement à la cystéamine a été bien caractérisée dans la littérature médicale et est associée à une morbidité permanente et à des conséquences mettant la vie en danger pour les patients. Le PROCYSBI représente une avancée significative dans le traitement qui a été encouragée par les patients et les médecins en raison des faiblesses des autres possibilités de traitement non approuvées. Le Comité a entendu parler d'un autre produit, la cystéamine à libération immédiate (LI), que certains patients canadiens obtenaient des États-Unis dans le cadre du Programme d'accès spécial de Santé Canada. À notre connaissance, le fabricant de cystéamine à LI a refusé de demander l'autorisation de mise en marché au Canada par les voies réglementaires habituelles.

Le PROCYSBI est le résultat d'un important programme de recherche clinique de plusieurs millions de dollars. Horizon a payé pour cette recherche lorsqu'elle a fait l'acquisition de la société qui a mis au point le PROCYSBI et a depuis investi massivement dans des travaux importants pour obtenir l'approbation réglementaire du médicament en vue de sa commercialisation. Le lancement de ce programme de recherche a été motivé par les limites reconnues de la thérapie existante, qui avaient contribué à l'inobservance du traitement par les patients et à des résultats de santé sous-optimaux par la suite.

L'inobservance du traitement en raison des exigences de dosage est un important point de différenciation entre le PROCYSBI (administration toutes les 12 heures) et l'autre traitement non approuvé, soit la cystéamine à LI (administration toutes les 6 heures). La cystéamine à LI est également associée à des effets secondaires importants qui entravent souvent l'observance du traitement et la fidélité à celui-ci. Il a été démontré que les défis liés à la cystéamine à LI contribuent à une observance sous-optimale (aussi faible que 23 %) et à de mauvais résultats cliniques chez les patients atteints de cystinose.<sup>2</sup> Des doses tardives ou oubliées contribuent aux lésions rénales et à la toxicité dans d'autres organes. Il a été démontré que toute accumulation d'une faible observance du traitement se traduit par une diminution de l'espérance de vie. Pour chaque année où les objectifs du traitement ont été atteints, on a observé 0,9 année supplémentaire de la fonction rénale. Une étude précédente chez des enfants a révélé des bienfaits clairs à la fois pour la fonction rénale et le développement physique, social et émotionnel général lorsqu'on utilise le PROCYSBI au lieu de la Cystéamine à LI.<sup>3</sup>

Les bienfaits cliniques évidents du PROCYSBI chez les patients canadiens atteints de cystinose ont été confirmés par Santé Canada lors de l'examen de la présentation d'Horizon à titre d'évaluation prioritaire. Santé Canada n'accorde le statut d'évaluation prioritaire que dans les cas d'« une maladie ou affection grave, mettant la vie en danger ou sévèrement débilitante pour laquelle il existe des preuves d'efficacité cliniques substantielles que le médicament offre :

- un traitement, une prévention ou un diagnostic efficace d'une maladie ou affection pour lesquelles aucun médicament n'est actuellement mis sur le marché au Canada; ou

---

<sup>2</sup> Levchenko E.N. et coll. « Strict cysteamine dose regimen is required to prevent nocturnal cystine accumulation in cystinosis ». *Pediatr Nephrol.* 2006 Jan;21(1):110-3.

<sup>3</sup> Langman C.B., Greenbaum L.A., Grimm P. et coll. « Quality of life is improved and kidney function preserved in patients with nephropathic cystinosis treated for 2 years with delayed-release cysteamine bitartrate ». *J Pediatr.* 2014;165(3):528-33

- une augmentation significative de l'efficacité et/ou une diminution significative du risque de sorte que le profil complet avantages/risques est amélioré par rapport à celui des thérapies actuelles, des agents préventifs ou diagnostics pour le traitement d'une maladie ou affection qui ne sont pas traitées adéquatement par un médicament mis sur le marché au Canada. »<sup>4</sup>

Le PROCYSBI a été retenu pour une évaluation prioritaire des deux aspects énoncés ci-dessus. Ayant reçu un avis de conformité (AC) de Santé Canada en juin 2017, le PROCYSBI satisfait à toutes les exigences en matière d'innocuité, d'efficacité et de qualité du produit, qui sont toutes d'une importance cruciale pour son utilisation et les résultats chez les patients. Horizon s'engage à répondre à ces exigences de façon continue.

Depuis son approbation en 2017, Horizon a travaillé avec ardeur pour régler les problèmes d'accès des patients partout au Canada afin de s'assurer que tout obstacle au traitement soit éliminé. Depuis son approbation, le PROCYSBI est devenu le traitement de choix pour les patients canadiens (nouveaux ou existants) atteints de cystinose. Lorsqu'on leur a donné la possibilité d'y avoir accès, la grande majorité des patients et de leurs médecins sont passés au PROCYSBI.

Nous sommes également heureux d'informer le Comité que le PROCYSBI est maintenant largement remboursé partout au Canada par les régimes privés et publics. Ces étapes importantes ont été franchies grâce à la collaboration d'Horizon sur de multiples fronts, notamment auprès des médecins, des patients, des gouvernements et des payeurs du secteur privé. Horizon a aidé les patients grâce à un programme d'accès compassionnel, alors que les discussions avec l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) progressaient rapidement. Nous sommes fiers de dire que ces négociations ont été conclues avec succès en juillet de cette année. Le travail d'Horizon en vue d'obtenir le remboursement du PROCYSBI a également été appuyé par notre approche responsable et équitable en matière d'établissement des prix, avec un prix courant canadien se situant au bas de l'échelle des marchés internationaux actuels.

Horizon espère que son soutien continu aux patients par l'entremise du programme d'aide *TranscendRare* et son appui à un registre nord-américain sur la cystinose permettront de s'assurer que les avantages du PROCYSBI continuent de produire les meilleurs résultats de santé possibles pour les patients.

## Programme d'accès spécial (PAS) de Santé Canada

Horizon a noté l'intérêt particulier du Comité permanent à l'égard du Programme d'accès spécial (PAS) de Santé Canada. Horizon se réjouit des récents efforts déployés par Santé Canada pour recueillir l'opinion des intervenants sur les questions relatives au PAS, ce qui comprend le processus de consultation tenu au début de 2018. Horizon a eu le plaisir de présenter un mémoire à Santé Canada, et nous serions heureux de le mettre à la disposition du Comité, si celui-ci le demande. Notre point de vue sur les principales questions politiques soulevées y est également présenté.

Le PAS demeure un mécanisme de réglementation important pour favoriser l'offre de traitements médicalement requis mais non approuvés auprès des patients canadiens et de leurs fournisseurs de soins de santé; particulièrement lorsque les patients ne disposent pas d'autres solutions thérapeutiques. Il est

---

<sup>4</sup> Voir les *Lignes directrices à l'intention de l'industrie – Évaluation prioritaire des présentations de drogues*, Section 1.4, de Santé Canada [ici](#).

toutefois important de noter que dans le contexte général des difficultés d'accès aux traitements auxquelles font face les Canadiens atteints de maladies rares, le PAS est un sujet de préoccupation relativement mineure comparativement aux préoccupations beaucoup plus vastes relatives au système global de réglementation, de tarification et de remboursement du Canada.

Quelle que soit la raison d'être ou la situation particulière de chaque fabricant à l'échelle internationale, l'industrie biopharmaceutique mondiale continue d'être confrontée au fait que les thérapies ne seront pas toutes soumises ou approuvées au Canada par les voies habituelles d'évaluation. Les besoins continus et futurs des patients canadiens étant au cœur de tout processus, le PAS doit demeurer un mécanisme prévisible et efficace pour tous les intervenants, tout en continuant de servir un objectif clair de politique publique. Le passage à un système plus automatisé, par exemple, serait une façon d'atteindre cet objectif ainsi que d'améliorer et de simplifier le fonctionnement quotidien du PAS dans l'intérêt des patients canadiens.

Santé Canada s'est dit intéressé à examiner l'utilisation à long terme du PAS et les incitatifs potentiels pour les fabricants à faire la transition vers l'autorisation de mise en marché au Canada. Horizon estime qu'il s'agit là d'une importante discussion politique qui devrait être abordée avec soin. Lors de l'évaluation des réformes potentielles, il est fondamentalement important de faire la distinction entre :

- a) les situations où on a accédé à un produit par l'entremise du PAS et où il y a une probabilité minimale, voire nulle, de dépôt prochain d'une demande par le fabricant;
- b) les situations où un produit visé par le PAS est en transition vers un produit approuvé et commercialisé pour la même indication.

Il serait inapproprié et inopportun de réduire les exigences réglementaires d'un fabricant dans les cas où un fabricant concurrent a respecté les exigences actuelles en matière de présentation. L'objectif devrait toujours être d'encourager les présentations additionnelles à Santé Canada selon les voies établies. Cette façon de faire devrait demeurer la voie privilégiée et encouragée pour faciliter l'accès aux traitements chez les patients canadiens, y compris pour les maladies rares. Le PAS ne peut et ne doit pas être utilisé par les fabricants qui cherchent à obtenir une autorisation de mise en marché au Canada au moyen d'une norme réglementaire réduite. Si les fabricants étaient en mesure d'utiliser le PAS pour rendre des médicaments disponibles au Canada, cela minerait l'ensemble du processus établi par Santé Canada pour évaluer l'efficacité, l'innocuité et la qualité pour les patients canadiens.

La communication et la prise en compte du fardeau réglementaire global est également une question importante à considérer en ce qui concerne les produits commercialisés et les produits non approuvés qui entrent au Canada dans le cadre du PAS. Comme nous l'avons mentionné précédemment dans cette présentation, notre médicament PROCYSBI (indiqué dans les cas de cystinose néphropathique) a reçu un avis de conformité de Santé Canada en juin 2017 à la suite d'une évaluation prioritaire. C'est actuellement le seul traitement approuvé pour cette indication. Jusqu'à l'approbation du PROCYSBI, certains patients canadiens atteints de cystinose avaient accès à un traitement différent et non approuvé par le PAS (cystéamine à LI). Comme la transition en raison de l'approbation du PROCYSBI est toujours en cours, nous croyons comprendre que Santé Canada ne considère de nouvelles demandes relatives à la cystéamine à LI que dans les cas où le patient a une raison médicale nécessaire de ne pas prendre le PROCYSBI comme traitement approuvé. Nous croyons qu'il s'agit d'un processus équitable qui permet de s'assurer que la très petite portion des patients qui pourraient avoir une raison médicale de continuer à prendre de la cystéamine à LI continue de disposer d'une solution thérapeutique. Horizon appuie le fait que les patients aient le choix entre plusieurs médicaments, mais il est important que ces médicaments suivent le processus établi par Santé Canada (à l'exception des rares cas où un patient ne peut passer au médicament approuvé).

Horizon s'est efforcé de faire en sorte que cette transition se fasse le plus harmonieusement possible pour les patients qui ont besoin du PROCYSBI, notamment en finançant directement le traitement dans les cas où le remboursement canadien n'était pas en place. Cependant, d'après notre expérience, il est clair que tout au long de ce processus, les communications de Santé Canada concernant le fonctionnement du PAS et les règles pour le grand public pourraient être améliorées et clarifiées afin de dissiper tout malentendu au sujet de ce programme. Nous encourageons fortement le Comité permanent et Santé Canada à souligner l'importance pour les Canadiens d'avoir accès à des produits commercialisés approuvés par le Ministère et les avantages de s'éloigner de la disponibilité exclusive associée au PAS.

## L'importance de l'innovation pour le traitement des maladies rares

Comme le Comité permanent le sait, en raison de la nature inhérente des maladies rares, il est difficile de mettre au point et de commercialiser des traitements pour ces maladies au Canada comparativement aux affections plus courantes. La recherche et le développement de produits posent des défis immédiats en raison de l'incertitude accrue et des délais plus longs par rapport aux produits élaborés pour d'autres maladies. Une fois présentés aux fins d'approbation, les traitements des maladies rares ont du mal à surmonter d'autres obstacles du processus d'évaluation et de remboursement. Cette complexité s'illustre souvent par le fait que les régimes publics canadiens couvrent relativement moins de traitements pour les maladies rares, ce qui complique l'accès aux traitements pour de nombreux patients canadiens.

Horizon collabore activement avec nos associations professionnelles, y compris un groupe d'innovateurs de premier plan dans le domaine des maladies rares. Dans le même esprit que leur mémoire au Conseil consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance-médicaments, nous aimerions souligner ci-dessous les nombreux défis que posent l'élaboration des traitements novateurs pour les maladies rares et l'accès à ceux-ci à chaque étape du processus au Canada.<sup>5</sup>

### *Recherche et développement - Faible prévalence, incertitude des données probantes et expertise limitée*

La plupart des recherches biopharmaceutiques comportent d'énormes risques d'investissement et se soldent par un échec, et la recherche sur les maladies rares se situe à l'extrémité la plus risquée de ce spectre. Pour de nombreuses maladies rares, il y a souvent un manque de connaissances scientifiques adéquates et relativement peu d'experts cliniques. La taille des essais cliniques est presque toujours inférieure à la moyenne en raison du nombre limité de patients souffrant de ces conditions, ce qui rend difficile le recrutement des patients. Cela vient confirmer la nécessité de recruter des patients à l'échelle mondiale dans de nombreux sites d'essais cliniques. Les essais sur les maladies rares ont donc tendance à nécessiter plus de temps et des investissements relativement plus élevés. Dans bien des cas, les études à répartition aléatoire à double insu sont tout simplement irréalisables ou contraires à l'éthique, ce qui incite les innovateurs à recourir à d'autres méthodes de recherche.

### *Réglementation*

L'environnement réglementaire, les processus d'établissement des prix et d'évaluation des technologies de la santé (ETS) ainsi que le processus de remboursement ne prévoient que des dispositions limitées

---

<sup>5</sup> Voir le mémoire présenté au Conseil consultatif sur la mise en œuvre du régime d'assurance-médicaments national par les Canadian Rare Disease Innovators. On peut le consulter en cliquant [ici](#).

pour les défis exponentiels qui doivent être relevés si l'on veut réussir la mise en marché d'un traitement des maladies rares. Parmi les principaux défis réglementaires au Canada, mentionnons l'absence d'un cadre particulier doté d'outils précis pour encourager la recherche et la présentation de nouvelles innovations au pays. D'autres administrations publiques de premier plan ont établi des cadres de propriété intellectuelle efficaces et propres aux maladies rares, en reconnaissance des défis inhérents auxquels sont confrontés les innovateurs.

### *Tarifcation*

Le prix des médicaments novateurs est un important sujet de discussion politique, en particulier pour les traitements des maladies rares en raison de leur contexte. Pour qu'un fabricant puisse récupérer les investissements initiaux consacrés à la mise au point d'un médicament novateur destiné à ces très petites populations de patients, y compris tous les programmes de recherche qui ont échoué (ce qui n'est souvent pas pris en compte dans les estimations de coûts des commentateurs), il devra inévitablement établir un prix final par patient qui sera beaucoup plus élevé que celui des traitements les plus courants. Toutefois, il est d'une importance capitale de noter que l'impact budgétaire global des thérapies pour les maladies rares est faible dans le contexte des dépenses totales en médicaments, et encore plus faible dans le contexte des soins de santé en général. Les dépenses consacrées aux maladies rares ne représentent en fait qu'une fraction des 242 milliards de dollars de dépenses totales en santé au Canada.<sup>6</sup> Si l'on prend l'exemple du PROCYSBI, il y a moins de 100 personnes atteintes de cystinose au Canada. L'incidence de celui-ci sur le budget de la santé est minime, mais ce médicament procure d'énormes bienfaits à une communauté isolée qui gère les luttes quotidiennes d'une maladie dévastatrice.

Dans le cadre de l'actuel système canadien de réglementation des prix par l'entremise du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB), il est souvent difficile pour celui-ci de déterminer si le traitement d'une maladie rare répond aux critères de prix excessif. Les réformes proposées aux règlements et aux lignes directrices du CEPMB ne feront qu'exacerber ce problème. La proposition d'appliquer des facteurs économiques de la santé à la réglementation des prix, qui comporte de graves lacunes, est très préoccupante.<sup>7</sup>

Les réformes proposées par le CEPMB feraient passer le seuil de prix autorisé à un niveau que les traitements des maladies rares ne peuvent raisonnablement pas atteindre. Dans l'ensemble, il sera encore plus difficile de considérer le prix d'un médicament pour les maladies rares comme « non excessif ». En fin de compte, en matière de réglementation des prix, tout changement de politique qui fait en sorte qu'il est moins rentable pour un innovateur de chercher à obtenir un accès au marché canadien risque de compromettre la viabilité des traitements actuels et futurs offerts aux patients canadiens qui en ont besoin.

### *Remboursement*

La conformité à la réglementation et à la tarification ne suffit pas pour assurer aux Canadiens l'accès aux traitements novateurs dont ils peuvent avoir besoin, surtout pour les maladies rares. Comme elles sont obligatoires pour le remboursement public, les responsables des évaluations des technologies de la santé (ETS) sont mis au défi de tenir compte de la petite taille des essais cliniques et des ensembles de données probantes qui en résultent dans le cas des traitements novateurs des maladies rares. De plus,

---

<sup>6</sup> Institut canadien d'information sur la santé (prévisions pour 2017)

<sup>7</sup> Voir : Law et Critchley. « [Ottawa's plan to change drug price regulations is not good policy](#) ». *Options politiques*. 12 octobre 2018.

ces innovations ont souvent du mal à atteindre les seuils de coûts-avantages inappropriés qui ont été établis pour les médicaments conçus pour de plus vastes populations atteintes d'une maladie. Il y a également un manque de perspective thérapeutique pratique appliquée dans ces examens. Ensemble, ces facteurs ont donné lieu à des taux de recommandation très faibles de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) pour les traitements novateurs de maladies rares à l'échelle nationale au Canada.<sup>8</sup>

Même lorsque l'ACMTS recommande positivement un traitement pour une maladie rare, le remboursement par l'État demeure un défi de taille. De nombreuses recommandations positives peuvent s'accompagner d'une directive précise pour que l'entreprise s'efforce d'offrir des prix plus bas, ce qui peut ou non compromettre la faisabilité de la commercialisation d'un médicament. L'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) négocie ensuite des réductions de prix additionnelles avec les fabricants au nom de tous les régimes publics d'assurance-médicaments du Canada. Cependant, l'APP ne dispose pas d'un processus particulier pour le traitement des maladies rares, et les négociations prennent généralement beaucoup plus de temps que pour d'autres médicaments innovants. Même après une négociation conjointe réussie, un régime public donné n'ajoutera pas nécessairement le médicament à sa liste de médicaments d'une manière prévisible; le processus peut s'étendre sur plusieurs mois et parfois quelques années. Cette variation du calendrier de commercialisation demeure un obstacle à la tenue de négociations de bonne foi au Canada dans l'intérêt de l'accès des patients à des thérapies novatrices.

Bien que certains régimes d'assurance-médicaments provinciaux/territoriaux aient créé des processus de remboursement de certains traitements pour les maladies rares, ceux-ci sont extrêmement spécifiques à un nombre très limité de ces traitements. Dans la plupart des provinces et territoires, et pour la plupart des traitements de maladies rares, aucune disposition particulière n'est prise pour s'assurer que les patients aient accès à ces médicaments.

Le Comité permanent a reçu des témoignages au sujet des seuils de coûts appropriés et de leur lien avec l'équité dans la prise de décisions en matière de dépenses de santé. Il s'agit de discussions complexes et importantes. Dans le contexte des traitements des maladies rares, Horizon encouragerait une perspective plus nuancée selon laquelle tous les Canadiens méritent une chance équitable d'améliorer significativement leur état de santé, y compris les patients atteints de maladies rares. De nombreuses maladies rares présentent des caractéristiques particulières qui méritent une attention politique beaucoup plus soutenue, notamment leur gravité, leur prévalence chez les enfants et adolescents et l'absence d'autres solutions thérapeutiques efficaces. Cette perspective a favorisé des approches de financement différentes et uniques pour les maladies rares dans d'autres administrations publiques à l'étranger. Nous encourageons le Canada à étudier les modèles de remboursement les plus appropriés, y compris l'application possible du « régime national d'assurance-médicaments », pour aider à répondre aux besoins uniques des patients canadiens atteints de maladies rares et des régimes de santé chargés de financer leur traitement.

Les entreprises innovatrices dans le domaine des maladies rares, y compris Horizon, sont prêtes à travailler avec les payeurs de traitements et les organismes publics en vue d'explorer de nouvelles façons de rembourser les traitements des maladies rares. Cette démarche comprendrait l'examen des ententes de gestion de l'entrée et des approbations conditionnelles en vue d'aider les payeurs de traitements à

---

<sup>8</sup> Menon D. et coll. « Reimbursement of Drugs for Rare Diseases through the Public Healthcare System in Canada. Where Are We Now? » *Healthcare Policy*. 11(1) August 2015. 15-32.



gérer leur budget, tout en améliorant la rapidité d'accès au traitement. Maintenant qu'une conversation nationale est en cours pour créer une couverture publique pancanadienne des médicaments, nous avons une occasion commune d'apporter des améliorations à l'ensemble du système. En reconnaissant les besoins uniques relatifs aux traitements des maladies rares, le Canada peut accélérer l'innovation au pays tout en soulageant les souffrances de milliers de Canadiens atteints de maladies qui mettent leur vie en danger ou qui la changent.

## Recommandations au Comité permanent de la santé

1. L'autorisation de mise en marché au Canada est, et devrait demeurer, la voie réglementaire privilégiée pour les produits pharmaceutiques, y compris les traitements des maladies rares. On s'assure ainsi du respect de l'évaluation rigoureuse de Santé Canada à l'égard des avantages/risques, des données scientifiques acceptables, de la qualité des médicaments et des exigences en matière d'étiquetage. Chacun de ces aspects a été mis en place à des fins de politique publique bien définies.
2. Les entreprises qui ont fait les investissements nécessaires et pris les mesures requises pour satisfaire aux exigences de Santé Canada en matière d'autorisation de mise en marché ne devraient jamais être désavantagées ou découragées en raison de nouveaux efforts, aussi bien intentionnés soient-ils, pour inciter un fabricant d'un produit concurrent offert dans le cadre du PAS à présenter une demande d'autorisation de mise en marché. Le « seuil » réglementaire devrait être cohérent et ne pas être abaissé. Cela nuirait à l'intégrité du processus réglementaire et à la sécurité des patients, en plus d'envoyer un mauvais message aux innovateurs qui poursuivent la mise en œuvre de programmes cliniques risqués et coûteux pour faire progresser de nouveaux traitements.
3. Le PAS peut être réformé tout en conservant sa fonction principale et l'intégrité du processus d'évaluation globale de Santé Canada. Le passage à un système plus automatisé, par exemple, serait une façon d'atteindre l'objectif d'accroître l'efficacité, tout en améliorant et en simplifiant le fonctionnement quotidien du PAS dans l'intérêt des patients canadiens.
4. Étant donné que la mise au point et la commercialisation de traitements pour les maladies rares au Canada sont uniques et difficiles, il est justifié d'accorder une attention particulière au niveau des politiques pour régler les questions de mise au point, de réglementation, de tarification et de remboursement. Horizon appuie la mise au point par le Canada d'un cadre stratégique sur les maladies rares afin de s'assurer que notre pays demeure à l'avant-garde des mesures d'encouragement de l'élaboration, de l'enregistrement et de la disponibilité de ces innovations importantes pour les patients canadiens.
5. Le débat actuel sur le régime national d'assurance-médicaments au Canada représente une excellente occasion de promouvoir un cadre stratégique intégré et durable pour faire en sorte que les Canadiens atteints de maladies rares aient un accès opportun, équitable, approprié et durable à des soins de la plus haute qualité possible. Horizon demanderait respectueusement au Comité permanent d'envoyer un message clair à l'effet que les Canadiens atteints de maladies rares ne devraient pas être laissés pour compte dans le cadre d'un régime d'assurance-médicaments.