

**Approche unique nécessaire :**  
*Aborder les obstacles à l'accès aux traitements  
contre les maladies rares*

**Table des matières**

<b>1. Introduction.....</b>	<b>1</b>
<b>2. Obstacles à la mise au point et à la commercialisation de traitements contre les maladies rares .....</b>	<b>3</b>
<b>3. Recommandations pour faciliter l'accès des patients aux traitements pour les maladies rares.....</b>	<b>4</b>
<b>a. Programme d'accès spécial .....</b>	<b>4</b>
<b>b. Examen réglementaire des traitements contre les maladies rares .....</b>	<b>5</b>
<b>c. Établissement des prix des traitements contre les maladies rares .....</b>	<b>6</b>
<b>d. Évaluation des technologies de la santé des traitements contre les maladies rares.....</b>	<b>8</b>
<b>e. Remboursement des traitements contre les maladies rares .....</b>	<b>9</b>
<b>4. Conclusion .....</b>	<b>12</b>

**1. Introduction**

Au nom d'un groupe d'innovateurs canadiens en traitements de maladies rares, nous remercions le Comité d'entreprendre une étude sur les obstacles à l'accès aux médicaments contre les maladies rares.

Nous représentons des entreprises biopharmaceutiques déterminées à améliorer la vie des patients atteints de maladies rares à l'échelle mondiale par la recherche, la mise au point et la commercialisation de traitements contre les maladies rares. Notre groupe compte Alexion Pharma Corp.; Biogen Canada inc.; BioMarin Pharmaceutical (Canada) inc.; Horizon Therapeutics Canada; Ipsen Biopharmaceuticals Canada inc.; Shire Pharma Canada ULC; Sobi Canada inc.; et Vertex Pharmaceuticals (Canada) inc.

Comme vous l'ont montré les témoignages que vous avez entendus jusqu'à présent dans le cadre de cette étude, les Canadiens font face à de multiples obstacles en tentant d'obtenir des traitements pour des conditions rares. Les récents projets de grands changements au contexte canadien de l'accès, auquel on ajoute les projets de révisions controversées au *Règlement sur les médicaments brevetés*, laissent entendre que l'accès aux médicaments des patients atteints de maladies rares deviendra encore plus menacé.

Parmi les quelque 7 000 maladies rares, seulement 5 % ont des traitements efficaces. Aux États-Unis, malgré les incitatifs prévus par l'*Orphan Drug Act*, moins de 15 nouveaux traitements contre les maladies rares y sont approuvés chaque année<sup>1</sup>. Et encore moins le sont au Canada. Même quand un traitement efficace voit le jour, les patients doivent endurer de longues attentes et de grandes incertitudes avant de savoir s'ils y auront accès ici.

Plusieurs de ces maladies sont gravement débilitantes ou mortelles et elles posent de nombreuses difficultés pour les patients atteints et leurs familles. À notre avis, un système de soins de santé fondé sur la compassion doit être structuré de façon à assurer un accès rapide et raisonnable aux traitements nécessaires. Pour préciser, même si le Canada trouve un moyen d'étendre la couverture publique pour les traitements contre les maladies rares, ceux-ci devraient rester un très petit pourcentage des traitements couverts par le régime public d'assurance-médicaments et des budgets de soins de santé globaux. En 2013, environ 5 % des dépenses nationales totales en médicaments étaient attribuables aux traitements contre les maladies rares<sup>2</sup>.

Par conséquent, nous nous réjouissons de l'intérêt que vous portez à l'étude de ces questions, et nous vous invitons à formuler des recommandations exigeant l'adoption, dans les systèmes canadiens de réglementation et de remboursement des traitements, d'approches adaptées qui garantiront un accès équitable aux traitements contre les maladies rares pour tous les Canadiens.

Nous étions également ravis de constater que le Groupe de travail provincial et territorial sur les médicaments coûteux servant à soigner des maladies rares (MCSMR) a récemment proposé une nouvelle approche favorisant une meilleure analyse des médicaments complexes et spécialisés, y compris les traitements contre les maladies rares, à des fins potentielles de remboursement public. Toutefois, si nous soutenons vivement l'initiative et sommes impatients de collaborer avec les gestionnaires des régimes d'assurance-médicaments provinciaux et territoriaux à l'élaboration d'une méthode plus fiable pour envisager le financement public des nouveaux traitements contre les maladies rares, nous nous opposons au nom du groupe de travail puisqu'il porte directement atteinte aux patients atteints de maladies rares.

Nous croyons que l'unicité des maladies rares nécessite une approche différente et davantage d'incitatifs pour améliorer les mesures facilitant l'accès aux traitements de ces maladies pour les patients canadiens. Nous voudrions ainsi attirer votre attention sur les mesures suivantes, que le gouvernement fédéral pourrait entreprendre pour aider à aborder les obstacles à l'accès aux traitements contre les maladies rares.

1. Le Programme d'accès spécial du gouvernement fédéral devrait rester accessible pour les patients atteints d'une maladie rare n'ayant pas accès à une option approuvée et commercialisée au Canada pour ainsi leur offrir des options d'accès aux traitements contre leur maladie.
2. Le gouvernement fédéral devrait établir un cadre réglementaire sur les traitements contre les maladies rares.

---

<sup>1</sup> Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA), *Rare Diseases: A Report on Orphan Drugs in the Pipeline*, Rapport de 2013 : [http://www.phrma.org/sites/default/files/pdf/Rare\\_Diseases\\_2013.pdf](http://www.phrma.org/sites/default/files/pdf/Rare_Diseases_2013.pdf).

<sup>2</sup> Victoria Divino, et coll., *The Budget Impact of Drugs Treating Rare Diseases in Canada: a 2007-2013 MIDAS Sales Data Analysis*, *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 2016 : <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4875716/>.

3. Le gouvernement fédéral devrait réexaminer ses projets de réforme à l'examen du prix des produits pharmaceutiques.
4. Le gouvernement fédéral devrait encourager l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé à adopter des procédures, des critères et des normes mieux adaptées à l'évaluation des traitements contre les maladies rares.
5. Le gouvernement fédéral devrait collaborer avec le Groupe de travail provincial et territorial sur les MCSMR pour améliorer le système de remboursement des traitements contre les maladies rares, y compris en adoptant des mesures qui favoriseront un accès rapide et équitable aux traitements contre les maladies rares pour les patients.

Ce mémoire souligne ces recommandations de manière détaillée et offre un aperçu des difficultés uniques rencontrées dans la mise au point et la commercialisation de traitements pour les maladies rares.

## 2. Obstacles à la mise au point et à la commercialisation de traitements contre les maladies rares

Plusieurs raisons expliquent qu'il soit plus difficile de créer et de commercialiser ces traitements, notamment :

- **Notre connaissance des maladies rares est limitée.** Au début de la phase de recherche et de développement d'un traitement possible, il n'y a pas, ou peu, de connaissances scientifiques ou techniques sur lesquelles se fonder en raison de la rareté de la maladie. Autrement dit, la recherche sur ces traitements commence souvent à la case départ. De plus, il est difficile d'élaborer ou de trouver des données sur la progression de la maladie à long terme. Une même maladie peut avoir une vaste diversité génétique, ce qui en complique davantage sa compréhension par les scientifiques, un élément nécessaire à la mise au point d'un traitement potentiellement efficace.
- **Les maladies rares touchent très peu de gens.** Le nombre limité de patients atteints de maladies rares entraîne des obstacles particuliers en matière de recherche et de développement. La faible prévalence des maladies rares complique la localisation et le recrutement de patients pour des essais cliniques. Par conséquent, nombre d'essais cliniques sont de portée mondiale, par nécessité, et sont menés sur plusieurs sites d'essai clinique.
- **Peu de cliniciens connaissent les maladies rares.** En plus d'affecter les soins prodigués aux patients, le manque de connaissance des cliniciens à l'égard des maladies rares complique le recrutement de médecins compétents pour réaliser les essais cliniques. Il est ainsi peu probable que l'expertise nécessaire soit accessible dans le pays en question. Si une telle expertise existe au Canada, il est fort probable qu'elle soit limitée à très peu de cliniciens.
- **Les essais cliniques de référence sont souvent impossibles ou non éthiques.** Les évaluations des nouveaux traitements, telles les évaluations des technologies de la santé (ETS) menées par l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS), sont conçues dans l'idée que des essais cliniques randomisés (ECR) auront lieu. Toutefois, ce genre d'essais est souvent impossible en raison de la faible prévalence, ou non éthique en raison de la gravité de la maladie et de l'absence d'options de traitement. Lorsque des innovateurs ne peuvent faire un ECR, ils se tournent vers d'autres méthodologies appropriées pour évaluer l'efficacité d'un traitement potentiel. C'est le cas, par exemple, des essais cliniques adaptatifs dans le cadre

desquels les participants sont surveillés sur une période définie pour évaluer les effets du traitement potentiel et les paramètres de l'étude changent en fonction des observations.

- **L'incertitude économique et clinique est plus grande.** Le peu de connaissances concernant les maladies rares et le nombre restreint de patients accentuent l'incertitude. Plus particulièrement, les connaissances scientifiques embryonnaires concernant plusieurs maladies rares limitent la compréhension ou le consensus eu égard aux indicateurs de résultat validés cliniquement pour des études sur les traitements potentiels. Les études plus courtes et d'envergure restreinte, conçues pour accélérer l'accès au traitement contre les maladies très graves, produisent moins de données d'essais cliniques. Parfois, seulement les données exclusives non publiées sont accessibles au moment de la présentation de l'essai. De plus, le manque de connaissances cliniques et de centres de consultation d'expert fait en sorte que la mise au point de traitements contre les maladies rares échoue plus souvent que celle de traitements contre les maladies communes. Les méthodologies d'essais cliniques autres permettant l'étude de traitements contre les maladies rares accentuent l'incertitude des organismes de réglementation, des évaluateurs d'ETS et des personnes impliquées dans le remboursement. Bien que la compréhension de ce genre de données ait grandement progressé chez les organismes de réglementation, les innovateurs font régulièrement face à des obstacles lors de la présentation de leurs résultats de recherche dans le cadre d'ETS en raison du cadre d'évaluation strict.

En raison de ces obstacles, le risque et les coûts de la mise au point et de la commercialisation de traitements contre les maladies rares sont souvent bien plus grands que ceux pour les maladies communes.

### 3. Recommandations pour faciliter l'accès des patients aux traitements pour les maladies rares

#### a. Programme d'accès spécial

Contrairement à la plupart des autres pays développés, le Canada n'a pas de cadre réglementaire distinct pour les traitements contre les maladies rares. Par conséquent, nombre de ces traitements arrivent au Canada plus tard ou n'y arrivent pas du tout. Les présentations faites à Santé Canada pour 84 % des traitements contre les maladies rares approuvées entre 2002 et 2016 ont été soumises après celles faites auprès des organismes de réglementation américains et européens. De plus, 23 traitements approuvés par les organismes de réglementation américains ou européens au cours de cette même période de temps n'avaient pas été approuvés au Canada à la fin de 2016<sup>3</sup>.

Aujourd'hui, les patients réclamant l'accès aux traitements qui ne sont pas approuvés par Santé Canada doivent compter sur leurs cliniciens pour les aider avec le Programme d'accès spécial (PAS) de Santé Canada. Bien qu'il ait été conçu à titre de mesure d'exception, le PAS est devenu la voie d'accès au traitement *de facto* pour plusieurs patients atteints de maladies rares en raison de l'inaccessibilité commerciale des traitements dont ils ont besoin par les voies habituelles. Des quelque 500 médicaments approuvés par le PAS en 2016, 29 % concernaient des traitements

---

<sup>3</sup>Nigel Rawson, *Regulatory, Reimbursement, and Pricing barriers to accessing Drugs for Rare Disorders in Canada*, Fraser Institute, 2018 : <https://www.fraserinstitute.org/sites/default/files/barriers-to-accessing-drugs-for-rare-disorders-incanada.pdf>.

classifiés à titre de médicament orphelin dans les territoires de compétence où ils étaient approuvés. De plus, 50 % des médicaments approuvés par le PAS l'avaient été 10 ans auparavant<sup>4</sup>.

Le PAS n'est pas le moyen idéal pour faciliter l'accès aux traitements contre les maladies rares. Il s'agit d'une procédure de longue haleine, dans le cadre de laquelle c'est le clinicien qui doit demander une approbation personnalisée à Santé Canada en présentant des ouvrages scientifiques démontrant qu'un traitement accessible ailleurs dans le monde est la meilleure solution pour répondre aux besoins particuliers d'un patient. Même quand la demande aboutit, souvent, l'autorisation initiale expire dans un délai de six mois (ou moins) et les patients doivent entreprendre le processus de nouveau avec l'aide de leur clinicien. Pire encore, l'approbation de Santé Canada ne prévoit aucun remboursement, obligeant les patients à trouver un moyen de payer pour leur traitement.

En raison des restrictions du processus d'examen et d'approbation pharmaceutique canadien, certains fabricants ne se fient qu'au PAS pour faciliter l'accès à leurs produits en évitant de faire une présentation officielle à Santé Canada. Le PAS ne doit pas être utilisé par des fabricants cherchant à percer le marché canadien grâce à des normes réglementaires assouplies. Ce scénario pourrait désavantager les produits concurrentiels potentiels qui suivent le processus officiel avant de percer le marché. Par conséquent, bien qu'il soit important de voir à ce que les patients atteints de maladies rares ne soient pas privés de l'utilisation du PAS quand aucune autre option thérapeutique ne leur est offerte et qu'il y a peu de chances qu'un fabricant fasse une demande à Santé Canada, nous devons également nous assurer de ne pas décourager les fabricants à demander une autorisation de mise en marché selon les normes.

Il est évident que les lacunes du processus d'examen et d'approbation des médicaments du Canada doivent être abordées pour que les patients ne soient pas obligés d'avoir recours au PAS, un programme contraignant, pour obtenir leurs médicaments. Toutefois, pendant que nous nous attaquons aux lacunes du régime d'assurance-médicaments, la réforme du PAS entreprise par Santé Canada ne doit pas réduire l'accès aux patients qui continuent d'en dépendre, car, souvent, il reste la seule façon pour les patients atteints de maladies rares d'avoir accès à leurs traitements.

**RECOMMANDATION 1 : Le Programme d'accès spécial du gouvernement fédéral devrait rester accessible pour les patients atteints d'une maladie rare n'ayant pas accès à une option approuvée et commercialisée au Canada pour ainsi leur offrir des options d'accès aux traitements contre leur maladie.**

Bien qu'une réforme soit importante pour réduire l'utilisation systématique du Programme d'accès spécial, cette voie doit rester accessible pour les Canadiens atteints de troubles rares (pour lesquelles aucun traitement approuvé et commercialisé n'est offert) pour qui le PAS pourrait être leur unique option viable pour obtenir les traitements dont ils ont besoin pour survivre ou pour que leur santé s'améliore.

**b. Examen réglementaire des traitements contre les maladies rares**

Comme il a été mentionné précédemment, la plupart des pays développés se sont dotés de cadres réglementaires distincts pour encourager la mise au point et la commercialisation de traitements

---

<sup>4</sup> Santé Canada, Présentation *Renewal of the Special Access Programme For Drugs*, réunion conjointe de Santé Canada et BIOTECanada, septembre 2017.

pour les maladies rares. Habituellement, ces cadres prévoient une définition de ce qu'est une maladie rare, un processus de désignation des médicaments orphelins, le renforcement des droits de la propriété intellectuelle ou des mesures de protection de données supplémentaires et d'autres incitatifs financiers tels que des fonds de valorisation de la recherche, des incitatifs fiscaux et des réductions des frais réglementaires de présentation.

Bien que Santé Canada ait consulté des intervenants pour l'élaboration d'un cadre réglementaire sur les médicaments orphelins en 2012, ce cadre n'a jamais vu le jour. Le gouvernement fédéral ne semble plus avoir l'intention de mettre en place un cadre réglementaire sur les médicaments orphelins, car toutes les mentions à ce sujet ont été récemment retirées du site de Santé Canada.

À la place, Santé Canada a publié une approche réglementaire sur les médicaments orphelins, qui présente aux innovateurs les options pour obtenir une approbation réglementaire et pour offrir leurs traitements aux patients canadiens. Un pas dans la bonne direction, cela ne répond toutefois pas au besoin pour un cadre réglementaire sur les traitements contre les maladies rares, lequel comprendrait les éléments clés adoptés par d'autres administrations, notamment une définition du terme maladie rare, un processus de désignation des médicaments orphelins, davantage d'exclusivité commerciale, des fonds de valorisation de la recherche, des incitatifs fiscaux et des réductions de frais de présentation à Santé Canada. Ce cadre encouragerait la mise au point et la commercialisation de traitements contre les maladies rares au Canada. Soyons clairs, nous ne soutenons aucune réforme qui compromettrait les hautes normes d'examen actuelles de Santé Canada. Au contraire, nous demandons des modifications qui favoriseraient et qui encourageraient la création et la commercialisation de traitements efficaces contre les maladies rares au Canada.

**RECOMMANDATION 2 : Le gouvernement fédéral devrait établir un cadre réglementaire sur les traitements contre les maladies rares.**

Le gouvernement fédéral devrait établir un cadre réglementaire sur les traitements contre les maladies rares qui encouragerait la mise au point et la commercialisation de ces traitements au Canada et prévoirait une définition du terme maladie rare, un processus de désignation des médicaments orphelins, davantage d'exclusivité commerciale, des fonds de valorisation de la recherche, des incitatifs fiscaux et des réductions de frais de présentation.

**c. Établissement des prix des traitements contre les maladies rares**

La mise au point de traitements contre les maladies rares est risquée et coûteuse pour les raisons déjà mentionnées dans le présent mémoire. Par conséquent, ces traitements ont tendance à être plus chers que ceux contre les maladies communes. Les investissements en recherche et développement pour les traitements contre les maladies rares proviennent d'un marché mondial plus restreint, ce qui explique la différence de prix.

Cela dit, bien que ces traitements entraînent généralement des coûts par patient plus élevés, leur répercussion budgétaire générale est relativement faible en raison de la petite population de patients. Selon une analyse de 2016, les dépenses pour les médicaments contre les maladies rares représentaient de 3,3 à 5,6 % des dépenses totales en produits pharmaceutiques canadiens entre

2007 et 2013, et elles ne devraient pas dépasser 6 % des dépenses totales pour la période de 2014 à 2018<sup>5</sup>.

Malgré cela, le gouvernement fédéral a proposé de modifier le *Règlement sur les médicaments brevetés* pour changer la façon dont le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) évalue les prix des médicaments brevetés. Ce projet de réforme aura des répercussions disproportionnées sur les traitements contre les maladies rares. Comme nous le mentionnerons ultérieurement, il est déjà très difficile de commercialiser des traitements contre les maladies rares dans le système canadien actuel. Cette réforme créerait un nouvel obstacle en établissant une nouvelle méthode d'évaluation des prix restrictive et incertaine, qui entraînera des réductions de prix de 70 à 90 % pour les médicaments contre les maladies rares<sup>6</sup>. Une récente étude démontre clairement l'incidence négative de la réforme sur les traitements contre ces maladies<sup>7</sup>.

Il sera alors très difficile pour les entreprises novatrices de mettre leurs médicaments contre les maladies rares sur le marché canadien. Ainsi, cette réforme ne ferait que ralentir ou limiter l'accès des patients aux nouveaux traitements pour les maladies rares. Comme nous l'avons mentionné, la réforme compromettrait également l'accès à ces traitements au moyen du Programme d'accès spécial, car les médicaments obtenus grâce au PAS doivent aussi respecter le seuil de prix établi par le CEPMB.

Si ce projet est accepté, le CEPMB devra utiliser les études de rentabilité produites par l'ACMTS pour établir ses seuils de prix. Il n'est pas convenable qu'un organisme de réglementation quasi judiciaire comme le CEPMB, qui n'a pas de lien avec le remboursement, effectue des études de rentabilité pour établir des prix de produits pharmaceutiques. C'est très problématique, notamment pour les traitements contre les maladies rares, puisque les méthodes de rentabilité utilisées dans ces études ne sont pas adaptées à l'évaluation de traitements contre les maladies rares (plus de détails sur ce sujet sont présentés dans la prochaine section du présent mémoire). Les études économiques en matière de santé, conçues pour éclairer les payeurs dans leurs décisions relatives au remboursement, ne sont pas adaptées à la réglementation de prix parce qu'elles sont fondées sur une série d'hypothèses et de résultats pouvant varier considérablement<sup>8</sup>. Finalement, l'utilisation d'études de rentabilité pour le cadre d'évaluation des prix du CEPMB entraînera la création d'un système canadien de contrôle des prix grandement incertain, complexe

---

<sup>5</sup> Victoria Divino, et autres, *The Budget Impact of Drugs Treating Rare Diseases in Canada: a 2007-2013 MIDAS Sales Data Analysis*, *Orphanet Journal of Rare Diseases* : <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4875716/>.

<sup>6</sup> Nigel Rawson, *Regulatory, Reimbursement, and Pricing barriers to accessing Drugs for Rare Disorders in Canada*, Fraser Institute, 2018 : <https://www.fraserinstitute.org/sites/default/files/barriers-to-accessing-drugs-for-rare-disorders-incanada.pdfcanada.pdf>.

<sup>7</sup> Consultez également Nigel Rawson, *New Patented Medicine Regulations in Canada: Case Study of a Manufacturer's Decision-Making about Regulatory Submission for a Rare Disorder Treatment*, Canadian Health Policy Institute, octobre 2018 : <https://www.canadianhealthpolicy.com/products/new-patented-medicine-regulations-in-canada--case-study-of-a-manufacturer---s-decision-making.html>.

<sup>8</sup> Nigel Rawson, *New Patented Medicine Regulations in Canada: Case Study of a Manufacturer's Decision-Making about Regulatory Submission for a Rare Disorder Treatment*, Canadian Health Policy Institute, octobre 2018 : <https://www.canadianhealthpolicy.com/products/new-patented-medicine-regulations-in-canada--case-study-of-a-manufacturer---s-decision-making.html>. Consultez aussi Michael Law et Wayne Critchley, *Ottawa's plan to change drug price regulations is not good policy*, *Options politiques*, Institute of Research on Public Policy, octobre 2018 : <http://policyoptions.irpp.org/magazines/october-2018/ottawas-plan-to-change-drug-price-regulations-is-not-good-policy/>.

Le Forum canadien des innovateurs concernant les maladies rares (i-RARE)

Mémoire présenté au Comité permanent de la Chambre des communes sur la santé

et à plusieurs niveaux pour les médicaments brevetés. Aucun autre pays n'utilise une approche économique en matière de santé pour réglementer la tarification de ses médicaments.

**RECOMMANDATION 3 : Le gouvernement fédéral devrait réexaminer ses projets de réforme à l'examen du prix des produits pharmaceutiques.**

La grande incertitude et les considérables réductions de prix causés par les projets de réforme fédéraux ajouteraient un important obstacle à l'accès rapide aux traitements contre les maladies rares pour les patients. Nous encourageons plutôt le gouvernement fédéral à tenter d'accélérer l'accès aux médicaments contre les maladies rares.

**d. Évaluation des technologies de la santé des traitements contre les maladies rares**

À la suite de l'examen réglementaire de Santé Canada, l'ACMTS, un organisme financé par les gouvernements fédéral et provinciaux (à l'exception du Québec), évalue l'efficacité clinique et la rentabilité comparatives des médicaments (aussi connu sous le nom d'évaluation des technologies sur la santé, ou ETS) pour aider les gouvernements à décider si un médicament doit être remboursé et, le cas échéant, à quelle proportion il le sera. Toutefois, comme nous l'avons déjà mentionné, les méthodes d'évaluation actuelles de l'ACMTS ne sont pas adaptées à l'évaluation de traitements pour les maladies rares.

Elle ne prend pas en compte les caractéristiques uniques des traitements contre les maladies rares, y compris la taille restreinte des essais cliniques et le fait que les ECR ne sont pas souvent possibles pour les maladies mortelles. De plus, les examens de l'ACMTS n'offrent pas assez de latitude pour tenir compte des connaissances actuelles éclairées sur les traitements ou la prise en charge dans un domaine thérapeutique précis ou pour une maladie donnée.

Plusieurs experts reconnaissent les limites des méthodes de rentabilité actuelle pour évaluer les traitements contre les maladies rares<sup>9</sup>. Ces méthodes ont été conçues pour les évaluations fondées sur une large population et ne sont pas efficaces en ce qui a trait aux traitements mis au point pour répondre aux besoins d'une petite population et dont le prix par patient est élevé. Elles ont également été conçues pour comparer la valeur d'un nouveau médicament à celle d'un ancien, ce qui est souvent impossible pour les traitements révolutionnaires contre les maladies rares, puisque beaucoup d'entre eux n'ont pas de comparatifs.

Puisque les méthodes actuelles de l'ACMTS sont mal adaptées aux traitements contre les maladies rares, ces médicaments respectent rarement le seuil de rentabilité établi par l'ACMTS. En outre, l'ACMTS recommande souvent pour ces traitements une réduction considérable des prix (parfois jusqu'à 97 %) afin de respecter le seuil de rentabilité<sup>10</sup>. Même si la valeur thérapeutique est reconnue par l'ACMTS, ces recommandations compliquent la négociation fructueuse pour les

<sup>9</sup> Michael Drummond et Adrian Towse, *Orphan drugs policies: a suitable case for treatment*, *European Journal of Health Economics*, vol 15, n° 4, mai 2014, p. 335-340 : <http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/24435513>; et Wills Hughes-Wilson, et autres, *Paying for the Orphan Drug System: break of bend? Is it time for a new evaluation system for payers in Europe to take account of new rare disease treatments?*, *Orphanet Journal of Rare Diseases*, vol. 7 n° 74, 2012 : <http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/23013790>.

<sup>10</sup> Nigel Rawson, *Regulatory, Reimbursement, and Pricing barriers to accessing Drugs for Rare Disorders in Canada*, Fraser Institute, 2018 : <https://www.fraserinstitute.org/sites/default/files/barriers-to-accessing-drugs-for-rare-disorders-incanada.pdfcanada.pdf>.

traitements contre les maladies rares et leur remboursement par les régimes publics d'assurance-médicaments.

En fait, dans un récent article de Trevor Richter, directeur du Programme commun d'évaluation des médicaments de l'ACMTS, qui évalue les médicaments non oncologiques, a reconnu le taux plus élevé de recommandations négatives d'ETS pour les maladies extrêmement rares et a suggéré qu'il pourrait être justifié d'appliquer des normes différentes pour l'évaluation des traitements contre ces maladies<sup>11</sup>.

Bien que l'évaluation des traitements contre les maladies rares ait été assouplie dans le cadre de recommandation de l'ACMTS en 2016, ces changements ne sont pas suffisamment importants pour tenir compte des particularités de ces traitements et pour en faciliter le remboursement. Faisant fond sur ces mesures initiales, l'AMCTS devrait aller plus loin et établir des mesures, des critères et des normes mieux adaptés aux caractéristiques des traitements contre les maladies rares. Par exemple, l'élaboration du Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux (PPEA) est une pratique exemplaire en ce sens, en grande partie parce qu'il s'agit d'une initiative plurilatérale et centrée sur le patient à laquelle participent les développeurs, les cliniciens et les patients. Le corps d'experts en évaluation du PPEA a le mandat de prendre en compte l'harmonisation avec les valeurs des patients et les critères d'adoption du système de santé. L'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) est un autre exemple où des critères plus larges sont appliqués dans les délibérations et exige que le comité d'évaluation tienne compte des valeurs sociétales.

**RECOMMANDATION 4 : Le gouvernement fédéral devrait encourager l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé à adopter des procédures, des critères et des normes mieux adaptées à l'évaluation des traitements contre les maladies rares.**

L'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé devrait établir des mesures, des critères et des normes précis pour les traitements contre les maladies rares qui tiennent compte des caractéristiques uniques de ces traitements, notamment de l'expertise spécialisée des cliniciens, des valeurs des patients, des études à moins grande échelle, du recours plus fréquent aux essais autres que les essais cliniques randomisés et du coût par patient plus élevé des traitements.

**e. Remboursement des traitements contre les maladies rares**

L'étape suivant l'ETS de l'ACMTS dans le processus de remboursement public est la négociation entre les fabricants et l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP), qui représente les régimes publics d'assurance-médicaments provinciaux et fédéraux. Avant qu'un nouveau médicament ne puisse être remboursé par un régime public, ses modalités de remboursement doivent être négociées selon le processus de l'APP.

Ce processus entraîne plusieurs obstacles qui nuisent à l'accès aux nouveaux médicaments pour tous les patients. Le processus peut durer de quelques mois à plusieurs années (la période moyenne, en 2017-2018, était d'environ un an après l'émission de la recommandation de

---

<sup>11</sup> Trevor Richter, et coll., *Characteristics of drugs for ultra-rare diseases versus drugs for other rare diseases in HTA submissions made to the CADTH CDR, Orphanet Journal of Rare Diseases*, 2018 : <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5793441/>.

l'ACMTS<sup>12</sup>). En outre, même à la suite d'une entente avec l'APP, les régimes publics ne sont pas obligés d'ajouter le médicament à leur liste des médicaments assurés et, s'ils le font, rien ne les oblige à le faire rapidement. En effet, aucune condition n'exige que les régimes publics remboursent un médicament et il n'y a pas d'échéancier pour le remboursement à la suite d'une entente avec l'APP.

Par conséquent, le Canada se place au 15<sup>e</sup> rang, sur 20 pays de l'Organisation de coopération et de développement économiques (OCDE), quant au temps d'attente entre l'approbation réglementaire d'un médicament et son remboursement par les régimes publics<sup>13</sup>. Ainsi, il y a un écart important dans les délais de remboursement entre les régimes publics d'assurance-médicaments et les régimes privés au Canada.

Selon une étude récente, les régimes privés prennent, en moyenne, 142 jours pour couvrir les nouveaux médicaments à la suite de l'approbation de Santé Canada, alors que les régimes publics en prennent 449<sup>14</sup>.

Nous savons que les obstacles liés au remboursement public sont encore plus complexes lorsqu'il s'agit de médicaments contre les maladies rares en raison de l'importante incertitude quant aux données cliniques et du coût par patient plus élevé. Cela signifie que les patients vulnérables, comme ceux qui ont une maladie rare, pourraient ne pas être en mesure d'obtenir les traitements dont ils ont besoin ou pourraient avoir à attendre encore plus longtemps pour obtenir des traitements vitaux.

Par exemple, une récente étude a révélé qu'une entente avec l'APP n'était conclue que pour un peu plus de la moitié des traitements contre les maladies rares qui avaient reçu une recommandation positive de la part de l'ACMTS<sup>15</sup>. Cela montre à quel point les négociations auprès de l'APP peuvent être difficiles malgré une recommandation de remboursement positive de l'ACMTS, ce qui a des effets dévastateurs sur l'accès des patients, puisque les régimes publics ne rembourseront pas de médicaments dont les négociations auprès de l'APP n'ont pas été fructueuses. En outre, il est à noter que, même si les négociations sont fructueuses, les critères de remboursement sont souvent beaucoup plus restrictifs que ceux approuvés par Santé Canada, empêchant ainsi plusieurs patients qui ne répondent pas aux critères d'avoir accès aux médicaments dont ils ont besoin.

Nombre de pays ont adopté des procédures ou des mesures précises pour faciliter un remboursement plus rapide des médicaments, plus particulièrement pour les médicaments révolutionnaires et ceux contre les maladies rares. Par exemple, en Allemagne, les médicaments sont remboursés dès qu'ils reçoivent l'approbation réglementaire, et ce, pendant que les

---

<sup>12</sup> Morse Consulting, *pCPA Reducing Time to Initiate Negotiations*, 10 octobre 2018 : <http://morseconsulting.ca/pcpareducing-time-to-initiate-negotiations/>.

<sup>13</sup> Médicaments novateurs Canada, *L'accès aux nouveaux médicaments dans les régimes d'assurance médicaments : au Canada et dans des pays comparables*, Rapport annuel de 2016 : [http://innovativemedicines.ca/wp-content/uploads/2016/05/20160524\\_Access\\_to\\_Medicines\\_Report\\_FR\\_Web.pdf](http://innovativemedicines.ca/wp-content/uploads/2016/05/20160524_Access_to_Medicines_Report_FR_Web.pdf).

<sup>14</sup> Il s'agit des nouveaux médicaments approuvés entre 2008 et 2017. Consultez Canadian Health Policy Institute, *Coverage of new medicines in public versus private drug plans in Canada 2008-2017*, 2018 : <https://www.canadianhealthpolicy.com/products/coverage-of-new-medicines-in-public-versus-private-drug-plans-in-canada-2008-2017.html>.

<sup>15</sup> Nigel Rawson, *Regulatory, Reimbursement, and Pricing Barriers to Accessing Drugs for Rare Diseases in Canada*, Fraser Institute, 28 août 2018 : <https://www.fraserinstitute.org/sites/default/files/barriers-to-accessing-drugs-for-rare-disorders-in-canada.pdf>.

Le Forum canadien des innovateurs concernant les maladies rares (i-RARE)

Mémoire présenté au Comité permanent de la Chambre des communes sur la santé

négociations sur les modalités de remboursement sont en cours entre le gouvernement et les entreprises pharmaceutiques. La France a instauré un système grâce auquel les patients peuvent obtenir les traitements contre les maladies rares avant même l'approbation réglementaire.

Nous suggérons que l'APP soit améliorée pour permettre un accès plus rapide aux traitements contre les maladies rares. Voici quelques mesures précises à mettre en œuvre :

- **Remboursement au moment de l'approbation réglementaire** : Des mesures permettant le remboursement de traitements pour les maladies rares au moment de l'approbation réglementaire devraient être mises en œuvre. Nous devons accélérer l'accès à ces traitements, qui servent souvent à traiter des conditions mortelles pour lesquelles il n'existe pas d'autres traitements. Au moins, le processus de l'APP devrait être accéléré par l'établissement d'un échéancier raisonnable précis pour chacune des étapes comprises entre la conclusion d'une entente auprès de l'APP et le remboursement des médicaments par les régimes publics d'assurance-médicaments individuels.
- **Utilisation accrue des programmes d'accès contrôlé** : L'APP pourrait tirer davantage profit de l'utilisation des programmes d'accès contrôlé qui offrent aux patients l'accès aux médicaments pendant que les données probantes continuent d'être rassemblées. Cela pourrait aider à aborder les incertitudes créées par les données probantes des essais cliniques et les inquiétudes des payeurs quant au remboursement des traitements dont les données probantes sont plus limitées.

Comme nous l'avons mentionné précédemment, nous sommes ravis que le Groupe de travail sur les MCSMR ait commencé l'élaboration d'un nouveau projet d'approche visant à améliorer l'accès aux traitements pour les maladies rares. Ce projet prévoit des examens simultanés de Santé Canada, de l'ACMTS, du CEPMB et de l'APP, l'amélioration de l'évaluation des technologies de la santé, la considération des ententes de gestion de l'accès, l'utilisation accrue de données concrètes et un processus d'arbitrage par des groupes d'experts pour les demandes de couverture des patients. Si elle est mise en œuvre avec une approche plurilatérale centrée sur les patients, cette mesure contribuerait grandement à surmonter les nombreux obstacles présentés précédemment. Par conséquent, nous recommandons que le gouvernement fédéral soutienne les efforts du Groupe de travail sur les MCSMR et qu'il collabore activement à cette initiative.

**RECOMMANDATION 5 : Le gouvernement fédéral devrait collaborer avec le Groupe de travail provincial et territorial sur les médicaments coûteux servant à soigner des maladies rares pour améliorer le système de remboursement des traitements contre les maladies rares, y compris en adoptant des mesures qui favoriseront un accès rapide et équitable aux traitements contre les maladies rares pour les patients.**

Le système de remboursement doit être amélioré pour offrir aux patients un accès meilleur et plus rapide aux traitements pour les maladies rares. Cela comprend la mise en œuvre de mesures permettant le remboursement au moment de l'approbation régulatrice ainsi qu'une utilisation accrue des programmes de gestion de l'accès et de données concrètes qui peuvent aider à aborder les incertitudes liées aux médicaments contre les maladies rares tout en facilitant l'accès rapide à ces médicaments.

#### 4. Conclusion

Bien qu'il s'agisse d'une période extrêmement palpitante pour les gens atteints de maladies rares étant donné les incroyables avancées technologiques et scientifiques des dernières années, il reste beaucoup de travail à faire pour s'assurer que ces nouvelles technologies bénéficient aux patients canadiens qui en ont besoin. Cela souligne l'importance de l'étude du Comité et indique qu'il est vital de continuer à améliorer le système pour les patients les plus vulnérables du Canada.

En appliquant les recommandations présentées dans ce mémoire, le gouvernement fédéral pourra montrer la voie en aidant à surmonter les obstacles à l'accès aux traitements pour les maladies rares. En fait, les discussions actuelles sur le régime national d'assurance-médicaments offrent une occasion unique au gouvernement fédéral de travailler avec les provinces pour surmonter les obstacles et pallier les lacunes importantes à l'accès.

Nous vous remercions encore une fois de cette occasion d'offrir nos commentaires et nous sommes impatients de lire votre rapport et vos recommandations sur cet enjeu primordial. Finalement, nous espérons travailler avec le gouvernement du Canada, les provinces et territoires, les patients et les cliniciens pour assurer que les Canadiens atteints de maladies rares bénéficient de l'accès rapide aux soins de santé dont ils ont besoin et qu'ils méritent.