

**Mémoire au Comité permanent de la santé de la Chambre des communes
sur les difficultés d'accès au traitement et aux médicaments pour les Canadiens atteints
de maladies rares et orphelines**

Présenté par l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (régimes publics d'assurance-médicaments)
Le 7 décembre 2018

I. SOMMAIRE

Les régimes publics d'assurance-médicaments, collectivement en tant qu'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) et individuellement en tant qu'administrations, ont le rôle et la responsabilité d'appuyer le public en prenant des décisions appropriées en matière de financement des médicaments qui sont fondées sur des données probantes, rentables et abordables.

Avec les médicaments onéreux pour maladies rares (MOMR), les régimes publics d'assurance-médicaments au Canada et ailleurs dans le monde font face à des défis importants où les attentes et les besoins des régimes publics d'assurance-médicaments de l'industrie pharmaceutique ne sont pas satisfaits.

Ce document traite de plusieurs défis. Les trois principaux défis sont les suivants : (1) Limites des données probantes — Les données probantes sur l'efficacité, l'innocuité et la rentabilité des médicaments sont souvent insuffisantes pour appuyer les décisions relatives à la couverture des médicaments; (2) Prix élevés des médicaments — Les prix extrêmement élevés des médicaments et l'augmentation des coûts menacent l'abordabilité et la viabilité des programmes de médicaments et, par la suite, l'accès pour les patients; et (3) Lacunes dans l'harmonisation et la coordination des processus à l'échelle nationale.

Pour surmonter certains des obstacles et défis décrits dans les MOMR, l'APP et les régimes publics d'assurance-médicaments demandent le soutien suivant au gouvernement fédéral :

1. le soutien financier fédéral pour les MOMR;
2. la mise en œuvre par le gouvernement fédéral des contrôles des prix par le biais des modifications proposées par le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB);
3. le gouvernement fédéral continuera de travailler avec les régimes publics d'assurance-médicaments provinciaux et territoriaux et l'APP afin de mieux harmoniser, collaborer et coordonner nos approches respectives pour aborder les questions de données probantes et de prix des MOMR.

II. CONTEXTE

1. Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP)

Établie en août 2010, l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) mène des négociations conjointes provinciales, territoriales et fédérales sur les régimes d'assurance-médicaments pour les médicaments de marque (brevetés) et les médicaments génériques au Canada. L'APP offre une meilleure valeur et une couverture nationale uniforme des médicaments pour les programmes de

médicaments financés par le secteur public et les patients grâce à l'utilisation du pouvoir de négociation combiné des administrations participantes.

Les administrations membres de l'APP comprennent les régimes publics d'assurance-médicaments et les organismes de lutte contre le cancer de la Colombie-Britannique, de l'Alberta, de la Saskatchewan, du Manitoba, de l'Ontario, du Québec, du Nouveau-Brunswick, de la Nouvelle-Écosse, de l'Île-du-Prince-Édouard, de Terre-Neuve-et-Labrador, du Yukon, des Territoires du Nord-Ouest, du Nunavut, des Services de santé non assurés (SSNA), du Service correctionnel du Canada (SCC) et d'Anciens Combattants Canada (ACC).

Le mandat de l'APP est d'améliorer l'accès des patients aux options de traitement médicamenteux pertinentes et rentables sur le plan clinique. Il remplit ce mandat en menant des négociations collectives et éclairées par des experts en matière de médicaments.

En date du 30 septembre 2018, ces efforts de collaboration entre les provinces et les territoires ont permis de conclure plus de 200 négociations conjointes sur les médicaments de marque et la réduction des prix de plus de 60 médicaments génériques. Les économies globales annualisées découlant des négociations sont estimées à 1,98 milliard de dollars. Les nombreux médicaments brevetés négociés comprennent à la fois les médicaments pour les maladies communes et les médicaments pour les maladies rares. En 2018 (en date du 26 novembre 2018), l'APP a terminé neuf négociations sur les MOMR.

2. Régimes publics d'assurance-médicaments

Les décisions finales concernant la couverture de chaque médicament relèvent de chaque régime public d'assurance-médicaments. Chaque régime public d'assurance-médicaments vise à offrir une couverture accessible, appropriée, abordable et contemporaine pour répondre aux besoins de tous les bénéficiaires qu'il dessert. Pour prendre des décisions sur l'assurance-médicaments, les régimes publics d'assurance-médicaments s'appuient sur des processus nationaux, y compris Santé Canada (programme de réglementation et d'accès spécial), les évaluations des technologies de la santé ou ETS (p. ex. Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMETS) pour toutes les provinces sauf le Québec, l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS pour le Québec), le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) et le travail de l'APP.

Chaque année, les régimes publics d'assurance-médicaments examinent de 55 à 75 nouveaux médicaments ou de nouvelles indications de médicaments pour déterminer s'ils peuvent être couverts (y compris les présentations de médicaments pour le cancer et les utilisations autres que le cancer). En plus de la demande de nouveaux médicaments, la plupart des régimes publics d'assurance-médicaments sont également responsables du financement d'autres demandes, comme les appareils médicaux, les fournitures médicales et les services de pharmacie. Les régimes publics d'assurance-médicaments s'efforcent d'offrir une assurance-médicaments moderne et adaptée aux besoins de leurs citoyens, tout en rendant des comptes au public, en utilisant les ressources limitées de façon judicieuse, fondée sur des données probantes, justes et rentables. Par conséquent, les payeurs publics doivent prendre de nombreuses décisions difficiles liées aux compromis et aux coûts

de renonciation; décider de financer un médicament en particulier signifie qu'un autre médicament, instrument ou service ne peut pas être financé.

3. Groupe de travail provincial ou territorial sur les médicaments onéreux pour les maladies rares (MOMR)

En 2014, les ministres provinciaux et territoriaux de la Santé ont créé le Groupe de travail sur les médicaments onéreux pour les maladies rares, une entité distincte de l'APP. Le groupe de travail représente toutes les administrations de compétence et le Québec à titre d'observateur. Le groupe de travail a pour mandat d'examiner et d'élaborer des stratégies visant à améliorer la gestion des pharmacothérapies contre les maladies rares au moyen d'approches fondées sur des données probantes. En tenant compte des défis importants que pose l'accès à des pharmacothérapies complexes et spécialisées, y compris celles utilisées pour traiter les maladies rares, le groupe de travail sur les MOMR a concentré ses efforts sur quatre domaines de base, soit les données probantes, l'établissement des prix, l'accès et la communication.

III. PRINCIPAUX DÉFIS AVEC LES MOMR

A. Fabricants de produits pharmaceutiques

Les régimes publics d'assurance-médicaments reconnaissent pleinement le rôle crucial et précieux que joue l'industrie pharmaceutique dans la découverte, la mise au point et la mise en marché de médicaments novateurs pour répondre de façon significative aux besoins cliniques non satisfaits. Cependant, ce faisant, les régimes publics d'assurance-médicaments individuels et collectifs, comme l'APP, s'attendent à ce que les fabricants de médicaments :

- fournissent des preuves suffisantes de l'innocuité et de l'efficacité de leurs produits médicamenteux pour appuyer les décisions relatives à la couverture;
- offrent des prix équitables, rentables et abordables;
- suivent les processus nationaux et provinciaux et territoriaux établis;
- utilisent leurs programmes de soutien aux patients et leurs programmes de recherche (y compris les essais cliniques) de façon responsable.

De nombreux fabricants satisfont aux exigences nécessaires pour leurs produits, car ils fournissent des preuves suffisantes des avantages cliniques et des prix abordables, en particulier pour les maladies courantes, où il existe habituellement des solutions de rechange concurrentes sur le marché. Toutefois, les fabricants des MOMR ne répondent pas à ces attentes, ce qui entraîne des défis importants pour les régimes publics d'assurance-médicaments et le système de soins de santé. Les défis décrits ne sont pas propres au Canada, mais ils existent à l'échelle mondiale et doivent être abordés à l'échelle internationale.

Témoignages

Les régimes publics d'assurance-médicaments sont responsables de l'utilisation appropriée des fonds publics. Les décisions relatives au financement des médicaments sont fondées sur des données probantes sur les avantages cliniques et l'établissement de prix équitables afin d'assurer l'optimisation des ressources et l'abordabilité du système. À cette fin, il est important de noter que les décisions relatives à la couverture des régimes publics d'assurance-médicaments tiennent compte à la fois des données probantes sur les avantages et les risques cliniques, l'établissement des prix et l'abordabilité, et non pas séparément.

Il est reconnu que, pour certaines maladies ultra-rares ou conditions très complexes, il peut être difficile d'utiliser les méthodes traditionnelles de conception d'études cliniques en raison du petit nombre de patients. Par conséquent, les avantages cliniques peuvent souvent être incertains. Malgré cela, les MOMR ont des prix très élevés et il y a peu d'incitatifs pour que les fabricants continuent d'évaluer ou de démontrer la valeur de leur médicament. En fin de compte, des prix élevés et des avantages cliniques imprécis remettent en question la viabilité du système de santé.

Pour ce qui est des données probantes, il y a certains médicaments pour les maladies rares dont l'efficacité ou l'innocuité ont été démontrées de façon adéquate pour appuyer une recommandation d'ETS assortie de conditions de remboursement. Les conditions de remboursement définissent ce que sont des patients admissibles au moyen de critères cliniques précis et nécessitent souvent aussi une réduction de prix substantielle. S'il y a une recommandation d'ETS à l'appui, l'APP négocie habituellement avec le fabricant du médicament dans le but de conclure une lettre d'intention nationale, qui décrit les principales modalités de l'entente conclue entre l'APP et le fabricant du médicament. La couverture des produits ou les accords d'inscription propres aux secteurs de compétence peuvent alors être conclus. Lorsque les données probantes sur les avantages cliniques ont été suffisantes, les administrations ont généralement réussi à fournir la thérapie comme avantage dans le cadre de leurs programmes.

Certains médicaments pour les maladies rares peuvent présenter des preuves peu claires ou peu concluantes des bienfaits ou des préjudices cliniques. Cela pourrait être attribuable à un ou plusieurs facteurs, comme un mauvais plan d'étude, un faible nombre de participants à l'étude, des types de patients très variables (hétérogénéité de la maladie), une portée limitée des patients étudiés (p. ex. selon l'âge ou le degré de gravité de la maladie), l'utilisation de mesures des résultats de substitution (p. ex. marqueurs de laboratoire) plutôt que des résultats plus significatifs sur le plan clinique (p. ex. hospitalisation), de courtes périodes d'étude, l'absence ou l'utilisation d'un groupe témoin non pertinent (comparateur), l'absence de données sur la qualité de vie, les résultats « positifs » fondés sur des analyses secondaires distinctes ou seulement chez un petit nombre de patients, etc. Lorsque des comités d'experts indépendants constatent que les données probantes sur les médicaments sont insuffisantes ou imprécises, la recommandation de l'ETS peut être « de ne pas rembourser » ou limitée à un groupe de patients très précis souvent aux prises avec une réduction importante des prix.

Il existe de nombreux médicaments pour les maladies rares qui ont fait l'objet d'études cliniques bien menées et qui ont donné des résultats clairs. Malheureusement, les études concluent parfois que le médicament n'offre pas un avantage cliniquement significatif dans la population étudiée, ce qui peut entraîner une recommandation négative d'ETS. Cela se produit également pour les médicaments mis au point pour des maladies courantes. Le niveau de rareté de la maladie traitée ne devrait pas supplanter la nécessité pour le fabricant de fournir des preuves suffisantes des bienfaits cliniques. Le fait que les payeurs financent des thérapies dont l'efficacité n'a pas fait ses preuves est une utilisation irresponsable des fonds publics compte tenu du grand nombre d'autres priorités concurrentes en matière de santé.

Certains pays d'Europe commencent à explorer l'utilisation des « ententes de contrôle de l'accès » pour gérer les MOMR. Bien que l'APP soit ouverte à l'examen de cette approche, il est encore trop tôt pour savoir si les ententes de contrôle de l'accès seront efficaces pour aborder les questions de données probantes et de prix, et cette approche nécessite une infrastructure et des coûts importants pour appuyer la collecte de données probantes dans le monde réel.

Prix élevés

Les prix élevés des médicaments pour les maladies rares établis par les fabricants de médicaments représentent la cause profonde qui sous-tend de nombreux autres défis liés aux médicaments pour les maladies rares. Les prix courants de ces médicaments vont maintenant de 0,1 million de dollars à 4,9 millions de dollars par personne et par année. Comme ces thérapies visent généralement les maladies chroniques, le traitement d'un patient pendant dix ans, par exemple, peut coûter de 1 à 49 millions de dollars aux payeurs. L'établissement des prix à ces niveaux dépasse de loin ce que les gens peuvent se permettre et dépasse de loin la prévision récente des dépenses annuelles en médicaments des Canadiens de 1 074 \$ par habitant <1>. Le nombre croissant de thérapies pour les maladies rares et l'investissement extrêmement élevé par patient remettront en question l'abordabilité et la viabilité des programmes publics d'assurance-médicaments et détourneront les possibilités d'investissement d'autres domaines importants des soins de santé.

L'Alliance appuie un rendement juste et raisonnable pour les fabricants afin de couvrir les coûts de recherche-développement (R-D) et de permettre le réinvestissement pour développer d'autres nouveaux produits. Les fabricants soutiennent régulièrement que ces prix élevés sont justifiés en raison du coût des investissements dans la mise au point de médicaments pour les maladies rares et du marché relativement petit. Cependant, bien que l'APP demande aux fabricants de justifier de façon transparente leurs prix extrêmement élevés, aucune justification transparente n'a été fournie jusqu'à maintenant. Bon nombre des médicaments les plus rentables au monde sont ceux qui ont été mis au point pour traiter des maladies rares, le médicament le plus vendu aux États-Unis étant un médicament orphelin. Une étude menée en 2016 a révélé que les médicaments orphelins sont cinq fois plus rentables que les médicaments non-orphelins <2>. Une publication récente dans JAMA Internal Medicine a révélé que le coût de R-D pour dix médicaments contre le cancer et les maladies rares (orphelins) était de 7,2 milliards de dollars et que les revenus sur quatre ans étaient de 67 milliards de dollars <3>. Les prix extrêmes et la rentabilité démontrée sans justification

transparente laissent aux payeurs et au public la conclusion que les prix sont établis principalement en fonction d'objectifs de maximisation des bénéfices plutôt que de reprise de la R-D.

De nombreux intervenants mentionnent qu'il y a plus de 7 000 maladies rares et qu'un Canadien sur 12 est touché par une maladie rare, bien que seulement 5 % de ces maladies aient un traitement <4>. Bien que la croissance des traitements puisse se traduire par des gains en santé grandement nécessaires, la filière des MOMR devrait croître considérablement. Compte tenu de cette croissance, l'argument selon lequel les MOMR devraient tous être financés parce qu'ils ne représentent qu'une « petite partie du budget global » n'est plus valable. Les MOMR, collectivement, représentent une part croissante des dépenses gouvernementales pour un nombre disproportionnellement faible de patients. De plus, cet argument ne tient pas compte du fait que le prix de ces médicaments n'est pas établi de façon rentable, ce qui entraîne des coûts de renonciation importants si l'on ne finance pas d'autres thérapies efficaces pour des maladies plus courantes.

Les modèles actuels de tarification et d'affaires de l'industrie ne sont pas harmonisés avec les attentes des payeurs en matière d'optimisation des ressources, de qualité des données probantes et de rentabilité. Bien que l'APP ait mené à bien de nombreuses négociations avec les fabricants de médicaments et que les administrations couvrent de nombreux médicaments pour les maladies rares, cela ne devrait pas être considéré comme une indication que l'APP a été en mesure de répondre adéquatement aux préoccupations relatives aux prix. L'APP négocie souvent dans des circonstances très difficiles, à commencer par un prix de liste extrêmement élevé, une maladie grave non traitée, aucun produit concurrent et des attentes élevées des patients et des fournisseurs de soins pour conclure rapidement les négociations. Par conséquent, l'APP demeure très préoccupée par le fait que les prix obtenus par la négociation demeurent largement injustes, excessifs et non rentables et que l'Alliance a besoin d'un soutien fédéral concerté pour gérer.

En raison des défis que pose l'APP en matière de prix et des limites qu'elle a dû surmonter au moyen d'une approche axée sur la négociation, l'Alliance appuie fermement une approche législative par l'entremise du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB). L'APP reconnaît que les changements proposés à la modernisation du CEPMB constituent une approche raisonnable, équilibrée et nécessaire pour protéger tous les Canadiens et tous les payeurs contre les fabricants qui ont des prix excessifs. Les changements proposés constituent une étape importante vers l'équité, non seulement pour conformer davantage les prix canadiens sur les prix de comparaison internationaux, mais aussi en introduisant de nouveaux tests de prix fondés sur l'optimisation des ressources (rentabilité) et l'abordabilité du système de santé (p. ex. les tests fondés sur le produit intérieur brut). L'utilisation d'une approche axée sur l'optimisation des ressources est nécessaire comme approche plus objective pour évaluer les avantages comparatifs pour la santé d'un médicament en particulier, fondée sur des données probantes, plutôt que de se fier uniquement au test international de référence des prix des médicaments qui est établi arbitrairement par les fabricants de médicaments en fonction des objectifs de maximisation des bénéfices.

Le gouvernement fédéral, qui régleme l'établissement des prix des médicaments par l'entremise du CEPMB et qui accorde en même temps une autorisation de mise sur le marché pour les mêmes

produits, devrait mettre en œuvre de façon responsable les rajustements réglementaires nécessaires pour protéger les consommateurs contre les prix injustes et excessifs du marché pratiqués par l'industrie pharmaceutique. Si les préoccupations relatives aux prix excessifs ne sont pas prises en compte, tous les gouvernements fédéral, provinciaux et territoriaux auront continuellement de la difficulté à prendre des décisions difficiles en matière de financement des patients et devront faire des compromis entre les coûts de renonciation extrêmes et d'autres priorités en matière de santé, y compris les nouveaux médicaments novateurs.

Processus nationaux et provinciaux et territoriaux

Le Programme d'accès spécial (PAS) de Santé Canada offre aux patients une importante voie d'accès aux médicaments (y compris les médicaments pour les maladies rares) qui n'ont pas été examinés ou approuvés par Santé Canada. Ce processus est censé être un processus de dernier recours lorsque d'autres options ne sont pas disponibles, et le processus suppose que les médicaments sûrs et efficaces disponibles à l'extérieur du Canada seront soumis à l'examen de Santé Canada en temps opportun. Cependant, certains fabricants ne soumettent pas leurs médicaments du PAS à l'examen des autorisations de mise en marché de Santé Canada. Par conséquent, ces médicaments SAP contournent les processus conventionnels des évaluations ETS et des négociations de l'APP. Parfois, les médicaments du SAP ou les médicaments concurrents du SAP sont soumis à l'examen et à l'approbation de Santé Canada. Malheureusement, il y a de nombreux cas où le nouveau produit introduit entraîne un coût des médicaments beaucoup plus élevé que le médicament SAP précédent ou le médicament de comparaison.

Un autre défi est que, pour les nouveaux produits médicamenteux (ou les nouvelles indications pour les produits médicamenteux existants) qui reçoivent un Avis de conformité (AC) de Santé Canada, certaines entreprises ne présentent pas régulièrement de demandes aux organismes nationaux d'ETS. Sans présentation à l'ETS, les régimes publics d'assurance-médicaments ne peuvent pas examiner adéquatement les décisions relatives à la couverture des médicaments. Dans d'autres cas, Santé Canada émettra un Avis de conformité avec conditions (AC-C) pour les indications dont les données sont limitées, mais dont les conséquences sont limitées pour les entreprises qui ne respectent pas leurs conditions. Certaines conditions, comme la nécessité de recueillir davantage de preuves, peuvent être laissées sans réponse pendant de longues périodes, l'ETS et les payeurs, à qui l'on demande de financer toute l'indication, étant incapables d'évaluer l'efficacité du médicament lorsque les données sont manquantes ou limitées.

Programmes d'essais cliniques et de soutien aux patients (accès pour raisons familiales)

On craint de plus en plus que certains fabricants utilisent de plus en plus leurs programmes d'essais cliniques et d'accès « compatissant » aux médicaments comme mécanisme pour influencer les processus décisionnels ou pour tirer parti de l'assurance-médicaments publique. Les patients qui acceptent de participer à un programme d'essai clinique se voient habituellement fournir gratuitement des médicaments. Toutefois, lorsque l'étude prend fin, l'approvisionnement continu en médicaments varie. De même, grâce à des programmes d'accès aux médicaments « de compassion »

des fabricants, les patients peuvent bénéficier d'une couverture gratuite (ou d'une aide financière) pour les médicaments. L'APP a connu de nombreuses situations où les fabricants menacent de mettre fin à l'approvisionnement « compatissant » de médicaments aux patients afin de tirer parti de leur position de négociation. C'est très préoccupant pour l'APP, car cette pratique crée des problèmes importants pour les patients qui reçoivent le médicament et les fournisseurs de soins du patient. Bien que ces programmes d'accès comportent de nombreux avantages, les fabricants qui commencent à fournir des médicaments à ces patients devraient agir de façon responsable pour respecter leurs engagements de soutenir les patients et non d'utiliser à mauvais escient les programmes à des fins d'accès au marché.

B. Processus nationaux et provinciaux

Il existe actuellement plusieurs cadres distincts d'examen et de processus décisionnel fédéraux, nationaux, provinciaux, territoriaux ou régionaux axés sur la gestion des produits pharmaceutiques au Canada pour le public. Chacun a son propre mandat, ses propres buts, objectifs, processus, budgets, responsabilités, etc. Au cours des cinq à dix dernières années, grâce à une collaboration accrue à l'échelle nationale et interprovinciale dans le cadre d'initiatives comme celles de l'ACMTS et de l'APP, toutes les entités publiques reconnaissent maintenant davantage qu'il existe d'importantes possibilités d'améliorer encore plus l'harmonisation et la collaboration sur diverses questions pharmaceutiques d'intérêt national.

Écart entre l'examen réglementaire et l'examen du financement public

Un défi important non résolu a trait aux différences entre les mandats et les considérations relatives à la prise de décisions entre le processus d'autorisation de mise en marché de Santé Canada et le processus décisionnel fondé sur l'ETS et l'APP des régimes publics d'assurance-médicaments.

Le processus d'examen des autorisations de mise en marché de Santé Canada est axé sur l'innocuité des médicaments (avantage par rapport au risque), l'efficacité (a-t-il un effet clinique) et la qualité de fabrication. L'examen de Santé Canada est également centré sur le médicament en question sans qu'il soit nécessaire de démontrer une valeur comparative par rapport aux autres médicaments ou traitements disponibles.

Les régimes publics d'assurance-médicaments tiennent compte de l'efficacité et de l'innocuité des médicaments, mais comprennent des considérations liées aux coûts (p. ex. l'incidence sur le budget, la rentabilité, les coûts de renonciation et l'abordabilité). De plus, les régimes publics d'assurance-médicaments, avec l'appui de l'ETS et de comités d'experts indépendants, déterminent avec le plus de précision possible où le médicament correspond à d'autres options (efficacité comparative), quels sont les résultats cliniques précis auxquels on s'attend (avec la préférence pour des paramètres plus significatifs sur le plan clinique comme la morbidité et la mortalité plutôt que des paramètres substitués comme les mesures de laboratoire), ainsi que les circonstances particulières du patient et les circonstances cliniques lorsque le médicament donne les meilleurs résultats.

Par conséquent, il y a habituellement des différences importantes entre les éléments de preuve nécessaires pour que Santé Canada accorde une autorisation de mise en marché comparativement au niveau de preuve que l'ETS et les régimes publics d'assurance-médicaments doivent financer. Une tension énorme se crée dans notre système de soins de santé lorsque des médicaments dont les coûts sont très élevés obtiennent de vastes autorisations du marché, mais que les recommandations de l'ETS sont négatives ou ne soutiennent qu'un sous-groupe de patients dont les besoins ne sont pas satisfaits et que les coûts des médicaments sont extrêmes. Le besoin de données probantes adéquates par les régimes d'assurance-médicaments est encore plus désavantagé puisque les fabricants de médicaments élaborent principalement le programme de recherche et de développement en études cliniques de leurs médicaments pour répondre aux besoins des organismes de réglementation des autorisations de mise en marché (comme la FDA) plutôt que les besoins des payeurs ou des cliniciens de médicaments. Les organismes canadiens et internationaux d'ETS offrent des programmes et des conseils aux fabricants pour les aider à planifier des essais cliniques qui peuvent répondre aux besoins de tous les intervenants. Les fabricants de médicaments devraient concevoir leurs programmes d'études cliniques pour répondre aux besoins des organismes de réglementation, des bailleurs de fonds, des cliniciens et, en fin de compte, des patients.

Coordination et communication des organismes publics

Afin de mieux gérer les défis associés aux MOMR au Canada, les principaux organismes publics devraient mieux harmoniser leurs mandats et leurs processus tout en améliorant la coordination, dans la mesure du possible. Cela comprend les organismes publics comme Santé Canada, les organismes de l'ETS (ACMTS/INESSS), le CEPMB et les régimes publics d'assurance-médicaments. Il n'y a pas non plus suffisamment d'information publique objective sur les défis entourant les MOMR.

IV. Il n'y a pas non plus suffisamment d'information publique objective sur les défis entourant les MOMR.

Pour relever certains des défis mentionnés ci-dessus, le groupe de travail sur les MOMR a élaboré une proposition pour un processus supplémentaire pour les médicaments complexes ou spécialisés qui s'appuie sur les processus actuels d'examen des médicaments nationaux et juridiques.

Le principal objectif de la proposition est de mettre en œuvre un processus proactif, uniforme, équitable et transparent pour évaluer les médicaments complexes et spécialisés afin de prendre des décisions de financement adaptées.

La proposition comprend des modifications au processus actuel d'examen national, y compris une meilleure harmonisation, une meilleure coordination et une priorisation accrue pour identifier plus tôt les médicaments complexes pour les processus supplémentaires, une meilleure utilisation des données probantes réelles pour éclairer les évaluations réglementaires et les décisions de financement, et la mise en œuvre de groupes d'experts centralisés pour la prise de décisions de mise en œuvre uniforme, le cas échéant.

Le groupe de travail sur les MOMR consulte actuellement un vaste groupe d'intervenants pour recueillir des commentaires afin d'éclairer et de peaufiner la proposition. Les intervenants comprennent les partenaires du système de santé (p. ex. Santé Canada, l'ACMTS et le CEPMB), les chercheurs, les cliniciens, les groupes de patients, l'industrie pharmaceutique et les assureurs privés. Une fois que les résultats de la consultation auront été recueillis et pris en considération, d'autres orientations sur les changements possibles sont attendues au printemps ou à l'été 2019.

V. RÉSUMÉ ET PRINCIPALES RECOMMANDATIONS

Les régimes publics d'assurance-médicaments, collectivement en tant qu'APP et individuellement en tant qu'administrations, ont le rôle et la responsabilité d'appuyer le public en prenant des décisions appropriées en matière de financement public des médicaments qui sont fondées sur des données probantes, rentables, abordables et durables.

Dans le cas des médicaments pour les maladies rares, les régimes publics d'assurance-médicaments au Canada et ailleurs dans le monde font face à plusieurs défis importants. Les régimes publics d'assurance-médicaments s'attendent à ce que les fabricants de médicaments suivent les processus nationaux, provinciaux et territoriaux établis, qu'ils fournissent des données probantes adéquates sur l'innocuité et l'efficacité de leurs produits médicamenteux pour appuyer les décisions relatives à la couverture, qu'ils offrent des prix équitables, rentables et abordables et qu'ils utilisent leurs programmes de recherche (essais cliniques) et de soutien aux patients de façon responsable.

Les prix extrêmement élevés établis par les fabricants sont une des principales causes des nombreux défis auxquels font face les payeurs de médicaments pour les maladies rares et continueront de remettre en question la viabilité des programmes de médicaments. En plus d'appuyer les efforts de modernisation du CEPMB, le problème des prix et des données probantes cerné doit être résolu de concert avec l'industrie et il devrait y avoir une meilleure harmonisation et collaboration entre les principaux partenaires et intervenants du secteur de la santé.

Pour surmonter certains des obstacles et défis liés aux médicaments onéreux pour maladies rares, l'APP et les régimes publics d'assurance-médicaments demandent le soutien suivant au gouvernement fédéral :

1. Le gouvernement fédéral devrait financer les médicaments pour les maladies rares, soit par l'entremise de son examen récent et continu d'une approche nationale d'assurance-médicaments, soit par l'entremise d'un autre mécanisme national.
2. Le gouvernement fédéral doit mieux protéger les Canadiens contre les prix excessifs des médicaments non seulement en mettant en œuvre les changements proposés par le CEPMB en matière de modernisation au moyen de nouveaux tests d'établissement des prix, mais aussi en envisageant des collaborations avec d'autres gouvernements internationaux pour s'attaquer conjointement à ce problème mondial croissant.
3. Le gouvernement fédéral devrait continuer de travailler avec les régimes publics d'assurance-médicaments des provinces et des territoires et l'APP afin de mieux harmoniser, collaborer et coordonner nos structures et politiques respectives dans la mesure du possible pour

améliorer la gestion des médicaments pour les maladies rares. Cela comprend la collaboration avec l'industrie et d'autres intervenants pour régler les problèmes de données probantes et d'établissement des prix, l'établissement d'un mécanisme coordonné de sélection et d'établissement des priorités afin de déterminer à l'échelle nationale les médicaments complexes qui pourraient nécessiter un soutien supplémentaire, et la prestation d'un soutien pour élargir la capacité de recherche et d'évaluation des données probantes réelles pour ces médicaments.

Références

1. Canadian Institute for Health Information, Cih.ca, 2018 (cité le 7 décembre 2018), <https://www.cih.ca/sites/default/files/document/nhex2017-drug-infosheet-1-en.pdf>.
2. D. Hughes et J. Poletti-Hughes, « Profitability and Market Value of Orphan Drug Companies: A Retrospective, Propensity-Matched Case-Control Study », *PLOS ONE*, 2016, vol. 10, n° 11, e0164681.
3. V. Prasad et S. Mailankody, « Research and Development Spending to Bring a Single Cancer Drug to Market and Revenues After Approval », *JAMA Internal Medicine*, 2017, vol. 11, n° 177, p. 1569.
4. Canadian Organization for Rare Disorders, *About CORD*, Raredisorders.ca, 2018 (cité le 7 décembre 2018), <https://www.raredisorders.ca/about-cord/>.