

Minister of Health



Ministre de la Santé

Ottawa, Canada K1A 0K9

Bill Casey, député
Président
Comité permanent de la santé
Chambre des communes
Ottawa (Ontario) K1A 0A6

Monsieur,

Conformément à l'article 109 du Règlement de la Chambre des communes, je suis heureuse de répondre au nom du gouvernement du Canada (le gouvernement) au 22^e rapport du Comité permanent sur la santé (le Comité) intitulé « *Améliorer l'accès aux traitements pour les Canadiens atteints de maladies et de troubles rares* » qui a été déposé le 28 février 2019.

Je tiens à remercier le Comité pour son étude et ses travaux minutieux pour aider à améliorer l'accès à des traitements pour les Canadiens atteints de maladies et de troubles rares. Je félicite les membres du Comité et les nombreux témoins qui ont fourni des suggestions pour orienter le rapport important du Comité et qui ont contribué au dialogue permanent dans ce domaine.

Le rapport du Comité reconnaît que les Canadiens vivant avec des maladies et des troubles rares se heurtent souvent à des obstacles pour accéder aux traitements pour leur maladie. Ces obstacles comprennent le manque d'accès rapide à des traitements ainsi que des obstacles financiers en raison du coût élevé du traitement. De plus, les Canadiens vivant avec des maladies et des troubles rares ont souvent peu de possibilités de traitement, ce qui entraîne des répercussions disproportionnées de ces troubles et maladies sur les personnes touchées en termes d'années de vie perdues par rapport à d'autres conditions.

Même dans les situations où les traitements pour les maladies et les troubles rares sont disponibles, les données probantes de leur valeur thérapeutique sont habituellement limitées en raison du petit nombre de patients admissibles à la participation aux études cliniques effectuées pour appuyer une autorisation de commercialisation du produit. Des données probantes limitées signifient souvent qu'il n'est possible d'établir la valeur thérapeutique de départ d'un nouveau traitement que pour un sous-ensemble de patients atteints de la maladie. Cela souligne l'importance de produire des données probantes du monde réel à la suite de l'autorisation de commercialisation pour compléter les données des essais cliniques afin que la valeur thérapeutique d'un nouveau traitement soit plus pleinement établie et aide à orienter les décisions sur la question de savoir si l'élargissement ou la poursuite du remboursement est justifié. Même

.../2

si certains nouveaux traitements pour les maladies rares tiennent leur promesse initiale, malheureusement, bon nombre d'autres ne le font pas.

Le Comité a demandé au gouvernement, qui collabore avec les gouvernements provinciaux et territoriaux (PT), d'aborder ces obstacles au traitement au moyen de 19 recommandations du rapport regroupant quatre thèmes : l'autorisation de commercialisation de Santé Canada des médicaments pour les maladies rares, le prix des médicaments, le remboursement des médicaments pour les maladies rares et la recherche sur le diagnostic de maladies rares, y compris le recours à des données probantes du monde réel.

Depuis 2016, le gouvernement a fait d'importants progrès pour améliorer l'abordabilité, l'accessibilité et l'utilisation appropriée des médicaments d'ordonnance au Canada, y compris ceux qui sont utilisés pour traiter les maladies rares. Les investissements du *budget de 2017* ont été essentiels pour améliorer la coordination et l'efficacité dans l'ensemble du système de gestion des produits pharmaceutiques.

Dans le *budget de 2018*, le gouvernement a annoncé la création d'un conseil consultatif (le Conseil) sur la mise en œuvre d'un régime d'assurance-médicaments national. Dans son rapport provisoire, publié le 6 mars 2019, le Conseil a reconnu les défis uniques de financement et d'accès aux médicaments onéreux pour les maladies rares, et qu'une étude particulière est nécessaire pour déterminer la façon de relever ces défis afin d'assurer une approche nationale uniforme pour ces médicaments.

Ces travaux correspondent aux recommandations formulées par le Comité dans son rapport et témoignent de l'engagement continu du gouvernement à surmonter les obstacles liés aux médicaments onéreux pour les maladies et les troubles rares. Les initiatives annoncées dans le *budget de 2019*, y compris une stratégie nationale pour les coûts élevés des médicaments pour les maladies rares, devraient s'appuyer sur ces initiatives gouvernementales existantes.

Autorisations de Santé Canada pour la mise en marché de médicaments destinés au traitement des maladies rares (recommandations 1 à 10)

Dans son rapport, le Comité a formulé dix recommandations concernant les obstacles à l'accès aux médicaments contre les maladies rares. Les recommandations font état des obstacles touchant le processus d'autorisation de mise sur le marché de Santé Canada ainsi que d'autres processus, dont celui du Programme d'accès spécial (PAS). Les initiatives du gouvernement en réponse à ces recommandations sont déjà en cours et ont donné lieu à une amélioration de la coordination et de l'harmonisation entre Santé Canada et les autres partenaires du système de santé de manière à soutenir un accès plus rapide des Canadiens à des médicaments contre les maladies rares.

Une fois qu'un fabricant décide de demander l'autorisation de mise en marché d'un médicament au Canada, il produit une présentation de nouveau médicament à Santé Canada contenant des renseignements et des données au sujet de l'innocuité, de l'efficacité et de la qualité de ce médicament. Comme ces présentations comprennent des renseignements sur les résultats des études précliniques et cliniques ainsi que sur les allégations thérapeutiques et les effets secondaires, la taille restreinte des populations de patients atteints d'une maladie ou d'un trouble rare signifie que les données probantes disponibles sont souvent plus limitées que celles de présentations pour le traitement d'une affection courante. Santé Canada procède à une révision scientifique exhaustive des renseignements présentés, parfois en faisant appel à des consultants externes et à des comités consultatifs ainsi qu'à une analyse des données sur l'innocuité, l'efficacité et la qualité afin d'établir les bienfaits possibles et les risques du médicament.

Examen réglementaire amélioré

Dans le cadre des investissements prévus au *Budget de 2017*, Santé Canada a mené à bien son initiative d'examen réglementaire des médicaments et des instruments médicaux afin de moderniser la façon dont l'autorisation de mise en marché est accordée pour les médicaments nouveaux, y compris ceux administrés contre des maladies et des troubles rares, afin de favoriser un accès en temps utile aux médicaments d'ordonnance et de mieux répondre aux besoins du réseau de la santé et des Canadiens.

En raison de leur nature, nombreux sont les médicaments destinés au traitement de maladies rares qui sont admissibles à un examen en passant par des voies expéditives. Par exemple, la délivrance d'un avis de conformité sous réserve de conditions permet l'approbation réglementaire d'un médicament nouveau lorsque les données probantes de son efficacité sont prometteuses, mais ne sont pas exhaustives. Cela permet aux Canadiens d'avoir accès à des thérapies novatrices qui font preuve de grandes promesses tout en veillant à la sécurité des Canadiens. Suite à ceci, les fabricants pharmaceutiques acceptent d'entreprendre des études et déclarer les résultats à Santé Canada. Par ailleurs, l'évaluation prioritaire est également une voie dont on peut déjà se prévaloir pour accélérer l'examen réglementaire d'un médicament destiné au traitement d'une maladie jugée grave, mortelle ou particulièrement débilitante. Dans le cadre de cet examen réglementaire, des voies nouvelles et élargies d'examen sont également envisagées pour permettre un accès plus rapide aux médicaments d'ordonnance et satisfaire ainsi aux besoins exprimés par le réseau de la santé.

Une meilleure coordination grâce à l'harmonisation et à la collaboration

Depuis juin 2018, Santé Canada accorde aux fabricants de produits pharmaceutiques qui transmettent des présentations de médicaments admissibles la possibilité de participer à un processus harmonisé d'examen réglementaire d'évaluation des technologies de la santé (ETS). Ce processus d'examen harmonisé s'impose à la recommandation 4 du rapport du Comité et permet à l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) et à

L'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) de faire des examens plus tôt et facilite un plus grand partage de l'information entre les parties. Depuis que ce processus a été mis en place en 2018, le nombre des présentations de médicaments faisant l'objet d'un examen harmonisé ne cesse d'augmenter. En date de mars 2019, 19 examens harmonisés avaient été menés à terme et 9 autres sont en cours d'exécution, ce qui laisse supposer un intérêt considérable de l'industrie pharmaceutique à l'endroit de ce nouveau processus.

En plus d'appuyer des processus d'examen réglementaire plus harmonisés, les efforts qui répondent à la recommandation 5 du rapport du Comité sont actuellement investis pour émettre des avis plus coordonnés tôt dans le développement d'un produit et tout au long de son cycle de vie. Lancé en février 2019, cette initiative est l'appui de Santé Canada et de l'Agence, avec INESSS participer à titre d'observateurs, à émettre conjointement des avis à l'intention de l'industrie pharmaceutique sur les plans de développement de médicaments afin de s'assurer qu'ils satisfont aux obligations de la réglementation et des processus d'ETS des deux organisations. Santé Canada peut également donner des conseils au sujet d'une stratégie de conception des essais et de production de demandes d'essais cliniques, ce qui comprend la présentation de données provisoires sur l'innocuité afin d'éviter de devoir interrompre un traitement dans le cas de patients qui passent à un essai avec étiquetage en clair, tel qu'imposé à la recommandation 6 du rapport du Comité. Étant donné les difficultés qui découlent du nombre limité de données probantes associées aux médicaments destinés au traitement de maladies et de troubles rares, la prestation coordonnée de conseils à caractère scientifique contribuera à améliorer l'efficacité pour toutes les parties en cause en écourtant possiblement les délais et en soutenant un accès plus rapide à ces médicaments d'ordonnance pour les Canadiens.

Les investissements annoncés dans le *Budget de 2017* permettent également à l'ACMTS d'effectuer des évaluations plus exhaustives en explorant les possibilités de mettre à profit les données probantes du monde réel pour compléter les données cliniques limitées, comme dans le cas des médicaments pour les maladies rares. Grâce aux données probantes du monde réel, les processus d'examen des ETS seront mieux outillés pour évaluer la valeur thérapeutique de ces traitements et pour éclairer à la fois les décisions cliniques et les décisions de remboursement. Les contributions du gouvernement fédéral à l'ACMTS sont évaluées à l'aune des politiques en vigueur afin de s'assurer qu'elles sont à la hauteur de l'objectif fixé. Santé Canada travaille également en collaboration avec des partenaires afin d'optimiser l'application de données probantes du monde réel aux fins de décisions réglementaires. Un avis a été affiché sur le site Web de Santé Canada le 16 avril 2019 invitant les partenaires de l'industrie à présenter des données probantes du monde réel de qualité, particulièrement dans les domaines où les essais cliniques peuvent s'avérer irréalisables, comme celui des maladies rares.

Plus de transparence et de partage de l'information

Une nouvelle réglementation a été mise en place pour mettre à la disposition de la population générale les données cliniques sur l'innocuité et l'efficacité des médicaments et des instruments

médicaux, y compris celles concernant les maladies rares. En mars 2019, Santé Canada affiche l'information clinique pour les présentations de médicaments dès que l'examen de chaque présentation prend fin. Par ailleurs, Santé Canada rendra disponible, sur demande, l'information clinique sur les médicaments déjà sur le marché.

Renouvellement du Programme d'accès spécial

Le PAS de Santé Canada est également en voie d'être renouvelé de sorte à améliorer ses processus. Ce travail s'harmonise avec les recommandations 8 et 9 du rapport du Comité. Les améliorations contribuent à l'efficacité d'un programme à l'intention des professionnels de la santé, y compris une nouvelle application Web pour le PAS actuellement en développement qui aidera à alléger le processus de demandes d'autorisation d'un médicament, à assurer une plus grande clarté au sujet de l'information à consigner à la demande et à simplifier le processus de demande. Compte tenu du fait que les médicaments demandés dans le cadre du PAS n'ont pas reçu l'autorisation de mise en marché au Canada, les responsables du PAS doivent s'en remettre à leur pouvoir discrétionnaire au moment d'analyser une demande selon son mérite. Le responsable du PAS examine la faisabilité d'une autorisation d'approvisionnement pour une période plus longue, conformément au plan de suivi du médecin, dans le cas de médicaments comme ceux administrés pour des maladies chroniques, y compris celles qui sont considérées comme rares.

Dans le cadre de son examen réglementaire et d'autres initiatives connexes, le gouvernement a réussi à améliorer la coordination et l'harmonisation entre Santé Canada et d'autres partenaires du réseau de la santé. Cela bénéficiera directement aux Canadiens en assurant un accès plus rapide aux médicaments d'ordonnance, y compris ceux qui sont utilisés pour traiter des maladies rares.

Prix des médicaments (recommandations 11 à 15)

Au cours de son étude, le Comité a entendu des témoignages sur la nécessité de régler la question du prix élevé de médicaments qui visent à traiter des maladies rares et a formulé cinq recommandations portant sur ce thème. Le prix des médicaments pour les maladies et les troubles rares (la liste de prix de ces médicaments dépasse souvent les 100 000 dollars annuellement par patient, voire beaucoup plus encore) pose un obstacle important à l'accès, tout en menaçant la durabilité globale du système de soins de santé. Étant donné l'ordre de grandeur de ces prix, les coûts élevés des médicaments pour les maladies rares sont généralement remboursés par les régimes publics et privés d'assurance-médicaments, plutôt que d'être à la charge des seuls patients. Cela étant dit, pour certains concitoyens, la formule de partage des coûts entre patient et administrateur de régime d'assurance-médicaments aux termes de clauses de franchise et de quote-part peut entraîner d'imposantes pressions financières. Le gouvernement met l'accent sur l'offre de médicaments d'ordonnance à prix abordables, y compris de médicaments prescrits pour traiter les maladies rares, comme la pierre angulaire de son programme en matière de médicaments.

Comme le reconnaît le Comité dans son rapport, le cadre réglementaire actuel du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) est désuet et ne suffit pas à prémunir les Canadiens contre les prix trop élevés des médicaments. Par conséquent, les prix des médicaments des pays de l'Organisation de coopération et de développement économiques sont d'environ 19 % en dessous des prix au Canada, ce qui représente le troisième pourcentage le plus élevé parmi 31 pays. Ce n'est pas rien étant donné les prix élevés des médicaments pour les maladies rares et un marché pour les médicaments brevetés où les médicaments à coût élevé représentent plus de 40 % des dépenses pour des médicaments brevetés au Canada.

Les investissements du *budget de 2017* permettent au CEPMB de mettre en œuvre un cadre de réglementation moderne visant à mieux protéger les consommateurs canadiens contre les prix excessifs des médicaments brevetés y compris ceux qui sont utilisés pour traiter les maladies rares. Le nouveau cadre réglementaire, publiées préalablement dans la partie 1 de la Gazette du Canada, accordera au CEPMB de nouveaux facteurs de réglementation des prix axés sur l'économie, ce qui lui permettra de réguler le prix des médicaments brevetés en fonction de la valeur du médicament et de son incidence sur le réseau de la santé. Il permettra également au Conseil consultatif de prendre en considération le nombre des Canadiens à qui le médicament sera administré, ce qui sera particulièrement pertinent dans le cas de médicaments à coût élevé pour traiter des maladies rares. Les modifications proposées permettraient d'économiser environ 13,2 milliards de dollars en médicaments brevetés sur une période de dix ans. Des prix plus bas allégeraient les pressions financières sur les régimes publics et privés d'assurance-médicaments et amélioreraient l'accès des Canadiens aux médicaments qu'ils paient de leur poche.

Conscient de l'importance d'améliorer le caractère abordable des médicaments d'ordonnance en abaissant leur prix, depuis janvier 2016, le gouvernement du Canada agit en partenariat avec les provinces et les territoires en qualité de membre de plein droit de l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP). L'APP a pour vocation de mettre en commun le pouvoir d'achat de chacun des gouvernements pour négocier de meilleurs prix pour les médicaments d'ordonnance. Au 30 septembre 2018, l'APP avait réalisé des économies annuelles d'environ 1,98 milliard de dollars au bénéfice des régimes publics d'assurance-médicaments et au 26 novembre 2018, il avait conclu neuf négociations pour des médicaments pour des maladies rares. La mise en commun des pouvoirs de négociation des gouvernements fédéral, provinciaux et territoriaux a permis de réaliser des économies plus importantes pour tous les programmes de remboursement des médicaments financés par l'État, un accès accru à des options de traitements au moyen de médicaments cliniquement efficaces et une uniformité accrue des critères de détermination des prix et de couverture partout au Canada, y compris dans le cas des médicaments pour les maladies rares.

***Remboursement des médicaments destinés au traitement des maladies rares
(recommandations 16 à 18)***

Au cours de son étude, le Comité a entendu des témoignages au sujet des obstacles à l'accès à

des traitements liés au remboursement, y compris des problèmes de couverture inéquitable et les difficultés qu'éprouvent les régimes d'assurance-médicaments des provinces et des territoires dans la prise des décisions concernant le remboursement de médicaments pour les maladies rares. Soulignant ses trois recommandations sur ce thème, le Comité s'est prononcé sur la nécessité de mettre au point des options à court et à long terme de prise en charge des coûts de médicaments destinés au traitement des maladies rares.

Conseil consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance-médicaments

Dans le *Budget de 2018*, le gouvernement a annoncé la création du Conseil consultatif pour évaluer les options et émettre des avis indépendants à la ministre de la Santé et au ministre des Finances sur la meilleure façon de mettre en œuvre un régime national d'assurance-médicaments de manière que ce soit abordable pour les citoyens, les entreprises et les gouvernements.

Le rapport provisoire du Conseil consultatif a été publié le 6 mars 2019 et comprenait des principes directeurs et trois éléments fondateurs (« assemblage par blocs » essentiel à un programme national d'assurance-médicaments). Ces éléments sont comme suit : la création d'une agence canadienne des médicaments, l'élaboration d'une liste exhaustive de médicaments sur ordonnance fondée sur des données probantes et la réalisation d'investissements dans la collecte de données sur les médicaments et les systèmes de technologie de l'information. Le Conseil consultatif est conscient de l'ampleur des difficultés inhérentes au financement et à l'accès à des médicaments pour les maladies rares en raison de leur coût et est d'avis qu'il faudra déterminer la façon d'aplanir ces difficultés pour s'assurer d'une stratégie nationale uniforme portant spécifiquement sur ces médicaments.

Le gouvernement s'engage à s'assurer que tous les Canadiens aient accès à des médicaments abordables, et attend avec enthousiasme le rapport final du Conseil consultatif ce printemps.

Budget de 2019 : Les prochaines étapes de la mise en œuvre d'un régime national d'assurance-médicaments

S'inspirant des consultations et du rapport provisoire du Conseil consultatif, le *budget de 2019* annonce l'intention du gouvernement d'aller de l'avant avec les trois éléments fondateurs du régime national d'assurance-médicaments dans la foulée des recommandations du Comité :

- La création de l'Agence canadienne des médicaments, une nouvelle agence nationale des médicaments qui mettrait à profit les réussites des provinces et des territoires et adopterait une approche coordonnée dans le but d'évaluer l'efficacité des médicaments d'ordonnance et d'en négocier le prix pour le compte des Canadiens. La négociation de meilleurs prix pour les médicaments d'ordonnance pourrait réduire le coût des médicaments payés par les Canadiens d'un montant pouvant atteindre 3 milliards de dollars par année;

- En partenariat avec les PT et les intervenants, une partie du travail de l'Agence sera de prendre des mesures en vue d'élaborer un formulaire national, soit une liste exhaustive de médicaments d'ordonnance. Cela permettrait le fondement d'une approche uniforme en matière d'inscription au formulaire et d'accès des patients partout au pays.
- une Stratégie nationale pour les médicaments coûteux pour le traitement des maladies rares afin d'aider les Canadiens à mieux avoir accès aux traitements efficaces dont ils ont besoin. Il s'agit d'une première étape importante pour élargir la couverture des médicaments au moyen d'un soutien fédéral.

Afin d'aider les Canadiens atteints d'une maladie rare à accéder aux médicaments dont ils ont besoin, le gouvernement propose, dans le *Budget de 2019*, d'investir 1 milliard de dollars sur deux ans, à compter de l'exercice 2022-2023, et jusqu'à 500 millions de dollars par année par la suite. Ces investissements traduisent l'appui continu du gouvernement à lever les obstacles au traitement de maladies rares et représentent d'importantes premières étapes à l'obtention d'un régime qui aide les Canadiens à obtenir les médicaments d'ordonnance dont ils ont besoin pour rester en santé, pour contribuer à leur famille, à leur collectivité et à notre économie.

Recherche sur le diagnostic des patients atteints de maladies rares, dont le recours aux données probantes du monde réel (recommandation 19)

Comme le Comité l'a fait remarquer, l'obtention d'un diagnostic précoce d'une maladie rare est essentielle à l'accès à un traitement en temps opportun et contribue à diminuer le nombre des consultations médicales inutiles et les traitements non nécessaires qui ont un effet néfaste sur les Canadiens et sur leurs familles.

Le gouvernement a accordé aux Instituts de recherche en santé du Canada (IRSC) un financement important en soutien à des initiatives de recherche concertée sur les maladies rares au pays, y compris l'initiative Care4Rare, l'appui au développement d'Orphanet Canada et, sur la scène mondiale, l'adhésion au Consortium international de recherche sur les maladies rares. Au cours des cinq dernières années, les IRSC ont investi 162 millions de dollars dans la recherche sur les maladies rares, dont 39 millions investis uniquement au cours de l'exercice 2017-2018. Les investissements réalisés par les IRSC dans ce domaine de recherche ont augmenté de plus du double par rapport aux cinq années précédentes. Les IRSC financent actuellement la recherche sur le diagnostic de maladies rares et la collecte de données probantes du monde réel sur l'efficacité des traitements.

Santé Canada travaille en collaboration avec les IRSC dans le cadre du Réseau sur l'innocuité et l'efficacité des médicaments (RIEM) financé par les IRSC, un réseau pancanadien qui effectue de la recherche sur l'innocuité et l'efficacité de produits pharmaceutiques. Cette recherche contribue à l'ensemble des données probantes sur l'innocuité et l'efficacité des médicaments à la disposition des organismes de réglementation et des décideurs.

Conclusion

Je tiens à exprimer mes remerciements au Comité pour son rapport sur une question importante et opportune. Le gouvernement est satisfait des travaux réalisés et des recommandations qui en découlent. J'espère que la réponse que voici témoigne de l'engagement du gouvernement à jouer un rôle de collaboration solide et à améliorer l'accessibilité, l'abordabilité et l'utilisation appropriée de médicaments d'ordonnance au Canada. Le rapport et les recommandations du Comité jouent un rôle important en contribuant au dialogue en cours sur les maladies rares au Canada.

Veillez agréer l'expression de mes sentiments distingués.

A handwritten signature in blue ink, reading "Ginette Petitpas Taylor". The signature is fluid and cursive, with a large initial "G" and "T".

L'honorable Ginette Petitpas Taylor, C.P., députée
Ministre de la Santé