

Addenda à la soumission de MNC sur les médicaments pour les maladies rares

15 septembre 2021

Contexte

Le 11 août 2021, Santé Canada a demandé des précisions supplémentaires concernant la [soumission de Médicaments novateurs Canada \(MNC\) à la consultation de mars 2021](#) sur les médicaments pour les maladies rares. Tout particulièrement, Santé Canada souhaite recueillir des commentaires au sujet des priorités immédiates du gouvernement concernant l'utilisation des fonds budgétés de 500 millions de dollars par année à investir dans les médicaments pour les maladies rares à compter de 2022.

Santé Canada s'est dit prêt à recevoir des commentaires additionnels sur l'utilisation éventuelle de ces fonds avant la mi-septembre 2021. En tant qu'addenda à la soumission originale de MNC (annexée à des fins de référence), ce document présente des idées concrètes pour poursuivre le dialogue avec Santé Canada et les parties prenantes dans le domaine des maladies rares.

Principales considérations pour les investissements de 2022

MNC a déjà établi les principes clés et les pratiques exemplaires internationales en vue d'une politique canadienne sur les maladies rares¹. Il est évident qu'une politique pancanadienne globale est nécessaire pour stimuler l'innovation dans le domaine des maladies rares et améliorer l'accès rapide des patients aux médicaments. MNC souligne également que le financement alloué à cette initiative, quoique considérable, sera insuffisant pour répondre à de nombreux besoins et pour trouver des solutions en lien avec les médicaments pour les maladies rares. Un engagement holistique et à long terme, au-delà de 2022, est indispensable pour assurer l'efficacité d'une politique pancanadienne sur les maladies rares. Malgré ces préoccupations, certains critères essentiels supplémentaires sont présentés ci-dessous pour guider le gouvernement fédéral dans sa prise de décision concernant les investissements à venir en 2022.

- **Patients devant bénéficier d'avantages tangibles en matière d'accès** : la majorité des fonds (environ 80 %) devrait être utilisée pour aider directement les gouvernements provinciaux à fournir aux patients un accès rapide aux traitements et à soutenir les infrastructures provinciales de dépistage et de diagnostic.
- **Accent sur l'avenir** : les fonds devraient être utilisés pour permettre l'accès aux innovations futures qui répondent aux besoins non satisfaits des patients, plutôt que pour revoir les ententes de couverture des technologies déjà utilisées dans le modèle de soins.
- **Utilisation prudente de ressources limitées** : étant donné que les investissements fédéraux sont importants mais qu'ils ne peuvent pas couvrir l'ensemble du marché des maladies rares, les fonds devraient être destinés à soutenir les régimes publics d'assurance-médicaments et non à compenser les coûts des régimes privés. En outre, les coûts administratifs doivent être réduits au minimum pour maximiser les avantages pour les patients et le système de santé.
- **Équilibre entre les initiatives fédérales et les besoins et prestations des provinces** : l'approche devrait équilibrer les avantages concrets des transferts fiscaux aux provinces avec les initiatives et les investissements relatifs à la politique pancanadienne.



- Compte tenu des responsabilités provinciales en matière de régime d'assurance-médicaments et du besoin de répartition efficace des fonds, les transferts fédéraux-provinciaux constitueront assurément un élément central. Les paiements de transfert permettraient aux provinces de répondre aux besoins locaux, notamment en orientant les fonds pour accroître la capacité de dépistage et de diagnostic (p. ex., prénatal et génomique).
- De plus, une approche progressive en matière de politique pancanadienne permettrait de définir des domaines d'intervention fédéraux spécifiques. Le gouvernement fédéral peut apporter une contribution significative dans les domaines de compétence fédérale, par exemple en simplifiant le processus d'examen des produits pour les maladies rares et en investissant dans une infrastructure de données pancanadienne à l'appui des données concrètes.
- Une analyse détaillée des répartitions possibles des fonds pour atteindre cet équilibre est fournie dans le tableau ci-dessous.

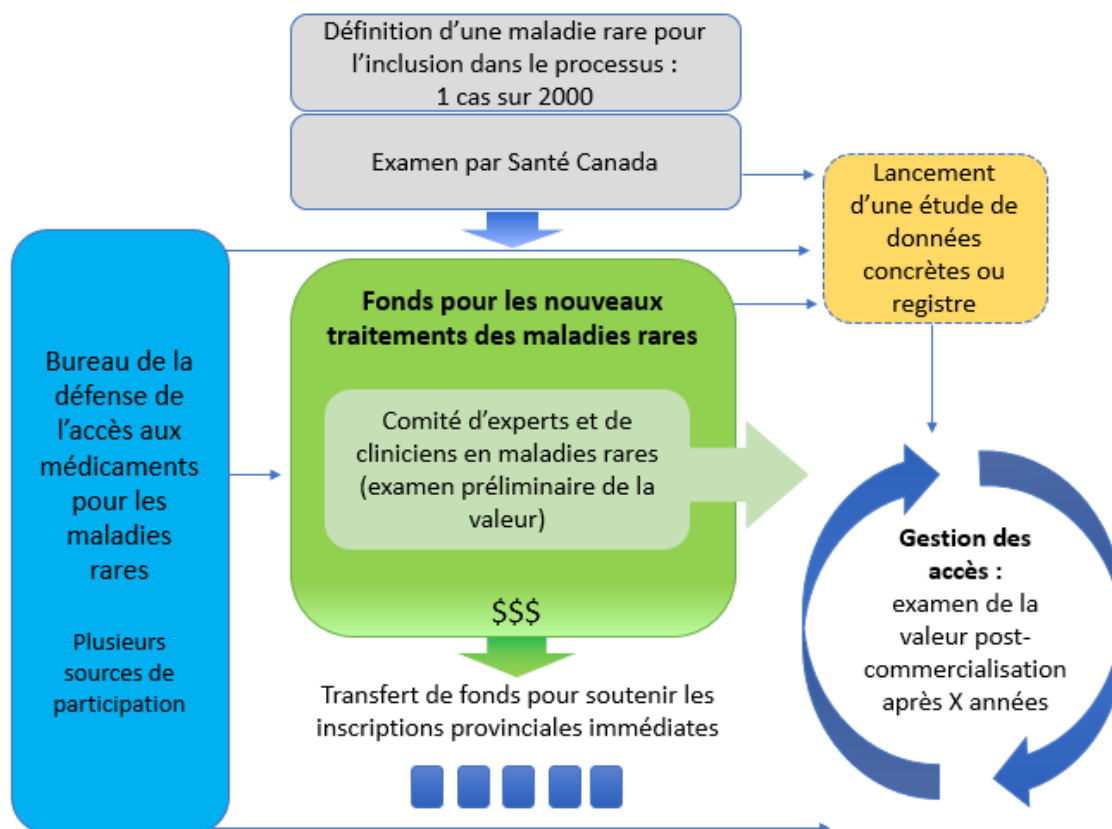
Une voie d'examen des maladies rares fondée sur la valeur pour un accès rapide

Comme indiqué dans la précédente soumission de MNC, le gouvernement fédéral devrait créer une voie spécialisée et accélérée pour les médicaments destinés à traiter les maladies qui correspondent à la définition établie d'une maladie rare (p. ex., pas plus d'un cas sur 2000). Les médicaments qui répondent à cette définition pourraient faire l'objet d'un examen réglementaire simplifié par Santé Canada. Parallèlement, les évaluations de valeur pourraient être effectuées par un comité de recommandation composé d'experts en maladies rares (distinct de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé [ACMTS]). Ce comité impliquerait une participation directe des patients et des fabricants et réduirait le rôle de la pharmacéconomie traditionnelle, qui est mal adaptée à l'évaluation des médicaments pour les maladies rares. La figure 1 ci-dessous donne un aperçu de ce processus.

Conformément à la discussion sur le modèle de transfert énoncé ci-dessus, un fonds pour les nouveaux traitements des maladies rares pourrait orienter les paiements de transfert aux provinces et engager le comité de cliniciens experts en maladies rares. Ce comité pourrait, en concertation avec les patients, procéder à des évaluations initiales, donner des conseils sur les projets de production de données concrètes et, si nécessaire, examiner la valeur des produits pour les maladies rares après un certain temps sur le marché, dans un cadre fondé sur la valeur ou sur la gestion des accès (p. ex., pour soutenir l'adoption précoce et conditionnelle de traitements en fonction d'essais de phase II et de la production continue de données concrètes). Comme l'a indiqué MNC dans sa soumission de mars 2021, il existe plusieurs modèles internationaux de pratiques exemplaires que le Canada pourrait envisager dans le cadre d'une approche canadienne sur la gestion des accès.



Figure 1 : schéma de la voie pour les maladies rares



Pour faciliter ce travail, le gouvernement fédéral pourrait investir dans l'infrastructure de données pancanadienne afin de soutenir la production de données concrètes et de financer les registres des maladies et des patients. Les allocations devront nécessairement être plus importantes au cours des premières années afin de fournir des fonds d'amorçage pour la construction de l'infrastructure. La prise de décision concernant l'utilisation des fonds pourrait être éclairée par un comité de patients atteints de maladies rares, par le comité de cliniciens experts, ainsi que par les propositions spécifiques des fabricants et des vendeurs relatives aux données concrètes.

Un bureau indépendant de défense de l'accès aux médicaments pour les maladies rares, sélectionné avec la participation des patients, pourrait être engagé afin d'établir cette voie et il pourrait avoir pour mandat de faciliter l'accès rapide aux médicaments. Son rôle pourrait être inspiré de celui d'un médiateur et inclure un organe de gouvernance composé de parties prenantes dans le domaine des maladies rares. Le bureau de défense des patients peut intervenir dans le processus de plusieurs façons, notamment en collaborant avec les organismes de réglementation, en contribuant aux registres des patients et au lancement d'une étude de données concrètes, en participant aux discussions des comités d'experts et aux examens de la valeur post-commercialisation et en travaillant directement avec les patients pour les orienter et leur assurer un accès.



Scénario possible pour le financement

Le financement actuel pourrait être alloué selon la répartition présentée ci-dessous. Il convient de noter que des discussions fédérales avec les provinces seraient nécessaires pour déterminer les allocations de transfert spécifiques. Il serait pertinent de commencer ces discussions par les allocations par habitant ou par prévalence provinciale de la maladie.

	1 ^{re} et 2 ^e année (mise en place)	3 ^e année (et les suivantes)
Infrastructure de données pancanadienne pour les données concrètes et les registres des patients	100 M\$	25 M\$ (projets en cours et nouveaux projets)
Bureau de la défense de l'accès aux médicaments pour les maladies rares	5 M\$	3 M\$
Administration et secrétariat du fonds d'accès aux médicaments pour les maladies rares	2 M\$	2 M\$
Groupe d'examen composé d'experts indépendants (distinct de l'ACMTS)	5 M\$	3 M\$
Fonds disponibles pour les transferts provinciaux pour les médicaments et le dépistage	388 M\$	462 M\$
TOTAL	500 M\$	500 M\$

Conclusions et prochaines étapes

Médicaments novateurs Canada souhaite remercier Santé Canada de lui avoir donné l'occasion de fournir des détails supplémentaires sur sa soumission et de commenter plus en détail les priorités de Santé Canada pour 2022 concernant les médicaments pour les maladies rares. Comme discuté, cet addenda offre un point de départ pour une discussion approfondie avec les parties prenantes et peut constituer une première étape vers une politique élargie et complète en matière de maladies rares, qui pourrait notamment inclure des améliorations réglementaires et des mesures visant à stimuler la recherche et le développement en médecine. MNC note que Santé Canada a indiqué lors de la réunion d'août qu'il poursuivrait ses consultations avec les parties prenantes au sujet des médicaments pour les maladies rares à l'automne 2021, et que MNC serait ravi de poursuivre la discussion à ce moment.



ⁱ**La politique sur les maladies rares doit** : tenir compte des besoins des provinces et des patients; établir une définition claire et prévisible des maladies rares; favoriser une voie prévisible pour un accès rapide aux médicaments ainsi qu’une valeur équitable pour les patients, les payeurs et les entreprises; maximiser la production de données concrètes de haute qualité et améliorer l’infrastructure des données; fournir des mesures incitatives pour stimuler l’innovation dans le domaine des maladies rares; assurer la viabilité du marché de l’assurance privée et éviter le transfert de coûts des régimes privés vers les régimes publics; et reconnaître que la politique sur les maladies rares sera vouée à l’échec dans le contexte des changements réglementaires à venir du CEPMB, surtout ceux concernant les nouveaux facteurs économiques.