

## Vers une stratégie pancanadienne fondée sur la valeur en matière de maladies rares

Médicaments novateurs Canada

Soumission à la consultation de Santé Canada sur les médicaments pour les maladies rares

26 mars 2021

## À propos de Médicaments novateurs Canada

Médicaments novateurs Canada (MNC) est une association nationale regroupant 45 entreprises spécialisées en produits biopharmaceutiques et en vaccins qui travaillent sans relâche, en collaboration avec les gouvernements canadiens, pour lutter contre la pandémie de COVID-19.

Guidées par un Code d'éthique strict, ces entreprises collaborent avec les gouvernements, les compagnies d'assurance, les professionnels de la santé et les parties prenantes pour faire progresser leur domaine et améliorer le bien-être de la population. Elles s'engagent à être un partenaire précieux du système de santé canadien.

Les entreprises membres de MNC produisent des tests pour les diagnostics, des médicaments et les vaccins qui permettront à notre pays de se relever de la pandémie mondiale qui continue d'avoir des effets dévastateurs sur la santé et la prospérité des Canadiens. Selon Statistique Canada, en 2018, l'industrie pharmaceutique a ajouté près de 15 milliards de dollars en valeur ajoutée (PIB) à l'économie canadienne et a soutenu l'équivalent de plus de 100 000 emplois à temps plein au Canada. L'industrie a également investi près de 2 milliards de dollars en recherche et développement (R et D). Ces investissements profitent directement aux patients atteints de maladies rares et constituent un aspect essentiel de la contribution de l'industrie à l'écosystème d'innovation canadien.

### **Recommandations**

- 1. Le gouvernement fédéral doit travailler en collaboration avec les provinces, les patients, les cliniciens et l'industrie pour mettre en œuvre une stratégie pancanadienne fondée sur la valeur en matière de maladies rares.*
- 2. Cette politique doit être élaborée et évaluée selon plusieurs principes fondamentaux exposés ci-dessous, dont notamment la nécessité d'un accès rapide des patients aux médicaments grâce à des ententes innovantes avec les payeurs. On peut s'inspirer des modèles internationaux présentés ci-dessous pour créer une approche canadienne.*
- 3. La stratégie doit tenir compte des besoins des provinces et des patients pour faire en sorte que ces derniers bénéficient directement des fonds fédéraux.*
  - Le gouvernement fédéral doit travailler avec les provinces sur un cadre souple visant à combler leurs besoins et leurs différentes lacunes en matière de couverture. Par exemple, une approche flexible permettrait de fournir un soutien fédéral aux provinces dont la couverture est insuffisante. Cette amélioration permettrait aux provinces dont les frais à la charge des patients sont élevés d'allouer des fonds à l'aide au paiement de la quote-part.*
  - Le gouvernement fédéral doit éviter de créer de nouvelles structures bureaucratiques et doit plutôt se concentrer sur la création d'une voie rapide consacrée aux maladies rares pour les institutions de réglementation, d'évaluation et de négociation. Tout comité de recommandation doit comprendre des experts en maladies rares, impliquer une participation directe des patients et des fabricants et réduire le rôle de la pharmacoéconomie traditionnelle qui est mal adaptée à l'évaluation des médicaments pour les maladies rares.*



- *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 une telle voie et il pourrait avoir pour mandat de faciliter l'accès rapide aux médicaments.*
4. *Les changements réglementaires à venir du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) vont à l'encontre du succès de tout cadre pour les maladies rares. De nombreuses parties prenantes ont fait part à Santé Canada, lors de réunions et de consultations publiques, du lien critique entre une politique sur les maladies rares et les préjudices qui seront causés par les changements du CEPMB, notamment en ce qui concerne les nouveaux facteurs économiques. Santé Canada devrait au moins retarder la mise en œuvre des changements réglementaires du CEPMB jusqu'à ce que la pandémie de COVID-19 se soit atténuée et qu'un cadre pancanadien pour les maladies rares ait été établi.*

### **Nécessité d'une analyse objective et d'un établissement neutre des coûts et de la valeur**

Le Canada est l'un des seuls pays développés à ne pas avoir de politique en matière de maladies rares<sup>i</sup>. Par conséquent, il peut maintenant tirer de nombreux enseignements de l'international pour élaborer une stratégie fructueuse. En plus des pratiques exemplaires internationales mentionnées ci-dessous, il est important que toute politique pancanadienne sur les maladies rares soit fondée sur une évaluation minutieuse et objective du paysage des maladies rares. Le gouvernement du Canada doit commander une évaluation indépendante et transparente du marché des maladies rares au pays. La dépendance à l'égard des analyses non transparentes du CEPMB, qui semblent conçues pour brosser un tableau sombre des coûts à l'appui des changements réglementaires à venir, a eu pour effet de définir les médicaments pour les maladies rares principalement selon leurs coûts initiaux (p. ex., « les médicaments coûteux pour les maladies rares »), par opposition à leur valeur à long terme au sein du système de soins de santé et en particulier pour les patients. Lors des récentes consultations publiques des parties prenantes organisées par Santé Canada pour discuter de la question, il a été constamment soulevé que le document de consultation actuel était indûment axé sur les coûts.

Bien que les prix des médicaments pour les maladies rares reflètent le coût élevé du développement et le capital de risque qui doivent être amortis au fil du temps ainsi que les petites populations de patients, les dépenses liées aux médicaments pour les maladies rares n'échappent pas à tout contrôle et elles ne sont pas nécessairement une cause d'inquiétude excessive. Selon une analyse récente menée par MNC et basée sur un ensemble de données personnalisées élaborées par IQVIA, en 2019 (l'année la plus récente disponible), les médicaments pour les maladies rares non oncologiques représentaient 2,9 % des dépenses totales en médicaments de tous les payeurs. Les payeurs privés couvraient un tiers des coûts tandis que les payeurs publics et les hôpitaux couvraient les deux tiers restants<sup>ii</sup>. Ce chiffre est proportionnel à la population de patients atteints de maladies rares, qui représente environ 2 à 3 % de la population selon le Dr Alex Mackenzie du Centre hospitalier pour enfants de l'est de l'Ontario<sup>iii</sup>. L'Organisation canadienne des maladies rares (OCMR), quant à elle, donne une estimation beaucoup plus élevée et évoque 3 millions de Canadiens touchés. Les différences de portée et de tendances en matière de dépenses montrent



l'importance des questions de définition et la nécessité de clarifier les approches politiques futures. Consultez le tableau ci-dessous pour en savoir plus sur la définition d'une maladie rare.

Les médicaments pour les maladies rares apportent une très grande valeur aux patients et au système de soins de santé. C'est lorsque les patients *ne reçoivent pas* les médicaments nécessaires que les coûts réels pour le système, les patients et les soignants se font le plus sentir<sup>iv</sup>. Notre industrie est favorable à une discussion élargie et axée sur la valeur des médicaments pour les maladies rares. Nous restons ouverts aux politiques provinciales qui sont liées à la valeur réelle que les médicaments pour les maladies rares apportent aux patients et au système de santé. La population canadienne reconnaît également que la résolution des problèmes de santé nécessite des investissements et que la politique sur les maladies rares ne peut pas être fondée sur une vision optimiste selon laquelle les gouvernements du pays auront automatiquement accès aux innovations de la plus haute qualité au monde sans en payer une partie des coûts par l'intermédiaire de prix comparables à ceux des administrations internationales homologues (voir la section sur le CEPMB ci-dessous).

Compte tenu des tendances récentes et de l'avenir prometteur de la recherche sur les nouveaux traitements des maladies rares, l'industrie novatrice reconnaît la nécessité d'un équilibre et de prix abordables en raison des innovations importantes et des nombreux besoins non satisfaits des patients; cela reste un défi au pays. Pour ces raisons, **notre secteur soutient fortement tout cadre de remboursement fondé sur la valeur afin de garantir un bon rapport qualité-prix** (voir les principes et les exemples ci-dessous).

### Principes d'un cadre pancanadien fondé sur la valeur et tirant parti des pratiques exemplaires internationales

Les processus actuels d'essais cliniques et d'évaluation des technologies de la santé (ETS) sont inadéquats pour évaluer la valeur et gérer l'incertitude lors du lancement d'un médicament pour une maladie rare. Cette situation est due aux limites inhérentes reliées aux petits bassins de patients qui entraînent des données probantes restreintes et la nécessité de produire en permanence des données concrètes. En outre, les ententes d'inscription de médicaments et les processus actuels pourraient évoluer pour mieux refléter un processus fondé sur la valeur grâce auquel les produits seraient financés au moment de leur lancement, puis réévalués après un certain temps sur le marché (voir les exemples ci-dessous). Pour faciliter un tel cadre fondé sur la valeur, le gouvernement fédéral doit envisager de soutenir les provinces et les patients par des investissements ciblés dans l'infrastructure des données concrètes<sup>v</sup>.

Notre industrie novatrice soutient les approches de gestion du cycle de vie qui visent à fournir aux patients un accès rapide aux médicaments nécessaires. Dans le cas de nombreux médicaments pour les maladies rares, les données concrètes peuvent jouer un rôle par le biais d'évaluations conditionnelles, en fonction du suivi des données probantes ou d'autres données soumises. Elles permettraient alors d'améliorer et d'accélérer l'accès des patients aux nouveaux traitements tout en répondant aux préoccupations des payeurs en matière d'incertitude et de risque. Les gouvernements canadiens doivent établir un cadre pancanadien pour les maladies rares fondé sur les principes suivants.



Principe clé	Exemple illustratif
<p><i>La politique fédérale sur les maladies rares doit tenir compte des besoins des provinces et des patients. Son succès dépendra de la collaboration, y compris dans la prise de décision.</i></p>	<p>La participation accrue de toutes les parties prenantes est nécessaire à la table des décisions.</p> <p><i>Exemple de prise de décision collaborative :</i> Le Scottish Medicines Consortium offre des conseils inclusifs sur le financement de nouveaux médicaments et prend soigneusement en compte les données probantes fournies par les patients, les cliniciens et les compagnies pharmaceutiques lors de la prise de décisions<sup>vi</sup>.</p> <p><i>Exemple de réponse aux besoins provinciaux :</i> Les fonds fédéraux pourraient être distribués en fonction des besoins des provinces afin qu'elles les utilisent d'une manière déterminée, selon un modèle de transfert (p. ex., un transfert pour les maladies rares, semblable au Transfert canadien en matière de santé).</p>
<p><i>Une définition claire et prévisible des maladies rares doit être établie.</i></p>	<p>Le Canada doit définir clairement ce qui est considéré comme une maladie rare afin d'harmoniser les approches et les interprétations dans les examens liés à la réglementation et au remboursement. MNC souhaite que les pratiques internationales dans ce domaine soient examinées de plus près et suggère au Canada de considérer l'approche européenne basée sur la prévalence (actuellement pas plus d'un cas sur 2000) comme un point de départ constructif.</p> <p>Pour plus de clarté, il convient également de prendre en compte d'autres critères d'admissibilité appropriés, notamment la gravité de la maladie et l'étendue des besoins non satisfaits. Du point de vue de la mise en œuvre, les mêmes définitions, portées et critères d'identification des maladies rares doivent être appliqués de manière cohérente dans toutes les agences et à tous les ordres de gouvernement et niveaux de processus. Cette façon de faire favoriserait une approche cohérente et prévisible pour les patients et les autres parties prenantes, et elle permettrait d'adopter des approches pancanadiennes intégrées pour améliorer la collecte de données, le dépistage et la détection, ainsi que la rapidité et la cohérence de la couverture entre les payeurs.</p>



Principe clé	Exemple illustratif
<p><i>Les politiques des payeurs publics doivent inclure une voie prévisible pour un accès rapide aux médicaments ainsi qu'une valeur équitable pour les patients, les payeurs et les entreprises.</i></p>	<p>Exemple : L'Allemagne offre une couverture immédiate lors du lancement du produit et une tarification libre temporaire, suivie d'une révision de la valeur adaptée aux médicaments pour les maladies rares. Le pays fournit également des mesures incitatives particulières liées au remboursement<sup>vii</sup>.</p> <p>Dans le cas de certains médicaments pour les maladies rares nécessitant la production de données probantes, la France dispose d'un mécanisme pour la réalisation d'une étude complète ou la tenue d'un registre complet de tous les patients traités afin de fournir des données sur les résultats réels qui seront soumis à une réévaluation dans les cinq ans<sup>viii</sup>.</p> <p>En s'appuyant sur ces pratiques exemplaires, une approche canadienne pourrait inclure les éléments suivants :</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• une voie simplifiée pour les maladies rares;</li><li>• un comité d'experts consacré aux maladies rares pour remplacer le comité d'ETS généraliste de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé. Le système de lutte contre le cancer et l'ancien Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux pourraient constituer des modèles instructifs pour une voie d'examen spécialisée;</li><li>• l'exemption de certains produits à petit budget de l'examen initial de l'ETS pour les examiner plus tard dans le cycle de vie du produit;</li><li>• un volet de négociation de l'Alliance pancanadienne pharmaceutique consacré aux médicaments pour les maladies rares qui comprend une couverture pancanadienne avec des modèles de production de données probantes et de remboursement innovant fondé sur la valeur ainsi que des délais prévisibles pour les décisions de financement;</li><li>• une gestion des ententes d'accès avec un réexamen régulier; le Canada pourrait envisager l'adoption conditionnelle de médicaments en fonction d'essais de phase II et de la production continue de données probantes;</li><li>• un bureau indépendant de « défense de l'accès aux médicaments pour les maladies rares ».</li></ul>



Principe clé	Exemple illustratif
<p><i>La production et l'analyse de données probantes de haute qualité sont nécessaires pour répondre à l'incertitude et à la valeur cliniques.</i></p>	<p>Pour faciliter la mise en œuvre des principes énoncés ci-dessus, il faudrait prévoir un financement fédéral afin de tenir des registres des maladies et produire des données concrètes dans le but d'informer les réévaluations de produits mentionnés ci-dessus. En Allemagne, l'acceptation est grande pour ce type de données non randomisées ou non comparatives liées aux médicaments pour les maladies rares. La France, elle, tire parti d'un registre d'études complet (voir ci-dessus).</p> <p>Un soutien en matière de secrétariat et de recherche pour les réseaux cliniques (p. ex., les groupes cliniques sur les troubles métaboliques) pourrait également être utile.</p>
<p><i>Les mesures incitatives pour stimuler l'innovation dans le domaine des maladies rares sont importantes, mais elles n'ont pas fait l'objet de discussions au sein du gouvernement fédéral jusqu'à présent.</i></p>	<p>Exemple : Le cadre sur les médicaments orphelins des États-Unis offre une protection étendue de la propriété intellectuelle<sup>x</sup>. L'Europe offre également de nombreuses mesures incitatives par l'intermédiaire de la législation sur les médicaments orphelins de l'Union européenne (UE) et des dispositions étendues en matière de propriété intellectuelle pour les médicaments orphelins et pédiatriques (voir les <a href="#">informations détaillées sur l'UE</a>, indiquant une protection pouvant aller jusqu'à 12 ans)<sup>x</sup>. De façon générale, la région de l'UE affiche la plus grande croissance en matière de recherche clinique sur les maladies rares depuis le milieu des années 2000 : ses activités annuelles ont augmenté de 88 % entre 2006 et 2016, et cinq pays de l'UE ont connu une augmentation encore plus importante, soit de 104 %, au cours de cette période<sup>xi</sup>.</p> <p>Toutefois, l'élimination des mesures fortement dissuasives à l'introduction de nouveaux médicaments pour les maladies rares, comme les nouveaux facteurs économiques du CEPMB, est une condition préalable au succès de la stratégie canadienne sur les maladies rares.</p>
<p><i>Les payeurs publics et privés doivent tous deux payer une part équitable : il faut éviter le transfert de coûts des régimes privés vers les régimes publics, ce qui</i></p>	<p>Les payeurs privés ont un rôle continu à jouer dans le remboursement des médicaments pour les maladies rares. Les assureurs privés ne financent qu'environ un tiers des médicaments pour les maladies rares au Canada et ils disposent de nombreux outils pour gérer les coûts, comme les négociations d'inscription de médicaments avec les fabricants, ainsi que des mécanismes élargis de mise en commun des</p>



Principe clé	Exemple illustratif
<i>profiterait aux assureurs à but lucratif.</i>	risques semblables aux mécanismes actuels de mise en commun sur le marché privé québécois <sup>xii</sup> . Il est important que des coûts supplémentaires inutiles ne soient pas transférés aux payeurs publics.
<i>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.</i>	Une politique efficace sur les maladies rares et les changements à venir du CEPMB ne peuvent coexister. Santé Canada doit modifier le <i>Règlement sur les médicaments brevetés</i> afin de supprimer les « nouveaux facteurs économiques » <sup>xiii</sup> .  (Voir les renseignements ci-dessous et l'annexe.)

### **Incohérence fondamentale entre la politique sur les médicaments pour les maladies rares et les réformes du CEPMB**

Nous demandons au gouvernement fédéral de faire preuve de leadership au nom de tous les Canadiens afin d'améliorer les perspectives des patients atteints de maladies rares et de mettre en œuvre une stratégie pancanadienne sur les maladies rares comme solution de rechange aux éléments dommageables des réformes du CEPMB. Les pratiques exemplaires internationales et les principes mentionnés ci-dessus peuvent être instructifs pour créer une politique canadienne équilibrée.

L'accès futur aux médicaments pour les maladies rares est actuellement fortement compromis par la politique de réglementation des prix et les nouveaux facteurs économiques expérimentaux du CEPMB. Les réformes du CEPMB utiliseraient une ETS contraignante pour faire baisser les prix à des niveaux insoutenables. Comme le démontrent les documents obtenus en vertu de la *Loi sur l'accès à l'information*, Santé Canada est au courant des réductions importantes qui dépassent 90 % étant donné l'accès du CEPMB aux nouveaux facteurs économiques (voir l'annexe). Bien que les Lignes directrices du CEPMB finalisées à l'automne 2020 contiennent certains plafonds possibles de réduction des prix, ces derniers peuvent ne pas être pertinents lors des audiences du CEPMB, ils ne fournissent pas aux fabricants une prévisibilité de base pour les prix, et ils exigeraient des prix beaucoup trop bas par rapport aux administrations internationales homologues.

L'industrie a offert un milliard de dollars supplémentaires pour aider à lutter contre les maladies rares, ainsi qu'un accélérateur de fabrication et de commercialisation fabriqué au Canada. Nous avons également proposé des milliards de dollars d'économies pour tous les médicaments brevetés comme solution de rechange aux réformes dommageables et imprévisibles du CEPMB. Des analyses effectuées par des tiers indiquent que des économies de 19,8 milliards de dollars pourraient être réalisées sur dix ans au Canada rien qu'en modifiant les pays de comparaison (c.-à-d. en comparant les prix avec ceux d'autres pays). Ce chiffre dépasse largement l'estimation de Santé Canada, qui prévoit des économies de 13,2 milliards de dollars. Santé Canada n'a pas entamé de dialogue sérieux sur les politiques de rechange proposées et continues





d'ignorer les préoccupations de nombreuses parties prenantes comme les patients, les personnes atteintes d'une maladie rare, les groupes des sciences de la vie, les provinces, y compris le Québec et l'Ontario, et les fabricants de vaccins et de médicaments novateurs.

Une suspension de la mise en œuvre des changements du CEPMB, qui est prévue pour le 1<sup>er</sup> juillet 2021, permettrait à toutes les parties de lutter contre la pandémie de COVID-19 et leur donnerait le temps de discuter d'autres changements qui répondraient toujours aux objectifs en matière de politiques du gouvernement, notamment en ce qui concerne les prix abordables des médicaments et les maladies rares. Les changements à venir du CEPMB ne rendront pas les médicaments plus abordables pour les personnes atteintes de maladies rares. Au contraire, il est largement reconnu qu'ils auront une incidence sur le lancement rapide de nouveaux médicaments au pays et rendront moins de médicaments pour les maladies rares accessibles aux Canadiens qui en ont un besoin urgent.

L'OCMR estime que même sous le régime actuel, seulement 60 % des traitements pour les maladies rares sont soumis pour approbation au Canada, et la plupart sont approuvés avec un retard allant jusqu'à six ans par rapport aux États-Unis et à l'Europe. Elle conclut que « les personnes atteintes de maladies rares au Canada sont privées de traitements qui pourraient leur sauver la vie ou l'améliorer grandement » [traduction]<sup>xiv</sup>.

L'imposition de changements déficients et controversés pendant une crise sanitaire nationale est inappropriée et déraisonnable compte tenu de la nécessité pour les gouvernements, l'industrie et les autres parties prenantes d'accorder la priorité à la lutte contre la COVID-19 et à l'élaboration d'un cadre stratégique pour les maladies rares.

## Conclusion

L'industrie pharmaceutique innovatrice s'est engagée à travailler avec les gouvernements à tous les niveaux et avec les parties prenantes pour élaborer conjointement une stratégie pancanadienne fondée sur la valeur en matière de maladies rares afin de garantir aux patients une meilleure couverture des traitements. Nous croyons que tous les gouvernements et toutes les parties prenantes veulent s'assurer que les médicaments essentiels pouvant sauver des vies sont fournis aux patients canadiens en temps opportun. Les principes et les exemples ci-dessus peuvent être utilisés pour créer une stratégie canadienne qui tient compte des caractéristiques uniques de la fédération canadienne tout en tirant parti des pratiques exemplaires internationales. Un véritable partenariat entre toutes les parties intéressées et avec des objectifs communs est essentiel pour garantir aux patients l'accès aux médicaments dont ils ont besoin non seulement pour survivre, mais aussi pour vivre plus longtemps et en meilleure santé. Cet accès équitable ne peut dépendre du revenu, de l'âge ou du code postal. Ensemble, nous pouvons établir un cadre pour soutenir des ententes innovantes qui mesurent la juste valeur et les avantages des médicaments pour les patients et les payeurs grâce à des examens fondés sur la valeur et à une prévisibilité améliorée pour les payeurs et toutes les parties prenantes. Nous serons ravis de poursuivre le dialogue avec Santé Canada et d'autres parties prenantes dès que nous aurons reçu des renseignements supplémentaires au sujet des intentions du gouvernement en matière de politique sur les médicaments pour les maladies rares.



## Annexe : Le gouvernement est conscient des « défis » concernant le CEPMB et les médicaments pour les maladies rares

En janvier 2020, le CEPMB a fourni à ses partenaires gouvernementaux du secteur de la santé un résumé de plusieurs préoccupations exprimées par des parties prenantes concernant l'incidence du prix pharmacoéconomique du CEPMB et des analyses de réductions requises sur les médicaments pour les maladies rares qui dépassent 90 % dans de nombreux cas. Ces analyses n'ont pas été rendues publiques, mais elles ont été obtenues grâce à des demandes formulées en vertu de la Loi sur l'accès à l'information. Les réformes du CEPMB entreront en vigueur dans quelques mois, soit le 1<sup>er</sup> juillet 2021, et l'industrie ainsi que les parties prenantes s'inquiètent de l'effet négatif de ces réformes sur l'accès aux médicaments pour les maladies rares. La politique fédérale en matière de maladies rares peut offrir une solution de rechange raisonnable et fondée sur la valeur aux nouveaux facteurs économiques du CEPMB.

5. MRP approach for rare disease drugs – challenges

Concerns expressed by various stakeholders:

- Proposed MRP approach not suitable for rare disease drugs, particularly the use of HTA and magnitude of discount
- Feasibility of realizing 90% price reductions
- Analysis of historic revenues and affordability threshold may provide insight. Greater alignment with international norms – higher \$/QALY thresholds, special funds, pay for performance, RWE, etc
- Does approach make sense of cures?

Trade name	Treatment cost	Sales	List price**	MLP**	% diff	PEP	PEP Red. (%)	PEP 1.5X	MRP**
Ofev	\$39,683	\$36.6M	\$55.39	\$56.33	1.67%	\$3.71	89%	\$5.57	\$5.57
Orkambi	\$248,988	\$35.5M*	NA	\$157.84		\$2.00	99%	\$3.00	\$3.00
Kalydeco	\$306,600	\$44.3M	NA	\$448.98		\$3.45	99%	\$5.18	\$5.18
Esbriet	\$41,965	\$20.9M*	\$14.54	\$12.43	16.98%	\$5.44	57%	\$8.16	\$7.29
Kuvan	\$173,971	\$17.5M*	NA	\$31.24		\$3.65	89%	\$5.48	\$5.48
Strensiq	\$2.2M	NA*	NA	\$6,907.36		\$231.35	97%	\$347.02	\$347.02
Procysbi	\$321,000	\$2.1M*	NA	\$30.69		\$2.37	93%	\$3.56	\$3.56 <sup>th</sup>

Notes Data



- 
- <sup>i</sup> McMillan et Campbell, « We need a “made in Canada” orphan drug framework », *Journal de l’Association médicale canadienne*, octobre 2017. Sur Internet : <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5647165/#b1-189e1274>.
- <sup>ii</sup> Selon les médicaments pour les maladies rares conformes à la définition des États-Unis ou de l’Union européenne.
- <sup>iii</sup> Sur Internet : <https://www.noscommunes.ca/Content/Committee/421/HESA/Reports/RP10349306/hesarp22/hesarp22-f.pdf>.
- <sup>iv</sup> Il convient de noter que les médicaments pour les maladies rares font l’objet de réductions dans le cadre d’ententes d’inscription de médicaments confidentielles, qui offrent une valeur importante aux payeurs publics et privés canadiens.
- <sup>v</sup> Une politique pancanadienne sur les maladies rares doit être envisagée de façon générale et elle doit aborder une série de questions pancanadiennes, par exemple : les mesures visant à stimuler l’innovation, qui sont importantes pour attirer le capital de risque de démarrage; les essais cliniques, qui peuvent rencontrer des difficultés en matière de recrutement, d’investissement et de collecte de données probantes; ainsi que les questions liées au dépistage et à la détection, comme la disponibilité de diagnostics et de tests à la naissance pour les populations à risque.
- <sup>vi</sup> Voir la section « How We Decide », qui comprend une réunion consacrée à la participation des patients et des cliniciens. Cette étape supplémentaire permet à l’organisme « de recueillir des données probantes de groupes de patients et de cliniciens sur la valeur ajoutée d’un médicament, qui n’apparaissent pas toujours dans la soumission de l’entreprise. À cette étape, l’entreprise peut également soumettre ou améliorer un programme d’accès aux patients, qui peut contribuer à améliorer le rapport qualité-prix du médicament. Les résultats d’une réunion consacrée à la participation des patients et des cliniciens sont des facteurs importants dans la prise de décision de l’organisme » [traduction]. Sur Internet : <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/>. Un traitement spécial pour les médicaments ultra-orphelins est également disponible. Sur Internet : <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/ultra-orphan-medicines-for-extremely-rare-conditions/>. De même, en Allemagne, des représentants des patients participent à toutes les séances de prise de décision. Sur Internet : [https://8c3e11d9-5f36-452f-abe3-c95befd6e85d.filesusr.com/ugd/e1a359\\_3ce53a1d83e84d6d83866c55195d1056.pdf](https://8c3e11d9-5f36-452f-abe3-c95befd6e85d.filesusr.com/ugd/e1a359_3ce53a1d83e84d6d83866c55195d1056.pdf).
- <sup>vii</sup> L’Allemagne prévoit un « avantage supplémentaire garanti pour les médicaments orphelins [qui] assure une position de négociation forte ou renforce la position de négociation de l’entreprise lors de la négociation du prix de remboursement payé par les fonds de l’assurance maladie légale. Par conséquent, elle garantit un remboursement raisonnable des médicaments pour les maladies rares, en tenant compte des limites possibles auxquelles ces médicaments peuvent faire face lors du processus de développement et de commercialisation » [traduction]. De plus, l’acceptation de données non randomisées ou non comparatives est plus grande pour les médicaments de désignation orpheline et « la rareté de la maladie ou une population cible particulière (p. ex., les enfants) sont également prises en compte pour l’évaluation de nouveaux médicaments sans désignation orpheline » [traduction]. Sur Internet : [https://8c3e11d9-5f36-452f-abe3-c95befd6e85d.filesusr.com/ugd/e1a359\\_3ce53a1d83e84d6d83866c55195d1056.pdf](https://8c3e11d9-5f36-452f-abe3-c95befd6e85d.filesusr.com/ugd/e1a359_3ce53a1d83e84d6d83866c55195d1056.pdf).
- <sup>viii</sup> Glennie, J., « International HTA Approaches to Rare Disease Medications: Case Study and Lessons for Canada », *Provincial Reimbursement Advisor*, vol. 23, no 4, 2020.
- <sup>ix</sup> La loi américaine sur les médicaments orphelins prévoit des droits exclusifs de commercialisation, des crédits d’impôt pour certaines dépenses de développement clinique, des subventions et d’autres mesures incitatives destinées aux promoteurs qui mettent au point des médicaments pour les personnes atteintes de maladies rares. Sur Internet : <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK56185/>.



- 
- <sup>x</sup> Voir le résumé des mesures incitatives de l'Agence européenne des médicaments. Sur Internet : [https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-data-exclusivity-market-protection-orphan-paediatric-rewards-s-ribeiro\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-data-exclusivity-market-protection-orphan-paediatric-rewards-s-ribeiro_en.pdf).
- <sup>xi</sup> « Benchmarking Success: Evaluating the Orphan Regulation and its impact on patients and rare disease R&D in the European Union ». Sur Internet : [https://www.pugatch-consilium.com/reports/Benchmarking\\_success.pdf](https://www.pugatch-consilium.com/reports/Benchmarking_success.pdf).
- <sup>xii</sup> Tous les assureurs groupe du Québec cotisent au régime de mutualisation. Ce régime protège les promoteurs de régime du secteur privé contre les répercussions financières que peuvent entraîner les règlements de frais de médicaments d'un montant élevé. Sur Internet : <https://www.sunlife.ca/workplace/fr/group-benefits/focus-updates/advisors-and-consultants/le-point-sur-la-mutualisation-en-assurance-collective-au-quebec-en-2021-ce-qui-change/>.
- <sup>xiii</sup> À moins qu'ils fassent l'objet de modifications fondamentales, les changements du CEPMB limiteront l'accès aux nouveaux médicaments et vaccins au Canada. Le CEPMB a quasiment reconnu que le régime proposé aura des conséquences négatives sur l'accès en créant des exemptions aux lignes directrices sur les vaccins et les médicaments liés à la COVID-19. Pourquoi ce traitement spécial est-il réservé à certains produits, alors qu'aucune mesure similaire n'est prévue pour les autres patients canadiens qui seront touchés négativement, comme ceux atteints d'un cancer, de fibrose kystique ou d'autres maladies graves? Malgré les déclarations du CEPMB, l'industrie et les patients ne peuvent être certains que les changements n'auront pas de répercussions sur les produits brevetés liés à la COVID-19, car ces exemptions ne sont pas contraignantes et peuvent être modifiées par le CEPMB à tout moment.
- <sup>xiv</sup> Voir l'Organisation canadienne des maladies rares. Sur Internet : <https://www.raredisorders.ca/about-cord/>.