



Cadre sur les accords novateurs

INNOVATIVE
MEDICINES
CANADA



MÉDICAMENTS
NOVATEURS
CANADA

Table des matières

Résumé	3
Introduction	4
Cadre	6
Défis	6
Types d'accords	10
Occasions	23
Conclusion	25

Résumé

- Bon nombre des nouveaux traitements et médicaments novateurs qui arrivent sur le marché (p. ex., les traitements curatifs, la thérapie génique, les médicaments spécialisés et les médicaments pour les maladies rares) ne sont pas bien servis par l'approche traditionnelle de négociation, qui repose sur la fixation des prix ou le plafonnement des dépenses en fonction des volumes anticipés ou de l'estimation du rapport coût-efficacité. Si les payeurs des régimes d'assurance médicaments publics et les fabricants ne peuvent s'entendre pour élargir l'éventail des types d'accords négociés au-delà des accords traditionnels, les Canadiens qui dépendent des régimes d'assurance médicaments auront de plus en plus de difficulté à accéder à de nouveaux traitements.
- Les payeurs des régimes publics et les fabricants peuvent travailler ensemble pour élaborer un processus pancanadien qui comprend différentes approches allant au-delà des simples assurances au premier dollar et accords sur le volume. Ce nouveau processus aidera les patients à bénéficier d'un accès rapide aux nouveaux traitements, et offrira une valeur ajoutée et une viabilité financière accrue aux payeurs.
- D'autres pays ont mis en œuvre des accords novateurs qui leur ont permis de remédier avec beaucoup de succès aux problèmes posés par certains produits. Le présent document contient des exemples d'accords novateurs élaborés et utilisés par des collectivités publiques à l'extérieur du Canada. Il décrit également les principales caractéristiques de ces types d'accords.
- Pour créer un cadre sur les accords novateurs, l'engagement des cadres supérieurs des organismes faisant partie de l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) ainsi que la participation des dirigeants de l'industrie et des gouvernements sont essentiels.
- L'industrie pharmaceutique novatrice propose de mettre sur pied un groupe de travail ayant pour mission et mandat de créer un cadre sur les accords novateurs.
- Le présent document a été préparé dans le but de lancer la discussion avec le conseil d'administration de l'APP afin d'explorer les avantages d'élaborer et de mettre en œuvre conjointement un cadre sur les accords novateurs (voir la figure 1). L'objectif du présent document n'est pas d'être exhaustif, mais plutôt de souligner certains des défis et des occasions auxquels les payeurs et les fabricants font face, ainsi que de fournir quelques exemples des types d'accords suivants:
 - ◆ Accord basé sur l'efficacité;
 - ◆ Accord d'amortissement;
 - ◆ Accord d'abonnement;
 - ◆ Accord global;
 - ◆ Accord de portefeuille.

Introduction

Ces dernières années, un nombre croissant de traitements novateurs à forte incidence sont arrivés sur le marché. Ils offrent des avantages pour les patients et la possibilité d'améliorer la durabilité du système de santé, car ils entraînent des économies importantes dans d'autres secteurs du système et permettent de réduire, et même d'éliminer, les interventions de soins de santé traditionnelles et coûteuses, y compris les séjours longs et répétés à l'hôpital. Cette tendance devrait s'accroître dans un avenir proche. Par exemple, selon le rapport [Medicines in Development for Cell and Gene Therapy 2020](#) de Pharmaceutical Research and Manufacturers of America, plus de 100 maladies sont étudiées dans le but de vérifier si elles pourraient être traitées à l'aide de thérapies cellulaires et géniques, et 362 thérapies cellulaires et géniques sont en cours de développement. À l'heure actuelle, aucun cadre n'est mis en place pour gérer de manière adéquate les défis que ces types de thérapies et traitements importants poseront dans notre système de santé.

Les fabricants sont déterminés à offrir ces innovations sur le marché, et les patients, les cliniciens et les gouvernements souhaitent obtenir un accès rapide et flexible à ces produits grâce à une approche efficace axée sur le cycle de vie. Cependant, les responsables des structures publiques, de la gestion budgétaire et des mécanismes de reddition de comptes actuels ont eu du mal à s'adapter à ces progrès. Par exemple, un nombre restreint mais croissant de traitements novateurs ne sont pas offerts de façon équitable dans tous les régimes d'assurance médicaments provinciaux, territoriaux et fédéraux au Canada. En outre, pour un nombre de plus en plus grand de traitements, le test de diagnostic préalable requis n'est pas facilement accessible. Un autre problème est que certains traitements gérés par les processus gouvernementaux nécessitent des produits, des services et des processus administratifs qui échappent au contrôle des gestionnaires de régimes d'assurance médicaments.

Depuis sa création en 2010, l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) a pour mandat de s'assurer que « les programmes publics d'assurance médicaments et les patients en obtiennent plus pour leur argent, en utilisant le pouvoir de négociation combiné des juridictions participantes ». Au cours des dix dernières années, la plupart des accords ont fixé les prix en fonction du rapport coût-efficacité et des volumes prévus. Dans de nombreux cas, les accords de prix et de volume sont un moyen raisonnable et efficace d'optimiser les régimes d'assurance médicaments et l'accès des patients. Toutefois, il est de plus en plus évident qu'une plus grande variété de types d'accords doit être formellement intégrée dans la liste des types d'accords à négocier.

Les pratiques de négociation actuelles sont trop limitées dans leur capacité à traiter certains produits, en particulier ceux qui présentent des données cliniques et des données

¹ Conseil de la fédération, les premiers ministres des provinces et des territoires, « Alliance pancanadienne pharmaceutique », <https://www.pmprovincesterritoires.ca/alliance-pancanadienne-pharmaceutique-app-archives/>.

de rentabilité limitées ou incertaines, qui occasionnent des coûts initiaux importants, qui nécessitent l'accès aux ressources du système de santé ne relevant pas des régimes d'assurance médicaments provinciaux, qui ébranlent la certitude budgétaire et qui nécessitent des technologies de diagnostic novatrices permettant de déterminer si un patient peut recevoir un traitement. De plus, la rigidité du processus de remboursement actuel, de l'étape de l'approbation réglementaire à celle de l'entente sur la liste des produits (ELP), peut entraîner des retards et représenter un obstacle à l'optimisation du processus en fonction des besoins des patients, du système de santé et de la société. Par conséquent, les patients qui pourraient profiter de certains traitements ne peuvent y accéder, les cliniciens sont limités puisqu'ils ne sont pas en mesure de proposer les soins les plus appropriés, et les gouvernements font face à une insatisfaction croissante quant à la qualité du système de santé. Cette nouvelle réalité a amené l'industrie et l'APP à reconnaître la nécessité d'élargir la boîte à outils de négociation en envisageant l'utilisation d'accords novateurs.

Différents types d'accords novateurs sont utilisés de plus en plus fréquemment par d'autres collectivités. Compte tenu de la complexité croissante des traitements novateurs qui cherchent à pénétrer le marché canadien, il est possible d'adapter ces types d'accords et de combiner leurs caractéristiques pour répondre aux préoccupations et aux problèmes soulevés. En gardant l'esprit ouvert et en adoptant une approche de résolution de problèmes flexible, agile et adaptée, les fabricants et les payeurs peuvent envisager de modifier non seulement des types d'accords, mais aussi l'infrastructure réglementaire, législative et informatique qui soutient le nouveau système.

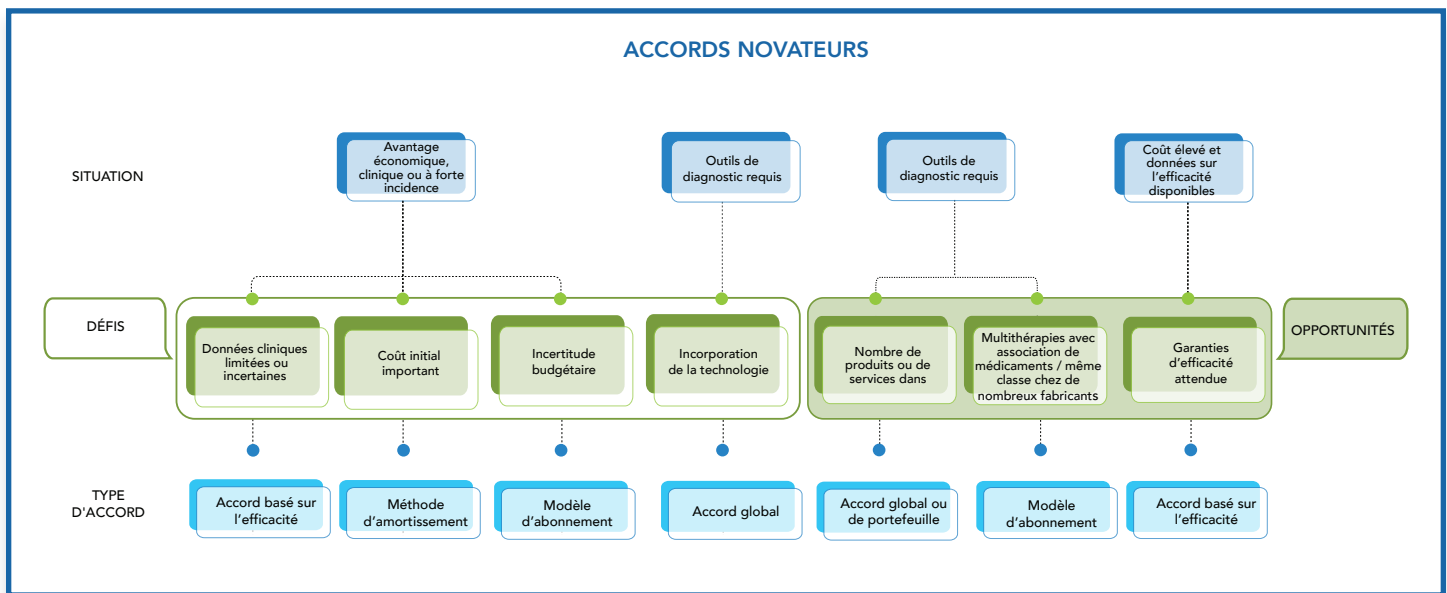
L'industrie pharmaceutique novatrice a formé un groupe de travail pour élaborer un cadre sur les accords novateurs à utiliser lors des négociations publiques. Le groupe de travail cherche à atteindre les objectifs suivants :

- Élaborer une ébauche de cadre pour présenter les avantages de différents accords novateurs qui pourraient être utilisés avec les payeurs publics canadiens;
- Présenter l'ébauche de cadre aux membres de Médicaments novateurs Canada (MNC) et de BIOTECanada, par l'intermédiaire de leurs processus respectifs, afin d'obtenir leurs commentaires et leur soutien;
- Présenter une version définitive de l'ébauche de cadre au conseil d'administration de l'APP et entamer une conversation sérieuse avec ses membres sur les problèmes et les avantages de l'adoption d'un tel cadre, sous réserve de toute modification convenue par les deux parties;
- Obtenir l'approbation finale de MNC, de BIOTECanada et du conseil d'administration de l'APP, et faire adopter et mettre en œuvre le cadre conformément aux Lignes directrices du processus de négociation des médicaments novateurs de l'APP.
- Governing Council, and have the framework adopted and implemented as part of the pCPA Brand Process Guidelines.

Cadre

Les catégories ci-dessous ne sont pas mutuellement exclusives; les types d'accords sont classés en fonction de leur objectif principal.

Figure 1. Cadre les accords novateurs



Défis

Données cliniques limitées ou incertaines

Diverses situations d'essai peuvent produire des données cliniques limitées ou incertaines. En voici quelques exemples :

- Si l'essai concerne une maladie rare;
- Si l'essai touche une petite population de patients;
- Si les populations de l'étude ou de comparaison ne représentent pas la population canadienne;
- Si l'essai concerne un biomarqueur nouveau ou ciblé;
- S'il est nécessaire d'utiliser ou de modifier un nouveau modèle d'essai clinique non traditionnel, non randomisé ou non comparatif pour des raisons pragmatiques et éthiques (p. ex., évaluations comparatives d'études de type panier ou parapluie de phase 2);
- Si d'importants besoins non satisfaits justifient un processus réglementaire accéléré, même si les données de suivi à long terme font défaut.

Dans de telles situations, les essais cliniques sont souvent menés sur une population de patients beaucoup plus restreinte que la population réelle qui pourrait en bénéficier; pour les maladies rares, la taille de l'échantillon peut être incroyablement petite. Cela peut entraîner une incertitude clinique, notamment en ce qui concerne la transposition des résultats dans la pratique clinique et la comparaison de la valeur clinique avec celle des thérapies non conventionnelles.

En outre, les exigences réglementaires en matière d'approbation conditionnelle peuvent ne pas s'aligner sur les exigences des payeurs et des évaluations des technologies de la santé (ETS). Pour les maladies rares, il est parfois impossible de fournir les données supplémentaires exigées par une ETS ou un payeur dans le cadre d'un essai.

Dans les situations indiquées ci-dessus, il peut également y avoir des lacunes relatives aux données sur l'évolution naturelle d'une maladie permettant de caractériser les patients qui en sont atteints ou un manque relatif aux biomarqueurs permettant de fournir un point de référence sur le pronostic des patients qui ne sont pas traités ou qui reçoivent des traitements standard. Cela peut mener à un manque de données probantes contextuelles pour caractériser la valeur clinique du médicament concerné.

Enfin, ces situations peuvent également conduire à une incertitude quant au rapport coût-efficacité, notamment en raison de l'absence d'un groupe de comparaison et d'une étude de suivi à long terme.

Coût initial important

Dans certaines situations, des coûts initiaux importants sont requis pour les produits à forte incidence. Ces produits peuvent avoir une certaine efficacité clinique, être jugés « rentables » par les organismes d'ETS ou offrir une mesure relativement précise des incidences budgétaires. Les coûts peuvent être particulièrement élevés lorsqu'un remède est lancé pour traiter une maladie dont la prévalence est élevée dans la population ou lorsque la mise en place du traitement est coûteuse. Dans ces situations, l'accessibilité financière des payeurs devient problématique en raison de l'incidence budgétaire importante des coûts qui doivent être payés sans délai. Les fabricants savent que le nombre de patients sous traitement risque de ne pas se maintenir dans le temps; il faut donc souligner leur décision d'offrir ce type d'innovations sur le marché.

Incertitude budgétaire

Voici des exemples de facteurs pouvant causer une incertitude budgétaire :

- On ne dispose pas d'informations suffisantes sur l'incidence ou la prévalence de la maladie en raison d'un manque de ressources en matière de surveillance et d'analyse ou de précision diagnostique permettant de définir des types précis de patients;

- Même si de nombreux traitements peuvent être offerts, le nouveau produit pourrait devenir la nouvelle norme de soins et remplacer d'autres traitements;
- L'avantage clinique attendu dans le monde réel est sensiblement différent de ce qui a été observé dans l'essai clinique ou la capacité à diagnostiquer efficacement la maladie diffère sensiblement de ce qui était prévu;
- Une large population de patients ne répond pas aux critères précis d'admissibilité aux essais cliniques.

L'incertitude budgétaire est très courante lorsqu'un médicament est le premier à être utilisé pour traiter certaines maladies. Il est difficile de prévoir avec certitude l'incidence budgétaire de nombreux médicaments lorsqu'ils sont les premiers à être utilisés dans le cadre d'une thérapie médicale ou d'un groupe de thérapies, car souvent, si aucune thérapie n'existe, les diagnostics sont rarement posés et suivis d'une manière précise ou rendus accessibles aux fins d'analyses.

Exemples

La maladie du foie gras non alcoolique (NAFLD) et la stéatohépatite non alcoolique (NASH) qui en résulte sont très répandues aux États-Unis. La NASH a été reconnue comme une forme importante de maladie chronique du foie, une cause fréquente de cirrhose et de carcinome hépatocellulaire et, de plus en plus, un indicateur de la transplantation hépatique, qui entraîne une charge financière considérable sur les ressources du système de santé. La NASH est de plus en plus considérée comme une cause des maladies hépatiques en phase terminale et occupe actuellement le deuxième rang des étiologies du carcinome hépatocellulaire nécessitant une transplantation hépatique. L'âge, l'obésité et le diabète de type 2 ont été systématiquement désignés comme des facteurs de risque de progression fibrotique vers la cirrhose. La documentation existante relative à l'épidémiologie de la NAFLD est complexe, car elle regorge de définitions de cas et de méthodes d'évaluation variables, de petites populations hétérogènes et d'approches analytiques variables. Aucun médicament n'est actuellement approuvé pour traiter la NASH aux États-Unis. Cette situation crée un grand degré d'incertitude quant à l'incidence budgétaire des traitements qui feront leur entrée dans une offre thérapeutique complètement nouvelle et qui feront face à des lacunes en matière de données épidémiologiques.

² Chris Estes et coll., « Modeling the epidemic of nonalcoholic fatty liver disease demonstrates an exponential increase in burden of disease », *Hepatology* 67, no. 1 (janvier 2018): 123–133.

La maladie d'Alzheimer est aussi un domaine thérapeutique qui présente un degré élevé d'incertitude budgétaire. Les traitements de cette maladie représentent un défi, car les coûts et les avantages s'accumulent sur une plus longue période, ont une incidence sur différents programmes budgétaires et nécessitent des données difficiles à mesurer pour justifier la diminution de la dépendance aux aidants et à d'autres ressources des systèmes de santé publique.

Traitements reposant sur des tests de diagnostic

Alors que les médicaments de précision continuent de faire leur entrée sur le marché canadien, de plus en plus de technologies novatrices sont essentielles pour garantir non seulement que le bon patient reçoit le bon traitement, mais aussi que le traitement apporte l'avantage clinique souhaité. Des tests de diagnostic de plus en plus sophistiqués (comme un profilage génomique complet permettant de détecter les biomarqueurs du cancer) améliorent la précision avec laquelle les cliniciens peuvent choisir le traitement le plus efficace. Cependant, au moment même où ces nouveaux traitements efficaces arrivent sur le marché, de nombreux problèmes d'accès au marché apparaissent.

Exemple

Des produits radiopharmaceutiques sont créés pour fournir des diagnostics précis. Cependant, leur nature même crée des défis en ce qui concerne les barèmes d'honoraires des médecins, l'approvisionnement en imagerie diagnostique des hôpitaux et des services ambulatoires et l'accès aux cliniciens nécessaires pour interpréter ces tests. Pour s'assurer que le candidat le plus approprié est choisi pour un traitement, la demande d'outils de diagnostic, tels que les appareils de tépographie, devrait augmenter. À l'heure actuelle, on retrouve moins de 60 appareils de tépographie au Canada. Ils sont tous utilisés, à quelques rares exceptions près, en oncologie. Nous prévoyons une augmentation rapide de la demande d'accès à la tépographie pour des maladies, comme la maladie d'Alzheimer et d'autres troubles neurologiques, afin de déterminer si un nouveau traitement serait la meilleure option. Des investissements substantiels sont nécessaires pour augmenter le nombre et les types de services pour lesquels les appareils de tépographie doivent être utilisés et pour accroître la disponibilité des tests de tépographie lorsqu'ils constituent une condition préalable à un traitement afin de garantir que les patients auront accès à ce dernier.

De plus, les processus visant à choisir un mécanisme de financement des médecins assurés (p. ex., paiement à l'acte ou autre méthode de paiement) sont gérés d'une manière très différente des budgets réservés aux médicaments.

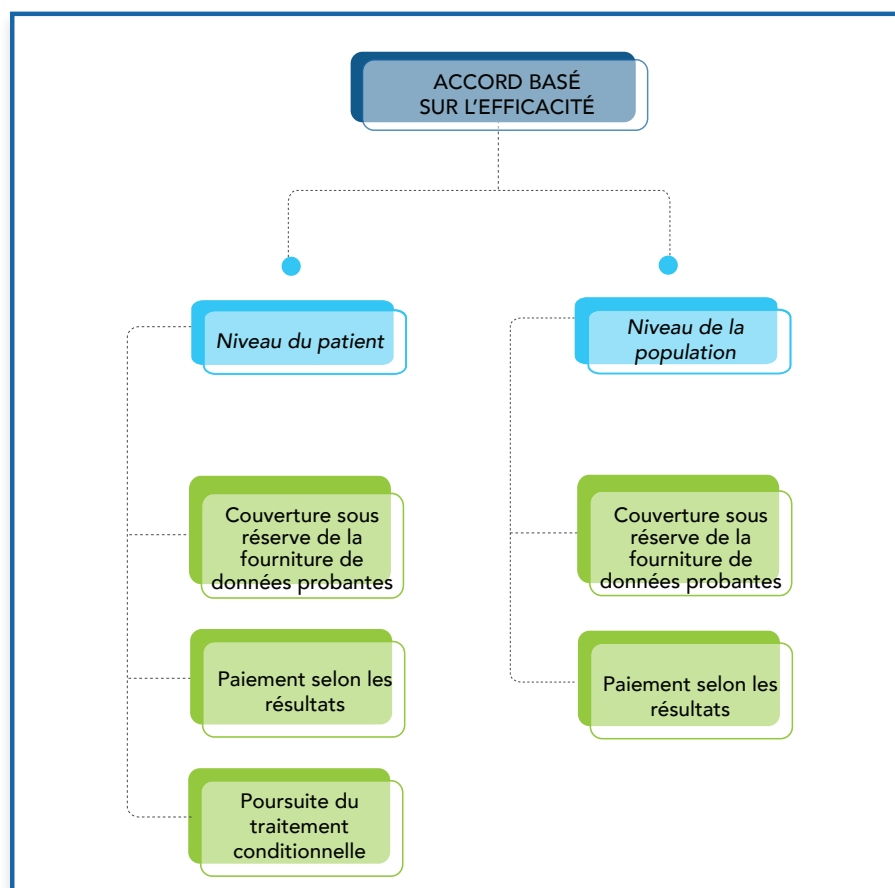
Ces défis ne relèvent pas de l'APP et concernent souvent de nombreuses compagnies, dont certaines ne sont pas des compagnies pharmaceutiques. Les processus traditionnels de gestion budgétaire en silo du système de santé, tout comme les différents processus d'évaluation et de remboursement souvent non coordonnés, représentent aussi un défi.

Types d'accords

Modèle d'accord basé sur l'efficacité

Les accords basés sur l'efficacité permettent de suivre l'efficacité d'un médicament dans une population de patients définie sur une période de temps précise afin de déterminer si l'avantage clinique ciblé a été atteint ou maintenu. Selon certains accords, le fabricant reçoit uniquement un remboursement pour les patients qui ont obtenu l'avantage. D'autres accords prévoient différents degrés de réussite, selon lesquels un pourcentage du coût du produit est remboursé en cas d'efficacité ou d'avantage partiel. Grâce à ce type d'accord, le régime d'assurance médicaments bénéficie d'une protection contre les risques, car il ne rembourse les médicaments que si les avantages désignés sont atteints.

Figure 2. Accord basé sur l'efficacité³



³ Adapté de M. Wenzl et S. Chapman, « Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward », Documents de travail de l'OCDE sur la santé, no 115, Éditions OCDE, Paris, 2019, <https://doi.org/10.1787/6e5e4c0f-en>.

Avantages

Les accords basés sur l'efficacité sont souvent utilisés pour faciliter l'accès à des médicaments prometteurs qui présentent une incertitude clinique ou pharmacoéconomique importante. Ils peuvent également être utilisés dans de nombreuses autres situations pour s'assurer que la valeur, telle qu'elle est décrite dans une mesure d'efficacité convenue, est atteinte. Ces accords peuvent également fournir une plus grande assurance que le marché visé comprend seulement les patients les plus susceptibles de bénéficier de l'innovation.

L'avantage d'un accord basé sur l'efficacité est qu'un produit, que les payeurs auraient pu hésiter à rembourser dans l'attente de données probantes supplémentaires, peut être inscrit sur les listes des régimes. Au fur et à mesure que des avantages seront atteints, les payeurs se sentiront probablement plus à l'aise de rendre un produit admissible pour davantage de patients.

Les accords basés sur l'efficacité sont de plus en plus considérés comme faisant partie d'une boîte à outils essentielle au financement des soins de santé fondé sur la valeur dans de nombreux autres pays.

Usages potentiels

Les accords basés sur l'efficacité qui concernent des médicaments dont les données cliniques ou pharmacoéconomiques sont incertaines peuvent ouvrir la voie à une solution permanente de partage des risques à long terme. Ils peuvent accélérer l'accès aux médicaments prometteurs et influencer le statut du financement selon des analyses de données réelles.

- **Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes :** dans le cadre de ce type d'accord, un accès et un remboursement conditionnels sont prévus pour les traitements conçus pour traiter des maladies présentant un taux de mortalité ou de morbidité élevé et pour lesquelles la durée de suivi des essais cliniques est limitée. Les parties ayant formé cet accord s'entendent pour réévaluer des éléments comme les résultats, les critères et l'inscription aux listes lorsque des données d'essais cliniques ou de suivi à long terme dans le monde réel seront accessibles. L'analyse coût-efficacité est mise à jour au fur et à mesure que des données à long terme sont fournies afin de réévaluer la valeur et les prix.
- **Partage des risques en fonction de la réponse au traitement :** les résultats recueillis de façon routinière dans le cadre de soins cliniques sont utilisés pour établir si le traitement doit être renouvelé (p. ex., selon la réponse objective obtenue par imagerie après le début d'un traitement oncologique). Ces données pourraient être recueillies sous diverses formes (p. ex., programmes de soutien aux patients, registres et formulaires d'autorisation spéciale) qui doivent être soutenues par différents niveaux de développement de l'infrastructure.

- **Accord basé sur l'efficacité au niveau du patient :** les payeurs peuvent obtenir un remboursement complet si un patient arrête de prendre le médicament avant que celui-ci n'ait eu le temps de produire des avantages cliniques. Pour simplifier les choses, il est possible d'utiliser les bases de données administratives sur les réclamations de médicaments.
- **Accord basé sur l'efficacité au niveau de la population :** les payeurs reçoivent un pourcentage de remboursement lié aux données d'observance globales plutôt qu'au volume. Dans ces cas, un remboursement plus élevé pourrait être accordé si un taux d'observance plus bas est détecté selon le renouvellement des ordonnances.
- **Accord basé sur l'efficacité au niveau des économies ou de l'utilisation :** les payeurs reçoivent un pourcentage de remboursement lié à l'augmentation du nombre de patients qui passent d'un médicament équivalent sur le plan clinique, mais plus coûteux, à un autre. Le nombre de patients peut être déterminé grâce aux données des régimes d'assurance médicaments publics.

Ces types d'accords sont directement liés à l'état de santé du patient. Toutefois, les méthodes de collecte, d'analyse et de gestion des données requises doivent être étudiées en collaboration avec le gouvernement. Les données administratives peuvent servir d'indicateur dans le cadre d'accords basés sur l'efficacité au niveau du patient, de la population et des économies ou de l'utilisation. Pour certains produits et certaines maladies, le parcours clinique des patients devra faire l'objet d'un suivi pendant une certaine période, voire pendant plusieurs années. Dans ce cas, il est important de discuter avec les patients pour obtenir leur autorisation. Ces types d'accords nécessitent la réorientation des intrants (dollars dépensés) vers des dépenses qui améliorent les résultats des patients, ce qui devrait être l'objectif de tout système de santé public.

Considérations

La complexité des accords basés sur l'efficacité ainsi que le temps et les ressources qu'ils requièrent de la part des gouvernements, des professionnels de la santé, des fabricants et des patients représentent des obstacles importants à leur application. La mise en œuvre appropriée de ces types d'accords et la mise en commun de leurs réussites et de leurs échecs pourraient améliorer considérablement l'accès à de nouveaux traitements complexes. Par-dessus tout, les payeurs et les fabricants doivent harmoniser leurs actions aux buts et aux objectifs des accords basés sur l'efficacité. Ces accords ne conviennent donc pas à toutes les situations. Des discussions transparentes et collaboratives doivent avoir lieu pour déterminer s'il est nécessaire d'avoir recours aux ressources supplémentaires que ces types d'accords nécessitent.

1. Une importante charge administrative et des coûts substantiels sont associés aux accords basés sur l'efficacité. C'est pourquoi de nombreux pays de l'Union européenne ont remis en doute les avantages de ces accords et leur capacité à vraiment atteindre les objectifs

du payeur. Par conséquent, un cadre officiel doit être appliqué dès les premières discussions afin de déterminer quels produits sont des candidats appropriés et de fournir des précisions sur la manière dont le risque sera partagé, sur les paramètres à suivre et sur le problème que l'accord résoudra.

2. Actuellement, l'infrastructure et la propriété des données ainsi que l'accès rapide aux données existantes font obstacle à la mise en œuvre d'accords basés sur l'efficacité. L'absence de sources de données complètes, nationales et issues du monde réel rend l'intégration des données difficile et limite la capacité à obtenir des résultats précis. Lorsque les données sont limitées, le suivi des résultats peut être amélioré grâce aux éléments suivants:
 - ◆ Le consentement du patient et les données provenant du programme qu'il utilise;
 - ◆ Les tiers qui recueillent des données du monde réel, construisent l'infrastructure, fournissent une assurance et prennent les décisions;
 - ◆ Les provinces qui ont la possibilité de suivre les données par procuration;
 - ◆ Les réseaux nationaux existants de cliniciens.
3. Le mode actuel de prise de décision unique doit évoluer vers une approche axée sur le cycle de vie afin d'aider toutes les parties prenantes à prendre les risques appropriés en temps utile pour optimiser l'incidence sur les patients et améliorer ou ajuster l'approche si nécessaire. Les accords basés sur l'efficacité nécessitent la mise en place de processus de suivi et de mesure continus pour garantir que toutes les parties ont confiance dans l'accord et que la capacité est renforcée pour soutenir davantage de ces types d'accords de manière rentable.
4. Il va sans dire qu'il faut examiner les questions de conformité et les questions juridiques avant de proposer une approche basée sur l'efficacité.

Modèle d'accord d'amortissement

Le modèle d'amortissement (aussi connu comme le paiement de rentes) désigne un accord selon lequel des paiements forfaitaires ou une série de paiements doivent être effectués sur une période déterminée.

Avantages

Vous trouverez ci-dessous quelques avantages de la méthode d'amortissement.

- **Capacité du budget à absorber les chocs:** certains des nouveaux produits novateurs qui arrivent sur le marché présentent un avantage si convaincant qu'il serait déraisonnable de ne pas les offrir. Toutefois, il n'est pas toujours possible de financer la demande dans le cadre d'un cycle budgétaire annuel. C'est l'un des principaux dilemmes auxquels les payeurs et les fabricants ont dû faire face lorsque les nouveaux

traitements de l'hépatite C sont arrivés sur le marché. La mise en place d'un modèle d'amortissement permet d'étendre les dépenses dans le temps pour répartir les contraintes budgétaires sur un certain nombre d'années, plutôt que sur une ou deux.

- **Garantie prolongée pour les budgets:** parfois, même si les données suggèrent qu'un traitement est curatif, des questions subsistent quant au taux de guérison du produit, en particulier au cours des années qui suivent le traitement. Pour certains payeurs, considérer un traitement comme curatif représente un risque, surtout si le coût du traitement par cas est élevé ou si le nombre de personnes traitées est important. Les outils de gestion budgétaire comme les accords d'amortissement s'échelonnent dans le temps pour satisfaire de façon raisonnable les attentes des patients et des payeurs en matière de résultats souhaités. Les payeurs peuvent accepter d'étaler les paiements sur le nombre d'années déterminé comme étant la durée de guérison fonctionnelle. Si, pour une raison quelconque, la maladie réapparaît pendant la période visée par la garantie (c.-à-d. la durée de l'accord), le payeur cesse de payer.

Usages potentiels

Le modèle d'amortissement pourrait être appliqué dans les situations suivantes :

- Médicament curatif ou thérapie génique pour une maladie rare avec une population de patients bien définie, s'il existe une population de patients non traités d'une ampleur inhabituelle;
- Médicament curatif ou thérapie génique pour une maladie rare avec une population de patients bien définie;
- Médicament curatif ou thérapie génique pour une maladie rare pour laquelle il existe des doutes quant à la taille potentielle de la population de patients;
- Situations où l'on s'attend à un nombre élevé de patients dès le début du traitement et où l'incidence sur le budget devient rapidement élevée.

Considérations

Les fabricants et les gouvernements doivent tenir compte des éléments suivants lorsqu'ils envisagent le modèle d'amortissement.

1. **Gestion accrue du budget:** le modèle d'amortissement peut entraîner des difficultés pour le régime d'assurance médicaments ainsi que pour la budgétisation et la responsabilité interministérielles;
2. **Conception de nouveaux programmes:** de nouveaux programmes devront peut-être être conçus spécifiquement pour les produits, les services et les patients auxquels aucun

accès ne serait fourni selon les programmes existants;

3. **Alignement de la couverture :** pour déterminer les implications d'un modèle d'amortissement, il faut examiner les caractéristiques du marché de la couverture des médicaments pour les maladies rares. Les caractéristiques des patients sont-elles similaires dans les populations ayant accès à des couvertures publiques et privées? Lorsqu'un patient passe d'une région à une autre ou d'un régime public à un régime privé (ou vice versa), quelle incidence cela a-t-il sur la couverture? Le nombre de médicaments offerts, surtout ceux pour les maladies rares et très rares, est-il similaire pour les bénéficiaires des régimes publics et ceux des régimes privés? Les gouvernements et les fabricants doivent évaluer les avantages d'assurer la cohérence de la couverture dans le temps et de réduire le transfert des patients des payeurs privés vers les payeurs publics;
4. **Durée de l'accord :** quelle est la durée raisonnable d'un accord de paiement pluriannuel? Il peut être difficile d'assurer le suivi des patients et de remettre des versements échelonnés sur plusieurs années;
5. **Évolution des traitements :** il faut se demander comment le payeur gère les changements importants causés par l'apparition de nouveaux traitements;
6. **Attribution des contrats à des fournisseurs exclusifs :** certains modèles d'amortissement peuvent être considérés comme des contrats à fournisseur exclusif, à moins qu'ils ne fassent partie d'un programme officiel de prestation de services. À l'heure actuelle, la plupart des gouvernements refusent les contrats à fournisseur exclusif ou limitent leur utilisation aux engagements financiers de faible valeur;
7. **Défaut d'approvisionnement :** si une perturbation de l'approvisionnement survient pendant la période d'amortissement, il faut trouver une manière d'y remédier;
8. Les questions de conformité et les questions juridiques doivent être prises en compte avant qu'une méthode d'amortissement ne soit proposée.

Modèle d'accord d'abonnement

Un modèle d'abonnement désigne un accord selon lequel les payeurs doivent payer un montant fixe pour offrir aux patients un accès illimité à un ou à plusieurs produits pendant une période donnée.

Avantages

Vous trouverez ci-dessous quelques avantages du modèle d'abonnement pour certaines thérapies.

- **Certitude budgétaire** : les paiements fixes offrent une certitude qui peut réduire le risque pour les deux parties. Les fabricants sont assurés de recevoir un niveau négocié de revenus, tandis que les dépenses des payeurs sont limitées;
- **Accès élargi** : la méthode d'abonnement peut permettre aux payeurs d'offrir un accès élargi à différents bénéficiaires et régimes publics tout en réalisant des économies substantielles;
- **Pertinence** : les accords d'abonnement offrent la souplesse nécessaire pour fournir un traitement à ceux qui en ont besoin, contrairement aux modèles de rationnement basé sur des règles d'accès clinique;
- **Gestion simple** : les modèles d'abonnement sont souvent plus faciles à gérer et à mettre en place que d'autres types d'accords de partage des risques.

Usages potentiels

Les modèles basés sur l'abonnement offrent une prévisibilité budgétaire qui permet aux gouvernements de financer l'utilisation d'autant de médicaments et de produits de diagnostic que nécessaire. Voici quelques exemples de situations pour lesquels ce type de modèle convient parfaitement.

- **Incertitude relative à l'utilisation** : l'incertitude financière peut survenir lorsque le nombre attendu de patients n'est pas connu et que l'utilisation potentielle ne l'est pas non plus. Le modèle d'abonnement peut être utilisé pour faire face à une urgence ou à une hausse de la demande d'un produit, ou dans les cas où un taux d'utilisation habituellement constant augmente de façon inattendue (p. ex., le produit d'un concurrent peut connaître une pénurie imprévue, ce qui entraîne une hausse de la demande pour les produits comparables);
- **Besoin médical non satisfait** : le modèle d'abonnement est utile lorsqu'un nouveau médicament répond à un important besoin médical non satisfait, mais que les coûts du traitement dans la population seraient prohibitifs par rapport aux limites d'un budget annuel en raison du coût du médicament ou de l'existence d'une grande population de patients;
- **Thérapies complémentaires** : la méthode d'abonnement est également utile lorsqu'il est trop coûteux de rembourser la thérapie complémentaire bénéfique si le prix de l'élément principal reste le même.

Le modèle d'abonnement peut aussi se révéler utile dans d'autres situations, comme celles indiquées dans les sections sur les accords de portefeuille et les accords d'amortissement.

Considérations

1. Les parties doivent s'assurer que la population de patients est clairement définie, car les populations traitées peuvent fluctuer considérablement au fil du temps.
2. Les gouvernements provinciaux peuvent être amenés à mettre en œuvre des accords d'abonnement dans le cadre de leurs budgets d'investissement plutôt que de leurs budgets opérationnels.
3. Les compagnies pharmaceutiques recevront des paiements qui ne sont pas basés sur le volume. En général, les auditeurs du secteur public exigent que les programmes de remboursement effectuent les paiements à la réception d'un produit ou d'un service. Les régimes d'assurance médicaments publics doivent se pencher sur les processus internes de vérification et d'administration des programmes qui exigent un paiement à la réception du volume de produits.
4. Compte tenu de l'évolution constante de l'offre thérapeutique, l'utilisation des produits peut changer tout au long de la durée de l'accord. Des clauses qui prévoient une renégociation par le payeur ou le fabricant en cas de modification du marché, comme l'introduction d'un concurrent important ou la mise à jour des directives sur le traitement, peuvent être recommandées.

Exemple

NHS England teste le modèle d'abonnement pour inciter les compagnies pharmaceutiques à créer de nouveaux antibiotiques pour traiter les infections résistantes. Deux antibiotiques, dont la sécurité et l'efficacité ont été prouvées, seront sélectionnés pour faire l'objet d'une ETS par le National Institute for Health and Care Excellence au cours de l'année 2021. Le gouvernement s'intéresse particulièrement aux antibiotiques qui pourraient servir d'options de rechange aux traitements de certaines infections graves, comme les infections du sang, les sepsies et les pneumonies nosocomiales.⁴

Modèle d'accord global

Un accord global est une approche holistique qui inclut un soutien auxiliaire, comme une infrastructure de données, des tests et un soutien aux patients.

⁴ Elisabeth Mahase, « UK launches subscription style of model for antibiotics to encourage new development », The BMJ, 369 (juin 2020): m2468 <https://www.bmj.com/content/369/bmj.m2468>

Avantages

Compte tenu des pressions croissantes exercées sur les budgets des systèmes de santé, un accord global offre aux payeurs la possibilité de réduire le fardeau et les besoins en matière de ressources, et d'accroître la valeur des nouveaux médicaments pour créer de nouveaux programmes et systèmes. En renforçant et en officialisant le cadre de négociation d'un accord global, les payeurs seront en mesure de coordonner le soutien dont ils ont besoin en extrayant plus de valeur grâce à des négociations sur les produits pharmaceutiques. Voici quelques exemples d'avantages offerts par les accords globaux.

- **Réduction des visites à l'hôpital :** dans le contexte post-COVID-19, où il est de plus en plus important de garder les patients hors des hôpitaux, les programmes de soutien aux patients et les autres assistances proposées en dehors du système public peuvent améliorer l'accès des patients aux services et réduire les visites à l'hôpital;
- **Réduction des coûts relatifs au développement du programme :** les avantages d'un accord global font partie de la négociation d'un produit, de sorte que les administrateurs des systèmes n'ont pas à élaborer de programme pour soutenir l'ajout d'un nouveau médicament dans leurs listes;
- **Réduction des écarts entre les provinces et les territoires :** les accords globaux peuvent améliorer l'équité et la cohérence de l'accès aux services de soutien partout au pays
- **Amélioration de la disponibilité du soutien à long terme :** les accords globaux pourraient répondre aux préoccupations des payeurs quant à la disponibilité à long terme des services de soutien offerts lorsqu'un médicament n'est plus protégé par un brevet ou est retiré du marché;
- **Amélioration de l'accès aux données :** un accord global pourrait garantir aux payeurs un certain niveau de propriété des données recueillies ou d'accès à ces dernières. En donnant aux payeurs la possibilité de s'approprier les données après le retrait d'un médicament du marché, on répondrait à leurs préoccupations quant à la continuité à long terme de ce type d'accord.

Usages potentiels

L'éventail des assistances et des services fournis dans le cadre d'un accord global peut correspondre à l'offre habituelle. Par exemple, un programme de soutien aux patients peut gérer tous les éléments importants d'un traitement biopharmaceutique selon un accord contractuel global d'externalisation de plusieurs fournisseurs. Dans ce cas, tous les traitements doivent être soumis à un contrat de sous-traitance et peuvent inclure des éléments de soins tels que les soins périopératoires, les services d'évaluation et de diagnostic, la pharmacothérapie, la chirurgie, les services thérapeutiques postopératoires et les services de consultation. Les éléments requis dans l'accord dépendent à la fois des services à offrir en sous-traitance et de

l'établissement de nouveaux accords interentreprises répondant aux exigences du contrat qui concernent le gouvernement ou son agence de prestation de services. Les éléments suivants peuvent être pertinents à l'élaboration d'un accord global.

- **Partenariats :** un partenariat regroupant des cliniciens, des entreprises d'imagerie diagnostique, des fournisseurs de laboratoires ou de médecine nucléaire, des entreprises d'instruments médicaux, des entreprises de technologies de l'information et, bien sûr, une compagnie biopharmaceutique peut être formé pour créer et fournir l'éventail de services. Dans ce contexte, le gouvernement pourrait éventuellement signer un contrat avec un organisme à but non lucratif pour s'assurer que les risques juridiques et politiques sont gérables;
- **Programmes de soutien aux patients :** en général, les programmes de soutien aux patients offrent une gamme de services qui comprend notamment une aide financière pour les quotes-parts, un accès compassionnel aux médicaments, des services de soins infirmiers et d'autres services cliniques, une orientation des patients et même un suivi des résultats des patients. Une entreprise peut signer un contrat avec une entreprise partenaire pour fournir un programme de soutien aux patients dans le cadre d'une offre de prestation de services pour un médicament spécifique. Ces entreprises peuvent ensuite s'associer à des payeurs publics ou privés;
- **Investissements en capital :** l'organisme à but non lucratif faisant partie d'un partenariat peut investir de façon importante dans les infrastructures et les technologies. Dans ce cas, les dispositions contractuelles doivent permettre de gérer le risque d'un tel investissement. L'organisme pourrait, entre autres, créer un établissement de chirurgie autonome et non hospitalier pour gérer les séjours des patients hospitalisés;
- **Nouvelles dispositions contractuelles :** le système traditionnel de négociation des contrats article par article pourrait ne pas permettre d'atteindre les objectifs cliniques et financiers de toutes les parties. Par conséquent, il peut être nécessaire de recourir à des outils contractuels, comme le financement au cas par cas, le financement au stade clinique, les contrats à profit normatif et le financement à recouvrement des coûts. Les services prévus dans le cadre d'un accord global peuvent inclure :
 - ◆ l'aide au paiement de la quote-part;
 - ◆ les services cliniques;
 - ◆ l'orientation pour les remboursements;
 - ◆ la fourniture compassionnelle de produits;
 - ◆ les tests de diagnostic (conception, sensibilisation et coût);
 - ◆ les procédures (mise en place, affectation des ressources et financement);
 - ◆ les fournitures auxiliaires (aiguilles, seringues, écouvillons et fournitures de nettoyage);
 - ◆ les renseignements médicaux (ligne téléphonique réservée et consultation de médecins);

- ◆ le développement de l'expertise (formation et diagnostic);
- ◆ la collecte de données (rapports sur les résultats et données probantes du monde réel);
- ◆ les plateformes numériques (dispositifs de suivi de santé, applications et portails Web).

Considérations

1. La capacité à mettre en œuvre un accord global peut varier selon les provinces. Une évaluation de la faisabilité et de l'acceptabilité doit être effectuée. Il convient de cerner les possibilités d'expérimenter différents modèles de financement pour différents budgets (p. ex., comparaison entre les domaines oncologique et non oncologique ou les domaines de la santé et de l'innovation).
2. Les questions de conformité et les questions juridiques doivent être prises en compte avant qu'un accord global ne soit proposé.
3. Définition de la valeur: toutes les parties doivent clairement définir ce qu'est la « valeur » dès le départ. Cette définition devra ensuite être appliquée comme norme.
4. Il faut déterminer tous les produits et les services non médicaux nécessaires à ce type d'accord avant les négociations. L'exécution de certaines composantes de ces types d'offres peut prendre un temps considérable. La participation des organismes gouvernementaux, comme Santé Canada, l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé et l'APP, doit être confirmée avant les négociations.
5. Les payeurs doivent reconnaître l'importance du soutien clinique et administratif dans le cadre de l'accord. Ils peuvent avoir des inquiétudes et hésiter à s'appuyer sur une infrastructure pharmaceutique privée, car rien ne garantit que cette infrastructure sera maintenue indéfiniment.

Exemple

En Bulgarie, des accords globaux ont été mis en œuvre pour rendre de nouveaux médicaments accessibles malgré des ressources limitées. Ces accords comprennent un accord de gestion du lancement qui permet de couvrir le diagnostic complémentaire d'un médicament.⁵ Cependant, les détails sur les produits et les diagnostics complémentaires auxquels ce type d'accord a été appliqué ne sont pas accessibles publiquement.

⁵ Alessandra Ferrario et coll., « The implementation of managed entry agreements in Central and Eastern Europe: findings and implications », *PharmacoEconomics*, 35 (2017): 1271-1285, <http://dx.doi.org/10.1007/s40273-017-0559-4>.

Accord de portefeuille

Les accords de portefeuille sont généralement utilisés dans le cadre des processus d'approvisionnement des hôpitaux et des autorités régionales de la santé, lorsqu'un fabricant peut proposer une offre sur la valeur de portefeuille d'une gamme de produits. En général, dans ce genre de contexte, cette offre peut inclure un mélange de thérapies brevetées et de produits provenant de différentes sources, lorsque l'incidence budgétaire totale prévue est acceptable à la fois pour le payeur et le fabricant.

Avantages

Les fabricants peuvent créer un portefeuille sur mesure pour répondre à leurs objectifs commerciaux, protéger la valeur de leur produit et remplir les objectifs de valeur du payeur. De tels accords permettent aux fabricants d'apporter des ajustements au budget d'un portefeuille et d'offrir aux gouvernements la meilleure valeur possible. De plus, les accords de portefeuille améliorent l'efficacité, car ils ne nécessitent pas la tenue de nombreuses négociations distinctes.

Usages potentiels

Des produits existants et futurs (selon les résultats d'ETS) peuvent être inclus dans les accords de portefeuille. Cela peut se produire dans un certain nombre de situations. En voici quelques exemples.

- **Produits d'une même entreprise :** de nombreux produits d'un même fabricant peuvent être inclus;
- **Produit par produit :** les produits inclus peuvent appartenir à la même catégorie ou à des catégories différentes;
- **Différentes organisations au sein d'une même entreprise :** un produit de marque peut être combiné à un produit biosimilaire, un produit générique ou un produit de diagnostic dans un seul et même accord.

Considérations

1. Des évaluations de la faisabilité et de l'acceptabilité doivent être effectuées, car ce type d'accord peut couvrir différents budgets provinciaux consacrés aux médicaments. Parfois, le traitement correspond à un produit unique ou à une courte série de soins. Dans ce cas, le traitement est fourni dans le cadre du budget opérationnel annuel d'un gouvernement, mais son remboursement est réparti sur plus d'un exercice budgétaire. Cela inclut également les accords qui peuvent concerner plus qu'un budget de programme ou de service (p. ex., un organisme de lutte contre le cancer et le régime

d'assurance médicaments public). Par exemple, un produit peut être utilisé pour soigner un cancer, mais aussi pour traiter une maladie telle que la maladie de Crohn.

2. Un mécanisme pourrait être mis au point pour permettre la mise en place d'un portefeuille qui offre des avantages équivalents à deux programmes de médicaments différents. Ces programmes peuvent répondre aux besoins de différents groupes de patients admissibles (p. ex., les Programmes publics de médicaments de l'Ontario et Action Cancer Ontario).
3. Les questions de conformité et les questions juridiques doivent être prises en compte avant qu'un accord de portefeuille ne soit proposé
4. Les éléments suivants peuvent rendre difficile la mise en place d'un accord de portefeuille pour des produits récents :
 - a. Lacunes relatives aux ETS;
 - b. Complexité de l'examen de la valeur des composants individuels.

À titre d'exemple, grâce à ce type d'accord, un fabricant pourrait effectuer six lancements distincts au cours d'une année (p. ex., deux nouveaux produits ayant chacun trois indications différentes). Certains cas peuvent être plus complexes mais, dans les domaines où les besoins ne sont pas satisfaits, un accord de portefeuille permettrait d'accélérer l'accès des patients aux thérapies dont ils ont besoin. La possibilité d'opter pour un accord de portefeuille doit être discutée avec l'APP avant les négociations. Si un produit est visé par une recommandation avant l'ETS, il convient de déterminer si un accord de portefeuille donnerait lieu à une recommandation différente.

5. Un fabricant pourrait offrir un nouveau produit et envisager de créer un accord de portefeuille avec des produits existants déjà financés. Dans ce cas, le fabricant devrait commencer à évaluer ce à quoi un accord de portefeuille pourrait ressembler avant d'entamer une négociation et discuter avec l'APP de son ouverture à cette approche.
6. Les régimes d'assurance médicaments publics doivent présenter de façon détaillée les dépenses opérationnelles liées à chaque médicament. Cela peut rendre difficile la mise en œuvre d'accords de portefeuille qui couvrent différents éléments. Pour contrer ce problème, les administrateurs peuvent ajouter la liste des médicaments à l'accord de portefeuille.
7. En général, les payeurs s'opposent à l'inclusion de produits qui sont sur le point de perdre leur exclusivité, car ils souhaitent promouvoir l'utilisation de médicaments génériques et biosimilaires. Toutefois, il est possible de conclure des accords dans lesquels la réduction du prix d'un médicament qui perd sa protection par brevet est négociée à l'avance. Dans de tels cas, des informations fiables permettent de déterminer à l'avance une réduction raisonnable.

Occasions

Cette section contient des exemples de situations qui présentent des occasions intéressantes de mettre en œuvre certaines des diverses options d'accords novateurs explorées dans le présent document.

Nombre de produits ou de services dans un portefeuille

Lorsque les parties ne parviennent pas à s'accorder sur la valeur d'un produit seul, les fabricants peuvent offrir une valeur ajoutée en incluant d'autres produits, indications ou services dans le cadre d'un accord de portefeuille. Cela permet de répartir l'offre de valeur dans plusieurs domaines afin de préserver la valeur dans les limites d'un budget donné.

La gestion du budget dans plusieurs domaines est un facteur important à prendre en compte dans un accord de portefeuille. Il peut être avantageux pour les fabricants de proposer plusieurs produits et services afin de protéger la valeur du produit. Cependant, cela peut poser problème pour les payeurs lorsque la valeur est répartie entre différents budgets (p. ex., médicaments anticancéreux et non anticancéreux).

Des considérations futures seront nécessaires afin de garantir la préservation de la valeur pendant toute la durée de l'accord de portefeuille en cas de perte d'exclusivité des produits inclus, et ainsi d'assurer le maintien des services pendant la durée de vie du produit et la préservation de la valeur si un produit venait à être cédé.

Multithérapies avec association de médicaments

La mise en œuvre d'un accord novateur peut être envisagée dans le cas d'une multithérapie ou de l'offre de plusieurs produits d'une même classe thérapeutique. Les produits peuvent provenir d'un seul ou de plusieurs fabricants. Les produits inclus dans une multithérapie peuvent tous être nouveaux, mais il peut aussi s'agir de produits précédemment approuvés inclus dans une nouvelle multithérapie. Cette option peut être envisagée pour un médicament sur ordonnance associé à un ou plusieurs des éléments suivants : un autre médicament sur ordonnance, un médicament en vente libre, un dispositif ou un produit de diagnostic. Les fabricants devraient prendre en compte l'avantage d'une ordonnance unique pour tous les éléments d'une multithérapie.

De nouveaux modèles de remboursement sont nécessaires dans les cas où l'élément complémentaire ou associé prolonge les effets de l'élément principal du traitement. Avec les modèles actuels, le coût de la thérapie complémentaire peut devenir prohibitif si le prix de l'élément principal reste le même. Pour cette raison, il arrive que les fabricants choisissent de ne pas demander de remboursement ou de ne pas développer de multithérapies qui seraient bénéfiques pour les patients. D'autres types d'accords, comme le modèle d'abonnement, peuvent être envisagés par les fabricants comme moyen d'assurer l'accès aux patients. Ceux-ci peuvent inclure ou non une tarification selon les indications, des plafonds de durée du traitement pour l'élément principal de la multithérapie ou une part proportionnelle de la valeur globale. Parmi les domaines thérapeutiques où un modèle d'abonnement pourrait être utilisé dans le cadre d'une multithérapie ou de l'offre de plusieurs produits d'une même classe, citons les thérapies anticancéreuses ou complémentaires très coûteuses, les antiviraux pour le VIH ou le virus de l'hépatite C (VHC) et les antibiotiques utilisés pour traiter une maladie particulière.

Lorsque plusieurs fabricants détiennent des droits sur un même produit inclus dans une multithérapie, les accords correspondants doivent être soigneusement planifiés au stade de la recherche et du développement. Les fabricants doivent vérifier si les accords appropriés (p. ex., accord de coentreprise ou de licence) sont en place, tout en tenant compte des questions de conformité au droit de la concurrence. Il peut être avantageux de conclure des accords de licence de produits dans le cadre desquels un seul fabricant peut obtenir l'accès au marché pour une multithérapie en une seule ordonnance.

Lorsque deux fabricants ou plus ont des droits sur un produit inclus dans une multithérapie (p. ex., lorsqu'une nouvelle multithérapie utilise un produit précédemment approuvé et qu'aucun accord de licence n'est en place), il est fort probable que les fabricants doivent négocier de tels accords de valeur par le biais de négociations multipartites avec l'APP.

Les fabricants doivent également collaborer avec l'APP tôt dans le processus pour discuter du plan de remboursement souhaité, en particulier lorsque la multithérapie implique un médicament sans ordonnance (p. ex., un médicament en vente libre, un dispositif ou un produit de diagnostic) et lorsqu'il y a plus d'un fabricant ayant des droits sur un produit inclus dans la multithérapie.

Garanties d'efficacité attendue

Les discussions concernant les accords novateurs sont souvent exclusivement axées sur les médicaments prometteurs qui reçoivent une autorisation de mise sur le marché avec des données limitées ou sous condition de mesurer des résultats concrets ou des résultats d'essais. Cependant, il est possible de tirer parti des accords novateurs pour promouvoir la fixation du prix des médicaments en fonction de leur valeur, en analysant leur efficacité de différentes manières (c.-à-d. que le niveau de qualité des données attendu en recherche peut ne pas être exigé).

Les payeurs publics font face à des difficultés financières importantes et ne peuvent parfois pas se permettre de payer les prix, même pour les médicaments dont l'efficacité clinique est avérée. Même les prix des rares médicaments jugés « rentables » par les organismes d'ETS sont négociés pour améliorer leur abordabilité. Des plafonds budgétaires ou des remises accrues en fonction du volume sont souvent envisagés dans ces circonstances. Certains fabricants sont, à juste titre, réticents à offrir les remises recherchées par les payeurs publics pour des produits dont la valeur est avérée. En outre, lorsque l'incidence budgétaire peut être mesurée de façon relativement précise (c.-à-d. avec une faible incertitude concernant l'utilisation), les plafonds budgétaires ne génèrent pas beaucoup de valeur pour les payeurs.

Dans certains cas, les patients peuvent ne pas obtenir les mêmes résultats que ceux observés dans les essais cliniques en raison de divers facteurs liés au monde réel (p. ex., des effets indésirables, une mauvaise gestion de la posologie ou une mauvaise observance thérapeutique). La tarification basée sur l'efficacité pourrait optimiser le prix pour les fabricants lorsque les médicaments sont pris conformément à la posologie, et les payeurs bénéficieraient d'une atténuation des risques dans les cas contraires.

Conclusion

Grâce aux progrès considérables de la science, notamment en ce qui concerne l'accessibilité des thérapies curatives et des thérapies géniques transformatrices, les nouveaux médicaments et traitements font maintenant partie de la réalité des patients. Ces nouvelles cures et innovations transformatrices permettent aux Canadiens atteints de maladies graves, et parfois mortelles, de vivre plus longtemps et de manière plus productive. En outre, bon nombre de ces nouvelles thérapies entraînent d'importantes économies dans d'autres secteurs du système de santé en réduisant, voire en éliminant, les interventions traditionnelles et coûteuses, y compris les séjours longs et répétés à l'hôpital, et ont des répercussions sociétales positives élargies pour les patients et leur famille.

Les fabricants et l'APP reconnaissent tous deux que les accords novateurs constituent une approche différente pouvant soutenir l'adoption de médicaments nouveaux et novateurs tout en générant une valeur accrue pour les programmes publics d'assurance médicaments et les patients, grâce au pouvoir de négociation combiné des collectivités publiques membres de l'APP. Les accords novateurs permettent d'améliorer les approches actuelles afin d'atteindre l'objectif commun d'assurer l'accès des patients canadiens aux meilleurs médicaments.

Tenant compte des facteurs propres au contexte canadien, ce document présente un cadre

pour l'évaluation des divers types d'accords novateurs et des situations où ces approches peuvent être le mieux appliquées. L'industrie reconnaît que les payeurs publics font face à d'importantes pressions et incertitudes financières qui ont été amplifiées par la pandémie de COVID-19. Dans ce contexte, ce cadre anticipe les principales considérations du point de vue des payeurs face aux défis et aux occasions associés à chaque type d'accord novateur, et il indique les catégories de traitement les plus appropriées pour chaque approche.

Bien qu'il existe de nombreux exemples d'accords novateurs dans d'autres pays, les exemples au Canada sont rares. Cela peut être dû à une réticence à discuter de la nature des accords au Canada pour des raisons de confidentialité. Pour mieux comprendre les possibilités qui existent au Canada, il est important que les payeurs et les fabricants puissent échanger sur leurs expériences avec les accords novateurs et en tirer des leçons. Les conditions commerciales confidentielles doivent le rester, mais l'échange de cadres généraux et d'approches à des problèmes complexes contribuera à élargir la base de connaissances, ce qui améliorera l'accès aux nouvelles thérapies, pour le plus grand bien des patients. Alors qu'ils continuent de travailler sur ce cadre, les membres de l'industrie sont impatients d'engager un dialogue et de collaborer avec l'APP pour mieux définir les situations où l'utilisation d'accords novateurs est préférable, les éléments nécessaires pour soutenir ces accords, ainsi que les traitements les mieux adaptés à ces approches novatrices. Les membres de l'industrie sont ravis à l'idée d'échanger à nouveau avec l'APP sur ce sujet important.