

DISPOSITIONS NOVATRICES EN MATIÈRE D'ACCÈS ET ACCORDS DE GESTION DU LANCEMENT

CE QUE LE CANADA PEUT APPRENDRE DE L'EUROPE

Auteur : **Neil Grubert**



TABLE DES MATIÈRES

Résumé	3
Profils de pays	3
Que peut apprendre le Canada de l'Europe?	4
Pourquoi les dispositions novatrices en matière d'accès et les accords de gestion du lancement sont-ils de plus en plus nombreux?	6
Profils de pays	8
L'Italie : une pionnière en matière de gestion du lancement	8
Augmentation de l'utilisation des couvertures sous réserve de la fourniture de données probantes et des accords intelligents en Angleterre	10
L'Espagne met au point une plateforme en ligne polyvalente pour soutenir la gestion du lancement à l'échelle nationale	14
Que peut apprendre le Canada de l'Europe?	16
Annexe	20

RÉSUMÉ

Bien que les systèmes de santé (et les marchés pharmaceutiques) européens soient différents de ceux du Canada, on peut tirer des leçons précieuses de leur expérience avec les accords de gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès. Les trois pays étudiés dans le présent rapport ont élaboré des stratégies nationales de gestion du lancement. Dans de nombreux pays, un nombre croissant de payeurs se tournent vers les accords de gestion du lancement et d'autres dispositions novatrices en matière d'accès pour permettre un accès rapide aux médicaments qui répondent à d'importants besoins non satisfaits. Dans certains cas, des preuves supplémentaires sont nécessaires pour que la valeur de ces médicaments soit pleinement reconnue. Il existe de nombreux types d'accords de gestion du lancement, mais ils peuvent être classés en trois grandes approches répondant à différents objectifs : (1) les programmes basés sur les coûts pour contrôler l'incidence budgétaire; (2) les accords basés sur les résultats pour gérer les taux variables de réponse aux médicaments; et (3) la couverture sous réserve de la fourniture de données probantes pour lever l'incertitude que suscite un médicament au moment de sa mise sur le marché.

Profils de pays

L'**Italie** fait figure de pionnière à l'échelle mondiale dans le domaine de la gestion du lancement. Sa stratégie de gestion du lancement repose sur un vaste système national de registres en ligne créé en 2004. Les données des registres sont utilisées pour allouer des fonds aux régions afin de couvrir le coût de leurs ordonnances de médicaments novateurs. Le système permet aussi de gérer les paiements et les remboursements liés aux accords de gestion du lancement pour les patients individuels.

Le National Health Service (NHS), le système de santé publique de l'**Angleterre**, a été l'un des premiers à adopter la gestion du lancement. En février 2021, NHS England a publié un cadre commercial pour les nouveaux médicaments, qui décrit sa stratégie de gestion du lancement. Son objectif est d'« encourager une mise sur le marché plus rapide des nouveaux traitements et de soutenir l'adoption de ces médicaments lorsque leur prix est juste et responsable » [traduction].

Le NHS a négocié des dizaines de ce qu'il appelle des « accords intelligents », c'est-à-dire des accords visant à aligner les besoins du système de santé sur ceux des fabricants de médicaments. La liste comprend plusieurs thérapies cellulaires et géniques de pointe, des antibiotiques de réserve, des traitements contre l'hépatite C, un portefeuille de médicaments contre la fibrose kystique et des accords de gestion de la santé de la population dans les domaines de la dyslipidémie et de l'oncologie.

NHS England cherche à développer des partenariats à long terme avec les compagnies pharmaceutiques et est prêt à les aider dans des activités telles que l'identification des patients, le déploiement des médicaments, la collecte de données, les essais cliniques et la production. Les compagnies sont encouragées à proposer des accords intelligents à NHS England : l'organisation tient 30 à 40 consultations commerciales par an et dispose d'un système de triage pour hiérarchiser les idées.

Si les fabricants sont prêts à offrir des prix compétitifs, le NHS peut leur donner un accès rapide et élargi, dans certains cas, dans les semaines ou même les jours qui suivent l'autorisation de mise sur le marché. Toutefois, l'accès rapide a un prix : une base de données moins fournie. Pour compenser, le National Institute for Health and Care Excellence (NICE) exigera davantage de recherches après la commercialisation, y compris une collecte de données concrètes.

L'**Espagne** a fait son entrée relativement tard dans le domaine de la gestion du lancement. En effet, le pays a négocié son premier accord de gestion du lancement en 2010. Dans le passé, la gestion du lancement se faisait principalement à l'échelle régionale ou locale. En 2019, l'arrivée de la plateforme de registre en ligne VALTERMED a transformé l'environnement de gestion du lancement.

L'un des principaux objectifs de VALTERMED est de « passer de l'efficacité à l'efficience » en enregistrant des données sur la vie réelle des patients. La plateforme, qui permet également de réduire l'incertitude quant à l'utilisation réelle des médicaments, facilitera le paiement selon les résultats. À l'avenir, les patients pourront saisir des informations relatives à leur qualité de vie, ce qui permettra d'analyser le rapport coût-efficacité des médicaments et de soutenir les objectifs de durabilité et d'accès aux soins de santé.

QUE PEUT APPRENDRE LE CANADA DE L'EUROPE?

Avant d'examiner les leçons que le Canada peut tirer de l'expérience de ces pays, il peut être utile d'étudier les marchés qui présentent des similitudes fonctionnelles. Les systèmes de santé de l'Italie et de l'Espagne sont fortement régionalisés (ce qui n'est pas sans rappeler le modèle canadien), mais ces deux pays ont réussi à coordonner la gestion du lancement à l'échelle nationale. L'Espagne possède également une grande expérience en lien avec les accords régionaux et locaux, et étudie les moyens de prendre en compte les écarts régionaux dans les accords nationaux.

Comme le système canadien, le système de santé anglais s'appuie fortement sur les évaluations économiques en santé. D'ailleurs, l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) et le NICE ont beaucoup collaboré au cours des dernières années. L'ACMTS et le NICE travaillent également avec plusieurs autres organismes d'évaluation des technologies de la santé (ETS) au Royaume-Uni et en Australie dans le cadre de l'entente de collaboration conclue entre les trois pays.

Les expériences de l'Italie, de l'Angleterre et de l'Espagne montrent qu'il est important d'investir dans une infrastructure numérique solide, comme les registres de l'agence italienne des médicaments (la « Agenzia Italiana del Farmaco » [AIFA]), la base de données Systemic Anti-Cancer Therapy (SACT) en Angleterre et VALTERMED en Espagne, afin de pouvoir recueillir les données concrètes nécessaires aux accords de gestion du lancement. Cette infrastructure permettra d'évaluer ultérieurement les performances d'un médicament dans le monde réel, comme l'exigent les accords de gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès.

Un élément essentiel de la gestion du lancement est la rapidité d'accès, c'est-à-dire qu'il faut rendre les médicaments novateurs accessibles aux patients qui en ont besoin le plus rapidement possible et limiter le risque pour le système de santé en recueillant des preuves supplémentaires pour lever l'incertitude ou en limitant le remboursement aux patients qui atteignent les résultats visés.

Bien que la gestion du lancement soit généralement axée sur les nouveaux médicaments, les accords peuvent également être bénéfiques pour les produits établis. Il peut être avantageux de négocier de nouvelles conditions financières et d'assouplir les restrictions d'ordonnance afin d'élargir considérablement l'utilisation des médicaments susceptibles d'avoir une incidence majeure sur la santé de la population.

Les accords de gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès offrent également aux systèmes de santé et aux compagnies pharmaceutiques la possibilité de former des partenariats concrets qui peuvent les aider à relever les défis liés à l'adoption des nouvelles technologies de la santé en repensant les services et en soutenant les professionnels de la santé. Améliorer la qualité de vie des patients en leur donnant accès rapidement à des médicaments prometteurs est, après tout, l'objectif commun de tous les systèmes de santé et de tous les fabricants de médicaments.

POURQUOI LES DISPOSITIONS NOVATRICES EN MATIÈRE D'ACCÈS ET LES ACCORDS DE GESTION DU LANCEMENT SONT-ILS DE PLUS EN PLUS NOMBREUX?

Nous avons la chance de vivre à une époque d'innovation pharmaceutique sans précédent, qui a joué un rôle majeur dans l'augmentation de l'espérance de vie et l'amélioration de la qualité de vie partout dans le monde. Ces progrès ont considérablement amélioré la vie de millions de patients et de leurs familles, mais ils profitent également à la société en général en stimulant la productivité et en allégeant la pression sur des systèmes de santé surchargés. Étant donné que beaucoup de ces interventions répondent à d'importants besoins cliniques non satisfaits, les organismes de réglementation autorisent un nombre croissant de nouveaux médicaments par l'entremise de procédures accélérées. Par exemple, de 2019 à 2021, 22 % des nouveaux médicaments ayant reçu une recommandation favorable de l'Agence européenne des médicaments (AEM) ont bénéficié d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle, d'une approbation en raison de circonstances exceptionnelles ou d'une évaluation accélérée¹. En 2021, 37 des 50 nouveaux médicaments autorisés aux États-Unis (74 %) ont bénéficié d'un ou de plusieurs programmes accélérés, à savoir la désignation de processus rapide, la désignation de thérapie novatrice, l'évaluation prioritaire ou l'approbation accélérée².

Une autorisation de mise sur le marché précoce peut toutefois signifier que de nombreux médicaments sont approuvés sur la base de données relativement limitées, y compris des études portant sur des petites populations, des essais cliniques à un seul groupe et des données récentes. Les organismes de réglementation sont de plus en plus nombreux à exiger des études de confirmation après commercialisation, qui peuvent prendre plusieurs années. En attendant l'achèvement de ces études, les systèmes de santé (qui n'ont pas nécessairement les mêmes priorités et objectifs que les organismes de réglementation) doivent décider s'ils remboursent intégralement ces nouveaux médicaments, s'ils limitent leur utilisation ou s'ils les excluent complètement de la couverture. L'incertitude relative au rapport coût-efficacité des thérapies novatrices peut faire hésiter les payeurs de soins de santé à rembourser certains nouveaux traitements prometteurs.

Il est particulièrement difficile d'évaluer la valeur des thérapies potentiellement curatives. Ces médicaments peuvent être administrés au cours d'un seul traitement, voire en une seule dose, ce qui entraîne un prix élevé, surtout s'ils visent à traiter des maladies rares ou très rares. Cependant, la durée de leur effet n'est pas toujours certaine. En outre, la répartition des coûts pour ces types de traitements peut s'avérer difficile, notamment parce que les patients peuvent changer de régime public d'assurance médicaments et déménager dans une autre province ou un autre territoire.

Un nombre croissant de payeurs se tournent vers les accords de gestion du lancement et d'autres dispositions novatrices en matière d'accès pour permettre un accès rapide aux médicaments qui répondent à d'importants besoins non satisfaits. Il existe de nombreux types d'accords de gestion du lancement, mais ils peuvent être classés en trois grandes approches répondant à différents objectifs. Les formes les plus courantes d'accords de gestion du lancement sont indiquées dans le tableau 1. Ces accords ont un dénominateur commun : ils permettent aux patients d'accéder rapidement à des thérapies novatrices en partageant le risque entre les payeurs et les fabricants de médicaments.

Tableau 1 – Principales catégories d'accords de gestion du lancement

Approche générale	Objectif principal	Type d'accord	Niveau d'activité	Caractéristiques principales
Programmes basés sur les coûts	Contrôler l'incidence budgétaire	Accords prix-volume	Population	Le prix du médicament est inversement lié au volume des ordonnances.
		Remises/rabais	Population	Le fabricant offre une réduction sur le prix courant d'un médicament en échange d'un remboursement (favorable).
		Stocks gratuits	Population/patient	Le fabricant fournit des stocks gratuitement.
		Plafonds budgétaires	Population	Les dépenses totales pour un médicament sont limitées et le fabricant couvre les coûts excédentaires.
		Limite d'utilisation ou de temps	Patient	Le fabricant couvre les coûts du traitement au-delà d'une durée ou d'un degré d'utilisation spécifié.
		Coût fixe par patient	Patient	Le coût par patient est le même, peu importe la quantité consommée.
Accords basés sur les résultats	Gérer les taux variables de réponse aux médicaments	Garanties de résultats	Patient	Le fabricant rembourse une partie ou la totalité du coût du traitement si les patients n'obtiennent pas les résultats spécifiés. Cette option peut être associée à des paiements échelonnés.
		Contrôle de l'admissibilité des patients	Patient	L'accès est limité aux patients qui remplissent des critères d'admissibilité stricts, possiblement contrôlés par des registres de patients.
		Poursuite du traitement conditionnelle	Patient	La poursuite du traitement est conditionnelle à l'obtention de certains résultats par les patients.
		Processus de soins	Patient	Le remboursement est lié à des protocoles thérapeutiques définis (p. ex., plans thérapeutiques et programmes de gestion thérapeutique).
Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes	Lever l'incertitude	Couverture sous réserve de la fourniture de données probantes	Population	Les prix et les conditions de remboursement peuvent faire l'objet d'un examen basé sur des données concrètes ou des essais cliniques après commercialisation.

L'Europe a été la première région du monde à utiliser les accords de gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès. Les systèmes de santé européens varient énormément, tout comme leur façon d'aborder la gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès. Dans le passé, l'Union européenne (UE) a joué un rôle relativement limité dans les politiques en matière de santé. Toutefois, depuis la pandémie de COVID-19, la participation de l'UE a considérablement augmenté dans ce domaine, y compris dans des initiatives reconnues de collecte de données concrètes – une pratique qui influencera de plus en plus les futures décisions en matière d'accès.

PROFILS DE PAYS



L'ITALIE : UNE PIONNIÈRE EN MATIÈRE DE GESTION DU LANCEMENT

L'Italie fait figure de pionnière à l'échelle mondiale dans le domaine de la gestion du lancement. Sa stratégie de gestion du lancement repose sur un vaste système national de registres en ligne, que l'AIFA a commencé à développer peu de temps après sa création en juillet 2004.

Le tout premier registre spécifique à une maladie a été lancé en novembre 2004 afin de soutenir une stratégie nationale sur le psoriasis et d'évaluer la norme de soins dans tout le pays. En 2006, l'AIFA a conclu le premier accord de gestion du lancement basé sur les résultats et lié aux registres afin de répondre aux préoccupations relatives à certaines thérapies anticancéreuses. Cette action répondait à l'augmentation du nombre de thérapies anticancéreuses bénéficiant d'une approbation réglementaire accélérée de la part de l'AEM et susceptibles d'avoir un effet important sur le budget national des soins de santé. Des registres dans d'autres domaines thérapeutiques ont été créés au cours des années suivantes³.

En 2017, le gouvernement italien a lancé un nouveau processus d'évaluation du degré d'innovation des nouveaux médicaments prometteurs, basé sur les besoins cliniques non satisfaits, la valeur thérapeutique ajoutée et la qualité des preuves. Les médicaments considérés comme entièrement novateurs pouvaient être couverts par deux nouveaux fonds pour les médicaments novateurs anticancéreux et non anticancéreux (récemment regroupés en un seul fonds) pour une durée maximale de 36 mois, avec une possibilité de prolongation. De plus, toutes les régions de l'Italie ont dû inscrire ces produits à leurs régimes. La liste comprend certaines thérapies cellulaires et géniques.

Les produits jugés entièrement novateurs, selon le processus d'évaluation susmentionné, sont inclus dans un registre de l'AIFA qui surveille leur utilisation appropriée et « qui permet d'accéder au traitement de façon homogène sur l'ensemble du territoire national⁴ ». Les registres sont également considérés comme « un outil de soutien pour l'évaluation de l'efficacité des médicaments et pour la renégociation des conditions d'accès⁵ » [traduction].

En 2019, l'AIFA a modifié son modèle de paiement selon les résultats, qui est devenu un modèle de paiement à l'atteinte des résultats. Utilisés pour la première fois pour les thérapies cellulaires et géniques, les accords de gestion du lancement avec paiement à l'atteinte des résultats se distinguent essentiellement par l'ajout de paiements échelonnés qui permettent d'éviter que le système de santé n'ait à payer le coût total de la thérapie au moment de l'administration. À ce jour, le modèle de paiement à l'atteinte des résultats est seulement appliqué à trois médicaments inscrits. Pour deux de ces médicaments, les versements sont effectués dans l'année qui suit le traitement, mais pour l'un d'entre eux, le délai est de cinq ans. Les différentes approches de gestion du lancement utilisées en Italie sont indiquées dans le tableau 2.

Tableau 2 – Approches de gestion du lancement utilisées en Italie

Niveau d'activité	Type d'approche	Accord de gestion du lancement	Caractéristiques principales
Patient	Approche basée sur les résultats	Partage des risques	Les compagnies pharmaceutiques remboursent une partie du coût pour les personnes n'ayant pas répondu au traitement.
		Paiement selon les résultats	Les fabricants effectuent un remboursement complet pour les personnes n'ayant pas répondu au traitement. Cette approche permet de gérer un degré élevé d'incertitude pour les médicaments perçus comme ayant un rapport avantages-risques défavorable au moment de leur lancement. Presque tous les accords actifs basés sur les résultats suivent ce modèle de paiement.
		Paiement à l'atteinte des résultats	Un remboursement est effectué, comme pour le paiement selon les résultats, mais de façon échelonnée.
	Approche basée sur les coûts	Partage des coûts	Cette approche prévoit une réduction du coût du premier cycle de traitement, ou de l'ensemble de la thérapie, pour tous les patients admissibles. Elle est généralement utilisée quand les possibles répercussions financières d'un nouveau médicament (et non son efficacité) suscitent l'incertitude.
		Plafonnement	Cette approche permet de limiter les dépenses d'un médicament par patient. Le fabricant assume les coûts restants.
Population	Approche basée sur les coûts	Plafonnement des dépenses par produit	Le comité sur la tarification et le remboursement, appelé le « Comitato Prezzi e Rimborso », de l'AIFA négocie une limite nationale pour les dépenses relatives à un médicament donné au cours de ses 12 ou 24 premiers mois sur le marché. Si cette limite est dépassée, le fabricant doit rembourser les coûts excédentaires aux administrations régionales.
		Accords prix-volume	Cette approche prévoit des remises sur les prix courants qui varient selon le volume des ordonnances. Les remises peuvent prendre la forme d'une réduction de prix ou d'un remboursement aux régions.

Les compagnies pharmaceutiques versent à l'AIFA une redevance de 30 000 € pour trois ans afin d'obtenir un registre sur la plateforme contrôlée par l'agence⁶. En 2021, 73 compagnies possédaient au moins un registre sur la plateforme de l'AIFA⁷.

L'AIFA gère actuellement 192 registres sur les ordonnances appropriées, 8 registres basés sur les coûts et 10 registres basés sur les résultats⁸. Près des trois quarts des registres actifs concernent les thérapies anticancéreuses. Cependant, des 3,3 millions de patients inclus dans les registres de l'AIFA, 51 % suivent des traitements pour des maladies cardiovasculaires, 16 %, pour des cancers et 10 %, pour des maladies oculaires⁹.

Les données des registres sont utilisées pour allouer des fonds aux régions afin de couvrir le coût de leurs ordonnances de médicaments novateurs. Le système permet aussi de gérer les paiements et les remboursements liés aux accords de gestion du lancement pour les patients individuels.

Le gouvernement italien s'est engagé à faire passer le fonds pour les médicaments novateurs de 1 milliard d'euros en 2021 à 1,3 milliard d'euros d'ici 2024, dans le cadre d'une relance générale des dépenses de santé. D'autres modifications de l'environnement d'accès italien sont prévues pour rendre le pays plus attractif aux fabricants de médicaments.



AUGMENTATION DE L'UTILISATION DES COUVERTURES SOUS RÉSERVE DE LA FOURNITURE DE DONNÉES PROBANTES ET DES ACCORDS INTELLIGENTS EN ANGLETERRE

Le NHS, le système de santé publique de l'Angleterre, a été l'un des premiers à adopter la gestion du lancement. En 2002, à la suite d'une évaluation défavorable du NICE, un système de partage des risques a été mis en place pour rembourser les traitements de la sclérose en plaques selon les résultats obtenus. Toutefois, l'accord de gestion du lancement a été considéré comme un échec en raison de la charge administrative, de la lenteur du recrutement des patients, des lacunes dans le modèle d'étude, d'un mauvais choix de pays de comparaison et de façon de mesurer les résultats, et de la difficulté à établir un lien entre les résultats et le prix¹⁰.

En réaction, le NHS s'est détourné des accords basés sur les résultats au profit de programmes d'accès basés sur de simples remises, qui restent l'approche préférée de gestion du lancement du NHS et qui représentent plus de 70 % des accords¹¹. Toutefois, en 2016, NHS England a entrepris une réévaluation majeure de sa stratégie d'accès. Le Cancer Drugs Fund (CDF) a été réformé afin de fournir un financement provisoire pour les médicaments anticancéreux prometteurs en attendant la collecte de données concrètes en vue d'une réévaluation par le NICE. Le CDF s'appuie sur des données de la base de données SACT de la santé publique de l'Angleterre, qui peuvent être utilisées pour informer les analyses de résultats, la planification financière, la planification des services et l'élaboration de politiques.

Le gouvernement britannique a également commandé un examen accéléré de l'accès suggérant la conclusion de « nouveaux accords de partage des risques entre le NHS et la partie novatrice pour permettre aux deux parties de bénéficier du succès d'un produit » [traduction]. En outre, le Royaume-Uni pourrait adopter certaines méthodes de tarification flexibles déjà mises en œuvre dans d'autres pays, comme les accords prix-volume, le remboursement conditionnel, les paiements différés ou la tarification par rentes, les paiements basés sur les résultats, et le regroupement de produits et de services¹².

Dans son document sur sa vision des sciences de la vie, le gouvernement fixe un objectif stratégique qui consiste à faire du Royaume-Uni le meilleur endroit au monde pour découvrir, élaborer, tester, évaluer, lancer et adopter de nouveaux traitements et de nouvelles technologies en créant un environnement commercial tourné vers l'avenir, où le NHS peut conclure des accords phares et où des innovations éprouvées, rentables et efficaces sur le plan clinique sont rapidement adoptées et distribuées dans tout le pays afin de renforcer la santé de la nation, d'offrir une meilleure valeur ajoutée au contribuable et de stimuler la croissance économique¹³.

En janvier 2021, le gouvernement a lancé le nouveau programme Innovative Licensing and Access Pathway (ILAP), qui offre un accès rapide aux nouveaux médicaments prometteurs à différents intervenants clés du système de santé britannique, comme la Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA), NHS England, le NICE et le Scottish Medicines Consortium. Les candidats retenus reçoivent un passeport d'innovation, qui leur donne accès à une équipe d'experts spécialisés dans le produit, afin de les aider à définir un profil de développement cible qui permettra de définir les principales caractéristiques de réglementation et de développement, d'identifier les embûches potentielles, d'offrir un accès à des outils spécialisés et de créer une feuille de route pour assurer un accès rapide aux patients. Les compagnies peuvent présenter une demande en tout temps, depuis l'étape d'essai préclinique jusqu'à la mi-parcours du développement du programme, mais elles sont encouragées à le faire le plus tôt possible afin de tirer le meilleur parti de l'accord.

En février 2021, NHS England a publié son cadre commercial pour les nouveaux médicaments, qui décrit sa stratégie de gestion du lancement (tableau 3). Son objectif est d'« encourager une mise sur le marché plus rapide des nouveaux traitements et de soutenir l'adoption de ces médicaments lorsque leur prix est juste et responsable » [traduction].

Tableau 3 – Cadre commercial du NHS pour les nouveaux médicaments

Type de programme ou d'accord	Caractéristiques principales
Programmes simples d'accès aux patients	<ul style="list-style-type: none"> Il s'agit de l'option la plus courante. Sa charge administrative minimale permet d'offrir un accès plus rapide. Un prix fixe ou un pourcentage de remise est applicable à toutes les indications (sans tarification mixte ou spécifique à une indication).
Programmes complexes d'accès aux patients	<ul style="list-style-type: none"> Ces programmes sont seulement envisagés si leur utilisation est solidement justifiée et si la manière dont les risques seront partagés est clairement expliquée. Les renseignements ne sont pas confidentiels (pour assurer une valeur au NHS).
Accords d'accès commerciaux	<ul style="list-style-type: none"> Cette option convient aux technologies dont le rapport coût-efficacité différentiel est inférieur à 20 000 £ par année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) ou pour lesquelles le lancement d'un produit serait particulièrement difficile ou non viable sur le plan commercial. Exemples : plafonds budgétaires, accords prix-volume, partage des coûts, critères d'arrêt et accords basés sur les résultats ou paiements selon les résultats.
Ententes d'accès réglementé	<ul style="list-style-type: none"> Ces ententes sont envisagées pour les médicaments qui pourraient faire l'objet d'essais afin d'en vérifier l'efficacité, mais qui suscitent l'incertitude. La collecte de données est combinée à un programme d'accès aux patients (simple ou complexe) ou à un accord d'accès commercial. La faisabilité de la collecte de résultats pertinents sur la santé est une condition essentielle à l'approbation de l'entente. Ces ententes sont généralement utilisées dans le cadre du CDF ou pour des technologies hautement spécialisées, mais leur utilisation ne se limite pas à ces programmes. Elles ne sont pas visées par l'obligation légale de financement (couverture par le NHS dans les 90 jours suivant l'approbation du NICE).
Programmes basés sur l'incidence budgétaire	<ul style="list-style-type: none"> Le NHS entamera des discussions commerciales pour réduire le coût des médicaments dont la possible incidence budgétaire nette est supérieure à 20 millions de livres sterling au cours de leurs trois premières années sur le marché.

La couverture sous réserve de la fourniture de données probantes est un élément important du cadre commercial pour les nouveaux médicaments visés par des ententes d'accès réglementé, qui nécessitent une collecte de données. Une analyse récente a révélé qu'en six ans, 22 technologies avaient été réévaluées par le NICE après une période de gestion des accès. Toutes sauf deux étaient des thérapies anticancéreuses. Les ententes d'accès réglementé pour 19 médicaments (86 %) ont donné lieu à une collecte de données concrètes d'une durée médiane de 18 mois. Dix-neuf des vingt-deux technologies ont été recommandées pour une utilisation de routine au sein du NHS à la suite de la période de gestion des accès. Les auteurs ont conclu que « sans gestion des accès, ces technologies n'auraient probablement pas été recommandées pour une utilisation de routine au sein du NHS en Angleterre¹⁴ » [traduction]. La gestion des accès deviendra de plus en plus importante à l'avenir avec le lancement d'un nouveau fond pour les médicaments novateurs, l'Innovative Medicines Fund (IMF), qui est l'équivalent du CDF pour les médicaments non anticancéreux. L'IMF aura un budget annuel de 340 millions de livres sterling, pour égaler celui du CDF, et sera administré selon huit principes directeurs :

1. Il couvrira les médicaments non anticancéreux afin de garantir l'égalité des chances de bénéficier de médicaments prometteurs mais incertains;

2. Il couvrira les médicaments les plus prometteurs pour lesquels d'importantes incertitudes cliniques subsistent;
3. Les médicaments doivent présenter un potentiel plausible de rentabilité et être tarifés de manière responsable (afin de refléter un avantage clinique incertain);
4. La gestion des accès doit être restreinte à la période la plus courte nécessaire à la collecte de données permettant de lever les incertitudes soulevées par le NICE;
5. L'ensemble de la population de patients admissibles (comme déterminée par le NICE) doit avoir accès aux médicaments couverts par l'IMF;
6. Tous les médicaments couverts par l'IMF doivent être réévalués par le NICE afin d'être recommandés pour une utilisation de routine au sein du NHS;
7. Les patients auront la possibilité de poursuivre leur traitement (aux frais de la compagnie) même si un médicament n'est pas recommandé lors de la réévaluation;
8. Les compagnies participantes rembourseront proportionnellement les dépenses dépassant le budget annuel de 340 millions de livres sterling du fonds.

Le NHS a également négocié des dizaines de ce qu'il appelle des « accords intelligents », c'est-à-dire des accords visant à aligner les besoins du système de santé sur ceux des fabricants de médicaments. La liste comprend plusieurs thérapies cellulaires et géniques de pointe, des antibiotiques de réserve, des traitements contre l'hépatite C, un portefeuille de médicaments contre la fibrose kystique et des accords de gestion de la santé de la population dans les domaines de la dyslipidémie et de l'oncologie (voir l'annexe)¹⁵.

NHS England cherche à développer des partenariats à long terme avec les compagnies pharmaceutiques et est prêt à les aider dans des activités telles que l'identification des patients, le déploiement des médicaments, la collecte de données, les essais cliniques et la production. Les compagnies sont encouragées à proposer des accords intelligents à NHS England : l'organisation tient 30 à 40 consultations commerciales par an et dispose d'un système de triage pour hiérarchiser les idées¹⁶.

L'Angleterre est de plus en plus souvent le premier marché d'Europe, voire du monde, à donner accès aux nouveaux médicaments, et l'adoption de ces derniers se fait également de plus en plus rapidement.

Toutefois, l'accès rapide a un prix : une base de données moins fournie. Pour compenser, le NICE exigera davantage de recherches après la commercialisation. La stratégie 2021-2026 du NICE stipule que « l'utilisation significative des données concrètes et des données probantes jouera un rôle de plus en plus important dans les décisions relatives aux soins de santé et dans la mesure de l'incidence réelle de ces décisions dans la pratique. La capacité d'établir un lien entre les données concrètes et la pratique factuelle entraînera une transition où la formulation de recommandations à un moment unique et "statique" passera à la définition d'orientations plus dynamiques et vivantes, et où l'évaluation des technologies de la santé sera remplacée par la gestion de ces technologies¹⁷ » [traduction].

En juin 2022, le NICE a publié un cadre de données concrètes ayant deux objectifs principaux :

- Déterminer dans quelles situations les données concrètes peuvent contribuer à réduire les incertitudes et à améliorer les recommandations;
- Décrire clairement les pratiques exemplaires pour la planification, la réalisation et la communication d'études basées sur des données concrètes afin d'améliorer la qualité et la transparence des données probantes.

En fin de compte, le NICE estime que l'utilisation des données concrètes permettra « de combler les lacunes en matière de connaissances et d'améliorer l'accès aux innovations pour les patients¹⁸ » [traduction].



L'ESPAGNE MET AU POINT UNE PLATEFORME EN LIGNE POLYVALENTE POUR SOUTENIR LA GESTION DU LANCEMENT À L'ÉCHELLE NATIONALE

L'Espagne a fait son entrée relativement tard dans le domaine de la gestion du lancement. En effet, le pays a négocié son premier accord de gestion du lancement en 2010¹⁹. Historiquement, les activités de gestion du lancement étaient principalement régionales ou locales, et menées par les comunidades autónomas (communautés autonomes) d'Andalousie, des îles Baléares et de Catalogne, ainsi que par les hôpitaux de Barcelone, de Grenade, de Madrid et de Valence. Un fabricant, par exemple, a négocié des accords de partage des risques pour plus de 20 médicaments avec plus de 100 hôpitaux²⁰. La Catalogne a été la communauté autonome la plus active en matière de gestion du lancement : l'administration régionale a publié des lignes directrices détaillées sur la mise en œuvre des accords de partage des risques²¹.

En 2013, une multinationale est devenue le premier fabricant à négocier un accord national de gestion du lancement, lorsqu'elle a proposé au ministère de la Santé un accord de début de traitement pour un traitement de la sclérose en plaques²². En février 2018, l'entreprise a conclu un autre accord de partage des risques avec le ministère de la Santé, cette fois pour un traitement de la maladie d'Aran-Duchenne²³.

Une étude a recensé 39 accords de gestion du lancement en Espagne en mai 2016. Vingt-six (67 %) de ces accords étaient des accords de partage des risques, tandis que les 13 autres (33 %) étaient des plafonds de dépenses. Des accords de gestion du lancement ont été négociés dans dix communautés autonomes, principalement à l'échelle des hôpitaux. Cependant, tous les contrats de plafonnement des dépenses, sauf un, ont été négociés à l'échelle nationale²⁴.

L'environnement de gestion du lancement a été transformé par le lancement, en 2019, de la plateforme VALTERMED, un système d'information permettant de déterminer la valeur thérapeutique en pratique clinique réelle des médicaments à fort impact sanitaire et économique dans le système national de santé de l'Espagne (le « Sistema Nacional de Salud » [SNS]). L'objectif de la plateforme est de fournir des informations optimales pour une prise de décision éclairée à différents niveaux de services pharmaceutiques et à différents stades du cycle de vie des médicaments.

- Les médecins peuvent utiliser les données de VALTERMED pour autoriser la sortie des patients, enregistrer des variables, et consulter et utiliser les dossiers de leurs patients.
- Les pharmaciens hospitaliers ont les mêmes accès que les médecins, mais ils peuvent aussi consulter et utiliser les dossiers de tous les patients.
- Les communautés autonomes peuvent consulter et utiliser les données anonymisées de tous les patients hospitalisés dans leur territoire (y compris celles des patients d'autres régions orientés vers leurs hôpitaux).
- Le ministère de la Santé peut consulter et utiliser les dossiers des centres du système de santé, gérer les utilisateurs et fixer les conditions applicables aux médicaments et aux protocoles.

Le gouvernement considère VALTERMED comme une source importante de données permettant de combler les lacunes des essais cliniques, notamment en ce qui concerne les maladies rares. En décembre 2021, la directrice générale adjointe de la pharmacie au ministère de la Santé, Dolores Fraga, a décrit la plateforme comme « un système d'information permettant de déterminer la valeur thérapeutique des médicaments dans la pratique réelle

[et d'assurer] un suivi à long terme ». Elle pense qu'« il permettra d'évaluer des résultats qui n'ont pas été mesurés au cours du processus de développement clinique standard et de compléter toutes les données du cycle de vie des médicaments ». VALTERMED peut également contribuer à « accélérer l'accès aux traitements présentant une valeur clinique supplémentaire par rapport aux thérapies établies²⁵ ».

Selon M^{me} Fraga, VALTERMED « permettra d'évaluer la prévalence d'une maladie ou d'une situation clinique, de connaître l'incidence budgétaire réelle, de réaliser une analyse coût-efficacité adéquate et, surtout, d'améliorer l'efficacité du système national de santé²⁶ » [traduction].

VALTERMED soutient les accords basés sur les résultats, y compris un accord novateur de paiement selon les résultats assorti de variations tarifaires régionales pour un nouveau traitement du lymphome diffus à grandes cellules B. Dans un premier temps, le fabricant recevra un acompte qui sera ajusté en fonction des résultats obtenus pour chaque patient et dans chacune des 17 communautés autonomes d'Espagne. En utilisant les données de VALTERMED, les communautés autonomes évalueront périodiquement les résultats pour calculer les paiements dus. Dans un deuxième temps, le ministère de la Santé examinera chaque année les taux de réponse et les procédures en vue de calculer le coût de la thérapie que le fabricant doit assumer et de négocier éventuellement des ajustements à l'accord, au besoin²⁷.

Selon certains leaders d'opinion, les accords basés sur les résultats avec paiements échelonnés ont joué un rôle crucial dans le programme espagnol relatif aux cellules CAR-T. Par exemple, le directeur général de l'hôpital universitaire Virgen del Rocío de Séville, Manuel Molina, estime que le modèle de partage des risques - selon lequel la moitié du coût du traitement est payée au moment de la perfusion, et le reste, si le patient poursuit le traitement jusqu'à la rémission - a été un facteur important dans la prise en charge de la thérapie par lymphocytes T porteurs de récepteurs antigéniques chimériques (thérapie CAR-T) par le système de santé espagnol. Le directeur général de l'hôpital clinique universitaire de Valence, Álvaro Bonet, reconnaît que le partage des risques « est un système très raisonnable qui garantit la durabilité²⁸ ».

Une thérapie génique utilisée pour traiter la maladie d'Aran-Duchenne fait également l'objet d'un accord de gestion du lancement qui comprend un accord de paiement selon les résultats et un accord prix-volume. Les comités de suivi de chaque région vérifient le respect des conditions de remboursement et communiquent les résultats à la direction générale du portefeuille commun des services du système national de santé et de la pharmacie (la « Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia » [DGCYF]) afin de déterminer si le prix doit être revu. Si les ventes dépassent les prévisions de la compagnie, le prix du médicament sera réduit. Les dépenses seront suivies par l'entremise de SEGUIMED - une application informatique qui gère les données relatives aux transactions de médicaments entre les fabricants, les grossistes et les pharmacies - ou d'un processus similaire. Le fabricant sera tenu de communiquer les données relatives aux ventes mensuellement²⁹.

L'un des principaux objectifs de VALTERMED est de « passer de l'efficacité à l'efficience » en enregistrant des données sur la vie réelle des patients. La plateforme, qui permet également de réduire l'incertitude quant à l'utilisation réelle des médicaments, facilitera le paiement selon les résultats. Un nouvel espace patient sur la plateforme permettra aux patients de contribuer plus facilement à la collecte de données en remplissant des questionnaires sur leur qualité de vie tout au long de leur traitement. Selon le ministère de la Santé, l'objectif est « d'effectuer une évaluation de la qualité de vie dès le début du traitement; d'analyser la corrélation entre la qualité de vie rapportée par le patient et les variables cliniques de réponse au traitement; ainsi que d'effectuer une évaluation et un suivi de l'observance du traitement³⁰ » [traduction]. Les patients pourront saisir des informations relatives à leur qualité de vie, ce qui permettra d'analyser le rapport coût-efficacité des médicaments et de soutenir les objectifs de durabilité et d'accès aux soins de santé³¹.

Le ministère de la Santé travaille à l'intégration de VALTERMED aux systèmes informatiques des 17 communautés autonomes afin de permettre un partage des données à grande échelle et d'éviter les doublons. Dans l'avenir, le recoupement des données de VALTERMED et des cartes santé sera rendu possible, ce qui devrait améliorer le suivi des patients³².

QUE PEUT APPRENDRE LE CANADA DE L'EUROPE?

L'environnement d'accès aux médicaments novateurs au Canada devrait connaître des changements importants dans les années à venir. Le ministre de la Santé, Jean-Yves Duclos, a reconnu le « besoin d'avoir au Canada une industrie pharmaceutique forte, surtout étant donné la leçon que nous avons tirée de la COVID-19³³ » [traduction]. La stratégie nationale sur les médicaments pour le traitement des maladies rares devrait être soutenue par un financement de 500 millions de dollars par an pour les thérapies destinées à ces maladies³⁴. En outre, le gouvernement a récemment réaffirmé son intention de poursuivre son régime d'assurance médicaments afin de garantir à tous les Canadiens l'accès aux médicaments dont ils ont besoin³⁵.

Bien que les systèmes de santé (et les marchés pharmaceutiques) européens soient très différents de ceux du Canada, on peut tirer des leçons précieuses de leur expérience avec les accords de gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès. Les trois pays étudiés ont élaboré des stratégies nationales de gestion du lancement. Les systèmes de santé de l'Italie et de l'Espagne sont fortement régionalisés (ce qui n'est pas sans rappeler le modèle canadien), mais ces deux pays ont réussi à coordonner la gestion du lancement à l'échelle nationale. L'Espagne possède également une grande expérience en lien avec les accords régionaux et locaux, et étudie les moyens de prendre en compte les écarts régionaux dans les accords nationaux.

Comme le système canadien, le système de santé anglais s'appuie fortement sur les évaluations économiques en santé. D'ailleurs, l'ACMTS et le NICE ont beaucoup collaboré au cours des dernières années. Les deux pays sont membres de l'Access Consortium, qui cherche à renforcer l'harmonisation des réglementations, mais explore également la collaboration en matière d'ETS afin d'accélérer l'accès à de nouveaux médicaments prometteurs³⁶. L'ACMTS et le NICE travaillent également avec plusieurs autres organismes d'ETS au Royaume-Uni et en Australie dans le cadre de l'entente de collaboration conclue entre les trois pays³⁷.

Les expériences de l'Italie, de l'Angleterre et de l'Espagne montrent qu'il est important d'investir dans une infrastructure numérique solide, comme les registres de l'AIFA en Italie, la base de données SACT en Angleterre et VALTERMED en Espagne, afin de pouvoir recueillir les données nécessaires aux accords de gestion du lancement. Ces systèmes doivent être faciles à utiliser par les professionnels de la santé et, dans l'idéal, pouvoir intégrer des données provenant des patients afin de refléter l'importance croissante des résultats rapportés par ces derniers dans l'évaluation des médicaments. Le Canada devrait donc également envisager d'investir dans une infrastructure numérique conviviale.

Les fonds pour les médicaments novateurs gérés en Italie et en Angleterre s'appuient fortement sur la gestion du lancement. L'expérience de ces pays pourrait être mise à profit pour accélérer l'accès aux médicaments anticancéreux dans tout le Canada, et elle pourrait s'avérer utile alors que le gouvernement fédéral élabore la stratégie nationale sur les médicaments pour le traitement des maladies rares (prévoir un financement destiné à ces thérapies tout en recueillant des données probantes après commercialisation pour justifier un remboursement à long terme). Une consultation publique sur les thérapies pour les maladies rares a révélé que « de nombreuses personnes [estimaient] que l'accent mis sur le coût élevé des médicaments négligeait leur valeur pour les patients, le système de santé et la société dans son ensemble ». Les accords de rémunération au rendement ont été donnés en exemple d'option qui pourrait être étudiée³⁸.

Bien que la gestion du lancement soit généralement axée sur les nouveaux médicaments, les accords peuvent également être bénéfiques pour les produits établis. En Angleterre, le NHS a négocié un accord en 2019 avec les fabricants de traitements contre le virus de l'hépatite C (VHC) pour travailler avec les services et les conseils de santé locaux, ainsi que des groupes bénévoles, afin de trouver des patients potentiels, d'effectuer des tests de dépistage de l'infection et de fournir un traitement à ceux qui en ont besoin. Selon Blake Dark, « le fait que les entreprises collaborent avec nous pour investir dans la recherche de patients, tout en intégrant cet investissement dans le coût d'acquisition du médicament, est une démarche intelligente, car nous nous unissons pour régler le problème plutôt que d'acheter simplement un médicament³⁹ » [traduction].

Il peut être avantageux pour le Canada de négocier de nouvelles conditions financières et d'assouplir les restrictions d'ordonnance afin d'élargir considérablement l'utilisation des médicaments susceptibles d'avoir une incidence majeure sur la santé de la population. Un accord récent très médiatisé entre NHS England et les fabricants de médicaments permettra à 610 000 patients supplémentaires de bénéficier de quatre anticoagulants oraux directs entre 2022 et 2024, ce qui pourrait permettre d'éviter environ 21 700 accidents vasculaires cérébraux et 5 400 décès au cours des trois prochaines années⁴⁰.

Un élément essentiel de la gestion du lancement est la rapidité d'accès, c'est-à-dire qu'il faut rendre les médicaments novateurs accessibles aux patients qui en ont besoin le plus rapidement possible et limiter le risque pour le système de santé en recueillant des preuves supplémentaires pour lever l'incertitude ou en limitant le remboursement aux patients qui atteignent les résultats visés. Par exemple, NHS England a négocié une entente d'accès réglementé pour une nouvelle immunothérapie à cellules T dans les 10 jours suivant l'autorisation de mise sur le marché du médicament⁴¹. En l'absence de tels accords, les patients pourraient se voir refuser le remboursement ou se heurter à de longs délais d'accès dans l'attente de la collecte de données probantes après commercialisation.

Les accords de gestion du lancement et les dispositions novatrices en matière d'accès offrent également aux systèmes de santé et aux compagnies pharmaceutiques la possibilité de former des partenariats concrets qui peuvent les aider à relever les défis liés à l'adoption des nouvelles technologies de la santé en repensant les services et en soutenant les professionnels de la santé. Améliorer la qualité de vie des patients en leur donnant accès rapidement à des médicaments prometteurs est, après tout, l'objectif commun de tous les systèmes de santé et de tous les fabricants de médicaments.

Le tableau suivant résume les principales leçons que le Canada peut tirer des trois pays étudiés dans le présent rapport.

Principales leçons que le Canada peut tirer de l'Europe

ITALIE



- Mettre au point un système de registre national en ligne pour soutenir la gestion du lancement en recueillant des données concrètes et en prenant en charge les remboursements en cas d'échec du traitement.
- Tirer parti de l'expérience des fonds pour les médicaments novateurs dans la planification de la nouvelle stratégie nationale sur les médicaments pour le traitement des maladies rares.
- Envisager l'utilisation d'accords basés sur les résultats associés à des paiements échelonnés pour les médicaments coûteux dont l'administration est ponctuelle ou à court terme, mais qui présentent des avantages à long terme ou potentiellement curatifs (p. ex., les thérapies cellulaires et géniques).

ANGLETERRE



- Pour les médicaments prometteurs, utiliser la couverture sous réserve de la fourniture de données probantes pour permettre un accès très rapide en attendant la collecte de données supplémentaires pour soutenir la réévaluation.
- Miser sur des initiatives comme celle de l'Access Consortium et sur la collaboration potentielle avec le NICE d'Angleterre pour accélérer l'autorisation de mise sur le marché et l'évaluation des technologies de la santé.
- Suivre le modèle de NHS England en permettant aux développeurs de médicaments susceptibles de répondre à des besoins cliniques non satisfaits de s'engager très tôt auprès des principales parties prenantes du système de santé canadien.
- Encourager les compagnies à proposer des solutions d'accès novatrices, à envisager de nouvelles approches et à adapter les méthodes d'autres pays.
- Construire une infrastructure de données numériques robuste similaire à la base de données SACT de l'Angleterre.
- Envisager le recours à des dispositions novatrices en matière d'accès pour les médicaments matures dont une utilisation beaucoup plus large aurait des effets bénéfiques sur la santé de la population.
- Envisager de négocier de nouvelles conditions financières et d'assouplir les restrictions d'ordonnance afin d'élargir considérablement l'utilisation des médicaments.
- Établir des partenariats avec les compagnies pharmaceutiques à tous les niveaux du système de santé.
- Évaluer la flexibilité offerte par la gestion des technologies de la santé et les lignes directrices vivantes basées sur des données concrètes.

ESPAGNE



- Élaborer une stratégie nationale cohérente de gestion du lancement, tout en laissant la possibilité de conclure des accords régionaux, voire locaux.
- Étudier le modèle de VALTERMED pour le développement d'une plateforme répondant aux besoins de plusieurs groupes de parties prenantes (médecins, pharmaciens, autorités régionales, ministère de la Santé national), permettant d'enregistrer des données sur la qualité de vie des patients, et facilitant le paiement selon les résultats.

ANNEXE : Accords intelligents négociés entre NHS England et les compagnies pharmaceutiques

Date	Médicament(s)	Compagnie(s)	Technologie	Indication
Septembre 2018	Kymriah	Novartis	Thérapie CAR-T	Leucémie aiguë lymphoblastique à cellules B
Octobre 2018	Yescarta	Gilead Sciences	Thérapie CAR-T	Lymphome diffus à grandes cellules B et lymphome médiastinal primitif à cellules B
Novembre 2018	Biosimilaire de l'adalimumab	AbbVie, Amgen, Biogen, Mylan/Fujifilm Kyowa Kirin, Sandoz	Anticorps monoclonal	Indications multiples
Avril 2019	Thérapies de l'hépatite C	Gilead Sciences, Merck Sharp and Dohme, AbbVie	Antiviraux à action directe	Hépatite C
Mai 2019	Spinraza	Biogen	Oligonucléotide antisens	Maladie d'Aran-Duchenne
Mai 2019	Ocrevus	Roche	Anticorps monoclonal	Sclérose en plaques
Septembre 2019	Luxturna	Novartis	Thérapie génique	Dystrophie rétinienne
Octobre 2019	Orkambi, Symkevi, Kalydeco	Vertex Pharmaceuticals	Modulateurs CFTR	Fibrose kystique
Février 2020	Ilaris	Novartis	Anticorps monoclonal	Syndromes de fièvre périodique
Août 2020	Kaftrio	Vertex Pharmaceuticals	Modulateurs CFTR	Fibrose kystique
Décembre 2020	Fetroja, Zavicefta	Shionogi, Pfizer	Antibiotiques	Infections pharmacorésistantes
Janvier 2021	Tecartus	Kite Pharmaceuticals	Thérapie CAR-T	Lymphome à cellules du manteau en rechute ou réfractaire
Mars 2021	Zolgensma	Novartis	Thérapie génique	Maladie d'Aran-Duchenne
Avril 2021	PHESGO (pertuzumab + trastuzumab)	Roche	Anticorps monoclonal	Cancer du sein HER2 positif
Septembre 2021	Leqvio	Novartis	Petit ARN interférent (petit ARNi)	Hypercholestérolémie familiale
Octobre 2021	Adakveo	Novartis	Anticorps monoclonal	Anémie falciforme

Date	Médicament(s)	Compagnie(s)	Technologie	Indication
Octobre 2021	Médicaments anticancéreux émergents	EQRx	Divers	Cancers divers
Novembre 2021	Eliquis, Pradaxa, Xarelto, Lixiana	Pfizer, Boehringer Ingelheim, Bayer, Daiichi Sankyo	Anticoagulants oraux directs	Fibrillation auriculaire et prévention des accidents vasculaires cérébraux
Novembre 2021	Evrysdi	Roche	Modificateur de l'épissage de l'ARNm	Maladie d'Aran-Duchenne
Décembre 2021	Dichlorhydrate de saproptérine	Teva	Forme synthétique du cofacteur BH4	Phénylcétonurie
Décembre 2021	Palforzia	Aimmune Therapeutics	Immunothérapie par voie orale	Allergie aux arachides
Février 2022	Libmeldy	Orchard Therapeutics	Thérapie génique	Leucodystrophie métachromatique
Février 2022	Jemperli	GlaxoSmithKline	Inhibiteur de PD-1	Cancer de l'endomètre
Mars 2022	Darzalex	Janssen	Anticorps monoclonal	Myélome multiple
Mars 2022	Lumykras	Amgen	Inhibiteur de KRAS G12C	Cancer du poumon non à petites cellules
Juin 2022	Fetroja, Zavicefta	Shionogi, Pfizer	Antibiotiques	Infections résistantes à d'autres antibiotiques
Octobre 2022	Rukobia, Vocabria, Rekambys	ViiV Healthcare	Antirétroviral	VIH

- ¹ [Monthly Statistics Report: April 2022](#), Agence européenne des médicaments.
- ² [Advancing Health Through Innovation: New Drug Therapy Approvals 2021](#), Food and Drug Administration
- ³ [Real World Evidence e Farmaci: Razionale, Criticità e Applicazioni nel Contesto Italiano](#), Gianluca Trifirò
- ⁴ [Registri farmaci sottoposti a monitoraggio](#), Agenzia Italiana del Farmaco
- ⁵ [Registri di monitoraggio AIFA](#), Agenzia Italiana del Farmaco
- ⁶ [\(Good\) Practice Organizational Models Using Real-World Evidence for Public Funding of High-Priced Therapies](#), Austrian Institute for Health Technology Assessment
- ⁷ [National Report on Medicines Use in Italy - Year 2021](#), Agenzia Italiana del Farmaco
- ⁸ [Lista aggiornata dei Registri e dei Piani Terapeutici web based](#), Agenzia Italiana del Farmaco
- ⁹ [National Report on Medicines Use in Italy - Year 2021](#), Agenzia Italiana del Farmaco
- ¹⁰ [« Performance-Based Risk-Sharing Arrangements—Good Practices for Design, Implementation, and Evaluation: Report of the ISPOR Good Practices for Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Task Force »](#), Value in Health, volume 16, n° 5, juillet-août 2013, p. 703-719.
- ¹¹ [Technologies with approved patient access schemes and other commercial arrangements](#), Patient/PLI Access Schemes Liaison Unit (PASLU), National Institute for Health and Care Excellence (NICE)
- ¹² [Accelerated Access Review: Final Report](#), gouvernement britannique.
- ¹³ [Life Sciences Vision](#), gouvernement britannique.
- ¹⁴ [What Goes in Must Come Out: An Analysis of NICE Recommendations for Drugs Exiting Managed \(Early\) Access in England](#)
- ¹⁵ [« The UK access environment has been transformed - and what are the lessons for Pharma and other countries? »](#), *Pharmaceutical Field*
- ¹⁶ [Ibid.](#)
- ¹⁷ [The NICE Strategy 2021 to 2026](#), National Institute for Health and Care Excellence
- ¹⁸ [Real-world evidence framework feedback](#), National Institute for Health and Care Excellence
- ¹⁹ [« El riesgo compartido es una nueva vía de financiación »](#), *El Global*
- ²⁰ [« El acceso rápido a las terapias es el mayor reto en enfermedades raras »](#), Cinco Dias
- ²¹ [Guía para la Definición de Criterios de Aplicación de Esquemas de Pago Basados en Resultados \(EPR\) en el Ámbito Farmacoterapéutico \(Acuerdos de Riesgo Compartido\)](#), CatSalut
- ²² [« Biogen comercializará fampridina en España a través de un acuerdo de riesgo compartido »](#), *El Global*
- ²³ [Sanidad inicia un modelo de pago por resultados para abordar la innovación](#), *El Global*
- ²⁴ [« Innovative Contracting in Spain \(2010-2016\). Getting More 'In.' »](#) International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)
- ²⁵ [« Sanidad muestra su hoja de ruta para el desarrollo futuro de Valtermed »](#), *Diariofarma*.
- ²⁶ [Ibid.](#)
- ²⁷ [« Roche lanza Polivy gracias a un innovador acuerdo de pago por resultados »](#), *Diariofarma*.
- ²⁸ [« Los hospitales se adaptan a las CAR-T »](#)
- ²⁹ [« Sanidad incluye en el SNS un nuevo tratamiento de terapia génica para pacientes con atrofia muscular espinal »](#), *Infosalus*
- ³⁰ [« Valtermed prepara el envío masivo de datos y se 'ensanchará' antes de 2023 »](#), *Redacción Médica*
- ³¹ [« Evaluando al evaluador: pros y contras de Valtermed dos años después »](#), *Revista Española de Economía de la Salud*
- ³² [« Valtermed prepara el envío masivo de datos y se 'ensanchará' antes de 2023 »](#), *Redacción Médica*
- ³³ [« Ottawa dropped some drug pricing reforms to meet need for 'strong' pharmaceutical industry, Health Minister says »](#), *Globe and Mail*
- ³⁴ [« Mobilisation en ligne sur une stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares »](#) Gouvernement du Canada.
- ³⁵ [« Obtenir des résultats dès maintenant pour les Canadiens »](#) Premier ministre du Canada.
- ³⁶ [Access Consortium Strategic Plan 2021-2024](#), Access Consortium
- ³⁷ [Collaboration Arrangement between the Department of Health and Aged Care and Health Technology Assessment bodies in the United Kingdom and Canada](#), Pharmaceutical Benefits Scheme
- ³⁸ [Élaboration d'une stratégie nationale sur les médicaments pour le traitement des maladies rares : ce que nous avons entendu des Canadiens.](#)
- ³⁹ [« The UK access environment has been transformed - and what are the lessons for Pharma and other countries? »](#), *Pharmaceutical Field*
- ⁴⁰ [Thousands spared strokes thanks to new NHS drug agreements](#)
- ⁴¹ [NHS England announces groundbreaking new personalised therapy for children with cancer](#)



innovativemedicines.ca/fr