



Livre Blanc

Médicaments pour les maladies rares au Canada

Considérations relatives pour un accès équitable

Novembre 2022

Aperçu des points clés

- Assurer un accès complet, opportun et équitable aux médicaments pour les maladies rares est une priorité de la politique publique pour le gouvernement du Canada. La décision du gouvernement d'allouer 500 millions de dollars annuellement à une stratégie nationale relative aux médicaments pour les maladies rares représente un pilier de son travail émergent sur le régime d'assurance médicaments national. McKesson Canada est fière de contribuer à la conversation sur la politique publique concernant cette stratégie nationale, en s'appuyant sur son expérience avec les programmes de soutien aux patients, la distribution pharmaceutique et les services de pharmacie.
- McKesson Canada recommande que le gouvernement du Canada alloue une partie de son nouvel investissement dans la stratégie nationale contre les maladies rares à deux frais dédiés :
 - Des frais de soutien aux patients, fixés à 5 % du coût d'un médicament pour les maladies rares et plafonnés à 1 000 \$, pour soutenir le développement et le maintien continu de l'infrastructure et de la capacité du programme de soutien aux patients (PSP). Étant donné le rôle essentiel que jouent les PSP pour assurer l'accès et l'adhésion aux médicaments pour les maladies rares, ce financement contribuerait directement à des initiatives conçues pour améliorer l'expérience des patients et les résultats en matière de soins de santé, offrant un soutien direct aux patients atteints de maladies rares, aux membres de leur famille et aux aidants.
 - Des frais de distribution de médicaments pour les maladies rares et de services pharmaceutiques équivalents, également fixés à 5 % du coût d'un médicament pour les maladies rares et plafonnés à 1 000 \$, pour fournir un soutien durable aux investissements complexes et au financement d'exploitation requis et pour s'assurer que les médicaments pour les maladies rares soient disponibles à tous les Canadiens qui en ont besoin de façon équitable, pratique et avec un minimum de perte.
 - Ces frais proposés ne visent pas à remplacer le frais PSP existant pour les maladies rares ni le financement de la distribution, mais à augmenter les flux de financement existants pour améliorer les résultats des patients et accroître la durabilité de l'infrastructure canadienne de distribution et d'administration des médicaments pour les maladies rares.

- McKesson Canada encourage également le gouvernement fédéral à prendre des mesures pour améliorer la position du Canada en tant que marché potentiel de nouveaux médicaments pour les maladies rares par les moyens suivants:
 - Le développement de processus améliorés d'autorisation des médicaments pour s'assurer que la nature unique des maladies rares (qui, par définition, ont de la difficulté à se conformer aux exigences de preuves cliniques en raison principalement de la petite taille de la population de patients) ne pose pas d'obstacle insurmontable pour les nouveaux médicaments qui pourraient entrer sur le marché canadien.
 - Un examen de l'initiative en cours quant à la réforme des prix des médicaments brevetés qui menace d'affaiblir la perception du marché canadien parmi les fabricants mondiaux de médicaments pour les maladies rares, ce qui réduirait involontairement le développement de nouveaux médicaments qui pourraient offrir des avantages transformateurs ou vitaux aux Canadiens.
- Enfin, McKesson Canada encourage le gouvernement du Canada à travailler en partenariat avec les ministères provinciaux de la Santé pour s'assurer que ces nouveaux frais augmentent le montant global de soutien aux patients atteints de maladies rares.

| Introduction

Dans son budget de 2019, le gouvernement du Canada a annoncé son intention de dépenser 1 milliard de dollars au cours des exercices 2022-2023 et 2023-2024 sur les médicaments pour les maladies rares. Depuis, le gouvernement fédéral a signalé que ce montant est destiné à devenir un investissement annuel récurrent pour soutenir les patients atteints de maladies rares. La décision de consacrer ces fonds aux défis posés par les maladies rares est importante; elle représente des dépenses inaugurales majeures du gouvernement pour sa politique émergente d'assurance médicaments nationale. Elle reflète également un consensus croissant parmi les intervenants en soins de santé que des mesures ciblées sont nécessaires pour améliorer les résultats des patients atteints de maladies rares, tout en relevant le défi croissant que ces médicaments présentent aux programmes publics de régimes d'assurance médicaments.

Comme l'explique le document de discussion de Santé Canada sur le développement d'une stratégie relative aux maladies rares, il n'existe pas de consensus (localement ou à l'étranger) sur la signification spécifique du terme « maladie rare », bien que les discussions sur la politique relative aux maladies rares portent généralement sur les affections qui (a) ont généralement une base génétique (b) touchent les enfants, en particulier les nouveau-nés, environ la moitié du temps (c) sont mortelles chez les jeunes enfants et (d) nécessitent des soins médicaux considérables.^{1 2}

De plus, comme les maladies rares sont à la fois extrêmement complexes et, par définition, limitées à de très petites populations, les traitements efficaces sont difficiles à développer. Par conséquent, les commentateurs se concentrent souvent sur le prix élevé des médicaments pour les maladies rares, qui commence généralement à 100 000 \$ par année. Du point de vue de l'élaboration des politiques en matière de soins de santé, les médicaments pour les maladies rares posent un défi unique : ils peuvent littéralement sauver des vies, mais ils sont considérablement plus chers que les autres médicaments, et leur développement est en croissance.

En reconnaissant que le gouvernement du Canada s'est engagé à affecter annuellement 500 millions de dollars en nouveau financement pour permettre un meilleur accès aux médicaments pour les maladies rares, ce document plaide en faveur d'une série de mesures conçues pour rendre cet accès complet, équitable et fonctionnel dans le contexte du modèle mixte de remboursement pharmaceutique financé par le secteur public et privé du Canada.

¹ Au Canada et en Europe, les « maladies rares » font généralement référence à celles qui infectent une personne sur 2 000, tandis qu'aux États-Unis, toute affection touchant moins de 200 000 personnes (l'équivalent d'environ un Américain sur 1 650) est considérée comme une maladie rare.

² Santé Canada. (2021). Élaboration d'une stratégie nationale sur les médicaments onéreux pour le traitement des maladies rares : Un document de travail pour solliciter la participation des Canadiens. Ottawa : Gouvernement du Canada

Plus précisément, le document examine quatre enjeux essentiels à la mise en œuvre d'une stratégie efficace quant aux médicaments pour les maladies rares au Canada.

- **Tout d'abord, l'enjeu du manque de reconnaissance du besoin de prise en charge tout au long du parcours thérapeutique des patients atteints de maladies rares**, y compris la pleine appréciation des avantages essentiels des programmes de soutien aux patients, de la distribution pharmaceutique spécialisée, des services de pharmacie et du soutien aux familles et aux aidants. Une stratégie complète pour les maladies rares devrait intégrer pleinement ces éléments des soins et ne devrait pas se concentrer uniquement sur le coût des médicaments et leur remboursement.
- **Deuxièmement, l'enjeu des services de distribution et des services pharmaceutiques plus complexes requis pour s'assurer que les patients ont un accès sûr et fiable aux médicaments pour les maladies rares**. Comme le démontre le document, les cadres de remboursement dans lesquels les pharmacies communautaires et les distributeurs pharmaceutiques exercent leurs activités n'ont pas été développés pour soutenir la nature complexe des médicaments pour les maladies rares, d'autant plus que leur nombre ne cesse d'augmenter.
- **Troisièmement, l'enjeu de l'autorisation des médicaments, de leur accès au marché et de leur remboursement**, reconnaissant la taille relative du marché canadien pour les fabricants de médicaments pour les maladies rares et l'effet potentiellement dissuasif d'autres réformes en cours concernant le prix des médicaments. En particulier, les modifications proposées aux lignes directrices du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés feront probablement du Canada un marché moins attrayant pour les fabricants de nouveaux médicaments, y compris ceux pour les patients atteints de maladies rares.
- **Quatrièmement, l'enjeu de l'élaboration de politiques fédérales dans un domaine de compétence provinciale dans le cadre d'une initiative nationale plus large en matière d'assurance médicaments**. Bien que le gouvernement du Canada ait et continue de jouer un rôle essentiel dans le financement et l'élaboration des politiques en matière de soins de santé, il est important que la stratégie relative aux médicaments contre les maladies rares soit développée d'une manière qui reflète les cadres politiques provinciaux actuels, et que le gouvernement du Canada travaille en collaboration avec les gouvernements provinciaux pour établir et mettre en œuvre une telle stratégie.

Le document fait les recommandations suivantes :

1. **Le gouvernement du Canada devrait affecter une partie du financement annuel de la stratégie relative aux maladies rares, en particulier pour améliorer et élargir les programmes de soutien aux patients** afin de s'assurer que les patients aient accès à un traitement et un accompagnement complet. En consacrant une partie du financement aux PSP, les décideurs politiques créeraient des conditions favorables résultant en une meilleure adhésion au traitement médicamenteux et des résultats optimaux pour les patients. Bien que le montant spécifique doive être développé en partenariat avec les intervenants, McKesson Canada suggère un « point de départ » de 5 % du coût du médicament, plafonné à 1 000 \$.
2. **Le gouvernement du Canada devrait créer des frais de distribution de médicaments pour les maladies rares et de services de pharmacie équivalents à 5 % du coût du médicament plafonné à 1 000 \$**, afin de réduire le gaspillage de médicaments et d'assurer une adhésion optimale des patients aux traitements médicamenteux et de favoriser des résultats cliniques optimaux.
3. **Le gouvernement du Canada devrait adopter des modèles souples d'approbation des médicaments pour les maladies rares**, y compris l'octroi d'approbations provisoires, les décisions permanentes étant conditionnelles à l'accumulation de preuves à l'aide de collecte de données du monde réel . Il encourage également le gouvernement du Canada à financer le remboursement provisoire par les régimes publics et privés d'assurance médicaments jusqu'à ce qu'il existe des preuves adéquates pour prendre une décision de remboursement complète.
4. **Le gouvernement fédéral devrait examiner les lignes directrices du CEPMB** pour s'assurer qu'elles n'entravent pas les objectifs de cette stratégie sur les maladies rares, et concentrer ses efforts sur des critères de remboursement élargis.
5. **Le gouvernement fédéral devrait collaborer avec les gouvernements provinciaux/territoriaux pour déterminer la meilleure façon d'investir de nouvelles ressources pour respecter la réalité existante dans chaque juridiction**. Cela impliquerait d'évaluer où les régimes d'assurance médicaments publics et privés ne répondent pas adéquatement aux besoins des patients atteints de maladies rares, province par province.

Tenir compte des besoins de prise en charge des patients tout au long du parcours thérapeutique

Il est bien connu que les patients qui souffrent de maladies rares font face à des défis uniques en matière de traitement. Les médicaments pour les maladies rares ont tendance à être coûteux, et ces coûts annuels du traitement sont généralement dans les six chiffres. Étant donné que de nombreux patients atteints de maladies rares sont de jeunes enfants, les membres de la famille sont souvent profondément impliqués dans la gestion des différents aspects du parcours de soins.

Pour aider les patients et les familles à gérer les complexités uniques des maladies rares, les fabricants et les distributeurs pharmaceutiques ont mis au point des programmes de soutien aux patients (PSP) conçus pour décharger autant que possible le fardeau administratif associé à la prise en charge des maladies rares. **Les PSP permettent aux patients et à leurs familles de se concentrer sur la prise en charge de la maladie et le rétablissement.**

Les programmes de soutien aux patients sont des partenaires essentiels dans la prise en charge des maladies rares. Ils se concentrent généralement sur :

- Coordonner les activités de soins de santé parmi de nombreux professionnels de la santé dans le cercle de soin du patient, y compris les médecins de famille et spécialistes, les pharmaciens, les thérapeutes et les praticiens paramédicaux.
- Créer et maintenir des liens entre les usagers (et leurs familles) et les associations d'information pour les patients et de défense des droits des usagers.

En plus de soutenir les usagers et les familles, les PSP offrent une valeur essentielle au système de santé, notamment :

- Assurer un accès rapide, sûr et sécurisé aux médicaments au moyen de la distribution spécialisée, ce qui garantit que les exigences de la chaîne du froid et de manutention particulière soient respectées,
- Assurer un accès rapide, sûr et sécurisé aux médicaments en faisant le lien avec le pharmacien du patient qui saura gérer et soutenir la distribution des médicaments et fournir des soins pharmaceutiques de haute qualité.
- Faciliter un accès à des produits de soins de santé non médicamenteux, comme des fournitures de perfusion.
- Développer et mettre en œuvre d'un flux de processus simplifié qui inclut tous les intervenants pertinents, comme le personnel du PSP, l'équipe de distribution de services spécialisés, le pharmacien du patient et le fabricant du médicament. Le PSP sert de plaque tournante reliant le patient, la famille/l'aidant du patient et les professionnels de la santé associés aux divers participants logistiques dans la distribution et l'administration du médicament.
- Fournir un soutien administratif aux patients en les accompagnant dans le processus de remboursement de leurs médicaments, y compris les régimes d'assurance publics et privés, ainsi que les programmes relatifs à l'accès spécial et qui sont disponibles à titre humanitaire.
- S'assurer que les autres besoins du patient en matière de soins de santé et de soins paramédicaux soient intégrés à son plan de soins.
- Recueillir des preuves concrètes sur les résultats cliniques et de qualité de vie de ces médicaments.

Recommandation 1 : Investir dans les programmes de soutien aux patients

Le gouvernement du Canada devrait affecter une partie du financement annuel de la stratégie relative aux maladies rares, en particulier pour améliorer et élargir les programmes de soutien aux patients afin de s'assurer que les patients et les membres de leur famille ont accès à un traitement complet. En consacrant un flux de fonds aux PSP, les décideurs politiques augmenteraient l'adhésion au traitement médicamenteux et créeraient les conditions pour des résultats optimaux pour les patients, tout en réduisant les pertes résultant d'échecs thérapeutiques. Bien que le montant spécifique doive être développé en partenariat avec les intervenants, McKesson Canada suggère un « point de départ » de 5 % du coût du médicament, plafonné à 1 000 \$, pour financer des programmes de soutien aux patients associés aux médicaments contre les maladies rares. Ce financement, en plus des flux de financement existants, fournira une base de référence essentielle pour le soutien à l'infrastructure du programme de soutien aux patients pour les médicaments contre les maladies rares.

Programmes de soutien aux patients en action : Remodulin

Remodulin est une molécule essentielle dans le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire. **Il est perfusé 24 heures sur 24, 7 jours sur 7.** En élargissant les vaisseaux sanguins, il réduit la tension sur le cœur et procure des avantages cruciaux aux patients qui sont âgés en moyenne entre 20 et 60 ans.

Le PSP pour Remodulin de McKesson Canada garantit que les patients ont accès à un traitement 24 heures sur 24, y compris des processus d'urgence en place pour les patients à domicile. Comme le coût du médicament est important, le personnel du PSP est compétent pour aider les patients à accéder au remboursement, y compris au moyen de programmes disponibles à titre humanitaire. Le PSP assure également une distribution transparente du médicament et des pompes à perfusion nécessaires jusqu'à la pharmacie du patient. Le PSP se compose de cinq principaux domaines d'activité :

1. Les infirmières autorisées offrent une formation approfondie aux patients et aux partenaires de soins, ainsi que la coordination des fournitures de réserve, des médicaments et des pompes avec les patients en tout temps. Les infirmières autorisées sont disponibles 24 heures sur 24 par l'intermédiaire de la ligne d'assistance téléphonique pour aider les patients à composer avec les événements indésirables et l'interruption des médicaments.
2. Une gestion des critères pour obtenir une dose de transition du médicament, car les patients doivent souvent accéder à Remodulin en urgence en raison de leur état fragile.
3. Une coordination avec les distributeurs spécialisés pour assurer un système de livraison à température ambiante, comprenant souvent la livraison le jour même, au besoin.
4. Toutes les pompes sont entretenues par le PSP et les pharmacies. Les pompes nécessitent un minimum d'une calibration par an et des réparations occasionnelles. Le PSP coordonne les services et le déplacement des pompes vers la pharmacie, le patient et le fabricant.
5. Étant donné que les patients reçoivent un traitement vasodilatateur essentiel, il est nécessaire que des infirmier(e)s expérimenté(e)s et hautement qualifié(e)s répondent à leurs besoins uniques. Les infirmier(e)s offrent une formation approfondie et un soutien continu. Les patients sont généralement à leur domicile lorsqu'ils reçoivent un traitement. Une relation de confiance entre l'équipe du PSP de McKesson Canada pour Remodulin s'établit et est essentielle au succès de la thérapie. Les infirmier(e)s autorisé(e)s travaillent avec d'autres professionnels de la santé dans des situations d'urgence pour le soutien du patient et le maintien du traitement, car Remodulin est généralement méconnu des professionnels de la médecine d'urgence.

| Distribution pharmaceutique spécialisée et services de pharmacie

De nombreux médicaments pour les maladies rares nécessitent des exigences méticuleuses en matière de distribution, d'entreposage et de manipulation. Compte tenu de leur coût élevé, il est inacceptable que ces médicaments soient gaspillés en raison d'une attention inadéquate accordée aux exigences de distribution. En tant que l'un des principaux distributeurs pharmaceutiques au pays, McKesson Canada possède une vaste expérience en matière d'entreposage et de distribution de médicaments spécialisés, y compris les médicaments pour les maladies rares. **Les services de distribution spécialisée de McKesson Canada garantissent que les Canadiens dans les communautés de chaque province et territoire (y compris dans les régions rurales et éloignées du pays) ont accès à des médicaments pour les maladies rares.**

Nos services spécialisés offrent une valeur considérable à la distribution de médicaments contre les maladies rares :

- Nos équipes s'assurent que les fabricants de médicaments pour les maladies rares disposent de services patients transparents, allant de l'importation des médicaments à la livraison à la pharmacie du patient.
- Nous offrons un suivi complet des lots et des dates de péremption pour tous les produits spécialisés, y compris les médicaments pour les maladies rares, quel que soit le volume de produits, ce qui garantit un minimum de perte de médicaments à coût élevé.
- McKesson Canada s'est muni de processus de gestion de la qualité, de manipulation et de transport attentionnés pour protéger l'intégrité du produit et respecter la température et d'autres exigences.

La complexité entourant la manipulation de nombreux médicaments pour les maladies rares ne prend pas fin une fois que la livraison a été effectuée à une pharmacie communautaire. De plus en plus de pharmacies se sont organisées afin de pouvoir soutenir et traiter les patients ayant des besoins de thérapies spécialisées, car la proportion de médicaments nécessitant un haut niveau d'expertise est en forte augmentation. Les pharmaciens travaillent régulièrement en étroite collaboration avec les patients pour surveiller les résultats, recommander des ajustements de dosage et de schéma posologique aux médecins, au besoin, et travailler en collaboration avec les cliniques de perfusion de médicaments et d'autres fournisseurs de soins de santé. Les pharmaciens jouent également un rôle essentiel dans l'observance thérapeutique des patients, un élément essentiel de toute stratégie relative aux maladies rares (surtout compte tenu du coût élevé des médicaments pour les maladies rares).

Les cadres de distribution pharmaceutique et de remboursement des services de pharmacie ne reflètent pas la nature incroyablement complexe du transport, de l'entreposage et de la distribution des médicaments pour les maladies rares, et ne tiennent pas compte des niveaux élevés de soins et de soutien aux patients que les pharmaciens offrent.

Recommandation 2 : Financement de la distribution des médicaments pour les maladies rares et des services de pharmacie

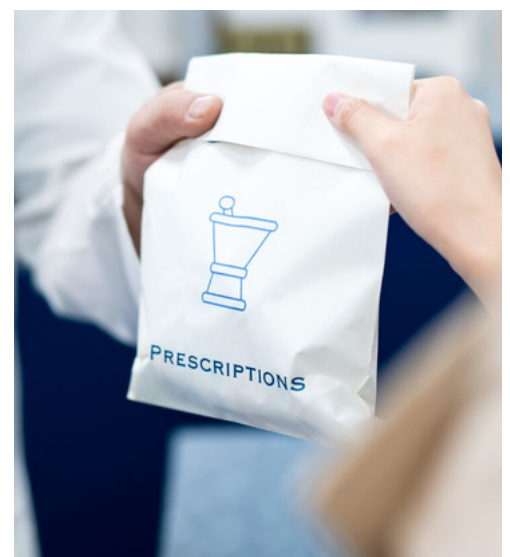
McKesson Canada recommande que le gouvernement du Canada affecte une partie déterminée de tous les nouveaux investissements en médicaments pour les maladies rares afin de soutenir la distribution des médicaments et les services de pharmacie, de réduire le gaspillage de médicaments et d'assurer une adhésion optimale des patients au traitement médicamenteux et favoriser des résultats cliniques optimaux. McKesson Canada recommande des frais de « point de départ » équivalents à 5 % du coût du médicament, plafonnés à 1 000 \$.

La façon dont le montant de 5 % est réparti entre les distributeurs et les fournisseurs de services de pharmacie peut être élaborée au moyen d'une approche par paliers, en tenant compte des différentes caractéristiques des médicaments contre les maladies rares, qu'ils soient perfusés ou pris par voie orale et s'ils nécessitent des exigences de manipulation spéciales (chaîne de froid, congélation, etc.). Un groupe de travail composé de distributeurs de médicaments pour les maladies rares, de pharmaciens et de représentant des gouvernements peut déterminer la répartition appropriée.

Améliorer l'autorisation des médicaments, l'accès au marché et l'élaboration des politiques de remboursement

La mise au point et la mise en œuvre de traitements pour les personnes atteintes de maladies rares sont complexes, car les populations de patients sont petites et souvent dispersées géographiquement. Bien que l'Organisation canadienne pour les maladies rares (Canadian Organization for Rare Disorders) estime qu'un Canadien sur 12 est touché par l'une des maladies rares, le nombre de personnes qui souffrent d'une maladie rare particulière peut être extrêmement petit.

Par conséquent, le cadre typique pour l'évaluation, l'autorisation et le remboursement des médicaments d'ordonnance est mal adapté aux réalités des maladies rares au Canada. Bien que les processus d'autorisation des médicaments reposent généralement sur des ensembles de données cliniques robustes et des prédictions précises de la valeur pour l'argent, les petites populations de patients associées à des maladies rares entravent souvent ce type d'analyse. De plus, parce que le travail de recherche et de développement associé aux maladies rares est dispendieux et que le nombre mondial de patients petits, les médicaments pour les maladies rares sont généralement très coûteux. Les fabricants comptent sur un volume relativement faible de ventes pour récupérer leurs coûts d'investissement substantiels et générer un financement adéquat pour poursuivre la recherche et le développement de médicaments.



Afin de réduire le nombre de médicaments pour les maladies rares en attente d'approbation, des activités ciblées dans deux grands domaines sont nécessaires: (1) accélérer et simplifier le processus d'autorisation de nouveaux médicaments pour les maladies rares et (2) adopter une approche agile du remboursement des médicaments.

Généralement, les nouveaux médicaments nécessitent un ensemble de données solides pour démontrer leur efficacité et leur innocuité, sur la base de plusieurs phases d'essais cliniques hautement contrôlés. Ce type de travail peut être extrêmement difficile, voire presque impossible, pour les médicaments développés pour les patients atteints de maladies rares, principalement en raison du nombre relativement faible de patients (à l'échelle mondiale, pas seulement dans un pays donné). Par conséquent, les fabricants de médicaments qui tentent de démontrer qu'un nouveau traitement répond aux exigences d'innocuité peuvent ne pas avoir accès à un groupe suffisamment large de participants aux essais cliniques pour démontrer de manière exhaustive l'efficacité ou le rapport qualité-prix d'un médicament, rendant souvent ainsi l'autorisation complète et le remboursement hors de portée, malgré des preuves prometteuses.

Les efforts visant à améliorer l'autorisation et le remboursement des médicaments seraient grandement bonifiés si les décideurs adoptaient un processus d'autorisation provisoire plus flexible impliquant une collecte de données du monde réel approfondie. Un cadre d'autorisation et d'approbation du remboursement qui convient aux circonstances uniques et complexes des médicaments spécialisés pour les maladies rares pourrait impliquer une procédure d'approbation provisoire, sous réserve de la validation de données du monde réel une fois le médicament en circulation, ainsi qu'une approbation de remboursement temporaire jusqu'à ce que les preuves déterminent si le « rapport qualité-prix » est suffisant pour déterminer s'il faut rembourser définitivement le médicament. **Il s'agit également d'un domaine dans lequel les PSP peuvent jouer un rôle essentiel, en assurant, avec le consentement du patient, la collecte systématique des données des patients qui peuvent être utilisées pour éclairer les décisions concernant l'autorisation permanente et le remboursement.**

Recommandation 3 : Améliorer l'autorisation et le remboursement des médicaments pour les maladies rares

McKesson Canada encourage fortement le gouvernement du Canada à adopter des modèles souples d'approbation des médicaments pour les maladies rares, notamment en accordant des d'approbations provisoires, conditionnelles à la collecte de données en monde réel. Il encourage également le gouvernement du Canada à financer le remboursement provisoire par les régimes publics et privés d'assurance médicaments jusqu'à ce qu'il existe des preuves adéquates pour prendre une décision de remboursement complète.

Bien que l'autorisation et le remboursement provisoires des médicaments aideront les fabricants à lancer de nouveaux médicaments au Canada, il est important d'évaluer le contexte plus large des politiques relatives aux sciences de la vie pour déterminer si elles répondent aux besoins de la communauté des patients atteints de maladies rares du Canada.

Les efforts continus du gouvernement fédéral pour réviser les lignes directrices détaillant le travail du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) sont susceptibles d'avoir un impact important et négatif sur l'accès aux médicaments pour les maladies rares à l'avenir. Comme l'a souligné l'Organisation Canadienne pour les Maladies Rares (Canadian Organization for Rare Disorders) dans sa soumission à la consultation du CEPMB, les fabricants de nombreux traitements pour les maladies rares devront réduire leurs prix de catalogue de 50 % pour se conformer aux nouvelles lignes directrices, ce qui rend le marché canadien beaucoup moins attrayant pour les développeurs de médicaments mondiaux³. Ces réformes exacerberont les défis existants liés à l'attrait du marché canadien pour les fabricants qui cherchent à lancer de nouveaux médicaments et pourraient faire en sorte que les fabricants existants de médicaments pour les maladies rares se retirent complètement du Canada. En bref, les réformes du CEPMB pourraient finir par annuler entièrement l'avantage créé par l'allocation annuelle prévue de 500 millions de dollars du gouvernement.

³ <http://www.raredisorders.ca/content/uploads/CORD-comments-on-PMPRB-June-2020-guidelines-Aug-3-20.pdf>

Recommandation 4 : Examen de l'ébauche des lignes directrices du CEPMB

McKesson Canada recommande que le gouvernement fédéral examine les lignes directrices du CEPMB pour s'assurer qu'elles n'entravent pas les objectifs de cette stratégie sur les maladies rares, et concentrer ses efforts sur des critères de remboursement élargis.

Considérations fédérales et provinciales dans l'élaboration d'une stratégie pour les maladies rares

Les gouvernements fédéral et provinciaux jouent tous deux un rôle essentiel dans l'établissement et la mise en œuvre d'une politique sur les soins de santé au Canada. Le gouvernement fédéral fournit un financement de base aux provinces par l'intermédiaire du Transfert canadien en matière de santé; il gère également les organismes d'autorisation et de tarification des médicaments. Les gouvernements provinciaux adoptent une politique sur les soins de santé, y compris l'établissement de règles et de règlements qui déterminent l'accès aux médicaments et aux services de soins de santé, ainsi que des politiques qui établissent le financement des services de pharmacie et de distribution pharmaceutique. Les deux paliers de gouvernement participent à la gestion des régimes d'assurance pour médicaments d'ordonnance.

En développant une stratégie concernant les médicaments pour les maladies rares, on s'attend à ce que les décisions prises à un niveau gouvernemental aient un impact direct et indirect sur les autres. Par exemple, les décisions fédérales visant à augmenter le débit des autorisations de médicaments pour les maladies rares pourraient entraîner une augmentation des coûts de remboursement des médicaments au niveau provincial. L'élargissement du financement provincial pour le diagnostic des maladies rares pourrait faire du Canada un marché plus attrayant pour les fabricants mondiaux de médicaments, ce qui exercerait une pression au niveau fédéral pour autoriser davantage de nouveaux médicaments.

Étant donné que la stratégie de médicaments contre les maladies rares constitue un élément important de l'initiative du gouvernement du Canada en matière d'assurance médicaments, elle offre une excellente occasion aux deux paliers de gouvernement de travailler en collaboration d'une manière qui reflète l'investissement important du gouvernement fédéral dans les soins de santé ainsi que l'autorité d'élaboration des politiques des gouvernements provinciaux.

Étant donné que les populations de maladies rares peuvent se regrouper géographiquement, il est utile d'appliquer un cadre de financement flexible pour s'assurer que les politiques sont efficaces et que le nouveau financement s'appuie sur les dépenses existantes en médicaments.

Recommandation 5 : Coopération fédérale-provinciale

McKesson Canada recommande que le gouvernement fédéral collabore avec les gouvernements provinciaux et territoriaux pour déterminer la meilleure façon d'investir de nouvelles ressources pour compléter la réalité de chaque juridiction. Cela impliquerait d'évaluer où les régimes d'assurance médicaments publics et privés ne répondent pas adéquatement aux besoins des patients atteints de maladies rares, province par province. Cela comprendrait également une entente fédérale-provinciale sur les nouveaux médicaments pour les maladies rares dans le cadre des régimes publics d'assurance médicaments existants afin d'identifier les médicaments qui sont admissibles au financement fédéral pour le soutien aux patients, la distribution et les services de pharmacie.



Conclusion

Les maladies rares représentent un défi important et complexe pour le système de santé canadien. Elles ne sont souvent pas facilement identifiables (et donc souvent diagnostiquées relativement tard) et peuvent être mortelles. De plus, elles affectent de façon disproportionnée les nourrissons et les enfants. La décision du gouvernement du Canada d'affecter les premiers fonds budgétisés dans le contexte de l'« assurance médicaments nationale » à une stratégie pour les médicaments pour les maladies rares témoigne du besoin urgent de plans d'action bien réfléchis pour soutenir les patients et les familles atteints de maladies rares.

À juste titre, on s'attend à ce que la grande majorité de l'allocation annuelle de 500 millions de dollars pour la stratégie relative aux maladies rares (débutant en 2022-2023) couvre les dépenses de remboursement des médicaments appropriés pour traiter ces conditions, médicaments qui coûtent généralement un montant à six chiffres par an. Bien sûr, bon nombre de ces médicaments sont transformationnels, voire vitaux. Bien qu'ils soient souvent décrits comme coûteux, leur valeur peut être encore plus grande. Il est presque impossible de tenir compte des nombreux avantages associés à une vie pleinement vécue au lieu d'une vie écourtée peu après la naissance.

Étant donné que les médicaments contre les maladies rares sont souvent des médicaments spécialisés, ils nécessitent une expertise minutieuse et complexe en matière de transport, de manipulation et d'administration – compte tenu de leur coût, une attention particulière doit être portée pour assurer un minimum de perte et une adhésion maximale au traitement du patient. De plus, la nature des maladies rares est telle que les patients et les familles ont généralement besoin d'un soutien complet pour gérer la maladie et le traitement du patient.

McKesson Canada encourage le gouvernement du Canada à poursuivre sa réflexion collaborative sur le développement d'une stratégie solide et durable en matière de médicaments pour les maladies rares. Nous exhortons le gouvernement fédéral à affecter une partie modeste, mais non négligeable, de l'enveloppe budgétaire annuelle pour veiller à ce que les besoins tout au long du parcours thérapeutique du patient et des familles soient satisfaits, en soutenant financièrement les programmes de soutien aux patients, la distribution de médicaments spécialisés et les services de pharmacie.

Nous encourageons également le gouvernement du Canada à appliquer les leçons tirées de cet exercice à l'élaboration de politiques plus larges du secteur pharmaceutique, d'abord en réexaminant l'impact probable de la réforme en cours de la tarification des médicaments brevetés, puis en travaillant en collaboration avec les intervenants et les gouvernements provinciaux pour faire progresser les initiatives futures en matière d'assurance médicaments.

À propos de McKesson Canada

Notre vision est d'améliorer les soins dans tous les contextes — un produit, un partenaire, un patient à la fois.

Nous travaillons en partenariat avec des hôpitaux, des médecins, des pharmacies, des infirmières, des fabricants de produits biopharmaceutiques et d'autres dans l'ensemble du système de santé pour bâtir des communautés plus saines.

Contactez-nous

4705, rue Dobrin
Saint-Laurent, QC, H4R-2P7
T. 514-745-2100
F. 514-745-2300

