

Mémoire présenté dans le cadre  
des consultations prébudgétaires  
en vue du budget de 2020

Gouvernement du Canada  
Comité permanent des finances de la Chambre des communes

Par i-RARE – le Forum canadien des innovateurs concernant les maladies rares

Le 2 août 2019

## **Recommandations d'i-RARE – le Forum canadien des innovateurs concernant les maladies rares**

**Recommandation 1.** Que le gouvernement fédéral consacre des fonds aux traitements des maladies rares.

**Recommandation 2.** Que le gouvernement fédéral mette en œuvre une stratégie nationale globale pour les maladies rares afin que tous les Canadiens atteints de ce type de maladie aient plus facilement accès à un diagnostic, à des soins et à des traitements.

**Recommandation 3.** Que le gouvernement fédéral redouble d'efforts pour stimuler la croissance du secteur canadien des sciences de la vie, y compris par des investissements et des incitations à la recherche sur les maladies rares, aux entreprises de biotechnologie et à l'excellence clinique relativement aux maladies rares.

## À propos d'i-RARE

i-RARE – le Forum canadien des innovateurs concernant les maladies rares est un réseau d'entreprises biopharmaceutiques canadiennes résolues à améliorer, par la recherche, la mise au point de traitements et leur commercialisation, la vie de patients du monde entier atteints de maladies rares. Font partie d'i-RARE Alexion Pharma Corp., Amicus Therapeutics Canada Inc., Biogen Canada Inc., BioMarin Pharmaceutical (Canada) Inc., Horizon Therapeutics Canada, Ipsen Biopharmaceuticals Canada Inc., Mitsubishi Tanabe Pharma Canada, Inc., Recordati Rare Diseases Canada Inc., Sobi Canada, Inc. et Vertex Pharmaceuticals (Canada) Inc.

## Les recommandations en contexte

### **Recommandation 1. Que le gouvernement fédéral consacre des fonds aux traitements des maladies rares.**

D'incroyables progrès scientifiques et technologiques enregistrés ces dernières années améliorent notre compréhension collective des maladies rares et ouvrent une période très intéressante pour la communauté des maladies rares. Cependant, trop de Canadiens ne bénéficient pas de ces technologies parce qu'elles ne sont pas financées par les programmes d'assurance-médicaments provinciaux et fédéraux et que les patients et leur famille n'ont pas les moyens de se les procurer seuls.

Dans ce contexte, i-RARE est très encouragé par l'attention que les décideurs portent depuis quelques années aux problèmes auxquels fait face la communauté des maladies rares au Canada. L'affectation, dans le budget fédéral de 2019, de fonds spécifiques pour qu'il devienne plus facile aux patients d'accéder à des thérapies pour les maladies rares est saluée comme un pas dans la bonne direction. Lorsqu'ils bénéficieront de l'engagement financier de 1 milliard de dollars sur deux ans à compter de 2022-2023 (avec ensuite une enveloppe annuelle maximale de 500 millions de dollars), les patients pourraient commencer à voir une réelle amélioration de l'accès aux thérapies pour les maladies rares.

Le nouveau financement comble une lacune majeure et répond à un besoin pressant au Canada. Il n'existe de traitements efficaces que pour 5 % des quelque 7 000 maladies rares répertoriées. Beaucoup de ces maladies sont très débilitantes ou mortelles et les patients concernés et leur famille affrontent de nombreuses difficultés. Plus de 79 % des Canadiens estiment que l'accès aux thérapies pour les maladies rares devrait être le même dans tout le pays<sup>1</sup>.

Certains commentateurs se disent préoccupés par les conséquences financières de l'augmentation de la couverture publique des traitements pour les maladies rares en raison de leur coût élevé. Cependant, des données montrent que ce coût ne représente qu'un très petit pourcentage du régime public d'assurance-médicaments et des budgets des soins de santé en général. Dernièrement, le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés, organisme fédéral, a présenté des données selon lesquelles, en 2017-2018, les médicaments non oncologiques pour les maladies rares ne représentaient que 1,8 % de la facture pharmaceutique totale du Canada<sup>2</sup>.

---

<sup>1</sup> Polisen, J. et al., *Engaging the Canadian public on reimbursement decision-making for drugs for rare diseases: a national online survey*, BMC Health Services Research, 26 mai 2017, <https://doi.org/10.1186/s12913-017-2310-4>.

<sup>2</sup> Lungu, E., *Les dépenses en médicaments onéreux pour les maladies rares*, Symposium de l'ACMTS de 2019, avril 2019, <http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/CMFiles/News%20and%20Events/Speeches/edrd-april2019-fr.pdf>.

Dans ce contexte, financer des médicaments pour des maladies rares à hauteur d'environ 500 millions de dollars par an contribuera considérablement à en élargir l'accès à des milliers de Canadiens incapables à l'heure actuelle de bénéficier de traitements dont ils ont besoin pour survivre et avoir une meilleure qualité de vie. Les patients ont beaucoup de mal à accéder à ces traitements aujourd'hui et i-RARE exhorte le gouvernement fédéral à réaliser son engagement avant 2022-2023, comme prévu à l'heure actuelle.

**Recommandation 2. Que le gouvernement fédéral mette en œuvre une stratégie nationale globale pour les maladies rares afin que tous les Canadiens atteints de ce type de maladie aient plus facilement accès à un diagnostic, à des soins et à des traitements.**

Dans le budget de 2019, le gouvernement fédéral annonçait également qu'il travaillerait de concert avec les intervenants et d'autres gouvernements pour élaborer une « stratégie nationale pour les médicaments onéreux pour le traitement des maladies rares afin d'améliorer l'accès des Canadiens aux traitements efficaces dont ils ont besoin<sup>3</sup> ». Cela est très important, étant donné que les Canadiens atteints de maladies rares ont très peu accès à de nouveaux traitements<sup>4</sup>.

i-RARE appuie donc le gouvernement dans son engagement à accroître l'accès à des traitements efficaces et saisit cette occasion pour souligner comment le système canadien d'évaluation et de financement devrait être amélioré dans ce contexte.

Plus particulièrement, la stratégie devrait commencer par examiner tous les éléments du processus canadien, y compris la réglementation, la surveillance des prix, l'évaluation des technologies de la santé, les négociations de produits et le financement. Chaque étape doit être simplifiée et adaptée de manière à répondre aux besoins des patients atteints de telle ou telle maladie rare, au lieu de l'approche démographique générale actuelle utilisée pour l'évaluation des médicaments dans des populations nombreuses.

Des approches distinctes du processus d'examen et de remboursement des traitements pour les maladies rares devraient comprendre :

- **Un cadre de réglementation qui incite à mettre au point et à commercialiser des traitements pour les maladies rares.** Il devrait comprendre une définition de la notion de maladie rare, un processus de désignation des médicaments orphelins, une exclusivité de marché supplémentaire, des fonds de promotion de la recherche, des incitations fiscales et une réduction des frais de soumission réglementaire.
- **Des critères et des outils d'établissement des prix qui ne reposent pas sur des évaluations de rentabilité ou qui n'ont pas d'effet disproportionné sur les traitements pour les maladies rares.** Les changements actuellement proposés à l'établissement du prix des médicaments brevetés dresseraient un immense obstacle à l'accès en instaurant un nouveau processus d'évaluation des prix à la fois restrictif et incertain qui entraînera des réductions des prix réglementés de 70 à 90 % dans le

---

<sup>3</sup> Gouvernement du Canada, *Budget de 2019 : Investir dans la classe moyenne*, p. 68, 19 mars 2019, <https://budget.gc.ca/2019/docs/plan/budget-2019-fr.pdf>.

<sup>4</sup> Rawson, N., *Barrières réglementaires, de remboursement et de prix relatives à l'accès aux médicaments pour les maladies rares au Canada*, mémoire au Comité permanent de la santé de la Chambre des communes, 16 novembre 2018, <https://www.noscommunes.ca/Content/Committee/421/HESA/Brief/BR10186527/br-external/RawsonNigel-9929501-f.pdf>.

cas des médicaments pour les maladies rares<sup>5</sup>. De plus, ces changements auraient un effet disproportionné sur les traitements pour les maladies rares, comme le montre une étude de l'impact des changements proposés sur des traitements hypothétiques pour des maladies rares<sup>6</sup>, et ces changements devraient être réexaminés.

- **Les évaluations des technologies de la santé (ETS) réalisées par l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé devraient comprendre des processus, des critères et des normes adaptés à la réalité des maladies rares.** Il est possible de renforcer les ETS en y intégrant officiellement les compétences de cliniciens spécialisés, les valeurs des patients, des études plus petites, en recourant plus souvent à des études d'observation et à des données concrètes au-delà des essais cliniques randomisés, et en tenant compte de l'exigence de prix plus élevés pour ces traitements par patient. On peut s'inspirer du processus, qui constitue une pratique exemplaire, du Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux, auquel participent de bout en bout les patients, les cliniciens et les fabricants.
- **Un processus de remboursement, comprenant la négociation des produits et les décisions de financement, qui donne accès rapidement et équitablement aux traitements pour les maladies rares.** Le processus de négociation des produits et des décisions de financement des régimes publics d'assurance-médicaments devrait appliquer des mesures qui s'appuient sur des innovations internationales, comme autoriser le remboursement au moment de l'approbation réglementaire, recourir davantage à la rémunération liée aux résultats, à des programmes à accès réglementé et à des données concrètes pour faire face aux incertitudes cliniques et économiques sans bloquer ou retarder l'accès des patients aux traitements.
- **Une approche multipartite pour éclairer le processus proposé d'examen du remboursement additionnel par les gouvernements provinciaux et territoriaux de médicaments spécialisés et complexes.** Bon nombre des initiatives susmentionnées sont examinées par le groupe de travail provincial et territorial qui cherche à améliorer l'accès aux traitements pour les maladies rares<sup>7</sup>. Le gouvernement fédéral peut jouer un rôle de soutien et de coordination et aussi un rôle sur le plan des politiques pour faire en sorte que toute entité qui conçoit quelque processus d'examen actualisé que ce soit, bénéficie des compétences et des commentaires de tous les acteurs – organismes de réglementation, évaluateurs, bailleurs de fonds, créateurs de médicaments et, surtout, patients.

---

<sup>5</sup> Rawson, N., *Regulatory, Reimbursement, and Pricing barriers to accessing Drugs for Rare Disorders in Canada*, Fraser Institute, 2018, <https://www.fraserinstitute.org/sites/default/files/barriers-to-accessing-drugs-for-rare-disorders-incanada.pdf>.

<sup>6</sup> Voir aussi Rawson N., *New Patented Medicine Regulations in Canada: Case Study of a Manufacturer's Decision-Making about Regulatory Submission for a Rare Disorder Treatment*, Canadian Health Policy Institute, octobre 2018, <https://www.canadianhealthpolicy.com/products/new-patented-medicine-regulations-in-canada-case-study-of-a-manufacturer---s-decision-making.html>.

<sup>7</sup> Expensive Drugs for Rare Diseases Working Group, *Stakeholder Consultation: Supplemental Process for Complex/Specialized Drugs Background Document*, novembre 2018, [http://www.raredisorders.ca/content/uploads/EDRD-supplemental-process-background\\_24Oct2018\\_Final.pdf](http://www.raredisorders.ca/content/uploads/EDRD-supplemental-process-background_24Oct2018_Final.pdf). Voir également i-RARE – le Forum canadien des innovateurs concernant les maladies rares, *RAREi Responses to Consultation Questions*, décembre 2018, <https://www.linkedin.com/feed/update/urn:li:activity:6559059577416007680>, et *Expensive Drugs for Rare Diseases Working Group, Stakeholder Engagement Summary: Supplemental Process for Complex and Specialized Drugs*, juillet 2019, <https://www.linkedin.com/feed/update/urn:li:activity:655803511844073472>.

- **Des investissements dans la recherche, l'infrastructure et l'élaboration de politiques reposant sur des données concrètes afin de générer des données et de soutenir une utilisation optimale des médicaments.** Les données concrètes peuvent combler des lacunes cliniques cruciales et augmenter la certitude des régimes publics d'assurance-médicaments, des payeurs et des fabricants, notamment dans le cas des traitements pour les maladies rares. Santé Canada s'associe déjà à des mesures visant à accroître l'utilisation de données concrètes dans tout le processus d'examen et de financement, en participant aux efforts multipartites coordonnés par l'Association canadienne pour la thérapeutique des populations, Santé Canada et l'Institute for Health Economics. Faisant fond sur l'atelier organisé en octobre 2018, le gouvernement fédéral devrait continuer de soutenir la définition d'un cadre national pour les données concrètes<sup>8</sup>. Les investissements fédéraux spécifiques peuvent comprendre des fonds pour la recherche, des registres de patients et des centres de compétences cliniques, ainsi que des examens réglementaires améliorés qui encouragent les fabricants à produire des données qu'ils soumettront à Santé Canada dans leurs demandes réglementaires.

Veillez noter que plusieurs de ces initiatives sont présentées plus en détail dans les recommandations qu'i-RARE a adressées au Comité permanent de la santé de la Chambre des communes<sup>9</sup> et que certaines sont mises en lumière dans le rapport final du Conseil consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance-médicaments du gouvernement fédéral<sup>10</sup>. Le Comité et le Conseil reconnaissent tous deux la nécessité d'une approche distincte par rapport aux traitements pour les maladies rares.

**Recommandation 3. Que le gouvernement fédéral redouble d'efforts pour stimuler la croissance du secteur canadien des sciences de la vie, y compris par des investissements et des incitations à la recherche sur les maladies rares, aux entreprises de biotechnologie et à l'excellence clinique relativement aux maladies rares.**

i-RARE est très encouragé par le travail de la Table de stratégies économiques pour le secteur des sciences biologiques et de la santé. Cette table a fixé un objectif ambitieux, mais réalisable, à savoir doubler la taille du secteur canadien de la santé et des sciences biologiques et faire partie des trois principaux pôles mondiaux d'ici 2025, moyennant plusieurs stratégies précises, comme tirer parti de technologies novatrices et les promouvoir; attirer et retenir des capitaux, des compétences et des

---

<sup>8</sup> Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTA), Association canadienne pour la thérapeutique des populations (ACTP), Santé Canada et Institute for Health Economics (IHE), *Définir les données probantes du monde réel utiles à la prise de décisions et leur rôle en contexte canadien: Un sprint de conception – Rapport sommaire d'un atelier*, 21 octobre 2018, <https://www.ihe.ca/events/past/conferences/ihe-capt-rwe/ihe-capt-rwe-about>.

<sup>9</sup> i-RARE – le Forum canadien des innovateurs concernant les maladies rares, *Unique approach needed: Addressing barriers to accessing rare disease treatments*, 31 octobre 2018, <https://www.linkedin.com/feed/update/urn:li:activity:6556579888877363200>. Voir également le Comité permanent de la santé de la Chambre des communes, *Améliorer l'accès aux traitements pour les Canadiens atteints de maladies et de troubles rares*, février 2019, <https://www.noscommunes.ca/DocumentViewer/fr/42-1/HESA/rapport-22>.

<sup>10</sup> Conseil consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance-médicaments, *Une ordonnance pour le Canada : l'assurance-médicaments pour tous*, 12 juin 2019, <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/organisation/a-propos-sante-canada/mobilisation-publique/organismes-consultatifs-externes/mise-en-oeuvre-regime-assurance-medicaments/rapport-final.html>.

talents; et veiller à la présence d'un écosystème dynamique qui libérera le plein potentiel du secteur et mènera à de meilleurs résultats sur le plan de la santé.

La feuille de route stratégique de la Table de stratégies économiques pour le secteur des sciences biologiques et de la santé comprend l'accélération de l'adoption de l'innovation, une souplesse réglementaire, les technologies numériques, la formation de talents, ainsi que l'attraction et la création d'entreprises d'ancrage, ce qui serait bénéfique pour les systèmes de santé, l'économie novatrice canadienne et, surtout, les patients canadiens.

La Table de stratégies économiques pour le secteur des sciences biologiques et de la santé souligne aussi les obstacles à surmonter pour atteindre ces objectifs, comme les processus réglementaires fédéraux et la « multitude de règlements, de politiques et de procédures provinciales ou territoriales, régionales et locales qui influent sur l'adoption de produits innovateurs ». De plus, le rapport explique que la refonte de la politique relative au Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés risque de faire obstacle à la croissance et qu'il faudrait répondre aux préoccupations de l'industrie<sup>11</sup>.

Les membres d'i-RARE sont prêts à contribuer au succès de la Table de stratégies économiques pour le secteur des sciences biologiques et de la santé en faisant fond sur leurs réalisations jusqu'à ce jour. Ces dernières années, ils ont injecté des milliards de dollars dans l'économie canadienne dans le cadre de partenariats et d'investissements dans des entreprises de biotechnologie, des centres de recherche et des programmes universitaires dans tout le Canada. Ces investissements aident à trouver des capitaux et des compétences dans le monde pour des innovations canadiennes afin de toucher des patients au Canada et ailleurs. L'acquisition par Alexion d'Enobia Pharma Corp. pour plus de 1 milliard de dollars et celle de Clementia par Ipsen pour plus de 1,5 milliard de dollars en sont deux exemples notables.

Nos membres espèrent continuer d'investir dans des partenariats de recherche et de financer l'innovation canadienne dans les prochaines années, et ils estiment que la feuille de route de la Table de stratégies économiques pour le secteur des sciences biologiques et de la santé et l'élimination des obstacles à la croissance du secteur devraient être des éléments clés du budget fédéral de 2020.

---

<sup>11</sup> Tables de stratégies économiques du Canada : Santé et sciences biologiques, *L'impératif de l'innovation et de la compétitivité : Saisir les occasions de croissance*, p. 9, 27 septembre 2018, [https://www.ic.gc.ca/eic/site/098.nsf/vwapi/ISED\\_SanteSciencesbiologiques.pdf/\\$file/ISED\\_SanteSciencesbiologiques.pdf](https://www.ic.gc.ca/eic/site/098.nsf/vwapi/ISED_SanteSciencesbiologiques.pdf/$file/ISED_SanteSciencesbiologiques.pdf).