



CHAMBRE DES COMMUNES
HOUSE OF COMMONS
CANADA

Comité permanent de la santé

HESA • NUMÉRO 119 • 1^{re} SESSION • 42^e LÉGISLATURE

TÉMOIGNAGES

Le mardi 30 octobre 2018

Président

M. Bill Casey

Comité permanent de la santé

Le mardi 30 octobre 2018

● (0910)

[Traduction]

Le président (M. Bill Casey (Cumberland—Colchester, Lib.)): Nous allons commencer la 119^e réunion du Comité permanent de la santé. Nous poursuivons notre étude sur les difficultés d'accès au traitement et aux médicaments pour les Canadiens atteints de maladies rares et orphelines.

Nous accueillons aujourd'hui deux groupes de témoins. Le premier groupe compte deux organisations. Nous allons ensuite accueillir des représentants du ministère de la Santé vers 10 h 10.

Pour ce qui est de notre premier groupe, nous accueillons Erin Little, présidente de Liv-A-Little Foundation. Bienvenue. Nous accueillons aussi Mary Jane Vowles et Caryn Vowles, membres du conseil d'administration de Syndrome hémolytique et urémique atypique Canada. Bienvenue.

Je vais demander à Mme Little de présenter sa déclaration préliminaire de 10 minutes.

Mme Erin Little (présidente, Liv-A-Little Foundation): Monsieur le président, mesdames et messieurs, merci beaucoup de m'avoir invitée à vous parler de la façon dont nous avons été directement touchés par la maladie rare qu'est la cystinose.

Je tiens aussi à remercier personnellement le député Ben Lobb d'avoir à coeur notre problème permanent, et ce, depuis le premier jour où l'accès à notre médicament est devenu problématique. Nous ne serions pas ici aujourd'hui s'il ne s'était pas intéressé au combat de notre famille.

Je suis présidente et fondatrice de la Liv-A-Little Foundation, qui a été créée en 2013, soit deux ans après que notre fille a reçu un diagnostic de cystinose, une maladie génétique et métabolique rare, à l'âge de 1 an.

La Liv-A-Little Foundation est déterminée à soutenir les percées liées au traitement et, au bout du compte, à favoriser la découverte d'un remède pour la cystinose grâce à la sensibilisation, la promotion et le financement du progrès. Je suis aussi membre du conseil d'administration de la Cystinose Research Foundation, à Irvine, en Californie, qui finance actuellement les recherches les plus progressistes dans le domaine de la cystinose. Nous sommes fiers d'avoir créé un partenariat avec cette fondation pour financer des recherches à l'échelle internationale, dont des recherches ici même au Canada dont nous pouvons être fiers.

Cependant, mon rôle le plus important, c'est d'être la mère d'Olivia Little. Olivia est atteinte de cystinose. Depuis sa naissance, je prends mon rôle de mère très au sérieux, mais je le prends d'autant plus au sérieux depuis qu'on nous a appris la nouvelle dévastatrice, soit qu'Olivia était atteinte d'une maladie risquant de bouleverser sa vie et lui offrant une espérance de vie de 27 ans. Je me suis engagée à prendre soin d'elle et à défendre ses droits jusqu'au jour où elle

pourra le faire d'elle-même. Initialement, lorsque nous avons reçu le diagnostic, je croyais que le travail de promotion allait consister à assumer un rôle parental avec son père, travailler en collaboration avec son pédonéphrologue et son équipe médicale et lui fournir une nutrition appropriée, un environnement sain et un solide sentiment de normalité, malgré le fait qu'elle vive avec une maladie incurable rare.

Je n'avais aucune idée que, en plus de tout ça, j'allais devoir me battre pour qu'elle ait accès à des médicaments, ici même, au Canada. Le 4 juillet 2011, nous avons quasiment perdu Olivia à la suite d'une insuffisance rénale aiguë. Nous avons déjà fait l'aller-retour à l'hôpital trois fois en une semaine en tentant sans relâche de comprendre ce qui n'allait pas depuis ses trois mois. Ce jour-là, le 4 juillet, nous avons été chanceux, et le dernier médecin à la voir a demandé des prises de sang.

On nous a dit de nous rendre à l'hôpital immédiatement et d'être prêts à y rester quelques jours. Nous espérions un rétablissement rapide — c'est ce à quoi nous nous attendions —, mais ces quelques jours sont devenus un séjour d'un mois à l'hôpital pour enfants, à London. Lorsque nous sommes partis de là, Olivia n'était plus l'enfant saine d'avant. Nous avons reçu un diagnostic sans remède, un sac d'épicerie rempli de médicaments dont je peux à peine prononcer le nom, des gouttes ophtalmiques à administrer toutes les heures et avions le coeur rempli de renseignements, de peine et d'anxiété.

Nous avons appris que la cystinose est une maladie métabolique incurable rare touchant seulement de 75 à 100 enfants et jeunes adultes canadiens et environ 2 000 personnes à l'échelle internationale. Les cellules des patients atteints de cystinose n'arrivent pas à libérer un acide aminé, la cystéine. Chez les gens qui ne sont pas atteints de cystinose, les protéines dégradées grâce aux lysosomes des cellules sont transportées du lysosome au cytoplasme des cellules par des transporteurs précis. Les transporteurs des cellules des personnes atteintes de cystinose sont défectueux, et la cystéine se cristallise dans les tissus. L'accumulation de ces cristaux finit par détruire tous les organes du corps, y compris les reins, le foie, les muscles, les globules blancs, les yeux et le système nerveux central.

Sans traitement spécifique, Olivia, comme toutes les personnes atteintes de cystinose, finit par souffrir d'insuffisance rénale terminale vers, en moyenne, neuf ans. Dans le passé, les enfants mouraient. De nos jours, les patients peuvent bénéficier de dialyse rénale ou de transplantation rénale. Cependant, malgré une transplantation rénale, ces enfants finissent par présenter des anomalies dans leurs organes.

C'est avec une énorme gratitude que nous avons entendu parler d'un médicament, la cystéamine, qui ralentit la progression de la cystinose en retirant la cystéine des cellules. La cystéamine est l'ingrédient actif du Cystagon, le premier traitement contre la cystinose qui reste encore aujourd'hui l'une des deux seules options de traitement.

Cependant, pour que le traitement pharmacologique soit efficace, il faut prendre des comprimés toutes les six heures. Même si tout ça a grandement amélioré les perspectives futures des enfants malades, la cystéamine n'est pas un remède. Même si elle est administrée toutes les six heures, nous sommes constamment conscients du fait que, même si la maladie progresse très au ralenti, elle progresse tout de même dans l'organisme d'Olivia.

Nous nous sommes adaptés à notre nouvelle normalité et à tous les effets secondaires, y compris des interruptions du sommeil, la préparation constante de médicaments et l'attention qu'il faut porter à la croissance et à l'alimentation d'Olivia en cours de route. Cette normalité est devenue notre routine, et notre fille se portait bien grâce à ce régime d'électrolytes et de cystagon, qui, en gros, est un médicament essentiel au maintien en vie d'Olivia parce qu'il ralentit la progression inéluctable de la cystinose. Cette routine est loin d'être normale, mais elle fonctionnait bien, et ma fille était en santé.

Le 7 novembre 2015, nous avons reçu une lettre qui a fait encore monter la peur d'un cran dans le cadre de notre lutte contre cette maladie rare. La lettre précisait que, ici, au Canada, Olivia n'allait plus avoir accès au Cystagon, qui était essentiel pour la maintenir en vie. Cette lettre est arrivée cinq mois après qu'un nouveau médicament, Procysbi — qui serait identique au Cystagon, mais est simplement administré différemment — a été approuvé par Santé Canada. Cependant, le prix du Procysbi est 100 fois plus élevé. Nous avons posé des questions au sujet de cette différence de prix extrême, et on nous a répondu qu'il s'agissait d'un nouveau médicament considéré comme une découverte.

Santé Canada a offert le Procysbi sans tenir compte du fait qu'il remplaçait un médicament, le Cystagon, qui était à la fois physiquement efficace et économique. L'entreprise qui produisait le nouveau médicament, Horizon Pharma, a pénétré dans le marché canadien en offrant un médicament vraiment trop cher.

Aux États-Unis, Horizon a déjà augmenté le prix du Procysbi de 9,9 % en janvier 2018, et prévoit une autre augmentation en janvier 2019. Les sociétés pharmaceutiques sont limitées à des augmentations du prix des médicaments de 10 % par année aux États-Unis, et on peut clairement voir qu'Horizon opte pour une augmentation la plus proche du maximum permis.

Je suis favorable à ce qu'on crée des relations saines avec les sociétés pharmaceutiques et je veux qu'on produise de nouveaux médicaments bénéfiques pour les enfants et les adultes atteints de différentes maladies et différents maux, rares et communs. Si un médicament peut améliorer la qualité de vie de nos concitoyens canadiens, nous devons trouver une façon de l'offrir. Cependant, il faut aussi imposer aux entreprises des normes d'éthique élevées. Santé Canada semble avoir établi des normes élevées en matière d'efficacité des médicaments sans tenir compte de l'intégrité de ces entreprises qui font des profits sur le dos des populations vulnérables.

À ma connaissance, Horizon compte un employé canadien ici, au pays, qui ne contribue pas de façon importante à notre économie locale. Vu le prix du Procysbi, on pourrait s'attendre à ce que la société contribue à notre économie locale en plus d'exiger qu'elle

réalise des recherches et du développement pour améliorer la vie des personnes atteintes de maladies rares.

Dans notre démocratie capitaliste, on s'attend bien sûr à ce que les entreprises fassent des profits, c'est tout à fait acceptable, mais nous devons avoir des attentes plus élevées à l'égard des sociétés pharmaceutiques, et il ne faut pas non plus les laisser imposer des prix exorbitants aux patients et, ce qui est encore plus important, aux contribuables. En approuvant Procysbi sans avoir une compréhension complète réelle de la société, de son caractère éthique et de ses antécédents, Santé Canada aura une incidence énorme sur les personnes atteintes de cystinose et les contribuables canadiens.

C'est un enjeu stratégique. Les politiques doivent être au service des gens, et non l'inverse. Si une politique a pour effet d'éliminer le choix, la sécurité et la santé des citoyens canadiens, alors c'est une politique qu'il faut changer, et des erreurs commises au niveau stratégique doivent être corrigées pour protéger les citoyens canadiens.

D'un point de vue plus personnel et immédiat, si notre famille devait passer du Cystagon au Procysbi, nos coûts actuels de 14 590,80 \$ par année pour le Cystagon passeraient à plus de 300 000 \$ par année pour le Procysbi, et tous ces coûts associés aux patients atteints de cystinose sont couverts par la province de l'Ontario.

L'ajout du Procysbi à la liste des traitements accessibles de la cystinose aurait été gagnant pour tout le monde. En effet, chaque patient est différent. Cependant, le Procysbi n'a pas été ajouté à la liste des traitements; il a plutôt remplacé complètement le traitement actuel.

Le Procysbi n'est pas le même médicament, même si Horizon veut nous le faire croire. Son administration et les restrictions alimentaires ne sont que deux des défis auxquels les patients sont confrontés lorsqu'ils passent d'un médicament à un autre.

Dans notre cas, le Cystagon a été un médicament efficace. Même s'il est administré aux six heures, ce qui a des répercussions négatives sur notre sommeil et notre qualité de vie générale, la santé d'Olivia est incroyablement stable depuis qu'elle en prend. Elle ressent très peu d'effets secondaires. Nous sommes extrêmement fiers de la façon dont nous avons réussi à créer et maintenir un régime alimentaire qui permet de réduire au minimum les vomissements récurrents et les maux de tête, puisque cela suppose beaucoup d'efforts et d'astuces de notre part. En fait, son état est tellement stable que nous n'avons pas eu à rajuster son traitement au Cystagon depuis août 2015. Le médicament qu'elle prend, de pair avec notre respect constant de la posologie, fait le travail. Lorsque le temps viendra pour Olivia, Procysbi devrait être une option qui lui est accessible, mais le fait de continuer à prendre du Cystagon devrait l'être aussi.

Au bout du compte, ce sont les patients atteints de cystinose et leur famille qui devraient choisir le traitement en collaboration avec leur néphrologue. Personne ne connaît mieux leurs enfants que les parents, et personne ne connaît mieux la réaction d'un enfant à un traitement et les répercussions du traitement sur la famille que les parents. Ces derniers devraient jouer un rôle central dans la prise de décisions en matière de traitement pour leur enfant ou, dans le cas des patients adultes, au sujet de leur propre traitement.

Il semble que notre système canadien élimine le pouvoir de choisir des parents, que Santé Canada affirme défendre. Même les médecins canadiens et les spécialistes de la santé, qui sont accrédités par nos gouvernements et qui ont prêté serment de faire ce qu'il y a de mieux pour leurs patients, n'ont pas le pouvoir de choisir les traitements à offrir aux patients qu'ils connaissent si bien.

Lorsque le Procysbi a été approuvé et que le Cystagon a été éliminé abruptement au Canada et au moment où notre lettre d'annulation nous a été envoyée, notre médecin a été surpris, parce qu'elle n'avait pas été informée de l'approbation du Procysbi et qu'elle n'estimait pas qu'il s'agissait nécessairement du meilleur choix pour ses patients. Lorsque notre néphrologue a parlé avec un représentant de Santé Canada en expliquant de vive voix les raisons médicales pour lesquelles Olivia devait poursuivre son traitement actuel, ce choix lui a été refusé et nous avons été terrifiés par ce qui allait arriver ensuite. Nous avons été surpris qu'une personne, peu importe son haut niveau de scolarité, qui est assise dans son bureau, qui ne connaît ni la cystinose ni notre enfant, ait pu prendre une telle décision et contourner l'avis de la médecin de notre enfant. En tant que principale fournisseuse de soins d'Olivia et personne qui fait confiance à ses médecins et au système de santé, j'ai été dégoûtée qu'on ne permette pas à notre médecin de prendre cette décision extrêmement importante pour sa patiente.

En tant que parents d'Olivia, nous avons rajusté chaque aspect de notre vie pour prendre soin le mieux possible de notre fille, nous assurer qu'elle est en santé et qu'elle n'est pas à l'hôpital, et une mauvaise politique et la décision d'une personne qui ne connaît absolument rien au sujet de la cystinose changeront à jamais notre vie, et ce, contre notre gré.

Je ne dis pas que nous avons toutes les réponses. Dans un monde parfait, il n'y aurait pas de maladie. Dans un monde parfait, la cystinose n'existerait pas. Jusqu'à ce que ce soit le cas, cependant, essayons de perfectionner ce que nous avons et de corriger les politiques qui font passer les entreprises pharmaceutiques avant les patients et les politiques, avant les gens.

Toutes les vies comptent. Il doit y avoir une façon de corriger les erreurs de l'année dernière, et s'il n'y a pas actuellement une façon de la faire, alors c'est le temps d'en inventer une.

● (0915)

Encore une fois, j'aimerais remercier tout le monde de m'avoir invitée à prendre la parole devant le Comité. Au nom de notre organisation et des personnes touchées par la cystinose, nous sommes reconnaissants aux intervenants du milieu des maladies rares qui sont en voie d'améliorer la vie de ceux qui en sont atteints.

Le président: Merci beaucoup d'avoir raconté votre histoire. C'est tout un récit. Vous avez vécu beaucoup de choses.

Nous passons maintenant à Mme Vowles, pour une déclaration préliminaire de 10 minutes.

Mme Mary Jane Vowles (membre du conseil d'administration, Canada, Syndrome Hémolytique et Urémique atypique Canada): Merci beaucoup.

Je m'appelle Mary Jane Vowles et je suis une des membres bénévoles du conseil d'administration chez SHUa Canada.

Ma fille est atteinte du SHUa, également appelé syndrome hémolytique et urémique atypique. Cette maladie extrêmement rare, mettant la vie en danger, est un trouble du système immunitaire qui peut endommager ou détruire tout organe par la formation de caillots sanguins qui bloquent le flux sanguin vers l'organe.

À l'âge de six mois, ma fille a présenté des symptômes similaires à ceux de la grippe. Le pédiatre de garde lui a diagnostiqué une grippe. Le lendemain, il y avait du sang dans son urine. Je l'ai emmenée chez le pédiatre de la famille, qui a diagnostiqué un SHUa, et elle a été admise à l'hôpital.

Au cours d'une semaine, elle a reçu plusieurs transfusions de globules rouges, ce qui a semblé stabiliser son état, puis elle a obtenu son congé. Deux semaines plus tard, les symptômes pseudogrippaux sont revenus. Le même pédiatre était de garde et a prétendu que le premier diagnostic était erroné; il a répété qu'elle avait la grippe. Le lendemain, mon propre pédiatre nous a envoyés à SickKids.

Dans les jours qui ont suivi, les reins de Caryn ont cessé de fonctionner, et un néphrologue a diagnostiqué le SHUa. Ils ont installé un cathéter veineux central, suivi immédiatement d'une dialyse puis d'une plasmaphérèse. Sa tension artérielle était hors de contrôle. Les médicaments étaient inefficaces. Après deux semaines, ils ont été en mesure de cesser la dialyse et de la sevrer de la plasmaphérèse, en la remplaçant par des traitements de perfusion de plasma.

Après six mois, elle a obtenu son congé, retournant à l'hôpital chaque semaine, puis toutes les deux semaines, pour des perfusions de plasma. De nombreuses tentatives ont été faites pour augmenter la durée à trois semaines, mais chaque tentative a échoué, et le SHUa est réapparu, nécessitant une réadmission à l'hôpital et une plasmaphérèse. Elle a souvent eu des réactions au plasma et a subi un choc anaphylactique à de nombreuses reprises.

Lorsque Caryn était en 8^e année, son organisme a produit des anticorps contre ce plasma, et elle a été de nouveau hospitalisée pendant six mois. Après de nombreuses tentatives infructueuses, les traitements ont finalement réussi, au moyen de l'IVIG, l'immunoglobuline intraveineuse, avant le plasma. Elle a commencé la dialyse péritonéale.

En 11^e année, Caryn a commencé un essai d'écuzimab, aussi appelé Soliris, en injection toutes les deux semaines. Le médicament était promu par Alexion. La vie était belle.

À 18 ans, elle a été transférée dans le monde des patients adultes, sous la responsabilité d'un néphrologue de l'Hôpital Credit Valley. Elle a continué à recevoir les traitements à l'écuzimab par l'intermédiaire de SickKids.

Dans sa deuxième année d'université, Caryn a fait une chute, qui a déchiré les tendons des deux genoux. À l'urgence, elle a reçu une dialyse dans les corridors, malgré les protestations.

Elle a été opérée avec succès à l'Hôpital Credit Valley. Après quelques semaines, elle a présenté des douleurs à l'estomac lors de son séjour à Ottawa et a reçu un diagnostic d'aspergillose. Elle a été transportée par avion auprès de son néphrologue à l'Hôpital Credit Valley.

Entre-temps, on avait convaincu son père de demander à son régime d'assurance-maladie de couvrir le coût de l'écuzimab. Cela avait été fait pour plusieurs traitements. La compagnie d'assurance ne couvrirait pas les frais lorsqu'elle a été admise à l'hôpital, et l'Hôpital Credit Valley a refusé de les assumer. À 750 000 \$ par année, vu le budget familial, nous ne pouvions pas nous le permettre. Le néphrologue de Credit Valley ne connaissait rien du SHUa, et l'hématologue sur place a refusé de la voir ou d'examiner son cas.

Les experts dans ce domaine étaient aux hôpitaux Toronto General et St. Michael. Les deux hôpitaux ont refusé de l'admettre en raison du coût du médicament. À la suite d'une bataille, le médecin-chef à l'Hôpital Credit Valley a facilité un transfert à l'hôpital Toronto General sous réserve qu'ils ne la traiteraient pas à l'éculizumab. Ils utiliseraient plutôt un médicament dérivé du sang, le plasma sécurisé par solvant-détergent, afin de réduire au minimum les réactions et d'éviter les récurrences.

Elle a été hospitalisée pendant cinq mois, a eu de nombreuses réactions allergiques, dont certaines graves.

En janvier 2014, le SHUa a récidivé. On lui a fait reprendre de l'éculizumab, dont le coût était couvert par le régime d'assurance-maladie de son père. En mai 2014, elle n'avait plus d'assurance. Alexion, l'entreprise pharmaceutique, a accepté de continuer l'éculizumab pour des motifs humanitaires, et elle continue à le faire.

Caryn a dû se soumettre à une hémodialyse. Elle a souvent très mal en raison de la dialyse et souffre de maux de tête débilissants.

Caryn a maintenant 25 ans. Elle est titulaire d'un diplôme en génie biomédical de l'Université de Guelph, où elle terminera sous peu sa maîtrise en sciences appliquées. Elle a été acceptée avec une bourse d'études pour obtenir un doctorat en génie biomédical à l'Université Queen's.

Le succès de Caryn n'est possible que grâce à l'éculizumab.

- (0920)

Récemment, d'autres cas de réussite ont été observés chez de jeunes patients traités par éculizumab dès le diagnostic, ce qui leur a permis de se rétablir complètement et de reprendre une vie absolument normale. Un enfant de 12 ans a été admis à l'unité coronarienne de SickKids en raison de vomissements et de saignements internes persistants. Il avait un caillot de sang et a été mis sous oxygène. Il a reçu des transfusions sanguines et une plasmaphérese. Ses reins ont cessé de fonctionner, ce qui a exigé une dialyse. Une fois qu'il a été diagnostiqué et traité avec Soliris, sa santé s'est améliorée. Ses reins ont complètement récupéré.

L'apparition de la maladie peut être très différente pour les patients, et l'âge du diagnostic peut varier. Un patient a reçu un diagnostic erroné d'une autre affection, a perdu la fonction rénale puis a bénéficié d'une greffe et semblait bien se porter. Peu de temps après, il est tombé malade et a également perdu le rein. D'autres tests ont montré qu'il était atteint du SHUa. Il a fait de multiples rechutes, est actuellement sous dialyse, et a été approuvé en vertu du nouveau programme du gouvernement de l'Ontario pour recevoir le médicament. L'équipe administrative à l'hôpital retarde les choses. Rien ne garantit que le gouvernement financera le médicament continuellement après la greffe. Une récurrence entraînerait une perte des reins et peut-être la mort.

En mars 2013, après avoir procédé à des tests approfondis d'innocuité, de qualité, de production et d'efficacité, Santé Canada a approuvé l'éculizumab. La province de Québec a commencé à financer le médicament immédiatement. D'autres provinces attendaient le rapport du PCEM, le Programme commun d'évaluation des médicaments, de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé. Sept mois plus tard, le PCEM recommandait aux provinces de ne pas financer le médicament en raison de son coût élevé et du manque de données probantes quant à l'efficacité, critiquant le fait de ne pas utiliser de placebo sur un groupe témoin. Cela n'a pas été fait à dessein, car le SHUa peut être mortel. SHUa Canada se demande pourquoi un médicament que la science soutient, qui est très sûr et efficace, n'a pas été recommandé pour ces traitements.

Sous la direction de la sous-ministre adjointe des Programmes publics de médicaments de l'Ontario, des réunions ont eu lieu avec SHUa Canada afin de trouver des solutions possibles. Des progrès ont été réalisés dans certaines régions, et les patients reçoivent les médicaments pour des greffes. Bien que la plupart des provinces financent maintenant les médicaments, le problème est que les patients sont maintenant soustraits aux médicaments de manière arbitraire, sans soutien scientifique ni recommandations de la part de médecins.

Un programme distinct doit évaluer les technologies de la santé pour les maladies rares, car elles sont très différentes des troubles courants. L'ACMTS devrait procéder à un examen des maladies rares outre son Programme commun d'évaluation des médicaments et le Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux. Tout comme le PPEA a été créé en raison de besoins uniques, le programme d'évaluation des maladies rares devrait également l'être. Sans ce changement, les traitements pour les maladies rares seront évalués selon les mêmes critères que les maladies courantes, ce qui est injuste. Les mêmes statistiques fiables ne seront jamais disponibles pour des maladies rares en raison du faible nombre de patients, ce qui augmentera également le coût du traitement. Un point de vue différent est nécessaire.

Les patients sont confrontés à quatre problèmes. Le premier est la difficulté d'un diagnostic rapide et exact de la maladie. Nous vivons dans un vaste pays où tous les patients ne peuvent pas se rendre dans une grande ville pour obtenir ce diagnostic et ce traitement. Le deuxième est l'accès rapide à un médicament contre une maladie pouvant endommager de façon permanente les organes et entraîner la mort en quelques jours. En ce qui concerne le troisième, tant que les spécialistes n'ont pas de capacité décisionnelle pour le dosage de l'éculizumab, les patients courent un risque de récurrence. Enfin, le quatrième est lié au fait qu'il convient d'aborder le coût du médicament.

Un médecin spécialiste de renommée mondiale, de SickKids, a présenté une solution qui semble vraisemblable pour le traitement du SHUa. Il a fait la suggestion pour l'Ontario, mais j'estime qu'elle devrait être considérée comme une option canadienne. Au Canada, nous avons besoin d'un centre ou d'un carrefour où le sang peut être rapidement analysé, et les résultats, retournés au médecin. Le centre aurait au moins trois médecins spécialistes dans le domaine qui participent à des études et des recherches en cours. Des tests de dépistage de la maladie pourraient être effectués rapidement et efficacement. Une fois le diagnostic confirmé, ces spécialistes prendraient des décisions relatives au traitement médical au lieu des gouvernements provinciaux. On pourrait ainsi prévenir les accidents vasculaires cérébraux, les maladies cardiaques et l'insuffisance rénale et réduire les coûts liés aux séjours à l'hôpital, à la dialyse, au soutien à domicile des patients et aux prestations d'invalidité.

- (0925)

Grâce à ce centre, la réponse et le bien-être des patients pourraient être surveillés, et la posologie ou la fréquence des traitements médicamenteux pourraient être réduites s'ils sont réputés être bénéfiques. Ce modèle suivrait celui en vigueur en Angleterre.

En dernier lieu, si le Canada, en tant que pays, négociait le coût des médicaments, les prix pourraient être réduits. D'autres médicaments sont en cours de développement, et les recherches sont prometteuses. Toutefois, à ce jour, le seul médicament connu pour traiter le SHUa et modifier le pronostic à vie des patients est l'éculizumab. Il est temps que le Canada reconnaisse les personnes atteintes de maladies rares et trouve des solutions appropriées pour 2018. Nous avons besoin d'un plan national pour ne pas faire de discrimination contre la minorité des personnes atteintes d'une maladie rare.

La recherche a bien progressé en 25 ans. Lorsque Caryn a été diagnostiquée, les statistiques indiquaient qu'il y avait 100 patients dans le monde civilisé atteints du SHUa atypique, et plus de la moitié d'entre eux étaient décédés. D'après des recherches récentes, le SHUa touche environ 200 patients au Canada. Il est possible de changer le résultat chez les patients atteints de SHUa.

J'espère avoir réussi à surmonter les obstacles auxquels se heurtent les patients atteints de SHUa, à suggérer des recommandations et à souligner la nécessité d'agir. L'éculizumab doit être mis à la disposition des patients atteints de SHUa au moyen de fonds publics.

Je vous remercie beaucoup de nous avoir écoutés aujourd'hui.

• (0930)

Le président: Nous vous remercions d'avoir partagé cette expérience avec nous.

Je vais commencer notre série de questions de sept minutes par M. McKinnon.

M. Ron McKinnon (Coquitlam—Port Coquitlam, Lib.): Merci, monsieur le président.

Je vais commencer par Mme Vowles.

Vous avez mentionné la suggestion d'un centre national, d'un carrefour pour les tests sanguins. Je me demandais si vous pourriez nous parler de son fonctionnement. Tous les enfants seraient-ils systématiquement soumis à un test ou comment pourrait-on déterminer à quel moment utiliser ce service en tant que système?

Mme Mary Jane Vowles: Certains symptômes de dégradation du sang et les mécanismes qui y sont associés sont différents dans le SHUa par rapport à d'autres maladies. Le sang serait alors envoyé au centre, et on serait en mesure de diagnostiquer le SHUa, car c'est très difficile à diagnostiquer.

Caryn, voulez-vous ajouter quelque chose?

Mme Caryn Vowles (membre du conseil d'administration, Syndrome Hémolytique et Urémique atypique Canada): Il existe de nombreux tests. Je pense que l'un d'entre eux est pour ADAMTS13. Si vous aviez des problèmes, le test ferait également la distinction entre l'ITP, le purpura thrombopénique idiopathique, et le SHUa. Certains tests seraient associés à ces symptômes, et vous enverriez ce test, qui pourrait déterminer votre maladie.

M. Ron McKinnon: Ce concept de carrefour n'est pas spécifique au SHUa. Est-ce exact?

Mme Mary Jane Vowles: C'est bien cela. Vous pourriez avoir d'autres maladies rares qui pourraient également être couvertes par ce carrefour. La situation à laquelle nous nous intéressons portait davantage sur des maladies liées au rein ou à la néphrologie.

M. Ron McKinnon: Ainsi, le médecin devrait savoir qu'il ne le savait pas, n'est-ce pas? Il semble que, dans ces deux histoires, il y avait des cas dans lesquels un médecin avait posé un diagnostic avec lequel il était très à l'aise. Dans votre cas, c'était un diagnostic de grippe. S'ils ont confiance dans ce diagnostic, ils ne passeront pas à

l'étape suivante pour obtenir des tests sanguins, n'est-ce pas? Je me demande comment...

Mme Mary Jane Vowles: C'est vrai, mais j'ajouterais que dans les cas où la maladie ne disparaît pas et que les symptômes ne sont pas ceux de la grippe, on va prélever un échantillon sanguin qui va être traité comme s'il s'agissait de votre sang, du mien ou de celui de monsieur et madame tout-le-monde, c'est-à-dire qu'on va effectuer tous les tests de dépistage des autres maladies et, lorsque toutes les possibilités seront écartées, l'échantillon sera envoyé au centre.

Présentement, l'échantillon sanguin doit être envoyé aux États-Unis. Il faut donc plus de temps pour obtenir des résultats, et avant cela, il est impossible de poser un diagnostic. Présentement, l'approche des provinces en matière de financement vous oblige à présenter une demande, et cela prend des jours avant d'avoir une réponse. Les choses sont encore plus difficiles quand vous avez déjà passé des jours à faire analyser un échantillon sanguin. Nous voulons faire en sorte que les deux processus soient simultanés.

M. Ron McKinnon: Présentement, les analyses se font aux États-Unis. Ce que vous proposez, essentiellement, c'est d'implanter ce service au Canada et de l'adapter à une utilisation canadienne. Est-ce exact?

Mme Mary Jane Vowles: Oui, et vu la rareté de la maladie, on recueillerait aussi des faits pour les recherches en cours. Certaines provinces disent qu'il n'est pas nécessaire de prendre de l'éculizumab aussi régulièrement ou même qu'il devrait être retiré. Quand le diagnostic est posé... Si on commence à espacer les traitements à l'éculizumab, nous allons avoir besoin d'un endroit pour faire des analyses sanguines fiables et rapides de façon à avoir immédiatement accès à nouveau à l'éculizumab si la maladie réapparaît.

M. Ron McKinnon: Le prix élevé de ces médicaments m'intéresse aussi.

Je m'adresse à Mme Little ainsi qu'à Mme Vowles.

A-t-on tenté de quelque façon que ce soit de réduire le coût de ces médicaments? Plus le temps passe, plus le médicament a été longtemps sur le marché, et la société pharmaceutique a eu le temps de rentabiliser son investissement. Y a-t-il des signes qui pourraient laisser croire que les prix vont diminuer ou qu'il serait possible de trouver une solution?

• (0935)

Mme Erin Little: Dans l'ensemble, en ce qui concerne les États-Unis — parce que c'est notre plus proche voisin et que nous faisons beaucoup d'affaires avec eux —, je sais que la société pharmaceutique Horizon Pharma détient le brevet du nouveau médicament, le Procysbi. C'est un brevet de sept ans... et ils ont ajouté une extension de trois ans. Cela veut dire, en gros, que le prix va continuer d'augmenter durant les 10 prochaines années.

Je ne sais pas si cela vaut aussi pour le Canada, parce que je crois qu'une fois que le prix est fixé, il ne bouge plus. Aux États-Unis, le prix va continuer d'augmenter pour générer de plus en plus de profits. Ces entreprises sont reconnues pour ce genre de choses... C'est ce qui arrive dans le marché des maladies rares. C'est un marché restreint de 2 000 patients aux États-Unis et de peut-être 75 ou 100 au Canada. C'est un médicament dont les gens ont besoin. Nos enfants ne pourraient pas vivre sans lui.

J'aimerais vraiment entendre les représentants de la société Horizon Pharma vous dire pourquoi leur médicament est si cher et ce qu'ils pourraient faire pour en réduire les coûts. Sur le plan de la logistique, ce n'est pas un médicament qui devrait coûter cher à produire.

Mme Mary Jane Vowles: Dans le cas d'Erin, nous n'avons pas entendu parler de prochains crédits ou de rabais sur le coût du médicament. Il coûte ce qu'il coûte. Cependant, la recherche sur notre maladie se poursuit, et je crois qu'il y a trois autres entreprises qui veulent produire d'autres médicaments qui devraient être moins chers. Malheureusement, ils ne sont pas encore sur le marché. Peut-être qu'il y aura un jour d'autres médicaments qui seront aussi efficaces que l'éculizumab, mais pour l'instant, c'est le seul que nous ayons.

M. Ron McKinnon: À la lumière de vos deux témoignages, je crois comprendre que l'un des problèmes que nous devons régler concerne l'homologation des médicaments au Canada, en particulier dans les cas très particuliers des maladies rares. Ai-je raison?

Mme Erin Little: Oui.

M. Ron McKinnon: Je n'ai plus de questions.

Le président: Monsieur Lobb.

M. Ben Lobb (Huron—Bruce, PCC): Merci beaucoup.

J'ai une question à poser aux deux parents ici présents.

Erin, combien coûte annuellement le Cystagon?

Mme Erin Little: Un peu moins de 15 000 \$ par année.

M. Ben Lobb: Qui paie pour cela? Est-ce la province?

Mme Erin Little: Le Cystagon d'Olivia est couvert par le Programme d'aide pour les maladies métaboliques héréditaires. Le Procybsi, qui a été récemment approuvé, l'est également. Présentement, nous obtenons le Cystagon par le truchement du Programme d'accès spécial pour les médicaments. Nous devons présenter une demande tous les trois mois pour qu'Olivia puisse continuer d'être traitée, parce que le médicament est parfait pour elle. C'est couvert par le programme.

Si notre famille devait commencer à prendre le nouveau médicament — je parle pour l'Ontario seulement — ou si n'importe quelle autre famille devait commencer à prendre le nouveau médicament, il serait couvert dans le cadre du même programme. Le nouveau médicament serait couvert.

M. Ben Lobb: C'est 300 000 \$...

Mme Erin Little: Oui.

C'est ce que nous avons calculé, environ. Nous avons mis un temps fou à trouver le prix. C'est ce qu'il faudrait déboursier pour respecter la posologie d'Olivia.

M. Ben Lobb: D'accord.

Mary Jane, la province paie-t-elle pour les médicaments de Caryn, ou avez-vous une assurance?

Mme Mary Jane Vowles: Pour l'instant, Caryn est prise en charge par la société pharmaceutique Alexion.

Elle a commencé à prendre son médicament en deuxième année du secondaire. Au départ, elle faisait partie d'un projet pour enfants avec deux autres jeunes de l'hôpital SickKids et six autres enfants de l'étranger. La société Alexion a recommencé à lui donner son médicament pour des raisons humanitaires, mais il a fallu que je me batte avec elle pour qu'elle honore la promesse qu'elle avait faite. Elle avait promis de continuer à lui fournir le médicament. Donc, c'est ce que Caryn prend présentement; mais la société pourrait la laisser tomber n'importe quand, et c'est déjà arrivé par le passé.

M. Ben Lobb: Savez-vous s'il y a des gens au Canada qui prennent ce médicament et qui sont couverts, ou est-ce que le médicament est toujours fourni à titre humanitaire?

Mme Caryn Vowles: Certaines personnes sont couvertes par le gouvernement de l'Ontario. Il y a une foule de règles bien définies, et si vous ne remplissez pas certains critères, vous perdez la couverture. L'un des principaux problèmes, par rapport aux critères, est que la couverture peut cesser six mois, je crois, après une greffe. Si la maladie réapparaît, la greffe est perdue.

• (0940)

Mme Mary Jane Vowles: La réapparition de la maladie a des conséquences mortelles. Si la maladie réapparaît, vous êtes à deux doigts de la mort.

M. Ben Lobb: Erin, combien de pilules Olivia doit-elle prendre chaque jour pour conserver sa qualité de vie?

Mme Erin Little: Elle doit prendre environ 50 pilules par jour pour rester en santé.

Si vous me permettez de revenir un peu en arrière, et à notre sujet — excusez-moi —, j'aimerais ajouter quelque chose à propos des sociétés pharmaceutiques qui viennent ici, comme M. McKinnon a dit. Vous avez posé une question à propos du coût. Les sociétés pharmaceutiques ont toujours deux longueurs d'avance sur nous. L'autre problème est le fait que le marché pour ces maladies rares ne compte que 75 personnes environ. Je ne lancerai pas une entreprise si mon marché se résumait à 75 personnes.

Le Programme d'accès spécial pour les médicaments va finir par les couvrir, et d'ici là, les sociétés pharmaceutiques veulent offrir un accès à leurs produits à titre humanitaire, jusqu'à ce qu'ils soient homologués, afin que les patients puissent au moins avoir quelque chose. Le problème, c'est que, en petits caractères, il est écrit que les patients devront continuer de recevoir des soins à titre humanitaire, et pas autre chose. Lorsque le médicament sera homologué, les compagnies d'assurance vont refuser de rembourser, parce qu'il y a déjà eu une entente avec l'entreprise. Supposons qu'une entreprise vient proposer à notre fille un nouveau produit et que 35 personnes ont recours au Programme d'accès spécial pour les médicaments, disons, cela ne laisse pas beaucoup de patients à qui offrir leur médicament contre paiement.

Je pense qu'il est important de le souligner, parce que c'est un problème plutôt important: les sociétés pharmaceutiques veulent travailler avec nous tout en développant leur entreprise, pour réaliser des profits et, éventuellement, espérons-le, redonner aux gens qui sont atteints d'une maladie rare.

M. Ben Lobb: Caryn, combien devez-vous en prendre?

Mme Caryn Vowles: De pilules?

M. Ben Lobb: Oui.

Mme Caryn Vowles: J'en prends beaucoup moins maintenant, mais je suis un traitement d'hémodialyse à la maison chaque jour.

Mme Mary Jane Vowles: Les pilules de Caryn servent à traiter sa pression artérielle élevée. Elle reçoit de l'éculizumab toutes les deux semaines. La perfusion se fait toutes les deux semaines.

M. Ben Lobb: Je crois qu'il faut souligner le fait — et je suis encore en train d'en apprendre sur le sujet — que l'avenir de tous les enfants atteints de ces maladies serait scellé si ce n'était pas de leurs parents qui défendent leurs intérêts. Peut-être que les deux parents ici présents pourraient parler rapidement de leur engagement personnel — je ne veux pas dire que c'est un sacrifice — envers leurs enfants pour faire en sorte que... Peut-être que vous vous dites que vous avez dû faire le sacrifice de votre carrière.

Mme Erin Little: Je suis heureuse d'être ici aujourd'hui. Je sais que le fait de demander à des patients de venir ici et de témoigner est quelque chose relativement nouveau dans ce contexte. Je crois que je n'avais jamais vraiment compris ce que c'était, la défense des intérêts, avant de commencer à le faire. Cela me laisse peut-être un peu moins de temps avec mes enfants, mais je suis heureuse d'être ici. Je vous remercie de prendre le temps de m'écouter, de prendre en considération un point de vue différent qui n'est pas celui d'un professionnel de la santé ou d'un universitaire. Je parle de mon expérience. Au bout du compte, ce sont nous qui sommes touchés par tout cela, mais personne ne semble comprendre tout ce que cela représente.

Nous venons de Port Elgin. Ce n'est pas la porte à côté. Nous avons dû laisser nos enfants à la maison et les confier à quelqu'un d'autre. Cela ne me dérange pas, mais au bout du compte... Je suis très fière de ce que je fais, mais nous ne devrions pas être obligés de le faire. Le fait est que les patients ne sont pas suffisamment écoutés.

Je comprends. Si vous invitiez un patient pour chaque maladie rare, il faudrait que vous écoutiez des milliers de personnes, ce qui serait impossible. Mais il faut tout de même écouter les gens qui sont touchés directement, et pas seulement les gros joueurs. Je n'ai aucun intérêt financier dans tout cela. Je suis ici, donc je suis loin de ma famille. À dire vrai, je ne gagne rien à être ici.

Je crois que ce serait important d'écouter ce que les patients ont à dire et d'intégrer leur point de vue dans les politiques et les procédures de Santé Canada afin de mettre en place un système qui fonctionne pour nous. Je sais que nous n'aurons pas un système parfait pour tout le monde, mais il doit fonctionner mieux que présentement.

Mme Mary Jane Vowles: Je suis mère célibataire depuis que Caryn a l'âge de trois ans. Je devais garder mon emploi; ce n'était pas un choix. Caryn est l'un de mes trois enfants.

Pendant tous les mois qu'elle a passés à l'hôpital, j'étais avec elle toutes les nuits. Je parlais du travail, et je conduisais jusqu'à l'hôpital SickKids. Je me levais à 6 heures du matin et je retournais au travail. J'ai fait cela pendant des mois.

Cela a affecté mes garçons. J'en ai appris plus que jamais à ce sujet cette fin de semaine. Ils parlaient des repas à emporter qu'ils enduraient. Nous parlions des restaurants Little Caesar. Ils servaient des barils de pâtes. Je n'ai pas mangé de barils de pâtes depuis des années, depuis qu'elle a cette maladie. Mais eux, ils s'en souviennent. Ils se souviennent du P'tit 2 du mardi, car c'est ce qu'ils servent les mardis. J'adore cuisiner, mais je n'en étais pas capable quand mes garçons étaient petits.

Je sais que cette maladie m'a donné une force que je ne soupçonnais pas avoir. Caryn a été malade pendant des années mais, pendant longtemps, nous ne connaissions pas de traitement précis nous n'avions pas de réponse précise. Il y avait des moments où il se passait des choses, où...

Par exemple, il y avait un appareil d'aphérèse à Toronto, qui a été transporté de l'Hôpital général de Toronto à l'hôpital SickKids par un tunnel souterrain. L'appareil pouvait faire deux traitements par jour. Quand les médecins ont décidé de commencer à administrer ce traitement à Caryn, elle était âgée de six mois... C'était peut-être la première fois qu'ils le faisaient de cette manière. C'était très effrayant, même si je n'en savais pas assez pour être effrayée. Ils ont rapporté l'appareil. Ils ont fait l'aller-retour cinq jours de suite. Puis, ils ont décidé qu'un autre malade en avait besoin et qu'elle n'allait plus avoir l'appareil. J'étais sur le point d'aller parler aux médias et de leur montrer ma petite fille blonde aux yeux bleus. À la

fin, ils ont ramené l'appareil à Caryn. Je n'ai aucune idée de ce qui est arrivé aux autres malades qui étaient censés l'utiliser.

Avec tout cela, nous, ensemble... Quand je dis nous, je parle des médecins et de moi-même. Nous avons travaillé ensemble sur un plan acceptable pour les deux pour allonger les traitements de l'appareil d'aphérèse et tout tenter ensemble. Ensemble, nous avons fait avancer la recherche sur cette maladie.

Je ne veux pas me lancer des fleurs, mais, à cette époque, c'est moi qui avais mis en contact le néphrologue de l'hôpital SickKids et le Dr Kaplan de l'hôpital pour enfants de Philadelphie, de sorte qu'ils puissent s'informer plus sur les recherches. Tout ce qu'il y avait sur la maladie de Caryn, quand elle avait six mois, c'était un chapitre, dans un manuel. Ils me l'ont donné à lire. Cela me dépassait, mais j'ai commencé à comprendre. Nous avons parcouru beaucoup de chemin depuis.

Sans doute, un grand nombre de traitements sont efficaces, et les médecins en savent beaucoup plus que lorsqu'ils ont pris en charge ma petite malade, au début. À l'époque, quand elle a reçu son diagnostic — je me rappelle, nous pouvions aller sur Internet —, il y avait un seul autre cas, et c'était aussi une petite fille blonde aux yeux bleus, mais elle n'a pas survécu à la maladie — le syndrome hémolytique et urémique atypique — contrairement à Caryn. La plupart des enfants, ceux qui ont survécu, restent dans un état végétatif. Nous avons dépassé cela.

●(0945)

Le président: Je dois vous interrompre. Désolé.

Monsieur Davies.

M. Don Davies (Vancouver Kingsway, NPD): Merci, monsieur le président.

Tout d'abord, l'opinion que vous exprimez devant le Comité est tout aussi pertinente que ce que nous avons entendu de la part des médecins, et je veux vous féliciter pour l'information et l'instruction que vous apportez au Comité. Je pense que vous en savez probablement plus sur le système et sur les maladies que bien des intervenants du système de santé. Je veux vous remercier d'être venue et de nous avoir raconté votre histoire. Comme vous l'avez dit, cela demande beaucoup de courage et de sacrifices.

Je voudrais commencer par essayer de comprendre le volet finances.

Madame Little, combien coûte le Cystagon par an?

Mme Erin Little: Pour notre fille, nous payons un peu moins de 15 000 \$ par an.

M. Don Davies: Combien coûte le Procysbi par année?

Mme Erin Little: Pour sa posologie, ça pourrait éventuellement nous coûter 300 000 \$, car c'est un coût par pilule.

M. Don Davies: Pourtant, si je comprends bien votre histoire, le Cystagon donnait de très bons résultats pour votre fille, mais le système a voulu la faire passer du Cystagon au Procysbi qui coûte plusieurs fois plus cher. Ai-je bien compris?

Mme Erin Little: C'est exact.

M. Don Davies: Est-ce qu'un représentant de Santé Canada ou du système de santé vous a expliqué pourquoi ils ont voulu que votre fille passe d'un médicament qui coûte 15 000 \$ par an qui est efficace à un autre médicament dont on ne savait pas s'il serait efficace et qui coûterait 300 000 \$ l'année?

• (0950)

Mme Erin Little: C'est ça la bureaucratie des entreprises et de Santé Canada. Essentiellement, c'était parce que le nouveau médicament avait été approuvé. Le Programme d'accès spécial est conçu pour les médicaments qui ne sont pas actuellement disponibles dans le pays.

Le Procysbi a été approuvé en juillet 2017, et nous sommes allés chercher notre dose suivante en novembre. Et c'est à ce moment que nous avons reçu l'avis de résiliation; cela est strictement basé sur les règles concernant les médicaments qui arrivent dans le pays bénéficiant d'une exclusivité, car ils sont passés par un processus. C'est la raison pour laquelle ils ont voulu qu'on change pour le Procysbi.

L'autre chose en ce qui concerne le Procysbi, c'est que les ingrédients de ce médicament sont les mêmes que dans le Cystagon. La seule différence entre le Cystagon, qu'Olivia prend actuellement à 15 000 \$ par an, et le Procysbi, c'est le revêtement gastro-résistant. Ils ont mis ce revêtement gastro-résistant pour que vous preniez le médicament toutes les 12 heures au lieu de le prendre toutes les six heures.

Je sais que, quand on a des enfants, le rêve, c'est de pouvoir dormir. J'ai renoncé à cela quand j'ai commencé à avoir des enfants; mais au bout du compte, ils disent que c'est une découverte, même si les ingrédients sont les mêmes. Ce médicament n'aurait même pas été mis sur le marché si ce n'avait pas été pour des familles comme la nôtre et d'autres familles au Canada et aux États-Unis, qui recueillaient des fonds pour la production de ce médicament. Nous avons financé ce médicament, au départ, ce qui est merveilleux pour des personnes comme nous qui veulent le meilleur pour leur enfant.

Ce médicament, bien qu'il contienne les mêmes ingrédients, est libéré dans l'organisme en 12 heures, de sorte que vous le prenez deux fois par jour au lieu de six fois par jour. Mais, ce qui est écrit en petits caractères, ce que personne ne lit, c'est que ce médicament m'oblige à contrôler de très près l'alimentation de ma fille; elle est âgée de huit ans, et a déjà de la difficulté à manger, en raison de ce médicament, de ces mêmes ingrédients qui lui donnent la nausée. Pour couronner le tout, elle doit s'abstenir de manger pendant huit heures... Une enfant de huit ans. Je parie que la plupart d'entre vous ne pourriez pas rester assis autour d'une table pendant huit heures et organiser toute votre vie autour de la prise d'un seul médicament... Olivia prend six autres comprimés également, et la prise doit également être espacée dans le temps.

Elle prend du bicarbonate de sodium. Vous ne pouvez pas en prendre en même temps qu'un autre médicament à libération prolongée, car le bicarbonate de sodium pourrait immédiatement le dissoudre dans son estomac, et elle aurait pris une double dose, car avec ce nouveau médicament révolutionnaire, le Procysbi... J'ai perdu le fil de mes idées.

M. Don Davies: Madame Little, pourrais-je revenir là-dessus? J'aimerais poursuivre et poser les mêmes questions qu'à Mme Vowles.

J'essaie d'avoir une meilleure compréhension du prix de l'éculizumab par rapport au prix Soliris.

Mme Caryn Vowles: C'est le même médicament.

Mme Mary Jane Vowles: C'est le même médicament, ils ont juste des noms différents.

M. Don Davies: D'accord, c'est donc le même médicament.

Voici un extrait d'un article de 2015 du *Globe and Mail*:

Les Canadiens atteints du syndrome hémolytique et urémique atypique, une maladie génétique mortelle qui s'attaque aux organes vitaux et touche moins de 100 personnes au pays, sont souvent traités avec le médicament Soliris, à un prix pharmaceutique de plus de 700 000 \$ par année. Ce coût a poussé le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés du gouvernement fédéral à organiser une audience publique pour savoir pourquoi le fabricant, Alexion Pharmaceuticals, demande un prix beaucoup plus élevé au Canada que dans d'autres pays développés.

Avez-vous des informations à communiquer au Comité sur l'issue de l'audience du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés? A-t-il établi que le prix du Soliris est excessivement cher?

Mme Mary Jane Vowles: Je ne sais pas.

M. Don Davies: Ne coûte-t-il pas 700 000 \$ par année?

Mme Mary Jane Vowles: Oui, si je comprends bien, il coûte 750 000 \$ par an.

M. Don Davies: Madame Little, je reviens à vous; si jamais vos idées vous reviennent, vous pouvez intervenir.

Mme Erin Little: D'accord, oui.

M. Don Davies: Vous avez dit que votre famille est obligée de présenter une demande tous les trois mois pour continuer à recevoir le médicament salvateur. Auparavant, votre famille devait faire la demande tous les six mois, et il était pratiquement garanti qu'elle serait approuvée, ce qui n'est plus le cas.

Pouvez-vous nous expliquer pourquoi on a changé le processus de demande qui était imposé par Santé Canada?

Mme Erin Little: Avant tous ces changements, je ne savais même pas qu'il fallait faire une demande tous les six mois, honnêtement, je pensais que c'était une fois par an. Pendant que nous nous dirigeons vers la clinique, j'appelais la pharmacie, simplement pour dire qu'Olivia a besoin de faire renouveler son ordonnance, et aucune question n'était posée. Le médicament serait là, et tous les trois mois, nous aurions un renouvellement de l'ordonnance. Quand le Procysbi a été mis sur le marché, ils ont simplement changé la manière de faire la demande, elle devait être faite tous les trois mois. Pourquoi exactement, on ne nous a jamais donné la raison. Il y a des motifs hypothétiques, car ils doivent se montrer prudents, car il y a déjà un médicament commercialisé au Canada; ils doivent donc être prudents quant à la façon dont ils distribuent le Cystagon et à qui ils en distribuent.

Nous avons un rendez-vous à la clinique dans deux semaines, et j'ai envoyé un message car je suis très proactive. Ce médicament, le Cystagon, vient maintenant du Royaume-Uni, et je m'inquiète de savoir s'il est importé à temps ou s'il ne restera pas coincé à la douane ou s'il n'y aura pas autre chose. Ce sont des choses que j'ai choisi d'assumer et de prendre en charge en tant que parent, parce que je prends extrêmement soin de mon enfant. D'autres parents prennent les choses à la légère, et c'est leur affaire, mais ils se retrouvent dans des situations où ils sont à court de médicaments. Ils doivent en chercher au sein de notre collectivité afin qu'on les aide jusqu'à ce qu'ils le reçoivent, car ils doivent passer par ce processus. La maladie ne va pas disparaître en trois mois. J'aurais aimé que ce soit le cas. Si j'ai bien compris, c'est simplement une activité commerciale. Ils doivent surveiller.

• (0955)

Le président: Nous passons maintenant à M. Grewal.

M. Raj Grewal (Brampton-Est, Lib.): Merci, monsieur le président.

Merci aux témoins d'avoir raconté leurs histoires.

Comme l'ont déjà dit mes collègues, je pense que tout le monde ici ainsi que tous les partis seront d'accord pour dire que, quand nous entendons davantage les histoires de patients, nous avons certainement la possibilité de régler — et je n'aime pas le dire — certaines choses qui tombent sous le sens et qui ont besoin d'être réglées dans la bureaucratie gouvernementale.

Madame Little, votre histoire est l'une de celles que nous entendons trop souvent, pas seulement dans le scénario médical, mais dans beaucoup de scénarios dans lesquels le gouvernement rend les choses beaucoup plus difficiles qu'elles ne devraient l'être pour des gens qui essaient simplement d'aider leurs enfants ou d'aider les personnes vulnérables dans leurs collectivités.

J'aimerais poser une question, je vais suivre le fil des questions de M. Davies, sur le coût des deux médicaments et sur le fait que ce nouveau médicament qui a une durée d'action différente, et, à cause de cela, est beaucoup plus coûteux. Vous n'avez peut-être pas les chiffres, mais combien de personnes ont ce type de maladie rare au Canada? Je sais qu'elle touche surtout les enfants.

Mme Erin Little: Au Canada, il y a entre 75 et 100 patients.

M. Raj Grewal: Très bien. Et qu'en est-il aux États-Unis?

Mme Erin Little: Aux États-Unis, il y en a environ 500.

M. Raj Grewal: Ce sont de très petits nombres pour qu'une société pharmaceutique mette au point un médicament, parce que ce ne sera pas rentable, peu importe le nombre de patients, quand le groupe est aussi petit.

Le gouvernement provincial subventionne la totalité du prix du médicament en ce moment. Est-ce exact?

Mme Erin Little: C'est le cas en Ontario.

M. Raj Grewal: Ce n'est pas le cas partout au pays, n'est-ce pas?

Mme Erin Little: Non, chaque province est différente sur le plan de la couverture et des mesures de remboursement. C'est relativement nouveau. On a annoncé il y a environ quatre ou six semaines que ce médicament serait couvert de cette façon.

M. Raj Grewal: D'accord. La plupart des 75 patients vivent-ils en Ontario?

Mme Erin Little: Non, ils sont dispersés. Il y a un patient en Saskatchewan et quelques-uns dans les Maritimes, et le Québec a le plus grand nombre de cas de cystinose; je ne suis pas certaine du nombre exact, mais nous savons qu'il y en a un grand nombre. Je sais que le Dr Midgely, qui est aussi venu témoigner devant ce comité, a 18 patients. Notre néphrologue en suit quatre à sa clinique.

M. Raj Grewal: Je n'aime pas faire de suppositions; je veux donc vous demander ce qui suit. Communiquez-vous avec des familles aux États-Unis qui vivent la même situation que vous? Avez-vous des commentaires sur leur expérience? Y a-t-il des États qui font mieux que nous?

Mme Erin Little: Oui. Aux États-Unis, le plus gros problème actuellement, c'est... les patients peuvent l'obtenir s'ils le souhaitent, si leur assureur le couvre. Certaines personnes paient 92 000 \$ par mois pour être traitées à l'aide de ce médicament aux États-Unis. Oui, c'est ce que ça coûte mensuellement pour obtenir ce médicament, mais l'assureur le rembourse. Toutefois, elles ont le choix. C'est-à-dire qu'elles peuvent choisir un des deux médicaments. Au Canada, les gens me disent... La société qui détient les droits quant au médicament Cystagon — ils ont été achetés récemment par une autre société au Royaume-Uni — n'a pas fait les démarches. Je ne devrais pas être pénalisée en raison d'une

décision d'affaires prise par quelqu'un d'autre, alors que c'est exactement ce qui se passe dans notre pays.

Le médicament Cystagon existe depuis 35 ans et il est sûr. Il fonctionne. C'est un médicament très désagréable à prendre. Parfois, j'ai du mal à croire que je me bats pour l'obtenir. Je devrais lutter pour obtenir un nouveau médicament. C'est le point principal.

Aux États-Unis, les patients ont le choix, et il y a des familles qui sont séduites par l'idée d'une dose aux 12 heures et elles décident de changer de médicament. L'autre préoccupation, c'est de savoir ce qui se passerait si nous souhaitions qu'Olivia change de médicament. Qu'arriverait-il si nous disions qu'elle est prête et que nous souhaitons changer de médicament?

Nous craignons ce qui pourrait se passer si elle ressentait des effets indésirables importants. Cela s'est produit aux États-Unis. Le taux de cystine intra-leucocytaire des patients se dérègle, et cela cause un bouleversement dans leur vie.

Il y a des familles en Ontario qui ont examiné la possibilité de changer de médicament, et elles devraient avoir le droit de le faire aussi. Je ne suis pas contre le fait d'avoir le choix, mais ces familles se demandent ce qui se passera si elles commencent à administrer ce médicament à leur fillette de deux ans, que les effets indésirables sont très importants et qu'elles n'ont plus la possibilité de revenir au médicament utilisé précédemment. Que se passera-t-il si ces gens n'ont pas la possibilité de revenir à l'autre médicament? Nous ne devrions pas avoir à se préoccuper de cela. Nous souhaitons seulement que nos enfants demeurent en vie et qu'ils soient en santé, et maintenant nous sommes préoccupés parce que nous voulons essayer ce nouveau médicament, mais que ce n'est pas possible.

• (1000)

M. Raj Grewal: C'est une bonne recommandation.

Ma dernière question s'adresse à la fois à Mme Vowles et à Mme Little.

Quelle serait la recommandation que vous souhaiteriez que le gouvernement suive et qui vous faciliterait la vie?

Mme Mary Jane Vowles: Notre propre vie ou la vie de tous les patients atteints du SHUa?

M. Raj Grewal: L'une ou l'autre, ou les deux, pour être franc.

Mme Mary Jane Vowles: J'aimerais que le médicament soit subventionné pour que, en ce moment, je n'aie pas à m'en faire. Caryn peut subir une greffe. Elle pourrait ravoir ce qui manque dans sa vie, et ne pas avoir à se demander si la société pharmaceutique ou la province de l'Ontario cessera de l'offrir après trois mois, ou peu importe.

Nous avons vécu comme expérience la fréquence de traitement aux deux semaines; c'est tout ce que nous pouvons soutenir. C'est tout ce que son corps a jamais pu endurer, peu importe. J'aimerais qu'elle puisse avoir l'assurance de pouvoir poursuivre sa vie et de devenir une membre active du monde de la recherche, où elle semble se diriger, et qu'elle soit en mesure d'accomplir de grandes choses au profit de tous.

Mme Erin Little: De notre côté, dans notre cas en particulier, il y a beaucoup de choses que je ne connais pas, mais j'essaie d'élever deux enfants et de faire l'école à domicile tout en prenant soin d'un enfant malade. Il y a beaucoup de choses que j'aimerais mieux comprendre, mais d'après ce que j'ai pu constater et d'après les répercussions que j'ai ressenties directement, en ce qui concerne les sociétés pharmaceutiques qui viennent s'installer en Ontario, je me dis que les choses doivent changer. Nous devons faire en sorte d'avoir deux longueurs d'avance sur les sociétés pharmaceutiques qui souhaitent s'implanter ici, parce qu'elles sont toujours en avance sur nous. Nous devons vraiment faire preuve de prudence à cet égard. Je suis tellement reconnaissante d'habiter en Ontario où le médicament est couvert. Si nous devons être obligés de changer de médicament, nous pourrions passer à ce médicament extrêmement cher, et notre fille pourrait quand même être traitée.

Un autre point, c'est que, quand nous permettons à ces sociétés de s'installer dans notre pays, elles doivent faire plus en échange, en particulier quand le prix de leurs médicaments est aussi élevé. Elles devraient mener des activités ici. Nous ne devrions pas payer leurs médicaments très dispendieux pour qu'elles ne fassent ensuite affaire que dans d'autres pays. Elles doivent redonner aussi à la communauté de patients atteints de maladie rare. Elles devraient promouvoir... Encore une fois, nous avons besoin que les sociétés pharmaceutiques fassent des découvertes qui font progresser les choses pour nos enfants. Mais il est dérangeant que ces entreprises s'installent ici, qu'elles n'aient pas à produire leurs médicaments ici, qu'elles ne soient pas tenues d'embaucher des personnes ici. Même dans notre situation avec Horizon Pharma, le soutien aux patients que nous pourrions recevoir est offert depuis les États-Unis. Les responsables ne comprennent même pas les différences entre les provinces.

Il s'agit là d'un aspect. Nous devons imposer des normes plus élevées aux entreprises qui viennent ici, et nous devons rendre le processus plus cohérent. Le fait qu'un médicament ait été approuvé en juin 2017, et que le traitement possible nous a été refusé à partir de ce moment, qu'il a fallu faire marche arrière et déployer beaucoup d'efforts pour arranger les choses, que le prix ne soit approuvé que récemment, et que les décisions relatives aux dispositions touchant la couverture du médicament n'aient été prises qu'un an plus tard... C'est gênant en fait.

Le président: Très bien. Merci beaucoup.

Le temps qui reste nous permet seulement que trois personnes posent une question.

Nous allons commencer par Mme Gladu, pendant cinq minutes.

•(1005)

Mme Marilyn Gladu (Sarnia—Lambton, PCC): Merci, monsieur le président.

Je remercie les témoins de nous avoir fait part de leur histoire. Je vais résumer ce que je crois avoir compris.

Premièrement, il est ridicule que vous deviez présenter une demande au titre du Programme d'accès spécial tous les trois mois à l'égard d'un médicament qui est prescrit par un médecin pour traiter un problème de santé permanent. Cela doit être corrigé.

Deuxièmement, il est ridicule que l'ACMTS approuve un médicament qui est 20 fois plus cher qu'un autre qui contient la même molécule. C'est vrai que la technologie permettant la libération lente du médicament procure des avantages, mais le fait de vous empêcher de continuer d'utiliser un médicament qui

fonctionnait est aussi quelque chose de ridicule, à mon avis. Nous devons faire des recommandations pour remédier à cette situation.

Vient ensuite la question du financement et de la façon dont nous serons en mesure de payer. Je conviens que des personnes ont besoin de ces médicaments pour vivre, mais si je fais un calcul rapide, pour une personne atteinte de cystinose, dont l'espérance de vie est de 27 ans, si elle prend le médicament le plus dispendieux des deux, cela totalise 810 millions de dollars. Si je fais la même chose avec le médicament pour traiter le SHUa, cela donne 4,5 milliards de dollars, en tenant compte du fait que ces patients peuvent vivre pendant 30 ans.

C'est une somme colossale, et, à mesure qu'on trouve de plus en plus de traitements pour les maladies rares, nous devons trouver une façon de financer ces traitements.

Êtes-vous d'accord que ce sont là les points que nous devons régler?

Mme Mary Jane Vowles: Assurément.

Mme Marilyn Gladu: Très bien.

Le prix demandé par Horizon a-t-il quelque chose à voir avec la récente renégociation de l'ALENA? S'agit-il de la société dont il était question et qui souhaitait allonger la durée du brevet? Je crois qu'auparavant un brevet durait 10 ans, et maintenant cette période a été réduite à 8 ans. S'agit-il de la société Horizon, ou d'une autre entreprise?

Mme Erin Little: Je ne saurais dire.

Mme Marilyn Gladu: Vous ne le savez pas. Très bien.

Ma dernière question porte sur le processus du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés.

Je crois que c'est vous, Mary Jane, qui avez mentionné le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés. Quand le médicament Soliris était en processus d'approbation par le Conseil, il s'est passé quelque chose de négatif. Pouvez-vous me répéter de quoi il s'agissait et me dire ce que nous devrions faire, selon vous, pour corriger cela?

Mme Mary Jane Vowles: Ce qui s'est passé, c'est qu'il était approuvé par le gouvernement fédéral, par Santé Canada, et que, quand le médicament a été accessible dans les provinces, l'ACMTS a décidé de ne pas l'approuver au motif qu'il était trop dispendieux et n'était pas efficace.

Tous les résultats des recherches montraient que le médicament fonctionnait. C'est pourquoi Santé Canada l'avait approuvé. Pourquoi avons-nous deux paliers de gouvernement, dont l'un mine ce que fait l'autre? Si le médicament est efficace et que Santé Canada l'a approuvé, comment se fait-il que les responsables d'une province puissent décider que le même médicament n'est pas efficace? Il est clair que tous les résultats de recherche montrent son efficacité.

Le président: Monsieur Ayoub.

[Français]

M. Ramez Ayoub (Thérèse-De Blainville, Lib.): Je vous remercie, monsieur le président.

Madame Little, je vous remercie de votre témoignage. Je vais vous rassurer. Tout à l'heure, vous avez dit avoir pris sur le temps que vous accordez à votre famille pour venir témoigner. J'imagine que c'est la même chose pour vous, madame Vowles. C'est du temps bien investi, parce qu'il est très important que le Comité entende des témoignages de familles et qu'il sache ce qu'elles vivent au quotidien.

Je m'adresse particulièrement à Mme Little car j'ai eu moins de temps de recherche sur la famille Vowles.

Madame Little, en consultant le site de votre fondation, j'ai vu que certains de vos supporteurs sont des compagnies pharmaceutiques. J'ai l'impression que c'est vous qui financez la recherche pour trouver un médicament ou une cure; c'est du moins ce que vous avez dit. Comment voyez-vous votre relation avec ces compagnies qui sont des supporteurs tout en étant des fournisseurs? N'y a-t-il pas une certaine contradiction entre ces deux aspects?

•(1010)

[Traduction]

Mme Erin Little: C'est intéressant. Nous n'utilisons pas d'argent provenant de sociétés pharmaceutiques pour le fonctionnement de notre organisme.

Nous tenons un tournoi de golf afin de recueillir des fonds pour la recherche, et Horizon était l'un de nos commanditaires en 2017. C'était avant que ne survienne le problème et que j'apprenne ce que j'ai appris au cours de la dernière année. La société a communiqué avec nous cette année et souhaitait commanditer notre événement; je n'ai pas répondu parce que je n'accepterai pas son argent.

Je ne sais pas où vous avez lu que nous acceptons de l'argent des sociétés pharmaceutiques, parce que...

[Français]

M. Ramez Ayoub: Non, je n'ai lu cela nulle part; j'ai simplement lu sur votre site Internet que vous aviez des supporteurs. J'ai vu la liste des compagnies pharmaceutiques. Je voulais justement savoir quelle relation vous entreteniez avec elles.

[Traduction]

Mme Erin Little: Sur le site Web de Liv-A-Little?

M. Ramez Ayoub: Oui.

Mme Erin Little: Je n'avais pas remarqué que c'était l'interprétation qu'on pouvait en faire. Merci.

[Français]

M. Ramez Ayoub: Le fait est qu'il s'agit de recherche de financement pour le développement de médicaments. Je n'ai peut-être pas bien compris vos propos, mais j'ai eu l'impression que votre sentiment était que vous étiez responsables d'une partie de cette recherche portant sur un certain médicament ou sur une cure, plus particulièrement. Est-ce exact?

[Traduction]

Mme Erin Little: Oui. Horizon Pharma a acheté la société Raptor Pharmaceutical. C'était cette société, aux États-Unis, à laquelle j'étais attachée par l'entremise de la Cystinosis Research Foundation.

Cet organisme familial finançait directement l'entreprise Raptor Pharmaceutical en vue de la mise en marché du médicament Procybsi. Ensuite, Raptor Pharmaceutical a vendu ce médicament à Horizon Pharma.

Tous les travaux de recherche et de développement réalisés avaient été soutenus par Raptor Pharmaceutical, qui a ensuite été vendue.

[Français]

M. Ramez Ayoub: Voulez-vous émettre un commentaire, madame Vowles? Non? D'accord.

On parle ici de maladies rares. Il y a peu de personnes atteintes au Canada, mais un peu plus aux États-Unis. Comment considérez-vous la concurrence en matière de recherche à l'intérieur des pays du G7,

particulièrement en ce qui concerne les grands pays qui développent des médicaments?

Il y a de la concurrence entre ces pays, mais le traitement et l'accessibilité ne sont pas les mêmes. Dans un pays de la taille du Canada, il y a plusieurs cas. En ce qui vous concerne, madame Little, on parle de 75 ou de 100 patients. Comment arrive-t-on, à l'échelle mondiale, à offrir un service et à faire ces recherches de façon à ce que ce soit profitable non pas pour les compagnies mais pour les patients?

[Traduction]

Mme Erin Little: C'est une question intéressante, parce que nous constatons, dans les faits, quand nous commençons à chercher des renseignements sur les maladies rares, que les travaux de recherche sont en cours et aident à faire progresser les études concernant d'autres maladies. Il existe un registre des médicaments qui progresse.

Par exemple, les chercheurs peuvent utiliser le Cystagon et l'examiner pour voir s'ils peuvent en tirer quelque chose qui pourrait aider la recherche consacrée à d'autres médicaments. Donc, dans le cas de ces maladies rares... Je reconnais qu'il serait très difficile pour ces entreprises d'investir beaucoup d'argent en particulier dans des travaux de recherche portant sur la cystinose, mais quand on réussit à cerner une maladie, à cibler la mutation génétique de façon précise, cela apporte de nouvelles connaissances qui permettent de comprendre le fonctionnement du corps et peut mener à de nouvelles applications dans le cas d'autres maladies.

Il s'agit d'un autre domaine où nous devons cesser de travailler de façon fermée, et plutôt accroître les échanges pour que nous puissions progresser ensemble et réussir à guérir de nombreuses maladies. C'est réalisable, et je sais que, par rapport à notre propre communauté, en ce qui a trait à la cystinose, les recherches aident dans le cas de la maladie de Huntington. Il y a aussi une autre maladie pour laquelle les connaissances sont utiles, mais je ne me souviens pas de son nom. Donc, une petite communauté de 2 000 patients à l'échelle internationale peut réussir à en aider d'autres. Par conséquent, si on réussit à aider un groupe de 15 000 personnes atteintes d'une autre maladie, on peut agrandir le cercle.

•(1015)

Le président: Merci beaucoup.

Nous allons passer à M. Davies pour trois minutes.

Mme Mary Jane Vowles: Puis-je répondre à cette question si possible? Je vais le faire très rapidement.

Le président: Allez-y, brièvement.

Mme Mary Jane Vowles: L'expert est ici au Canada. Nous l'avons fait venir d'Allemagne, et il étudie le syndrome hémolytique et urémique atypique. Nous aurons bientôt des résultats. Caryn prend d'ailleurs part à cette recherche. Ce syndrome est lié à d'autres maladies, mais l'expert travaille ici à l'hôpital SickKids en collaboration avec un médecin du Toronto General Hospital et un autre de l'hôpital St. Michael's, dans une moindre mesure.

Merci.

Le président: Merci.

Monsieur Davies.

M. Don Davies: Madame Little et madame Vowles, savez-vous si la recherche menée à l'égard des médicaments que vos enfants prennent a été faite par une université publique ou au Canada même? Savez-vous où la recherche à l'origine de ces médicaments a été faite?

Mme Mary Jane Vowles: Parlez-vous ici du lieu où ont été effectués les essais?

M. Don Davies: Non, je parle de la recherche elle-même.

J'ai cru comprendre que bon nombre de recherches sur la composition chimique et les molécules sont financées par les fonds publics, et sont souvent effectuées dans les universités. La propriété intellectuelle est bien souvent commercialisée par les établissements pharmaceutiques, lesquels n'ont pas eux-mêmes mené la recherche initiale.

Savez-vous à quel endroit la recherche de base portant sur les molécules à l'origine du médicament a été effectuée?

Mme Erin Little: En ce qui nous concerne, pour la cystinose, la recherche a été effectuée aux États-Unis. Nous avons des médecins ici qui font de la recherche, de la nouvelle recherche, mais tout le financement provient directement des patients, car aucuns fonds publics ne sont consacrés à la lutte contre cette maladie rare.

À ce que je sache, le Cystagon a initialement été conçu par un médecin, Jerry Schneider, en Californie. C'est tout ce que je sais à ce sujet.

M. Don Davies: Madame Vowles, le savez-vous?

Mme Caryn Vowles: À l'origine, il me semble que la recherche pour le médicament en tant que tel a été faite par Alexion, mais depuis, des travaux ont été effectués dans différents hôpitaux. Il me semble qu'aucune recherche n'ait été effectuée dans l'une de nos universités. La plus grande partie est faite à l'extérieur du Canada, mise à part la recherche que ma mère a mentionnée. Le Dr Licht est l'expert ici.

M. Don Davies: D'accord.

Il me reste peu de temps.

J'aimerais terminer par vous, Caryn.

Puisque vous êtes la patiente et la personne la plus touchée par cette politique, je souhaite vous laisser le peu de temps qu'il nous reste ici pour que vous puissiez faire part au Comité de ce que nous devrions faire, selon vous. Si vous étiez première ministre, et que vous pouviez décider de ce qui doit être fait pour changer notre système afin d'aider les patients comme vous, quels seraient vos recommandations et vos conseils?

Mme Caryn Vowles: Je pense que vous devriez aider les gens partout au Canada, pas seulement dans certaines provinces. Je sais que notre conseil d'administration tente d'apporter de l'aide dans toutes les provinces. Oui, nous le faisons en Ontario et au Québec, et je pense que nous tentons de le faire ailleurs également, mais si une pharmacie ne collabore qu'avec une province et offre un prix à cette province et un prix différent à une autre province... Si vous tentez de faire cela partout au Canada, vous allez avoir plus de patients, et vous pourrez baisser le prix de cette façon, parce que vous négociez alors pour un plus grand nombre de personnes.

Le président: C'est un bon moment pour conclure.

Je tiens à remercier les témoins. Les témoignages étaient très personnels et utiles.

Je suis ici à me dire, Caryn, qu'il vous faut non pas seulement une bonne médication, mais également une bonne dose de courage et de

détermination. Vous venez tout juste de terminer votre programme en génie biomédical. Vous travaillez sur votre maîtrise, et vous souhaitez éventuellement obtenir un doctorat. Je suis certain que nous n'avons pas fini d'entendre parler de vous. Merci beaucoup et félicitations.

Merci à tous les témoins.

Nous allons suspendre la séance afin de faire entrer le prochain groupe de témoins.

Nous allons faire entrer les responsables du ministère de la Santé, et je suis certain que nous allons avoir bon nombre de questions intéressantes pour eux.

Mme Mary Jane Vowles: Merci beaucoup.

Le président: Merci.

• (1015) _____ (Pause) _____

• (1025)

Le président: Nous allons reprendre.

Avant de donner la parole à nos invités, je tiens à signaler à tout le monde que la motion adoptée à l'unanimité portant sur la correction du rapport sur les boissons prémélangées sera déposée dans quelques jours.

De plus, M. Roland Lescure, représentant des Français établis hors de France, nous rendra visite en provenance de son pays. Il souhaite parler aux membres du Comité de leur rôle dans le processus de légalisation du cannabis. Il sera disponible demain à 15 h 15, pour une conversation informelle, si vous souhaitez y participer.

Nous n'avons pas d'emplacement en particulier pour le moment. Ce sera probablement dans la pièce 105 ou 107.

Si jamais quelqu'un parmi vous est intéressé à rencontrer ce monsieur venu de la France pour parler du rôle du Comité dans le processus de légalisation du cannabis... il souhaite s'entretenir avec nous. J'ai l'intention de discuter avec lui. Si vous souhaitez vous joindre à moi, vous pouvez me le faire savoir.

Mme Marilyn Gladu: C'était à quelle heure déjà, 15 h 15?

Le président: C'est à 15 h 15.

Mme Marilyn Gladu: Nous avons un vote à 15 heures.

Le président: Vraiment, demain?

Eh bien nous allons devoir déplacer la rencontre. Je viens d'être informé de cette visite, et nous venons de décider de l'heure.

Mme Marilyn Gladu: Peut-être que cela pourrait se faire après le vote.

Le président: Si quelqu'un est intéressé, qu'il me le fasse savoir. Nous allons déterminer le moment et l'endroit.

Nous avons des représentants du ministère de la Santé avec nous aujourd'hui. Il n'y a pas de déclarations préliminaires, seulement des questions.

Nous recevons Catherine Parker, directrice générale des produits biologiques et des thérapies génétiques, de la Direction générale des produits de santé et des aliments; Karen Reynolds, directrice exécutive du Bureau des stratégies de gestion des produits pharmaceutiques; et le Dr John Patrick Stewart, directeur général de la Direction des produits thérapeutiques.

Nous allons commencer cette période de questions par M. McKinnon.

M. Ron McKinnon: Merci, monsieur le président. Je vais partager mon temps de parole avec Mme Sidhu.

Nous avons certainement entendu bon nombre de témoignages concernant des situations où un médicament pour le traitement d'une maladie rare est à l'étape de l'essai clinique et où le prix monte en flèche à la suite de son approbation, ou des situations où le médicament est approuvé et où l'autre médicament utilisé auparavant, qui devrait alors être moins cher, n'est plus disponible.

Nous avons également entendu parler du fait que les personnes ayant accès au programme d'accès spécial doivent faire une nouvelle demande de couverture tous les trois mois.

Je vous laisse à tous le soin de répondre à ces questions, si vous le pouvez.

Que peut faire le ministère pour simplifier et faciliter l'accès à ces médicaments dans des cas de maladies rares?

Mme Catherine Parker (directrice générale, Direction des produits biologiques et des thérapies génétiques, Direction générale des produits de santé et des aliments, ministère de la Santé): Le Dr Stewart peut répondre à cela.

Dr John Patrick Stewart (directeur général, Direction des produits thérapeutiques, ministère de la Santé): Un cadre de réglementation est déjà en place. Nous ne pouvons pas contraindre les promoteurs à faire des demandes d'autorisation de mise sur le marché. Nous pouvons certainement les encourager. Nous pouvons leur expliquer le processus, le faciliter et prévoir des mesures incitatives. Cependant, c'est l'entreprise qui, au bout du compte, décide si le produit sera mis sur le marché au Canada.

Vous avez probablement entendu dire au cours des derniers témoignages qu'il est parfois difficile de mettre certains produits sur le marché. Nous tentons de faciliter ce processus en fournissant un cadre pour les essais cliniques, lequel appuie la réalisation d'essais à l'égard de maladies rares, ainsi qu'un processus pour des examens prioritaires et un avis de conformité, dont nous avons parlé la dernière fois que nous étions ici, qui incite les entreprises à mettre ces médicaments sur le marché.

Une fois que les médicaments sont approuvés par Santé Canada aux fins de la mise en marché, c'est aux autres acteurs du système de décider de leurs prix et aux provinces de décider de les financer ou non. Cela échappe à la portée de notre rôle au sein de ce processus. Peut-être que Karen peut en parler un peu.

Comme nous l'avons dit lors de notre dernière comparaison, le programme d'accès spécial est unique en son genre. Il donne accès, à la demande d'un médecin et dans le cadre d'une période d'essai, à un traitement non approuvé n'ayant pas fait l'objet d'un examen en bonne et due forme permettant d'établir qu'il est de bonne qualité, sûr et efficace. Il incombe alors au médecin d'expliquer pourquoi ce traitement est celui qui convient le mieux pour son patient, de démontrer que la vie de celui-ci est en danger, d'indiquer que les autres traitements disponibles, le cas échéant, ont été considérés et jugés inappropriés en l'espèce, et de fournir toute autre justification à l'appui de ce traitement.

Puisque les demandes pour le programme d'accès spécial sont acceptées dans ces conditions, les autorisations ne durent pas longtemps. On parle généralement de trois à six mois.

Il peut y avoir une situation particulière où un produit reçoit une autorisation, mais il faut à l'entreprise, à la suite de l'autorisation, plusieurs mois pour achever l'étiquetage et ensuite mettre le produit sur le marché. Il y a une période à la suite de l'autorisation de la mise en marché d'un produit où le produit n'est pas disponible. Le programme d'accès spécial continue alors de fournir l'accès à ce médicament.

Nous raccourcissons la période du programme d'accès spécial, car nous savons que le produit sera bientôt sur le marché. Si un autre produit est offert par l'entremise du programme, cette période s'applique aussi à lui, car nous nous attendons à ce que la plupart des médecins passent à un traitement approuvé une fois qu'il sera disponible sur le marché.

• (1030)

Mme Karen Reynolds (directrice exécutive, Bureau des stratégies de gestion des produits pharmaceutiques, ministère de la Santé): Je peux parler des prix.

Comme vous le savez probablement déjà, le seul organisme fédéral qui est en mesure d'exercer un quelconque pouvoir sur le prix d'un médicament breveté au Canada est le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés. Je suis certaine d'avoir répondu à une question portant sur l'effort de modernisation que l'un de vos collègues a posée lorsque nous étions ici la dernière fois. Le Conseil a la compétence, selon la Loi sur les brevets et ses règlements afférents, de déterminer ce qui est considéré comme un « prix non excessif » pour les médicaments brevetés, et il le fait en se fondant sur les outils réglementaires disponibles.

Cela dit, je suis certaine que vous êtes également au courant que les prix au Canada sont parmi les plus élevés dans le monde pour les médicaments brevetés. Nous nous classons troisièmes parmi les pays de l'OCDE. Il est donc reconnu que les prix des médicaments brevetés au Canada sont élevés.

La seule autre façon de faire baisser les prix pour les Canadiens est le recours à des mécanismes de négociation, en grande partie par l'entremise de l'Alliance pancanadienne pharmaceutique. Cette alliance, comme vous le savez, négocie les prix pour les régimes publics d'assurance médicament au Canada. Il est possible de négocier seulement le prix des médicaments ayant reçu une recommandation positive aux fins de leur inscription sur la liste de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé, ou l'ACMTS. Cela ne s'applique pas nécessairement à tous les médicaments que vous avez mentionnés.

Mme Catherine Parker: J'aimerais simplement ajouter que nous travaillons activement afin de faire autoriser les médicaments qui sont disponibles par l'entremise du programme d'accès spécial et qui figurent sur la liste, particulièrement ceux pour le traitement de maladies rares.

En travaillant avec les entreprises, il convient de se pencher sur ce qu'il faudrait faire pour qu'elles déposent une demande d'approbation concernant un produit au Canada. Si elles ont déjà fait leur demande dans un autre pays et que ce médicament est approuvé là-bas, nous allons utiliser les rapports d'évaluation de ces organismes de régulation et la décision qu'ils ont prise pour faire sortir ces produits du programme d'accès spécial et les faire mettre en marché, de sorte que les patients, les familles et les médecins n'aient pas à passer par le programme d'accès spécial.

M. Ron McKinnon: Merci.

Nous allons maintenant passer à Mme Sidhu.

Mme Sonia Sidhu (Brampton-Sud, Lib.): Merci, monsieur le président.

Merci à tous d'être ici aujourd'hui.

Dans le cas de maladies rares, il peut parfois y avoir un manque de données scientifiques. Quels types de données sont prises en considération par le ministère lors de l'examen réglementaire?

Nous avons entendu auparavant un groupe de témoins mentionner que le Canada avait besoin d'une politique sur l'évaluation des médicaments. Avez-vous des commentaires à ce sujet?

Mme Catherine Parker: Je peux certainement faire un commentaire sur le fait que nous traitons chaque médicament pour une maladie rare de façon unique. Nous rencontrons le fabricant de ce médicament et nous vérifions le genre de données dont il dispose, les données qu'il est capable d'obtenir ou celles qui ont pu être produites ailleurs dans le monde. Nous négocions au cas par cas quelles seront les exigences.

Chaque médicament est différent, et même que dans le domaine des maladies rares, vous pourriez avoir un médicament pour deux ou trois patients comparativement à un médicament pour 100 ou 200 patients. Il s'agit peut-être d'une maladie très rare au Canada, mais pas autant dans d'autres parties du monde, de sorte qu'il peut y avoir des données provenant d'autres types d'essais.

Je ne peux pas le dire plus sérieusement: nous traitons vraiment tous les médicaments au cas par cas. Nous convenons avec le fabricant du médicament d'une approche qui convient aux besoins de la communauté de patients et qui correspond aux données qu'il est en mesure d'obtenir, et nous concevons cette approche avec lui. Nous utilisons des approbations conditionnelles. Nous avons recours à l'examen prioritaire. Nous utilisons des rapports d'autres organismes de réglementation. Nous utilisons de l'information tirée de la documentation. Nous prenons toute l'information...

Nous aimons appeler cela la totalité des données, mais c'est unique à chaque produit.

Je ne sais pas si M. Stewart veut ajouter quelque chose.

• (1035)

Le président: En fait, le temps alloué à cette question est écoulé. Madame Gladu, allez-y.

Mme Marilyn Gladu: Je vous remercie, monsieur le président. Merci aux témoins. C'est bon de vous revoir.

Il ressort clairement des témoignages que nous avons entendus que, lorsqu'il s'agit de maladies rares, les gens sont dans une situation où ils ont besoin de médicaments sans lesquels ils mourront. Il semble également vrai que leurs meilleures expériences sont lorsqu'ils participent à des essais cliniques et qu'ils sont en mesure d'avoir accès aux médicaments grâce à cela.

J'aimerais savoir ce que vous pensez de la loi sur le droit d'essayer qui a été présentée aux États-Unis. Essentiellement, lorsqu'il y a des gens dans cette situation, c'est une voie, disons, très rapide et efficace d'approbation de médicaments, qui permet d'approuver des essais cliniques et de laisser les gens essayer des choses qui peuvent leur sauver la vie.

Qu'en pensez-vous?

Dr John Patrick Stewart: L'accès aux essais cliniques se fait souvent dans le cadre d'essais expérimentaux, parce que le promoteur doit respecter certaines exigences: il doit avoir un protocole bien conçu, les risques doivent être atténués dans la mesure du possible, les patients doivent être informés et le comité d'éthique de la recherche doit avoir donné son approbation. Dans la mise au point de médicaments, nous encourageons que l'accès se fasse par l'intermédiaire d'un essai clinique bien conçu.

Cela dit, il y a des défis à relever lorsque les patients atteints de maladies rares peuvent être répartis aléatoirement ou très largement dispersés en petits nombres dans tout le pays. Nous travaillons avec des promoteurs pour encourager l'accès chez ces patients individuels

ou ces patients précis. À défaut de cela, il existe d'autres options, comme les essais ouverts ou les programmes d'accès pour des raisons humanitaires, où les patients peuvent, dans le cadre de la conception d'un protocole, avoir accès à un médicament qui ne fait peut-être pas partie de l'essai de plus grande envergure qui est en cours.

Une fois les essais terminés, on se préoccupe également de la continuité de l'accès. Encore une fois, il y a des possibilités, si le promoteur est prêt à continuer de fournir l'accès au produit, de sorte que les patients qui y réagissent bien puissent continuer d'y avoir accès au moyen d'une prolongation ouverte ou d'un accès pour des raisons humanitaires. Nous encourageons cela jusqu'à ce que le produit soit autorisé sur le marché.

En vertu du droit d'essayer, ce droit peut signifier différentes choses. Il peut par ailleurs signifier qu'un patient qui souhaite accéder à un traitement expérimental dont l'efficacité peut varier ou n'a pas été prouvée veut avoir accès au médicament. Lorsque nous avons procédé au renouvellement du Programme d'accès spécial, pour la réflexion entourant celui-ci, nous avons mené une consultation en décembre de l'an dernier et une en janvier de cette année. C'était l'une des questions que nous avons posées. Des associations, des professionnels de la santé, des travailleurs du système de soins de santé et des groupes de soutien aux patients étaient présents. Dans l'ensemble, le droit d'essayer n'a reçu que très peu d'appui.

Certaines des raisons que nous avons entendues ressemblaient généralement à ce qui suit: lorsque vous parlez du droit d'essayer, vous parlez d'une affection grave ou mettant la vie en danger, et, presque à l'unanimité, vous exigez qu'un praticien de la santé participe aux soins. Le Programme d'accès spécial le permet. Un praticien de la santé peut évaluer un patient en particulier, examiner les produits offerts, voir s'il existe des preuves crédibles ou non à l'appui de l'utilisation et présenter une demande. C'est aussi quelque chose pour lequel il n'y a pas beaucoup d'appui dans d'autres administrations. En fait, la plupart des fabricants ont fait remarquer qu'ils ne veulent pas que leurs produits expérimentaux soient nécessairement accessibles de cette façon. Ils préféreraient que ce soit au début de leur élaboration ou dans le cadre d'un essai bien conçu, où l'on peut contrôler les variables et utiliser les données probantes pour aller de l'avant avec l'autorisation de mise sur le marché.

Cathy, avez-vous d'autres...

Mme Marilyn Gladu: C'est très bien.

Nous avons entendu des témoignages selon lesquels, lorsque le CEPMB met beaucoup de temps à arriver à une certitude au regard du prix, il y a une crainte qui découragera les gens d'apporter leurs médicaments au Canada. Nous en avons probablement déjà parlé.

Y a-t-il eu des remises en question concernant la modernisation du CGPMB?

Mme Karen Reynolds: Comme je crois l'avoir mentionné la dernière fois, le ministère a publié dans la Gazette du Canada, partie I, un projet de règlement visant à moderniser le CEPMB, il y a de cela presque un an, en décembre 2017. La proposition n'a pas été finalisée. Nous continuons d'examiner les résultats de cette consultation et de discuter avec les intervenants des questions clés liées à la proposition.

•(1040)

Mme Marilyn Gladu: De plus, nous avons entendu dire que, une fois que les gens arrivent à la fin de leur essai clinique, il y a un délai avant qu'ils ne reçoivent l'approbation. L'un des témoins a recommandé que, si l'essai se termine sans conséquence négative, il devrait être approuvé instantanément afin que les patients puissent continuer de prendre le médicament.

Êtes-vous au courant de cette situation, et peut-on la corriger?

Mme Catherine Parker: Je pense que c'est ce dont parlait M. Stewart.

Oui, absolument, les patients ont la possibilité de poursuivre le traitement après l'essai clinique. Cela se fait au moyen d'un protocole de prolongation ou dans le cadre d'une situation de type ouvert.

Toutefois, tout dépend de la volonté du fabricant de continuer à fournir le produit. C'est la réalité. Nous exigeons qu'ils déposent un protocole sur la façon dont les patients seraient traités, mais nous procédons à un examen très efficace et rapide de la situation. Une grande partie des échanciers et des délais dépendent du fabricant et de ce qu'il est prêt à faire.

Mme Marilyn Gladu: Je vous remercie.

Le président: Monsieur Davies, allez-y.

M. Don Davies: Je ne sais pas si vous avez entendu le témoignage des patients qui étaient ici récemment, mais la mère d'une fille atteinte d'une maladie rare chronique a affirmé que Santé Canada lui demande de présenter une nouvelle demande tous les trois mois pour le médicament dont sa fille a besoin pour demeurer en vie. Pourquoi en est-il ainsi?

Dr John Patrick Stewart: Je suppose que vous parlez du Programme d'accès spécial et du processus de demande connexe.

Pour ce qui est des trois mois, je ne peux pas parler des demandes précises, car c'est confidentiel, mais, habituellement, une demande pour le Programme d'accès spécial, s'il s'agit d'une maladie chronique ou d'un usage à long terme, serait approuvée pour six mois, et il faudrait ensuite la renouveler. Comme je l'ai mentionné plus tôt, on pense qu'il s'agit de traitement non approuvé et que le règlement exige que le praticien qui en fait la demande fasse rapport sur l'utilisation du produit. Alors, voilà.

Dans le cadre de notre renouvellement de l'accès spécial, nous examinons la question du point de vue du service à la clientèle sur une base continue ou d'une situation où le traitement est bien établi et que la raison pour laquelle elle n'est pas sur le marché est que le fabricant n'est pas arrivé sur le marché au Canada. Le produit peut être approuvé dans d'autres administrations. Nous prolongerons cette période à neuf mois...

M. Don Davies: D'après ce que j'ai compris du témoignage que nous avons entendu, c'était tous les six mois, mais Santé Canada exige maintenant qu'ils présentent une demande tous les trois mois.

Dr John Patrick Stewart: Je pense que c'est peut-être dans le contexte où — je pense que cela s'est probablement produit —, comme je l'ai mentionné plus tôt, un produit... Je vais parler en particulier d'une situation dans laquelle le Cystagon et le Procysbi, qui étaient deux produits...

M. Don Davies: C'était ces produits-là.

Dr John Patrick Stewart: ... servant au traitement de la cystinose dans le cadre du Programme d'accès spécial.

L'un de ces produits, un produit à usage prolongé, le Procysbi, a fait l'objet d'une demande d'autorisation de mise en marché et a reçu

cette autorisation en juin 2017. À ce moment-là, nous recevions encore des demandes pour les deux produits dans le cadre du Programme d'accès spécial, sachant qu'il faut habituellement trois mois au fabricant pour rendre conformes ses étiquettes et mettre le produit sur le marché. Quand on sait que, dans trois mois, il y aura un traitement commercialisé approuvé pour l'affection, il est logique que le délai pour les deux demandes, pour le Cystagon et le Procysbi, ait été réduit à trois mois.

Nous avons supposé que la plupart des patients, sinon tous, passeraient au traitement approuvé. En fait, au printemps, au moment de l'examen de ce produit et de l'annonce sa mise sur le marché, il a reçu beaucoup d'appui des médecins traitants qui s'occupaient de ce groupe de malades ainsi que de certains patients qui se sont mobilisés pour faire valoir que c'était merveilleux que le Procysbi arrive sur le marché. Nous nous attendions à ce que, dans trois mois, il n'y ait plus autant de demandes, le cas échéant, dans le cadre du Programme d'accès spécial; par conséquent, nous avons réduit la période du délai que nous pensions nécessaire pour qu'un produit puisse être accessible.

M. Don Davies: Aidez-moi à comprendre cela également.

Selon le témoignage que nous avons entendu, la fille réagissait très bien au Cystagon. J'ai cru comprendre que c'était dans le cadre du Programme d'accès spécial. Le coût s'élevait à 15 000 \$ par année. Sa famille a été obligée de passer au Procysbi, qui coûte 300 000 \$ par année, et la seule différence — il s'agit exactement de la même molécule — est l'enrobage qui influe sur le temps de libération du médicament.

Pour les profanes assis ici, cela semble absurde et ridicule. Pourquoi aurions-nous une politique qui augmenterait considérablement le coût des médicaments sans qu'il y ait de réelle différence quant à la valeur thérapeutique, et en fait, peut-être même, d'après l'expérience de cette famille, une diminution de la valeur thérapeutique? Aidez-moi à comprendre cela.

•(1045)

Dr John Patrick Stewart: Bien sûr. Je pense qu'il est important de souligner que la situation du Procysbi et du Cystagon n'était pas courante. Il est très inhabituel que deux produits soient offerts dans le cadre du Programme d'accès spécial pour une maladie rare ou que vous ayez deux produits dont le prix est très différent.

Le règlement d'application du Programme d'accès spécial nous oblige à vérifier s'il s'agit d'une maladie grave et qui peut entraîner la mort. Les produits en vente sur le marché ont-ils été envisagés, essayés sans succès ou envisagés et non accessibles ou inadaptés? Existe-t-il des données probantes sur leur utilisation, leur innocuité et leur efficacité?

Lorsque le Procysbi est arrivé sur le marché — il s'agit de la même molécule; l'une à libération prolongée et l'autre à libération immédiate —, il n'y avait aucune raison médicale précise à ce moment-là de dire que le Procysbi ne serait pas une solution de rechange appropriée. Le Programme d'accès spécial ne tient pas compte des coûts dans son examen. Si vous cherchez la raison pour laquelle un produit n'est pas accessible, le coût n'est pas pris en compte. En fait, nous ne sommes souvent pas au courant de ce qu'il coûte.

Lorsque le Procysbi est arrivé sur le marché, on n'avait aucune idée, dans le cadre du programme, de ce qu'il coûterait. Ce n'est pas un sujet qui nous concerne. L'objet de la Loi sur les aliments et drogues ne prévoit pas que le Programme d'accès spécial tienne compte des coûts. En fait, si nous allions dans cette direction, la préoccupation serait que cela ait une incidence sur les autorisations de mise en marché en général. Cela créerait une imprévisibilité au pays dans le sens où, si une entreprise novatrice veut commercialiser un produit et doit assumer les coûts de la recherche et du développement, les coûts de commercialisation et ceux qui suivent la mise en marché, et qu'il y a une possibilité que le Programme d'accès spécial fournisse l'accès à un produit plus abordable qui n'a pas fait l'objet d'une analyse exhaustive quant à sa sécurité, à sa qualité et à son efficacité, on pourrait compromettre la venue au Canada d'entreprises novatrices, parce qu'elles n'ont pas de garantie que le marché sera garanti. Ce n'est pas quelque chose que...

M. Don Davies: Mais à l'inverse, si nous établissons une politique en tant que gouvernement et que nous disons aux patients que nous allons les forcer à prendre un médicament qui ne fonctionne pas aussi bien, qui coûte beaucoup plus cher que les médicaments qu'ils veulent prendre et qui est constitué de la même molécule — et il est payé par les contribuables —, ne voyez-vous pas que les Canadiens auraient de réelles préoccupations quant à la gestion de ce programme si c'est ce qui arrive?

Dr John Patrick Stewart: Vous soulevez des considérations très importantes, dont certaines dépassent le mandat du Programme d'accès spécial.

M. Don Davies: J'aimerais passer aux prix.

Le Dr Joel Lexchin a témoigné devant le Comité. Il a déclaré ce qui suit:

[...] les sociétés pharmaceutiques n'ouvriront pas leurs livres pour révéler leurs coûts de recherche et développement pour de nouveaux médicaments. Il y a un chiffre de 2,6 milliards de dollars qui circule, qui serait le coût de la mise en marché d'un nouveau médicament. Ce genre de chiffre se fonde sur des données confidentielles qui ne seront pas divulguées. Si les sociétés pharmaceutiques veulent prouver qu'elles ont besoin de facturer ces sommes importantes pour les nouveaux médicaments, alors elles devraient prouver aux Canadiens, aux assureurs, que ces prix sont justifiés, mais elles ne l'ont toujours pas fait.

Dans quelle mesure les coûts de production d'une société pharmaceutique sont-ils révélés au gouvernement et pris en compte dans les examens du CEPMB portant sur les prix excessifs? Est-ce qu'ils ouvrent leurs livres et vous révèlent leurs véritables coûts de production?

Mme Karen Reynolds: Votre question porte sur le mandat et le travail du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés. Malheureusement, je ne suis pas en mesure de faire des commentaires sur l'information qui est mise à la disposition du Conseil lorsqu'il détermine les prix.

Comme vous le savez peut-être, monsieur Davies, le Conseil n'a aucun lien de dépendance avec le ministère. Il est quasi judiciaire. Nous n'avons pas de droit de regard sur l'information qu'il reçoit. Ses représentants seraient mieux placés pour répondre à votre question.

Le président: J'ai bien peur que nous devions mettre fin à nos questions pour aujourd'hui. Nous avons un peu dépassé notre temps.

Je voulais juste des éclaircissements sur la question du Cystagon. Le Cystagon a été prescrit et fonctionnait, et, maintenant, un nouveau médicament est également approuvé. Cela signifie-t-il que les patients ne peuvent plus prendre de Cystagon, ou ont-ils le choix?

Dr John Patrick Stewart: Le praticien a la possibilité de présenter une demande au Programme d'accès spécial pour le Cystagon. Il est encore approuvé aujourd'hui. Il l'a toujours été. Cependant, un praticien doit présenter une demande qui explique la raison médicale pour laquelle le traitement offert n'est pas approprié pour ce patient.

Il y a actuellement environ 64 patients qui reçoivent du Cystagon dans le cadre du Programme d'accès spécial.

• (1050)

Le président: Il est toujours accessible.

Dr John Patrick Stewart: En effet. Il l'a toujours été.

Le président: Merci beaucoup à tous d'être venus. Je regrette que la période de questions ait été écourtée, mais elle a été très efficace.

La séance est levée.

Publié en conformité de l'autorité
du Président de la Chambre des communes

PERMISSION DU PRÉSIDENT

Les délibérations de la Chambre des communes et de ses comités sont mises à la disposition du public pour mieux le renseigner. La Chambre conserve néanmoins son privilège parlementaire de contrôler la publication et la diffusion des délibérations et elle possède tous les droits d'auteur sur celles-ci.

Il est permis de reproduire les délibérations de la Chambre et de ses comités, en tout ou en partie, sur n'importe quel support, pourvu que la reproduction soit exacte et qu'elle ne soit pas présentée comme version officielle. Il n'est toutefois pas permis de reproduire, de distribuer ou d'utiliser les délibérations à des fins commerciales visant la réalisation d'un profit financier. Toute reproduction ou utilisation non permise ou non formellement autorisée peut être considérée comme une violation du droit d'auteur aux termes de la *Loi sur le droit d'auteur*. Une autorisation formelle peut être obtenue sur présentation d'une demande écrite au Bureau du Président de la Chambre.

La reproduction conforme à la présente permission ne constitue pas une publication sous l'autorité de la Chambre. Le privilège absolu qui s'applique aux délibérations de la Chambre ne s'étend pas aux reproductions permises. Lorsqu'une reproduction comprend des mémoires présentés à un comité de la Chambre, il peut être nécessaire d'obtenir de leurs auteurs l'autorisation de les reproduire, conformément à la *Loi sur le droit d'auteur*.

La présente permission ne porte pas atteinte aux privilèges, pouvoirs, immunités et droits de la Chambre et de ses comités. Il est entendu que cette permission ne touche pas l'interdiction de contester ou de mettre en cause les délibérations de la Chambre devant les tribunaux ou autrement. La Chambre conserve le droit et le privilège de déclarer l'utilisateur coupable d'outrage au Parlement lorsque la reproduction ou l'utilisation n'est pas conforme à la présente permission.

Aussi disponible sur le site Web de la Chambre des communes à l'adresse suivante : <http://www.noscommunes.ca>

Published under the authority of the Speaker of
the House of Commons

SPEAKER'S PERMISSION

The proceedings of the House of Commons and its Committees are hereby made available to provide greater public access. The parliamentary privilege of the House of Commons to control the publication and broadcast of the proceedings of the House of Commons and its Committees is nonetheless reserved. All copyrights therein are also reserved.

Reproduction of the proceedings of the House of Commons and its Committees, in whole or in part and in any medium, is hereby permitted provided that the reproduction is accurate and is not presented as official. This permission does not extend to reproduction, distribution or use for commercial purpose of financial gain. Reproduction or use outside this permission or without authorization may be treated as copyright infringement in accordance with the *Copyright Act*. Authorization may be obtained on written application to the Office of the Speaker of the House of Commons.

Reproduction in accordance with this permission does not constitute publication under the authority of the House of Commons. The absolute privilege that applies to the proceedings of the House of Commons does not extend to these permitted reproductions. Where a reproduction includes briefs to a Committee of the House of Commons, authorization for reproduction may be required from the authors in accordance with the *Copyright Act*.

Nothing in this permission abrogates or derogates from the privileges, powers, immunities and rights of the House of Commons and its Committees. For greater certainty, this permission does not affect the prohibition against impeaching or questioning the proceedings of the House of Commons in courts or otherwise. The House of Commons retains the right and privilege to find users in contempt of Parliament if a reproduction or use is not in accordance with this permission.

Also available on the House of Commons website at the following address: <http://www.ourcommons.ca>