



Patented
Medicine Prices
Review Board

Conseil d'examen
du prix des médicaments
brevetés

Bienvenue au webinaire du CEPMB à l'intention des chercheurs

June 23, 2020

Elena Lungu, Gestionnaire, Développement de politique

Canada



Patented
Medicine Prices
Review Board

Conseil d'examen
du prix des médicaments
brevetés

Aperçu des dépenses en médicaments onéreux pour les maladies rares



Webinaire du CEPMB à l'intention des chercheurs
Le 23 juin 2020

Jared Berger, Analyste des politiques

Canada

Introduction

Contexte

- Un nombre croissant de médicaments onéreux pour maladies rares (MOMR) ont été introduits ces dernières années, faisant augmenter les dépenses en médicaments et soulevant des questions d'accessibilité financière.

Objectif

- Cette présentation porte sur le marché à croissance rapide des MOMR, en expliquant comment la phase de développement mène au lancement de médicaments orphelins, ce qui, combiné aux prix élevés des médicaments, fait des médicaments orphelins le segment de marché qui connaît la croissance la plus rapide, repoussant les limites de l'accessibilité financière.

Méthodologie

- Pour les besoins de cette étude, les MOMR sont définis comme des médicaments ayant au moins une désignation orpheline par la FDA ou l'EMA, et dont le coût de traitement estimé dépasse 100 000 \$ par an pour les médicaments non oncologiques et 7 500 \$ par 28 jours pour les médicaments oncologiques.
- Sources de données : CEPMB, base de données MIDAS® d'IQVIA, bases de données des régimes privés de paiement direct des médicaments d'IQVIA, bases de données GlobalData Healthcare, APP, ACMTS, Santé Canada.

Principales constatations

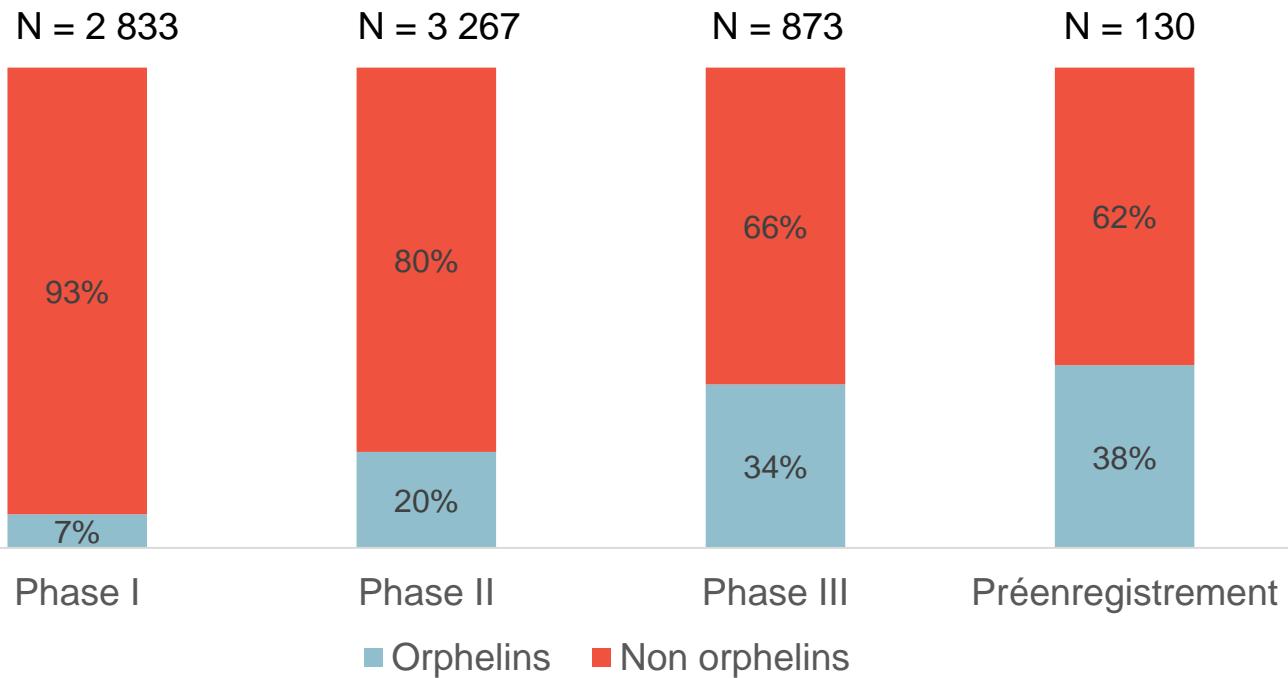
- 1** Les médicaments orphelins dominent de plus en plus le nouveau paysage pharmaceutique, et avec eux, le nombre de MOMR introduits augmente rapidement.
- 2** Les MOMR constituent le segment de marché qui connaît la plus forte croissance au Canada et représentent aujourd’hui près d’un dixième des ventes de produits pharmaceutiques, ce qui est supérieur à la norme de l’OCDE.
- 3** Le prix et l’abordabilité des MOMR sont une préoccupation mondiale, d’autant plus que la plupart d’entre eux offrent un bénéfice thérapeutique limité ou peu clair, et ne sont pas rentables à leur prix courant.
- 4** Bien qu’ils servent à traiter de petites populations, les MOMR ont le potentiel de générer des ventes plus importantes que les médicaments moins onéreux et à grand volume.

Une plus grande part des médicaments orphelins sont dans les derniers stades du développement clinique

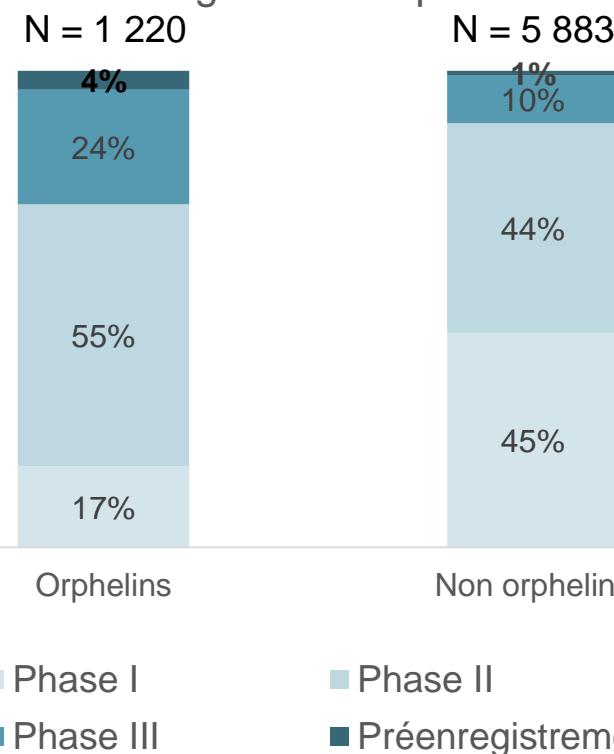
Plus d'un tiers des médicaments en phase III ou en préenregistrement sont orphelins, tandis qu'un dixième d'entre eux sont en phase I

Les médicaments orphelins en cours de développement sont plus concentrés en phase III et en préenregistrement (28 %) que les médicaments non orphelins (10 %)

Part des médicaments orphelins par rapport aux médicaments non orphelins, par phase de développement



Part des médicaments en cours de développement, par phase et désignation d'orphelin

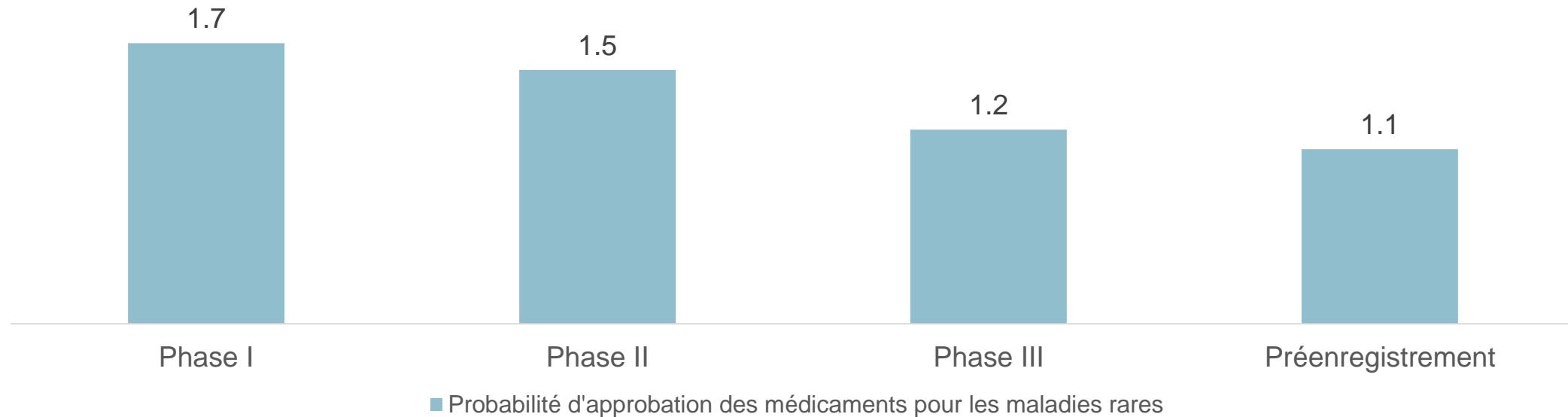


Remarque : Les chiffres comprennent tous les médicaments en développement ayant atteint le stade de développement le plus élevé, de la phase I au préenregistrement, qui sont développés pour les marchés canadien, américain ou européen. Les médicaments orphelins ont été définis comme un médicament en voie de développement qui a reçu une désignation orpheline aux États-Unis ou dans l'UE. Source des données : GlobalData, 2020 (à partir de mai 2020).

Les médicaments pour les maladies rares ont plus de chances d'être approuvés

La probabilité d'approbation des médicaments destinés aux maladies rares est plus élevée quel que soit leur stade de développement, et elle est la plus élevée en phase I, lorsque ces médicaments ont 1,7 fois plus de chances d'être approuvés par rapport à l'ensemble des médicaments

Probabilité d'approbation des médicaments pour les maladies rares* par rapport à l'ensemble des médicaments, par phase de développement



Remarques : La base de données « Probabilité d'approbation » de GlobalData a été utilisée pour déterminer la probabilité d'approbation des médicaments destinés à traiter les maladies rares par rapport à l'ensemble des maladies. L'analyse est limitée aux médicaments qui sont approuvés aux États-Unis, le développeur a spécifié les États-Unis comme marché prévu pour l'approbation ou le fabricant n'a spécifié aucun pays comme marché prévu pour l'approbation.

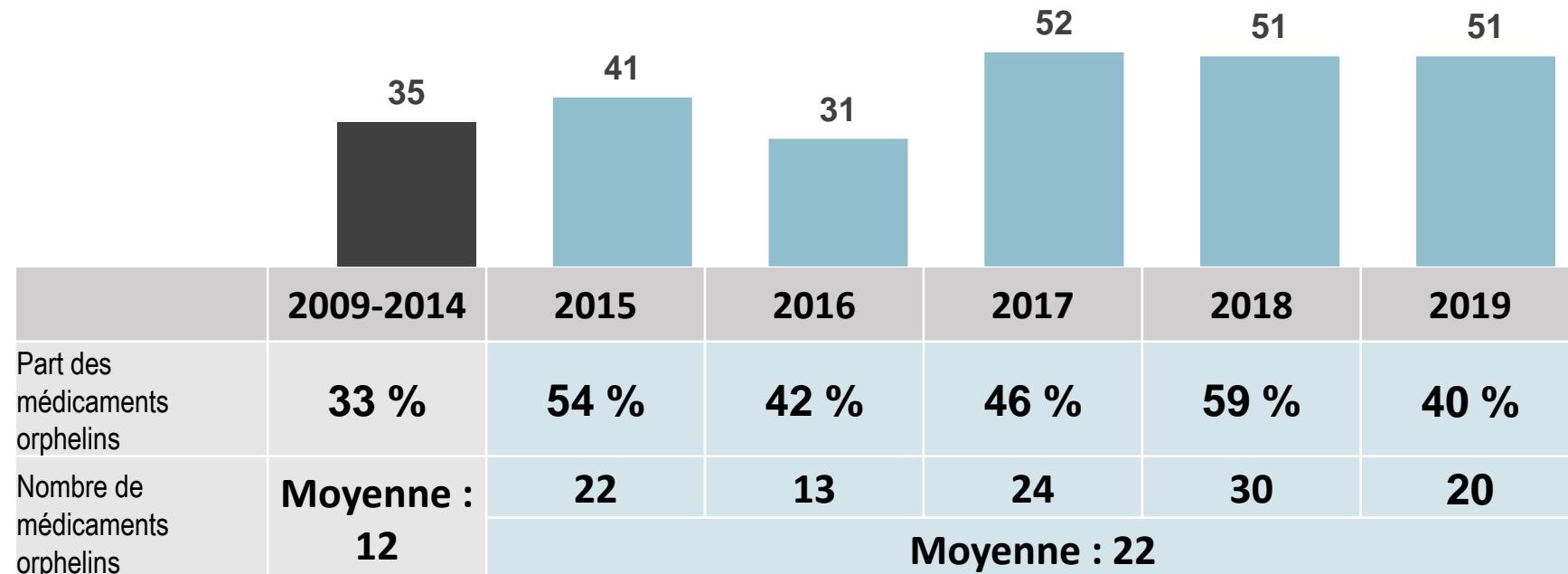
*Maladie rare telle que définie par GlobalData : Une maladie rare est une indication qui est répertoriée comme rare par la FDA américaine et le Centre d'information sur les maladies génétiques et rares (GARD) du NIH, et qui touche moins de 200 000 personnes aux États-Unis

Source des données : GlobalData, 2020 (extrait le 28 mai 2020)

Les médicaments orphelins dominent de plus en plus le paysage des nouveaux médicaments

Près de deux fois plus de médicaments orphelins (22) ont été introduits ces dernières années par rapport aux moyennes passées. Les résultats préliminaires suggèrent que plus de la moitié des nouveaux médicaments lancés en 2019 coûtent plus de 100 000 \$

Nouveaux médicaments approuvés au Canada et au CEPMB7, de 2009 à 2019

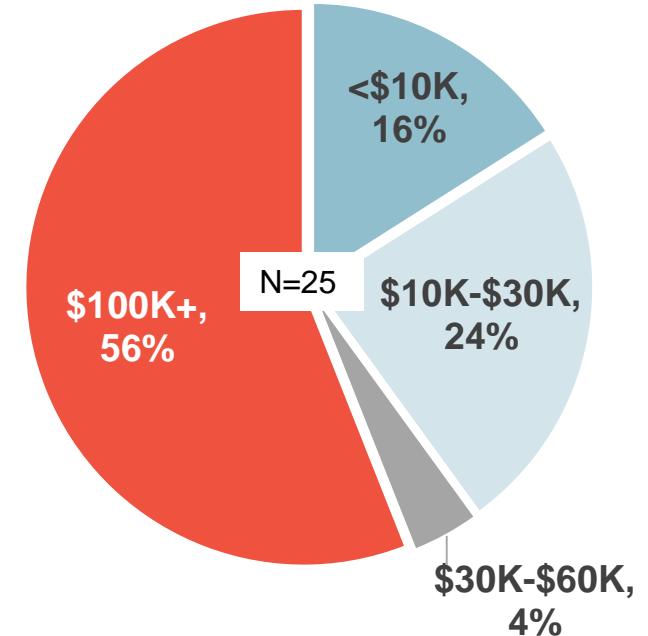


Programme des nouveaux médicaments du CDER :
Mise à jour de 2018

Pour l'exercice courant 2018, à ce jour, le CDER a approuvé 55 nouvelles entités moléculaires (NME), dont 31 médicaments orphelins

– Pour la toute première fois, la plupart des NME approuvés sont des médicaments orphelins indiqués pour le traitement de maladies rares.

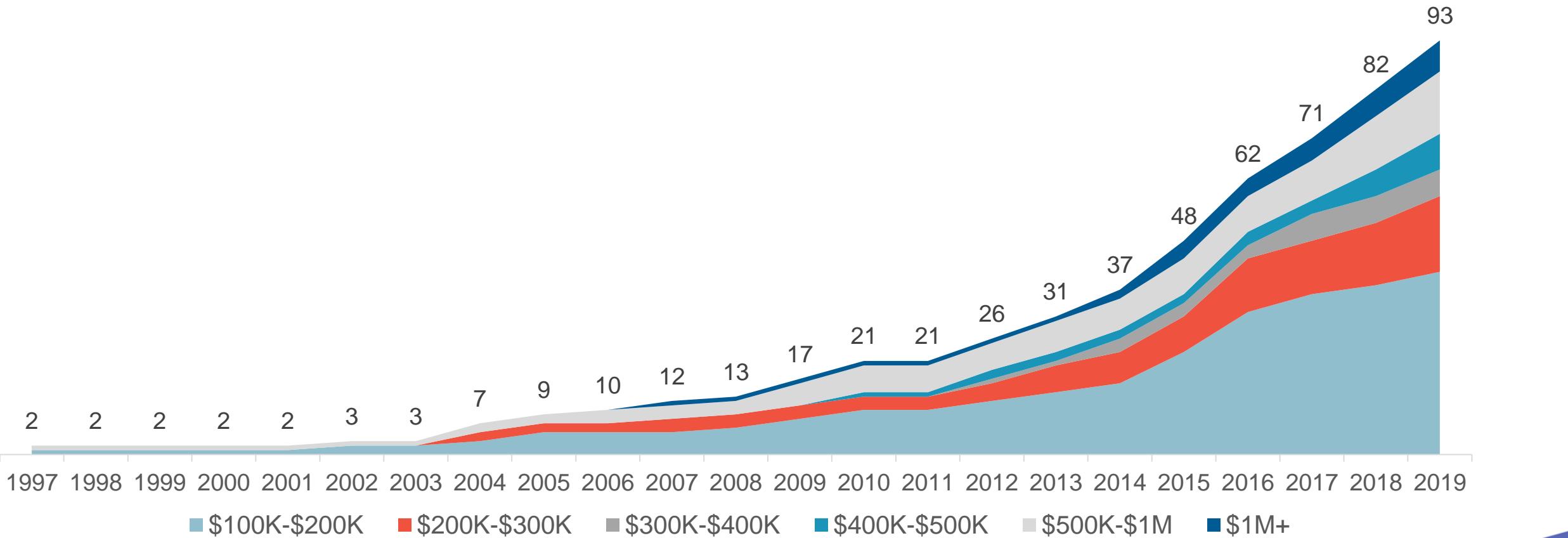
Part des nouveaux médicaments par coût de traitement, 2019



Augmentation rapide du nombre de MOMR en cours d'introduction

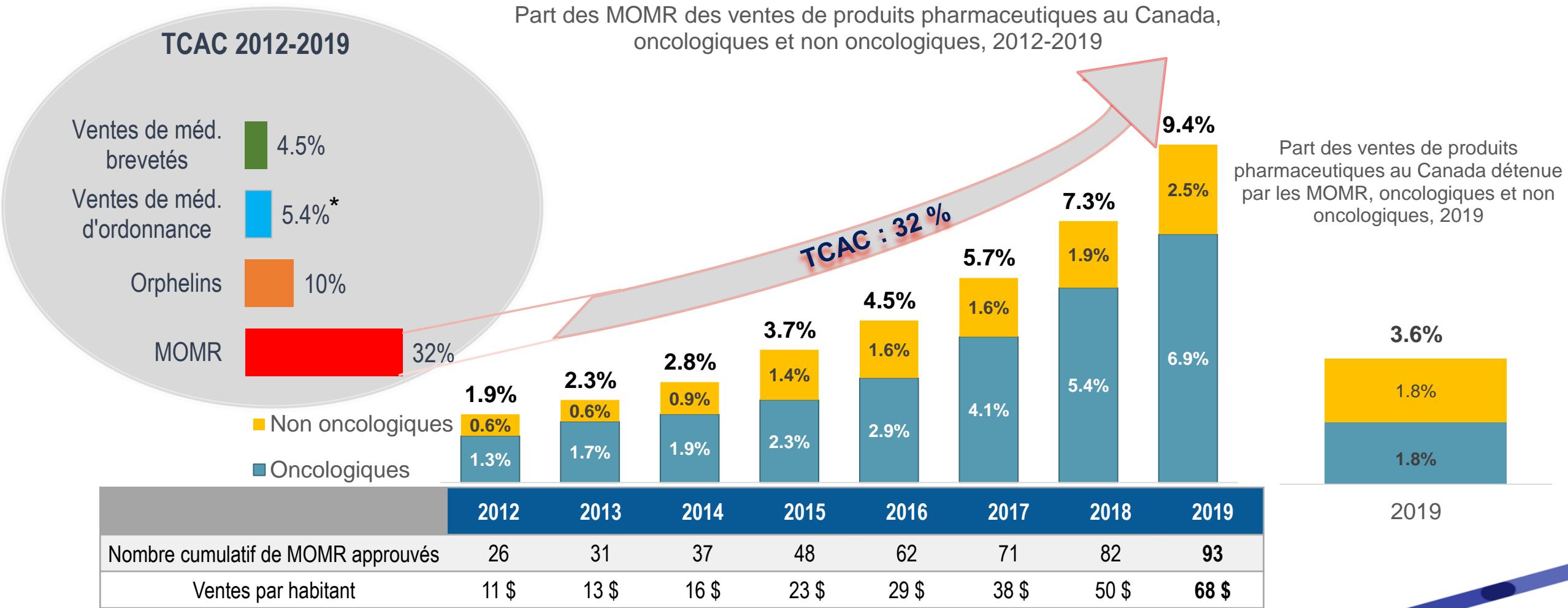
À la fin de 2019, 93 MOMR ont été approuvés pour la vente sur le marché canadien

Nombre cumulatif de MOMR approuvés au Canada



Les MOMR sont le segment de marché qui connaît la plus forte croissance

Malgré de petites populations de patients, les MOMR représentent aujourd'hui près d'un dixième des ventes de médicaments

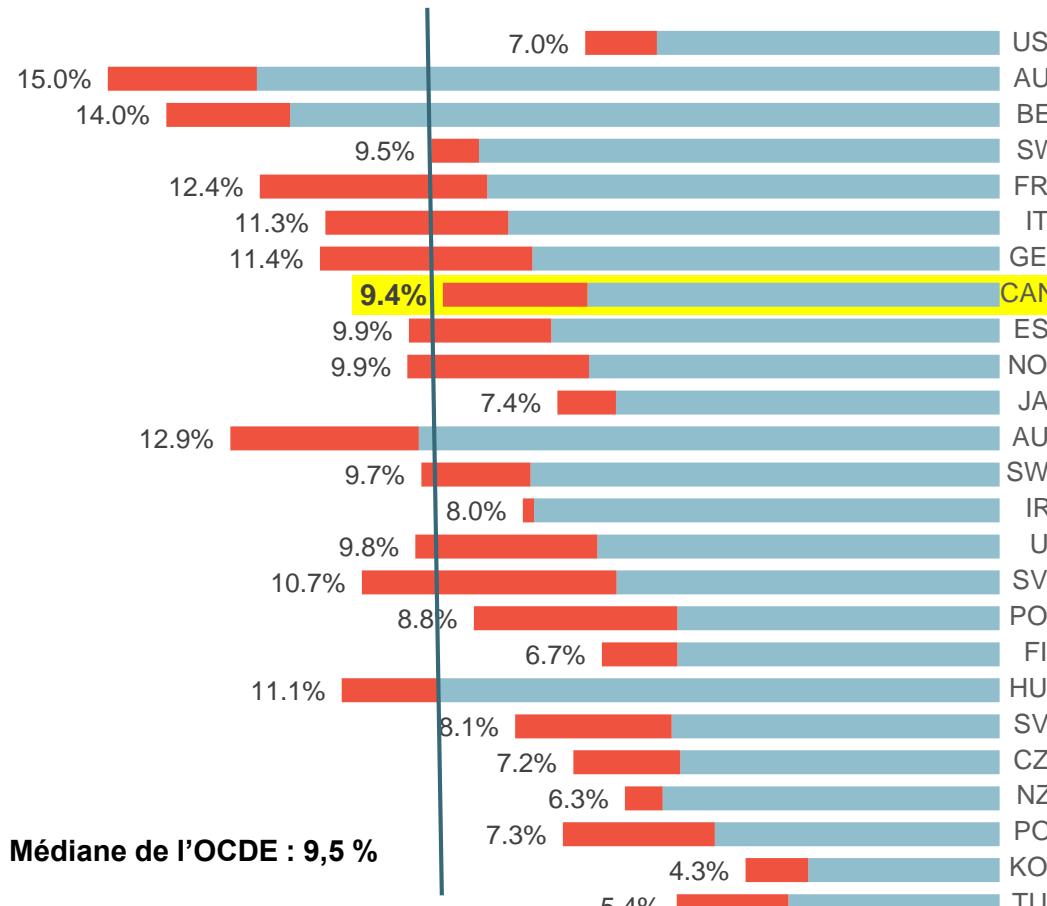


Remarque : *Le taux de croissance des ventes de médicaments brevetés est indiqué pour la période allant de 2012 à 2017.

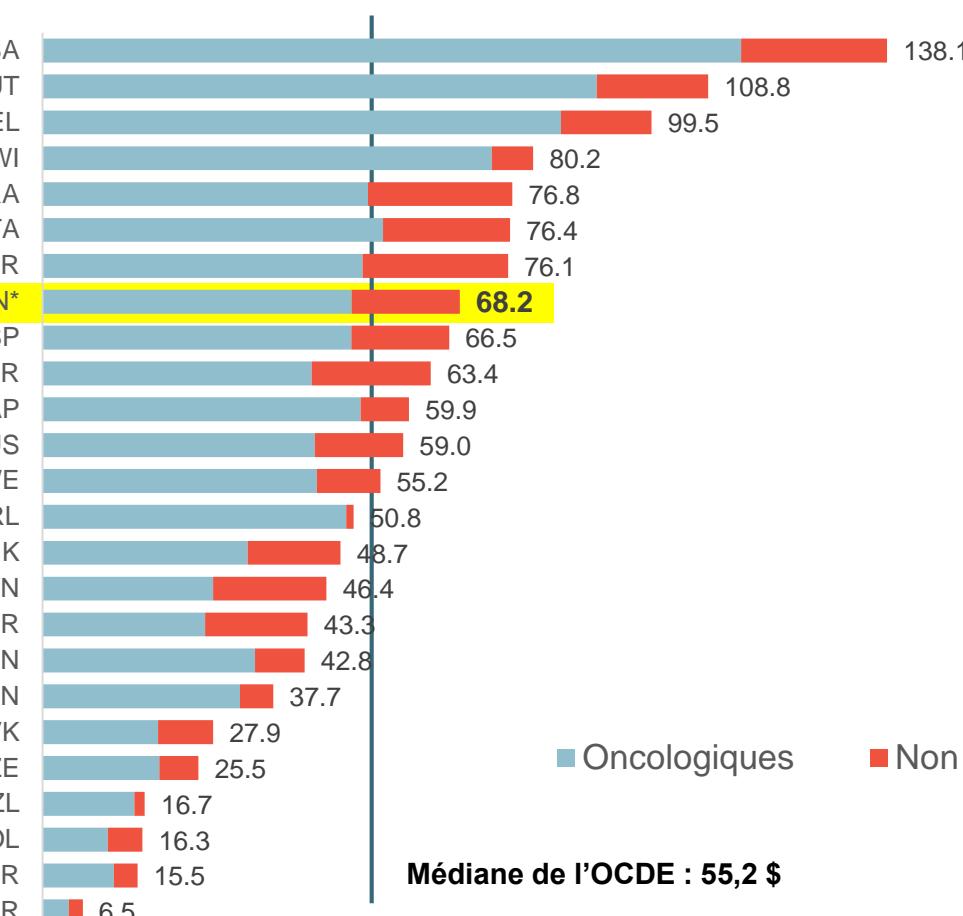
Source(s) de données : CEPMB, base de données MIDAS® d'IQVIA, de 2012 à 2019 (tous droits réservés), bases de données des régimes privés de paiement direct des médicaments IQVIA.

Les dépenses en MOMR au Canada sont supérieures à la norme de l'OCDE

Part des MOMR des ventes de produits pharmaceutiques



Ventes de MOMR par habitant (\$CAD)



■ Oncologiques ■ Non oncologiques

Remarque : les pays de l'OCDE ne disposant pas de données sur les ventes des hôpitaux ont été exclus de l'analyse.

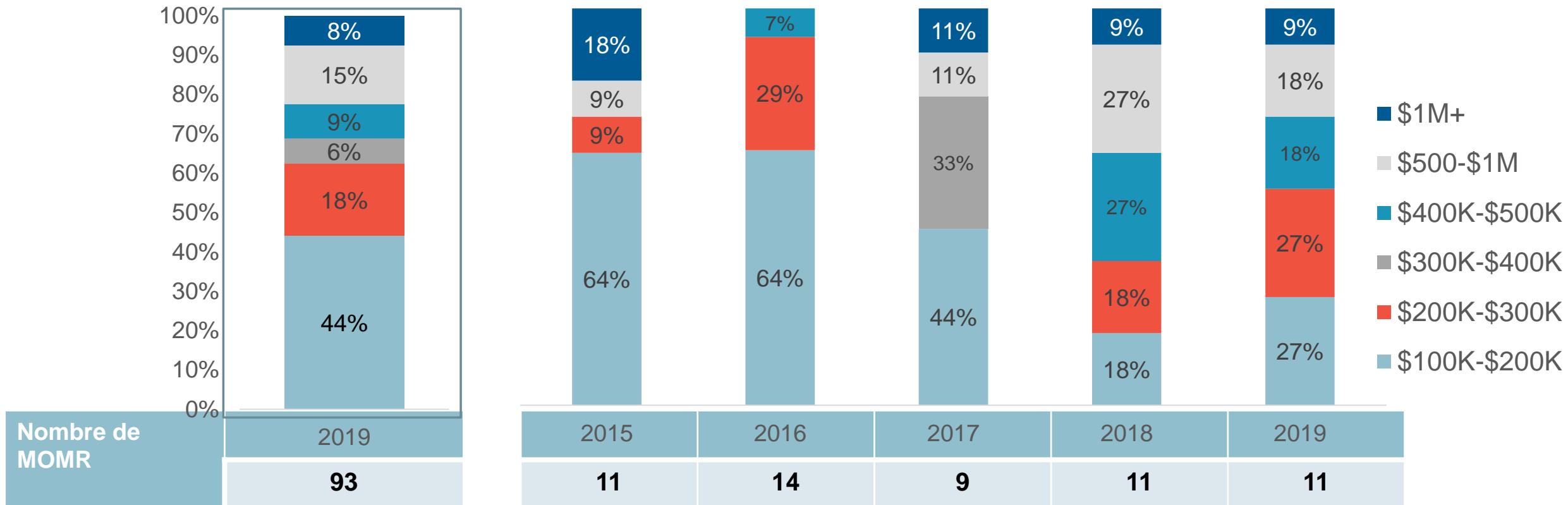
Estimé en complétant MIDAS™ avec les données des bases de données du CEPMB et des régimes privés de paiement direct des médicaments IQVIA

Source(s) de données : CEPMB, base de données MIDAS® d'IQVIA, 2019 (tous droits réservés).

Le coût croissant d'un traitement par MOMR est préoccupant

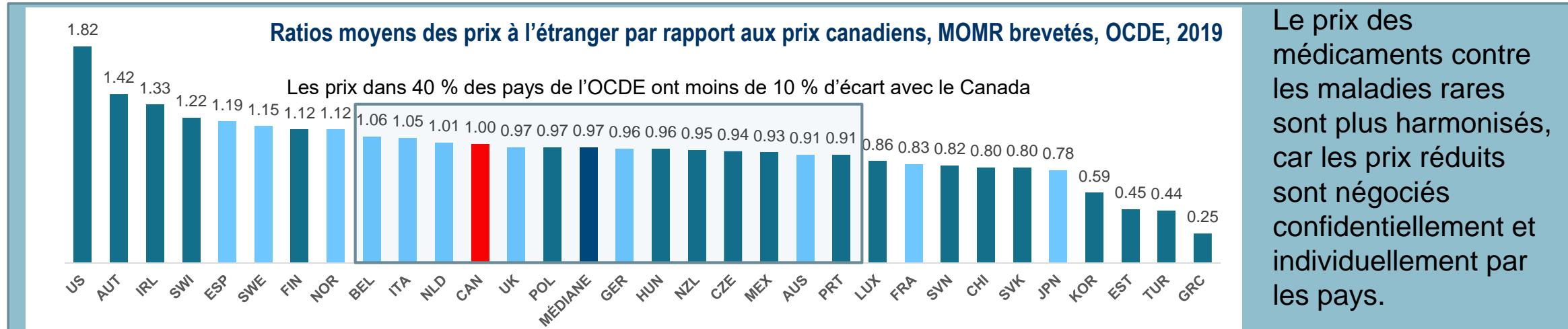
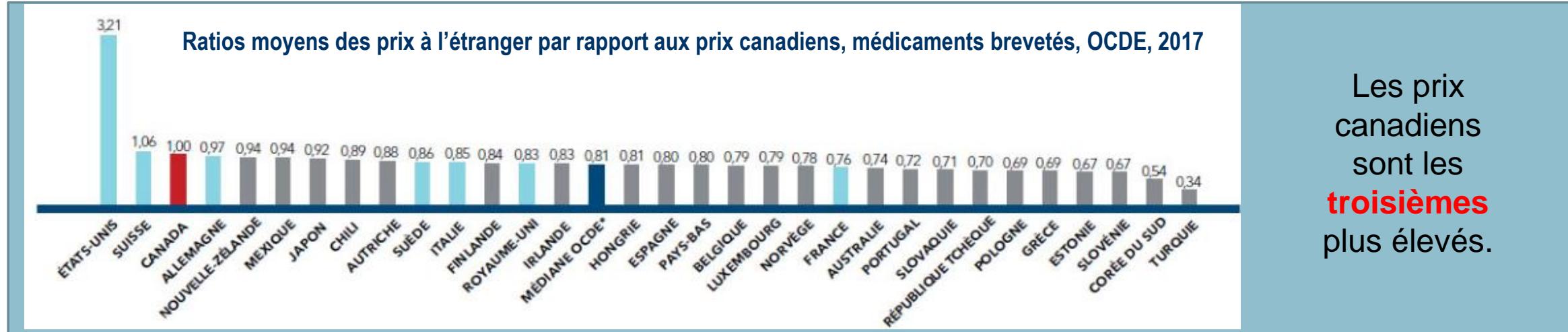
Plus de la moitié (56 %) de tous les MOMR disponibles au Canada coûtent plus de 200 000 \$ par an, et ces dernières années ont vu des parts encore plus importantes (82 % en 2018 et 73 % en 2019).

Part des MOMR approuvés au Canada par coût de traitement, à partir de 2019 et par année d'approbation



Le prix des MOMR est une préoccupation internationale, car tous les pays paient des prix élevés

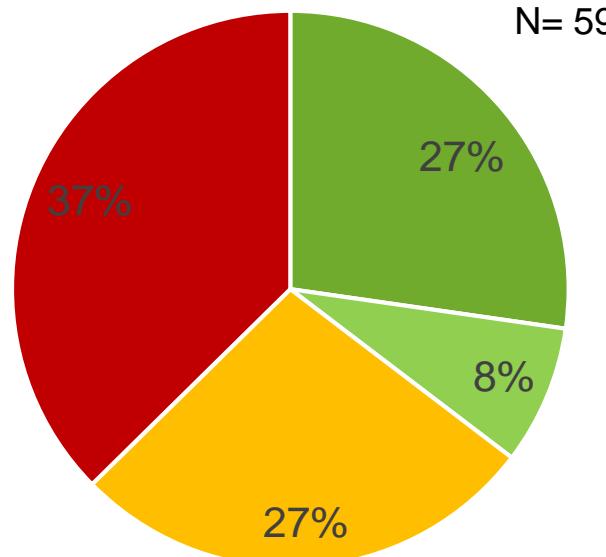
Le prix courant des MOMR n'est qu'un prix catalogue, qui se rapproche plus des prix mondiaux que les prix des médicaments brevetés en général.



3 La plupart des MOMR offrent un bénéfice thérapeutique limité ou peu clair, et ne sont pas rentables à leur prix courant

Nombre d'entre eux apportent une amélioration thérapeutique modérée, légère ou nulle par rapport aux médicaments de comparaison et nécessiteraient une réduction de prix supérieure à 80 % pour atteindre un rapport coût-efficacité différentiel de 100 000 \$.

Niveau d'amélioration thérapeutique,
CEPMB



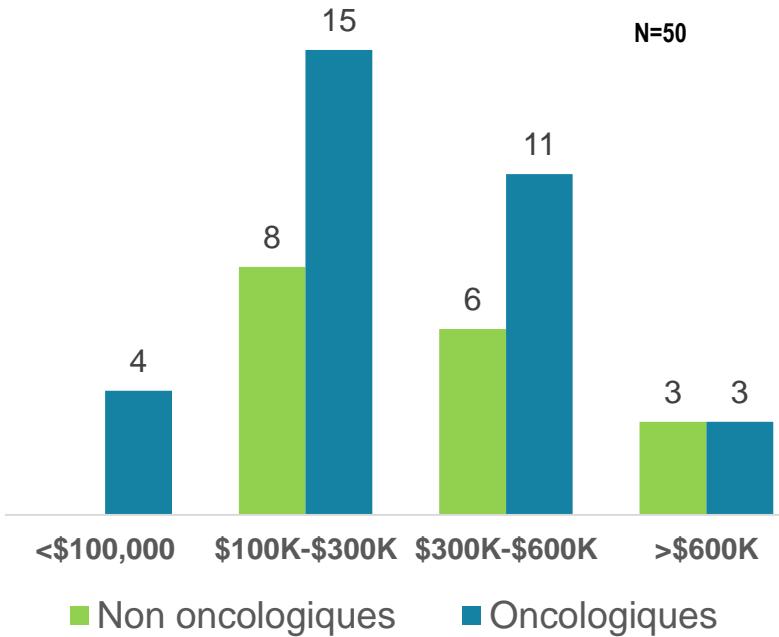
- Découverte (D)
- Amélioration importante (AI)
- Amélioration modeste (AM)
- Amélioration minime ou nulle (MN)

Source des données : ACMTS, CEPMB (avril 2020)

Nom commercial (MOMR)	Indications	Réduction de prix pour 100 000 \$/AVAQ
Orkambi (lumacaftor/ivacaftor)	Fibrose kystique (6 ans et plus)	97 %
Strensiq (asfotase alfa)	Hypophosphatasie, apparition pédiatrique	96 %
Ilaris (canakinumab)	Arthrite idiopathique juvénile systémique	86 %-90 %
Procysbi (cysteamine)	Néphropathique cystinose	95 %
Vimizim (elosulfase alfa)	Mucopolysaccharidos e IVA	97 %
Kalydeco (ivacaftor)	Fibrose kystique	98 %
Spinraza (Nusinersen)	Atrophie musculaire vertébrale	>95 %
Kuvan (sapropterin dihydrochloride)	Phénylcétonurie	82 %
Kanuma (sebelipase alfa)	Déficience en lipase de l'acide lysosomal	>95 %
Revestive (teduglutide)	Syndrome de l'intestin court (SIC)	80 %
Radicava (edaravone)	Sclérose latérale amyotrophique	>95 %

ETS – ACMTS

Répartition des MOMR oncologiques et non oncologiques par rapport au rapport coût-efficacité



3

L'abordabilité des MOMR est une préoccupation au Canada



BRITISH COLUMBIA

SUBSCRIBE

ENQUÈTE LA PRESSE

Blood-disorder drug Soliris to receive limited PharmaCare coverage in B.C.



La loterie des médicaments hors de prix



1:04

en de Repentigny, a reçu le traitement le plus cher génique vendue près de 3 millions de plus de traitements coûtent une fortune et le

ACTUALITÉS ▾

MA RÉGION ▾

ARG

published: 2019-08-29

received: 2019-08-29 03:03 (EST)

THE GLOBE AND MAIL

 Globe and Mail (Ontario)
 News | A1, Words: 1,055

'Nobody can afford this'

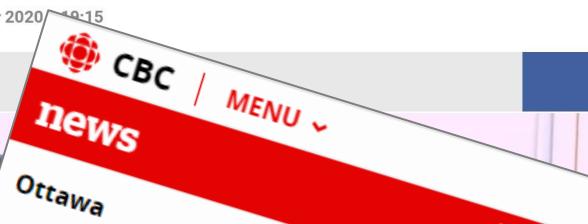
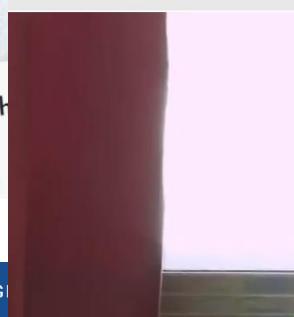
Olivia Little's parents wonder how they will treat her **rare disease** after a **drug maker** tweaked the formula for eye drops, which raised the price from a few thousand dollars a year to **\$103,272**

by: Kelly Grant

[Home](#) > RÉGIONAL > ABITIBI-TÉMISCAMINGUE > UNE FAMILLE SE BAT POUR L'ACCÈS À U...

Une famille se bat pour l'accès à un médicament

Rémi St-Amand | TVA Nouvelles | Publié le 7 février 2020 4:01:15



Sky-high cost puts drug out of reach for adults with rare disease

CBC News .

Posted: Apr 08, 2019 4:57 PM ET / Last Updated: April 8
 At more than \$700K for 1st year, Spinraza simply isn't an option for most adults with spinal muscular atrophy

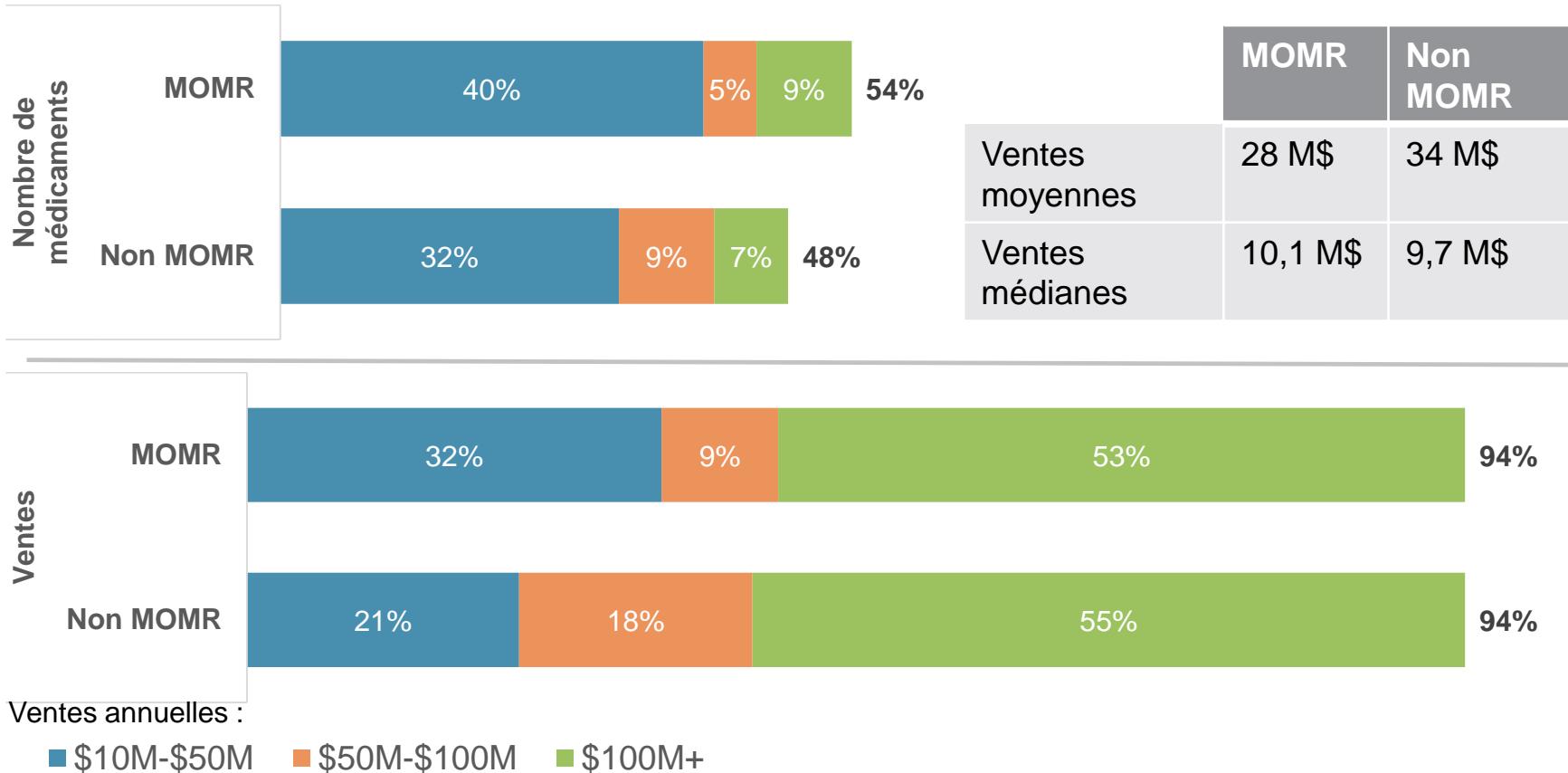
Un bambin se fait refuser un médicament contre un virus qui pourrait le tuer

Le Canada prend des mesures pour améliorer l'accès aux médicaments et les rendre plus abordables

- Le gouvernement fédéral a modifié le *Règlement sur les médicaments brevetés*, donnant au CEPMB les outils et l'information dont il a besoin pour protéger les consommateurs canadiens contre les prix excessifs.
- Pour aider les Canadiens atteints de maladies rares, le budget de 2019 propose d'investir jusqu'à un milliard de dollars sur deux ans, à partir de 2022-2023, avec un maximum de 500 millions de dollars par an en permanence.
- Le statut d'évaluation prioritaire de Santé Canada attribue aux présentations admissibles un objectif d'examen raccourci de 180 jours, contre 300 jours pour les présentations non prioritaires. Le statut d'évaluation prioritaire peut être accordé aux présentations de médicaments destinés au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies ou d'affections graves, mettant la vie en danger ou sévèrement débilitantes lorsque : a) il n'y a pas de médicament existant sur le marché canadien ayant le même profil, ou b) lorsque le nouveau produit représente une amélioration importante du profil avantages/risques par rapport aux produits existants.
- L'autorisation de mise sur le marché en vertu de la politique des avis de conformité avec conditions (AC-C) permet à Santé Canada d'offrir un accès plus rapide au marché pour des médicaments qui pourraient sauver des vies. Les conditions associées à l'autorisation de mise sur le marché permettent à Santé Canada de surveiller le médicament grâce à une surveillance post-commercialisation renforcée.

4 Les MOMR peuvent générer des ventes plus importantes que les médicaments moins onéreux et à grand volume

Distribution et ventes de MOMR et de produits non MOMR selon les ventes annuelles les plus élevées au cours des trois premières années suivant le lancement au Canada



Remarque : Comprend les médicaments lancés au Canada depuis 2005; les médicaments de ce type ont été vendus pendant au moins deux ans.
Taille de l'échantillon : MOMR; N = 43; Non-MOMR; N = 255.

Source des données : Base de données MIDAS® d'IQVIA (tous droits réservés); bases de données du CEPMB, de la US Food and Drug Administration, de l'Agence européenne des médicaments et de Santé Canada.

[Traduction] Les médicaments pour maladies orphelines, malgré leurs plus faibles populations de patients, ont le potentiel commercial de générer des revenus pour les entreprises d'origine de valeur égale ou supérieure aux médicaments non orphelins.



ACCESS TO MEDICINES, VACCINES AND PHARMACEUTICALS

TECHNICAL REPORT

Pricing of cancer medicines and its impacts





Patented
Medicine Prices
Review Board

Conseil d'examen
du prix des médicaments
brevetés

Aperçu de la taille du marché des médicaments brevetés au Canada



Webinaire du CEPMB à l'intention des chercheurs
Le 23 juin 2020

Jihong Yang, Analyste des politiques

Canada

Introduction

- D'importantes modifications ont été apportées au *Règlement sur les médicaments brevetés* et le CEPMB a mené des consultations sur ses Lignes directrices qui mettront en œuvre ces modifications.
- Le *Règlement* modifié exige que le Conseil tienne compte du facteur de la taille du marché dans sa détermination du prix excessif. Cela permettra de s'assurer que l'impact du paiement pour le médicament pour tous ceux qui en ont besoin est pris en compte pour déterminer si son prix est excessif.
- La taille du marché est fonction à la fois du prix et du volume; plus le marché du médicament au Canada est grand, plus l'impact de son prix est important.
- Dans le document d'information accompagnant les Lignes directrices provisoires, le CEPMB a estimé qu'une taille de marché annuelle de 12 millions de dollars pour un nouveau médicament entraînerait de nouvelles dépenses en médicaments brevetés proportionnelles à la croissance annuelle du PIB au Canada.
- Cette étude porte sur la taille du marché des médicaments brevetés lancés au cours des 20 dernières années au Canada, afin d'éclairer la décision stratégique concernant l'application du facteur de réglementation de la taille du marché.

Ventes annuelles moyennes de médicaments brevetés, de 2014 à 2018 (en milliards de dollars)	14,9 G\$
Croissance annuelle moyenne des ventes de médicaments brevetés, en ligne avec le taux de croissance du PIB	432 M\$
Nombre moyen de nouveaux médicaments brevetés introduits par an, de 2014 à 2018	36
Seuil annuel moyen d'abordabilité par médicament	12 M\$

Méthodes

- Les médicaments brevetés introduits entre 1998 et 2018 et leurs ventes annuelles ont été recensés. Les médicaments brevetés sont examinés au niveau de la molécule.
- Les résultats sont basés sur les « ventes réelles », déterminées en convertissant les ventes antérieures en dollars de 2018 à l'aide des taux de l'IPC, tels que communiqués par Statistique Canada.
- Les ventes déclarées ne reflètent pas les remises confidentielles accordées aux payeurs.
- Médicaments dont les ventes ont été enregistrées pendant trois ans après leur introduction et dont les ventes annuelles maximales ont été recensées pour chacune de ces années : N=639
- De même, les médicaments dont les ventes ont été enregistrées pendant 10 ans après leur introduction ont été recensés et leurs ventes annuelles maximales pour chacune de ces années ont été déterminées : N=338.
- Les coûts de traitement ont été calculés pour les MOMR en utilisant les rapports de l'ACMTS s'ils étaient disponibles; sinon, le coût moyen annuel de traitement le plus élevé a été calculé à partir des données des régimes d'assurance-médicaments privés ou publics.
- Sources de données : CEPMB, MIDAS d'IQVIA, Base de données des régimes privés d'assurance-médicaments IQVIA, Base de données des régimes publics d'assurance-médicaments du SNIUOMP, Santé Canada.

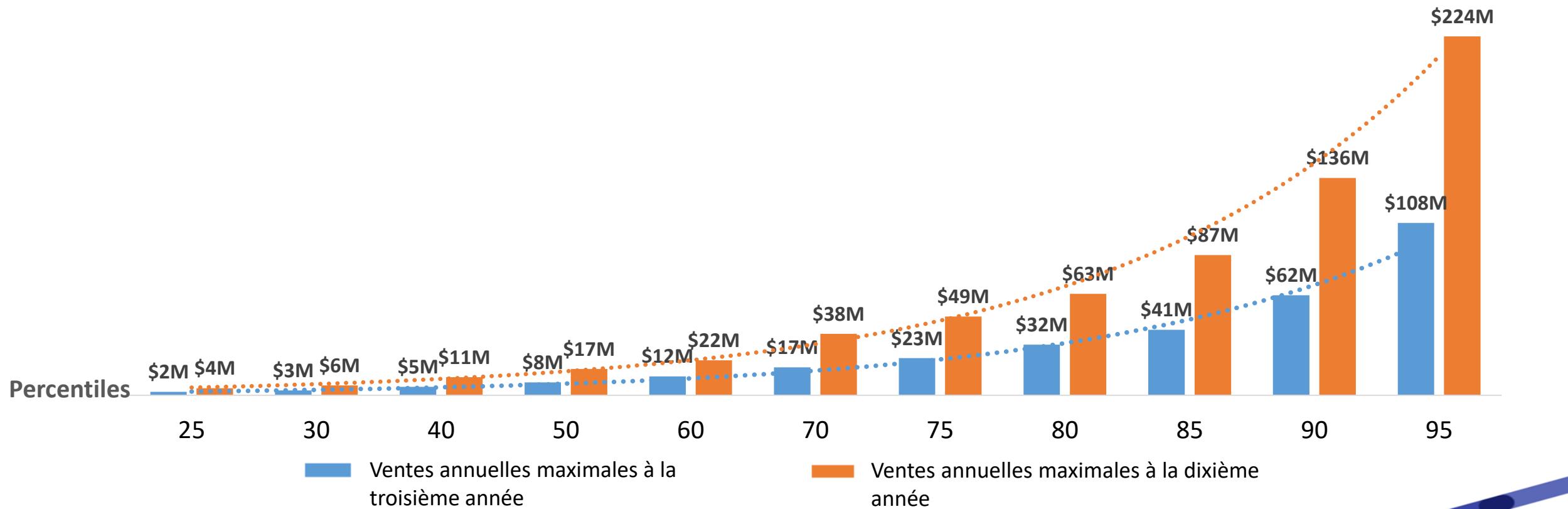
Principales constatations

- 1** Par le passé, une minorité de médicaments générait des ventes relativement élevées au cours de leur durée de vie, mais ils constituaient la majorité des ventes globales de médicaments brevetés.
- 2** Les médicaments lancés ces dernières années sont plus susceptibles d'atteindre des ventes plus importantes que les lancements précédents, et cela est principalement dû à des médicaments plus coûteux.
- 3** Les ventes de médicaments brevetés sont de plus en plus concentrées sur les médicaments les plus vendus, mais aussi sur les médicaments les plus coûteux.
- 4** Les médicaments plus coûteux sont plus susceptibles d'entraîner des ventes plus importantes.

Une minorité des médicaments génère des ventes relativement élevées au cours de leur durée de vie

25 % des médicaments génèrent plus de 23 millions de dollars et 49 millions de dollars en ventes annuelles à la troisième et à la dixième année, respectivement

Percentiles des ventes annuelles maximales à la troisième année et à la dixième année pour les médicaments brevetés au Canada*



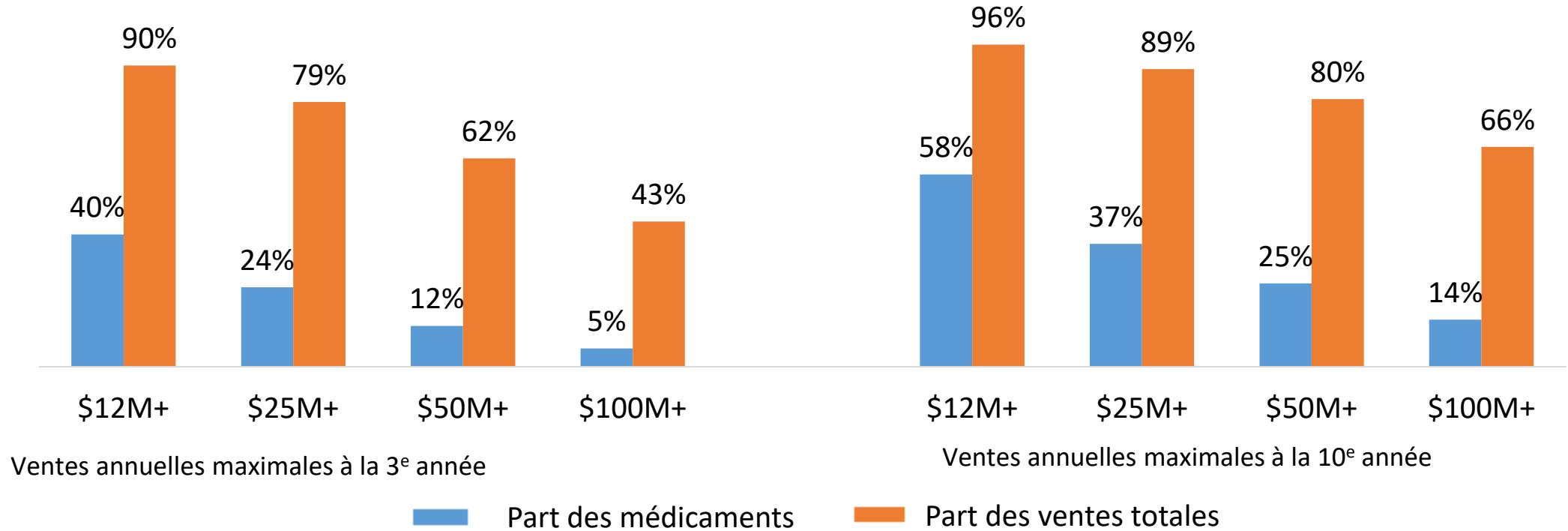
*Comprend les médicaments brevetés lancés après 1998 au Canada; taille de l'échantillon : N=639 pour le chiffre d'affaires annuel maximum à la 3^e année ; N=338 pour le chiffre d'affaires annuel maximum à la 10^e année

Source des données : CEPMB, 2018; IPC appliqué pour ramener les ventes historiques à la valeur de 2018

Les médicaments qui génèrent des ventes annuelles relativement élevées représentent la majorité des ventes globales de médicaments brevetés

37 % des médicaments dépassent 25 millions de dollars en ventes annuelles au cours des dix premières années suivant leur introduction, cependant, ces médicaments représentent 89 % du total des ventes annuelles maximales pour l'ensemble des médicaments

Médicaments brevetés au Canada, part des médicaments et part des ventes, par seuils de ventes annuelles, pour la 3^e et la 10^e année après le lancement*

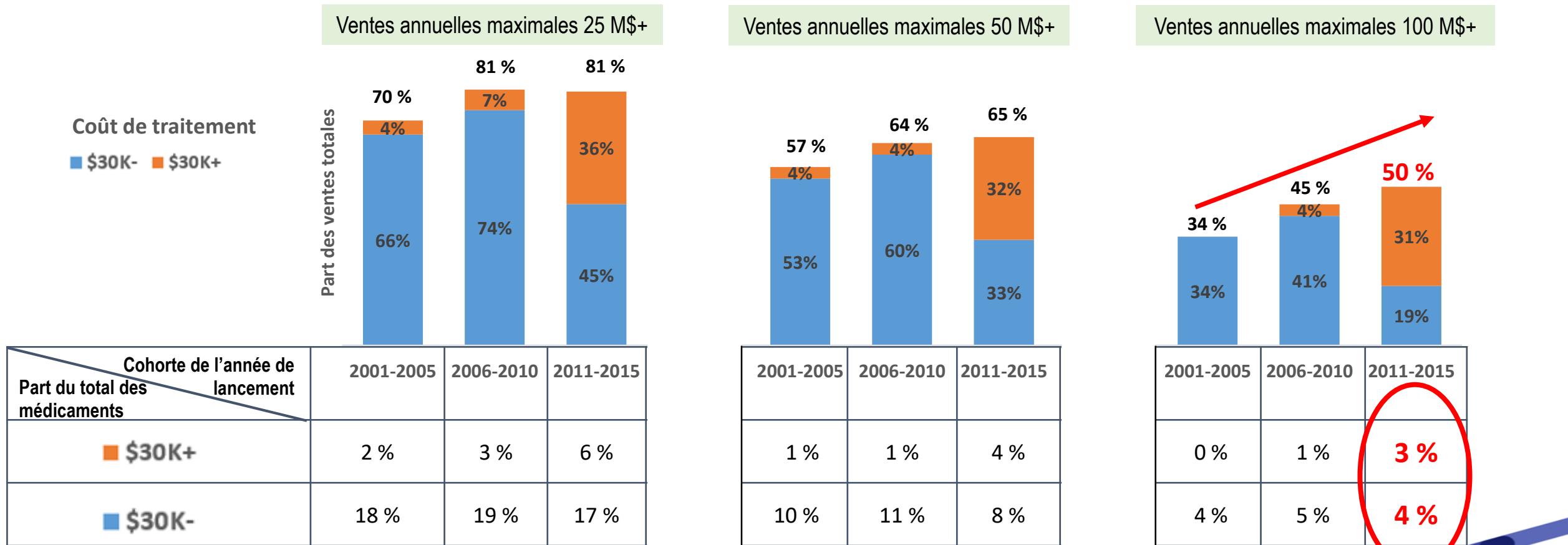


*Comprend les médicaments brevetés lancés après 1998 au Canada; taille de l'échantillon : N=639 à la 3^e année; N=338 à la 10^e année
Source des données : CEPMB, 2018; IPC appliqué pour ramener les ventes historiques à la valeur de 2018

Les nouveaux médicaments génèrent des ventes de plus en plus importantes

7 % des médicaments lancés de 2011 à 2015 ont réalisé plus de 100 millions de dollars de ventes dès leur troisième année, et représentent 50 % des ventes de médicaments brevetés dans leur cohorte

Médicaments brevetés au Canada, part des ventes et part des médicaments à la 3e année après leur lancement, par seuils de ventes annuelles, coût du traitement et cohorte de l'année de lancement *

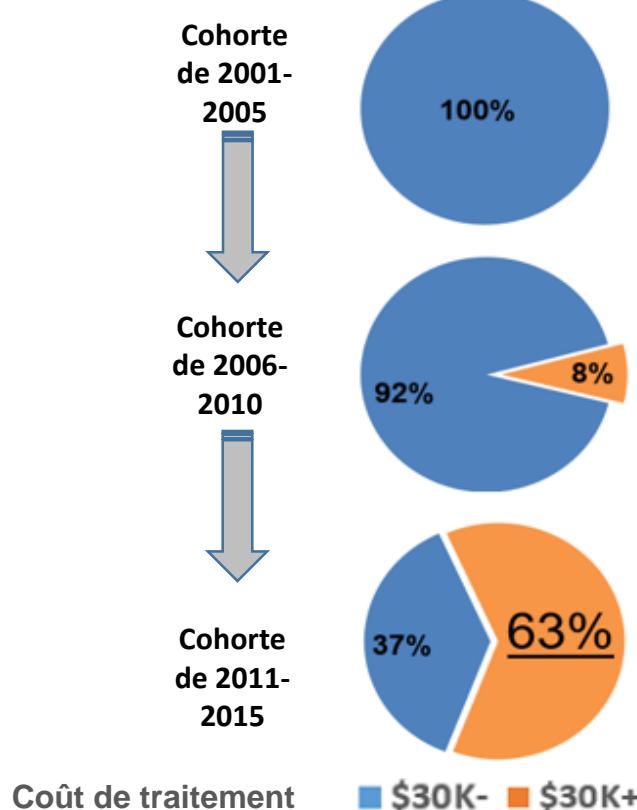


*Comprend les médicaments brevetés lancés après 2001 au Canada; Taille de l'échantillon : cohorte 2001-2005 N=164; cohorte 2006-2010 N=155; cohorte 2011-2015 N=189
Source des données : CEPMB, 2018; IPC appliqué pour ramener les ventes historiques à la valeur de 2018

Ces dernières années, le segment de marché des ventes élevées est principalement stimulé par des médicaments plus coûteux

Les médicaments coûteux représentent 63 % des ventes de médicaments dont les ventes annuelles s'élèvent à plus de 100 millions de dollars la troisième année (cohorte 2011-2015), contre 8 % il y a cinq ans

Contribution des médicaments à faible coût et à coût élevé aux ventes annuelles totales de plus de 100 millions de dollars à la troisième année, par cohorte de l'année de lancement *



Médicaments les plus vendus, 2019

Médicament (marque)	Traitement	Ventes en 2019 (MIDAS® d' IQVIA)	Coût de traitement**
Infliximab (Remicade) ^{B, O}	Arthrite	1 185 M\$	30 771 \$
Adalimumab (Humira) ^{B, O}	Anti-TNF	854 M\$	17 778 \$
Aflibercept (Eylea) ^O	Oncologie	553 M\$	9 394 \$
Sofosbuvir:Velpatasvir (Epclusa)	Hépatite C	497 M\$	56 666 \$
Ustekinumab (Stelara) ^B	Psoriasis	413 M\$	22 435 \$
Ranibizumab (Lucentis) ^{B, O}	DMLA	324 M\$	9 902 \$
Metformin:Sitagliptin (Janumet)	Diabète	300 M\$	956 \$
Etanercept (Enbrel) ^{B, O}	Anti-TNF	283 M\$	16 934 \$
Apixaban (Eliquis)	Hypertension	292 M\$	906 \$
Ibrutinib (Imbruvica) ^{B, O, EDRD}	Oncologie	275 M\$	7 615 \$ par 28 jours
Pembrolizumab (Keytruda) ^{B, O, EDRD}	Oncologie	274 M\$	11 733 \$ par 28 jours

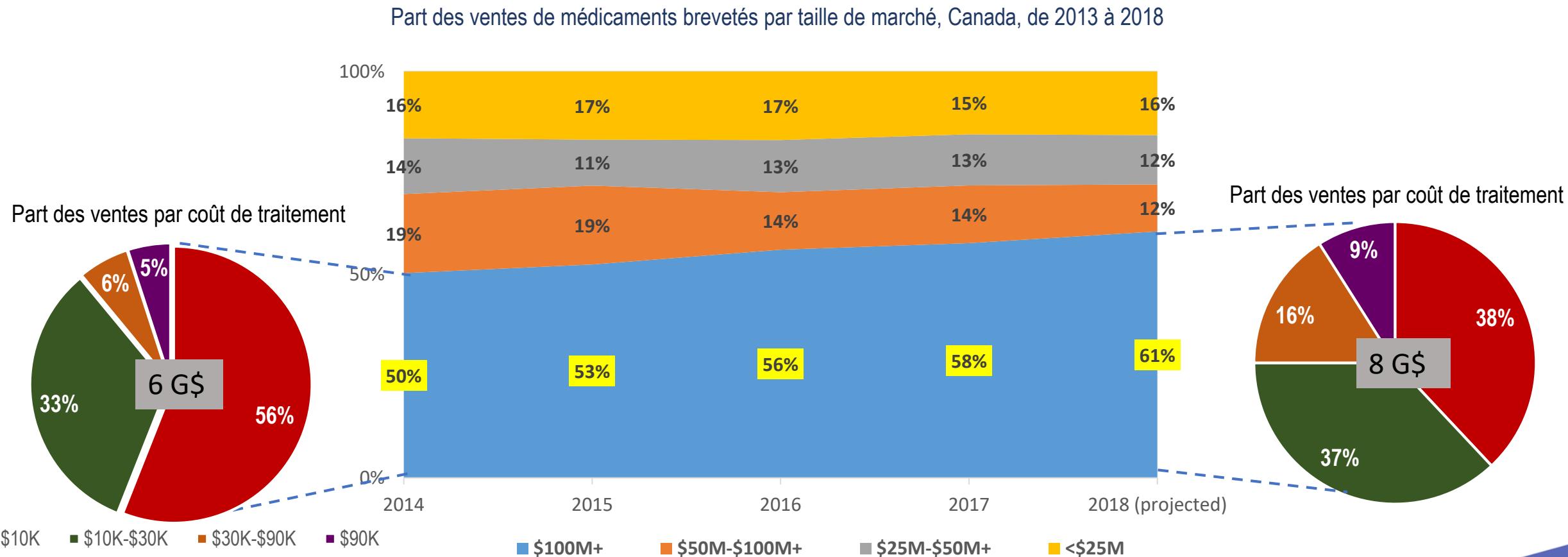
* Comprend les médicaments brevetés lancés après 2001 au Canada; taille de l'échantillon : cohorte de 2001-2005 N=164; cohorte de 2006-2010 N=155; cohorte de 2011-2015 N=189

Source des données : CEPMB, 2018; IPC appliqué pour ramener les ventes historiques à la valeur de 2018; ^{B, O} biologique, orphelin

** Source des données : CEPMB, base de données des régimes privés d'IQVIA et base de données des régimes publics du SNIUIMP pour les médicaments non OMR; ACMTS pour les MOMR

Les ventes de médicaments brevetés sont de plus en plus concentrées sur les médicaments les plus vendus

Les médicaments dont les ventes annuelles dépassent 100 millions de dollars représentent environ 61 % des ventes de médicaments brevetés en 2018, contre seulement 50 % en 2014, avec un TCAC de 10 %



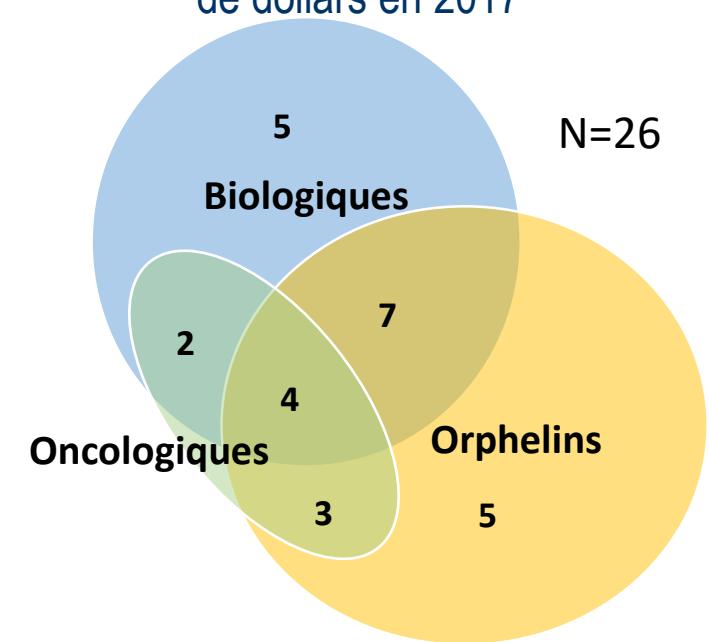
L'augmentation du nombre de médicaments à coût élevé contribue à des ventes très élevées

Huit médicaments dont le coût du traitement est supérieur à 90 000 \$ devraient générer des ventes de plus de 100 millions de dollars en 2019, contre seulement deux en 2014

Nombre de médicaments générant un chiffre d'affaires de plus de 100 millions de dollars par coût de traitement

Coût de traitement	2001	2010	2014	2017	2019 (prévu)
10 000 \$ à 30 000 \$	1	5	7	11	14
30 000 \$ à 60 000 \$	-	2	3	3	3
60 000 \$ à 90 000 \$	-	-	1	1	1
Plus de 90 000 \$	-	2	2	5	8

Nombre de médicaments spécialisés dont les ventes ont dépassé 100 millions de dollars en 2017

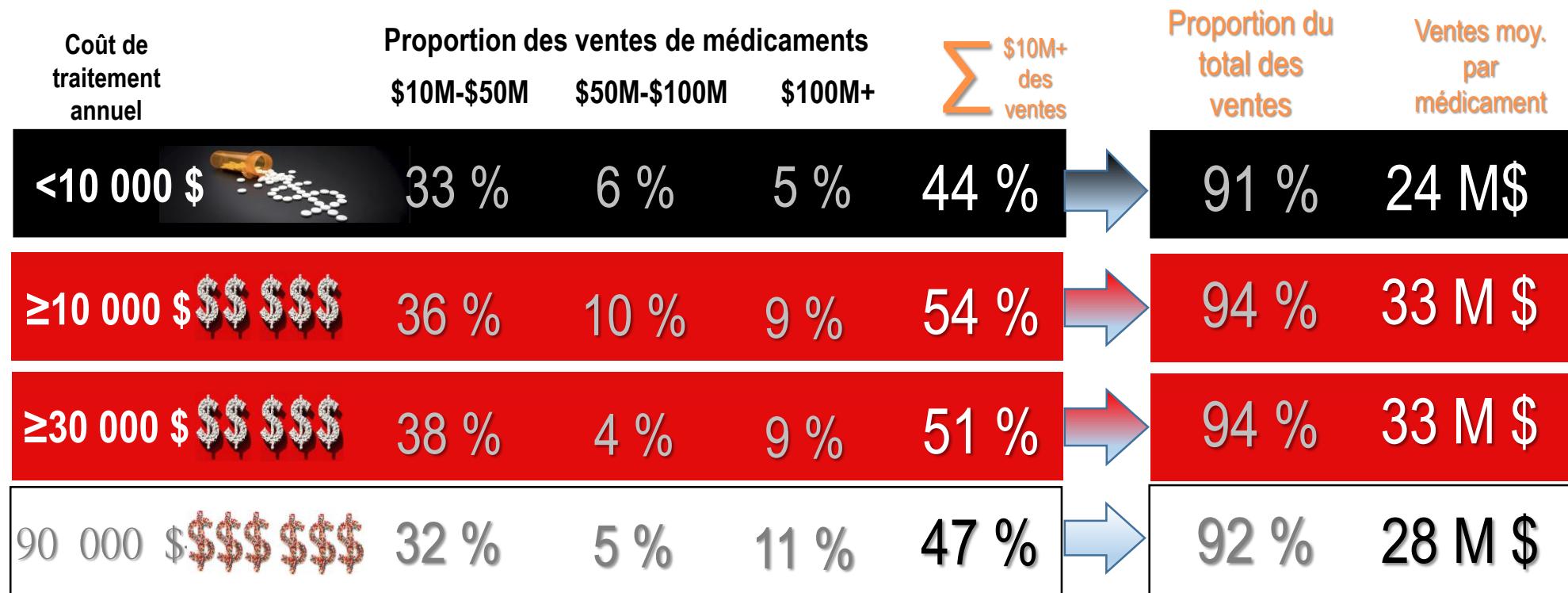


* Au total, 41 médicaments brevetés ont généré des ventes de plus de 100 millions de dollars en 2017

4 Les médicaments à coût élevé génèrent plus probablement des ventes plus élevées que ceux à faible coût

Une plus grande part des médicaments dont le coût du traitement est supérieur à 10 000 \$ a généré plus de 10 millions de dollars de ventes par rapport aux médicaments dont le coût est inférieur (< 10 000 \$)

Répartition des médicaments brevetés selon les ventes les plus élevées* au cours des trois premières années suivant leur lancement



*Comprend les médicaments brevetés lancés après 2001 au Canada; taille de l'échantillon : <10 000 \$: N=275; 10 000 \$ et plus : N=129; 30 000 \$ et plus : N=79; 90 000 \$ et plus : N=38

Source des données : CEPMB, 2018; IPC appliqué pour ramener les ventes historiques à la valeur de 2018



Patented
Medicine Prices
Review Board

Conseil d'examen
du prix des médicaments
brevetés



MERCI

Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés

Canada 