



Conseil d'examen
du prix des médicaments
brevetés

Patented
Medicine Prices
Review Board

Canada



DOCUMENT
D'INFORMATION
**CONSULTATION SUR LES
LIGNES DIRECTRICES PROVISOIRES
DU CEPMB**

2019

Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés

Centre Standard Life, C.P. L40
333, avenue Laurier Ouest, bureau 1400
Ottawa (Ontario) K1P 1C1

Tél. : 1-877-861-2350
Fax : 613-288-9643
ATS : 613-288-9654

Courriel : PMPRB.Information-Renseignements.CEPMB@pmprb-cepmb.gc.ca

Site Web : www.pmprb-cepmb.gc.ca

Twitter : @PMPRB_CEPMB

Table des matières

Consultation sur les *Lignes directrices provisoires* du CEPMB

... 2

Questions et réponses

... 3

- 1) Pourquoi le CEPMB procède-t-il à des consultations sur les nouvelles *Lignes directrices provisoires*? ... 3
- 2) Les changements proposés dans les *Lignes directrices provisoires* sont nécessaires pour mettre en œuvre les modifications au *Règlement sur les médicaments brevetés*. En quoi consistent ces modifications? ... 3
- 3) Qu'y a-t-il de nouveau dans les *Lignes directrices provisoires*? ... 4
- 4) Qu'entendez-vous lorsque vous affirmez que les *Lignes directrices provisoires* adoptent une approche fondée sur le risque en matière de réglementation des prix? ... 5
- 5) Comment les *Lignes directrices provisoires* simplifient et allègent-elles le processus de conformité des titulaires de brevets? ... 5
- 6) En quoi consistent les nouveaux facteurs de l'article 85, et comment le CEPMB les interprète-t-il dans les *Lignes directrices provisoires*? ... 6
- 7) Que signifie la valeur pharmacoéconomique dans le contexte des *Lignes directrices provisoires*? ... 6
- 8) Que signifie la taille du marché dans le contexte des *Lignes directrices provisoires*? ... 7
- 9) Que signifient les termes PIB et PIB par habitant dans le contexte des *Lignes directrices provisoires*? ... 8
- 10) Comment le CEPMB aboutit-il à un seuil de valeur pharmacoéconomique de 60 000 \$/AVAQ dans les *Lignes directrices provisoires*? ... 8
- 11) Comment le CEPMB aboutit-il à un seuil de taille de marché de 25 millions \$ dans ses *Lignes directrices provisoires*? ... 9
- 12) Pourquoi les *Lignes directrices provisoires* accordent-elles une hausse de 50 % du PEM des médicaments de catégorie I qui traitent des problèmes de santé ayant une très faible prévalence au Canada? ... 10
- 13) Pourquoi les *Lignes directrices provisoires* n'utilisent-elles pas les mêmes seuils de coût par AVAQ mentionnés à la section de l'analyse coût-avantage du REIR? ... 11
- 14) Quelles sont les nouvelles exigences en matière de production de rapports du Règlement modifié? ... 11
- 15) Pourquoi le PEM ne s'applique-t-il qu'aux médicaments brevetés de catégorie I? ... 12
- 16) Pourquoi le PEM est-il évalué au regard du prix net plutôt que du prix courant? ... 12
- 17) Pourquoi le PCM est-il évalué au regard du prix courant plutôt que du prix net? ... 13
- 18) Quelles mesures de protection s'appliquent aux renseignements fournis par les brevetés? ... 13
- 19) Pourquoi les *Lignes directrices provisoires* exigent-elles que les brevetés fournissent une analyse coût-utilité uniquement pour les médicaments dont le coût de traitement annuel est de plus de 50 % du PIB par habitant? ... 13
- 20) Pourquoi le CEPMB utilise-t-il le rapport de l'ACMTS comme principal modèle source? ... 13
- 21) Pourquoi les *Lignes directrices provisoires* fournissent-elles un seul plafond de prix pour un médicament breveté ayant plusieurs indications? ... 14
- 22) Le CEPMB collaborera-t-il avec l'ACMTS et l'INESSS pour s'assurer que les données nécessaires figurent dans leurs rapports? ... 14
- 23) Pourquoi les médicaments brevetés bénéficiant de droits acquis sont-ils soumis à la nouvelle annexe des pays de comparaison, et pourquoi la médiane internationale établit-elle leur prix plafond? ... 14
- 24) Comment les *Lignes directrices provisoires* traitent-elles de l'IPC? ... 15
- 25) Comment et quand le CEPMB assurera-t-il le suivi et rendra-t-il compte de l'incidence du Règlement modifié et des nouvelles Lignes directrices, notamment s'ils produisent les effets escomptés? ... 15

Consultation sur les *Lignes directrices provisoires* du CEPMB

Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) est un organisme quasi judiciaire doté d'un mandat de réglementation dont l'objectif est d'empêcher les titulaires de brevets pharmaceutiques de facturer des prix excessifs aux consommateurs pendant la période de monopole de droit. Sa création découle de la préoccupation qu'une protection accrue des brevets des médicaments pourrait entraîner une hausse inacceptable des prix de sorte qu'ils deviennent inabordables pour les consommateurs.

En vertu du paragraphe 96(4) de la *Loi sur les brevets*, le CEPMB doit publier des lignes directrices (les « *Lignes directrices* ») qui visent à rendre transparent et prévisible le processus entamé par les employés de la fonction publique du CEPMB (le « personnel ») pour leur permettre de déterminer si le prix d'un médicament breveté semble excessif sur le marché canadien. Les Lignes directrices fournissent aussi un aperçu des processus que les titulaires de brevets devraient connaître quant à leurs obligations en matière de déclaration en vertu du *Règlement sur les médicaments brevetés* (le « Règlement »).

Le 21 novembre 2019, le CEPMB a annoncé une période de consultation de 60 jours concernant les changements proposés aux [Lignes directrices](#) (les « *Lignes directrices provisoires* »). Les consultations visent à recueillir la rétroaction des titulaires de brevets, des intervenants et des membres intéressés du public concernant les *Lignes directrices provisoires*.

Participation aux consultations

Le CEPMB consultera les Canadiens de la façon suivante :

- Une période initiale de consultation de 60 jours durant laquelle les intervenants et les membres intéressés du public peuvent fournir des propositions écrites concernant les *Lignes directrices provisoires*;
- Un forum de politiques, où les intervenants seront invités à se présenter en personne devant le Conseil pour faire connaître leurs points de vue;
- La création de groupes de travail pour discuter de questions et d'enjeux particuliers soulevés par les *Lignes directrices provisoires*.

Les intervenants et les membres intéressés du public ont jusqu'au 20 janvier 2020 pour fournir leurs propositions écrites. Le calendrier du forum de politiques et des groupes de travail techniques sera communiqué à une date ultérieure. Le CEPMB tient à connaître les opinions et les points de vue des Canadiens et attend impatiemment de recevoir des commentaires constructifs et pertinents sur les nouvelles *Lignes directrices provisoires* dans le cadre du présent processus de consultation.

Le présent [Document d'information sur les consultations](#), est conçu comme document d'accompagnement des *Lignes directrices provisoires* et fournit des renseignements contextuels sur les changements clés proposés dans ce document. Il vise à permettre au lecteur de mieux comprendre les *Lignes directrices provisoires* et à rendre le processus de consultation plus éclairé et productif¹ en répondant aux questions les plus fréquemment posées présentées ci-après.

¹ Seules les *Lignes directrices provisoires* font l'objet des consultations. Le présent document a un rôle auxiliaire au processus de consultation; il ne fait pas partie des *Lignes directrices provisoires*, et ne fait pas l'objet de consultations.

Questions et réponses

1) Pourquoi le CEPMB procède-t-il à des consultations sur les nouvelles *Lignes directrices provisoires*?

Depuis l'établissement du CEPMB il y a trois décennies, le contexte réglementaire dans lequel il évolue a profondément évolué. Plus particulièrement, les activités de recherche et développement menées par l'industrie pharmaceutique, qui portaient auparavant sur les médicaments à petites molécules conventionnels à coût relativement faible pour le traitement de maladies courantes, se concentrent désormais sur les produits biologiques et les thérapies génétiques à coût élevé s'adressant à des populations de patients de taille restreinte. Or, ces nouveaux produits s'exposent souvent à un risque de prix excessif, car ils ont peu (voire pas du tout) de substituts concurrentiels, et parce que la demande pour des traitements innovants et améliorés est très élevée au sein des populations de patients sévèrement touchées. Cela est notamment vrai pour les médicaments inédits, ou pour lesquels les solutions de rechange sont moins efficaces ou encore présentent des effets secondaires moins tolérables.

En outre, il est devenu courant pour les intervenants de l'industrie de négocier des rabais et des réductions par rapport aux prix courants publics pour, en échange, voir leurs produits remboursés par les assureurs publics et privés. Cela permet aux fabricants de faire une discrimination par les prix entre les acheteurs en fonction de leur pouvoir compensateur perçu et de leur capacité à payer. Cela accentue aussi l'écart entre les prix courants publics (p. ex. les prix bruts, ou « départ-usine ») et les prix réels payés sur le marché (p. ex. les prix nets, ou « prix de transaction moyen »).

Les modifications apportées récemment au *Règlement sur les médicaments brevetés* (le « Règlement ») visent à fournir au CEPMB les outils et les données qu'il lui faut pour exécuter efficacement son mandat de protection

des consommateurs à la lumière de ces changements. En vertu du Règlement modifié, le CEPMB peut déterminer, pour les médicaments brevetés, des prix plafonds non-excessifs bruts et nets qui correspondent mieux aux prix des pays aux vues similaires, qui sont plus représentatifs de leur valeur aux yeux des consommateurs canadiens, et qui sont mieux éclairés par les limites d'abordabilité de l'économie canadienne. Les changements apportés aux *Lignes directrices provisoires* sont nécessaires pour opérationnaliser les modifications réglementaires.

2) Les changements proposés dans les *Lignes directrices provisoires* sont nécessaires pour mettre en œuvre les modifications au *Règlement sur les médicaments brevetés*. En quoi consistent ces modifications?

Le CEPMB détermine si le prix d'un médicament breveté est excessif au regard des facteurs de fixation des prix de l'article 85 de la *Loi sur les brevets* (la « Loi ») en utilisant les renseignements requis des titulaires de brevets en vertu du Règlement et des données connexes. Le 7 août 2019, le Règlement a été modifié de façon substantielle de trois façons :

1. Autres facteurs réglementaires de fixation des prix de l'article 85 :

- Les modifications offrent un complément aux facteurs dont le CEPMB doit tenir compte au moment de déterminer si le prix d'un médicament breveté est excessif aux termes de l'article 85 de la *Loi sur les brevets*, notamment la valeur et l'incidence financière d'un médicament sur les consommateurs et le système de santé. Parmi les nouveaux facteurs, notons la valeur pharma-coéconomique, la taille du marché, ainsi que le produit intérieur brut (PIB) et le PIB par habitant au Canada.

- 2. Mise à jour de l'annexe des pays de comparaison (le nouveau « CEPMB11 »)**
 - Les modifications réexaminent l'annexe des pays de comparaison de sorte qu'elle cadre mieux avec le mandat du CEPMB de protéger les consommateurs des prix excessifs et qu'elle tienne davantage compte des priorités stratégiques du gouvernement du Canada.
- 3. Modification des exigences en matière de reddition de comptes**
 - Les modifications atténuent les obligations en matière de reddition de comptes relativement aux médicaments vétérinaires brevetés, aux médicaments en vente libre et aux médicaments génériques, afin que le CEPMB puisse concentrer ses efforts et ses ressources sur les médicaments brevetés dont le prix est plus à risque d'être excessif.
 - Les modifications obligent certains titulaires de brevets à signaler l'information relative aux nouveaux facteurs de l'article 85 pour que le CEPMB puisse les administrer efficacement.
 - Les modifications obligent les brevetés à signaler l'information sur les prix et les recettes, déduction faite de tous les rajustements de prix, y compris les réductions de prix directes et indirectes, de manière à ce que les activités réglementaires du CEPMB soient fondées sur un portrait réel et complet des prix des médicaments brevetés au Canada.

Les changements corrélatifs aux Lignes directrices sont nécessaires pour donner effet au Règlement modifié et officialiser la transition du CEPMB vers une approche plus efficace et axée sur le risque, le but étant d'offrir aux titulaires de brevets un moyen plus simple et facile de s'y conformer.

La publication des *Lignes directrices provisoires* est la plus récente et la dernière initiative du processus de consultation qui a commencé avec la publication du document de discussion du CEPMB concernant l'actualisation des [Lignes directrices de juin 2016](#); elle cadre avec la feuille de route en matière de réforme établie dans son [Plan stratégique de 2015-2018](#). Autant les *Lignes directrices provisoires* et le Règlement modifié qu'elles cherchent à opérationnaliser entreront en vigueur le 1^{er} juillet 2020.

3) Qu'y a-t-il de nouveau dans les *Lignes directrices provisoires*?

Comme auparavant, les *Lignes directrices provisoires* fournissent des règles d'application générale qui servent de mécanisme pour déterminer comment les prix plafonds sont habituellement établis par les employés de la fonction publique du CEPMB (le « personnel »). Toutefois, on y propose une nouvelle approche en ce qui a trait à la surveillance et à l'examen des prix des médicaments brevetés, qui prévoit : 1) un système de vérification initiale permettant de déterminer les médicaments dont le prix est plus à risque d'être excessif (p. ex. les médicaments de « catégorie I »); 2) des plafonds distincts pour les prix bruts/courants (le prix courant maximum, ou « PCM ») et les prix nets (le prix escompté maximum, ou « PEM », qui ne s'appliqueront qu'aux médicaments de catégorie I); 3) les tests appliqués aux prix, qui intègrent à la fois les nouveaux et les anciens facteurs de l'article 85, et 4) une procédure de réévaluation pour les médicaments qui peuvent justifier l'établissement d'un plafond plus ou moins élevé en raison des changements des conditions du marché. Les *Lignes directrices provisoires* fournissent aussi des conseils aux titulaires de brevets sur la façon de se conformer aux nouvelles exigences en matière de déclaration figurant dans le Règlement modifié.

4) Qu'entendez-vous lorsque vous affirmez que les *Lignes directrices provisoires* adoptent une approche fondée sur le risque en matière de réglementation des prix?

Depuis juin 2018, le CEPMB sollicite des commentaires généraux des intervenants concernant un nouveau cadre proposé pour les Lignes directrices, lequel donnerait effet au Règlement modifié (tel que publié le 2 décembre 2017 dans la Partie I de la *Gazette du Canada*) et appuierait sa transition vers une approche axée sur le risque de réglementation des prix des médicaments brevetés qui simplifie et allège le respect de la conformité par les titulaires de brevets.

L'adoption d'une approche fondée sur le risque permet au CEPMB d'utiliser plus efficacement ses ressources en accordant la priorité réglementaire à la minorité des médicaments brevetés dont le prix est le plus à risque d'être excessif. Ceci est cohérent avec le but de la politique du gouvernement, soit d'intégrer les nouveaux facteurs de l'article 85 et de limiter l'exigence de consigner les analyses coût-utilité menées par l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) et l'Institut national d'excellence en santé et services sociaux (INESSS) pour les médicaments brevetés dont le coût annuel de traitement dépasse 50 % du PIB par habitant. En vertu de la nouvelle approche, seuls les brevetés des médicaments dont l'analyse a déterminé qu'ils étaient de catégorie I seraient soumis à un examen approfondi au regard des nouveaux facteurs pour établir si leur prix peut être excessif. Les médicaments dont le prix est à plus faible risque d'être excessif seraient classés dans la catégorie II et, ainsi, soumis à une surveillance relativement moindre.

5) Comment les *Lignes directrices provisoires* simplifient et allègent-elles le processus de conformité des titulaires de brevets?

Les Lignes directrices actuelles et les *Lignes directrices provisoires* se distinguent par le fait que, une fois établis, les prix plafonds du CEPMB ne fluctuent pas d'année en année selon le prix net ou le prix de transaction moyen (PTM) du médicament breveté l'année précédente. Il s'agit d'une règle très stricte qui exige que les titulaires suivent de très près les PTM annuels et rajustent leurs prix en conséquence pour continuer à se conformer. En vertu des *Lignes directrices provisoires*, les titulaires de brevets ont l'entièvre liberté de modifier leurs prix d'année en année, du moment que ceux-ci demeurent en deçà du prix courant maximum (PCM) et du prix escompté maximum (PEM) selon le cas. En outre, la majorité des médicaments brevetés seront classés dans la catégorie II, pour laquelle le respect du PCM sera évalué uniquement au regard des prix courants. Les *Lignes directrices provisoires* réduisent considérablement le nombre de marchés et de catégories de clients pour lesquels les titulaires de brevets doivent présenter de l'information sur les prix et portent maintenant uniquement sur les prix à l'échelle nationale, provinciale ou territoriale. Par conséquent, les titulaires de brevets n'ont plus besoin de présenter de l'information sur les prix au niveau des ventes aux hôpitaux, pharmacies et grossistes. Par rapport à l'ancien *Compendium des politiques, des Lignes directrices et des procédures*, cette nouvelle approche est reflétée dans des *Lignes directrices provisoires* plus générales qui sont plus succinctes, moins techniques et plus faciles à comprendre.

6) En quoi consistent les nouveaux facteurs de l'article 85, et comment le CEPMB les interprète-t-il dans les *Lignes directrices provisoires*?

Le Règlement modifié intègre trois nouveaux facteurs au paragraphe 85(1), notamment la valeur pharmacoéconomique, la taille du marché, et le produit intérieur brut (PIB)/le PIB par habitant au Canada. Le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation (REIR) indique que l'intégration de ces facteurs part du constat que le prix seul ne fournit pas suffisamment de contexte pour évaluer ce qui est jugé excessif dans le climat réglementaire actuel. Plus précisément, un prix qui ne tient pas compte du prix payé par les consommateurs ne tient pas compte d'intrants clés visant à déterminer si le médicament présente un excellent rapport qualité-prix relativement aux technologies qu'il remplacera ou à l'impact plus vaste qu'il pourrait avoir sur la capacité du système de santé à intégrer d'autres technologies de la sorte. Ce sont là d'importants points à prendre en considération à une époque marquée par des enveloppes budgétaires de la santé de plus en plus serrées, une population vieillissante et un nombre croissant de médicaments dont les coûts de traitement annuels moyens se chiffrent à des centaines de milliers de dollars.

7) Que signifie la valeur pharmacoéconomique dans le contexte des *Lignes directrices provisoires*?

La valeur pharmacoéconomique est la mesure du coût d'un médicament par rapport à son effet bénéfique sur la santé, qui peut être comparé à d'autres médicaments ou technologies de la santé en recourant à une mesure normalisée du bienfait. La mesure normalisée privilégiée par les agences d'évaluation des technologies de la santé (ETS) du monde entier est l'année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ). Les coûts et les répercussions sanitaires découlant de la mise en œuvre

d'une nouvelle technologie de la santé auprès d'une population particulière dans un contexte et un système de santé particuliers se traduisent souvent par le rapport coût-efficacité différentiel (RCED), exprimé sous forme de coût par AVAQ gagnée. Les RCED constituent une mesure utile pour quantifier l'ampleur des ressources additionnelles requises pour obtenir une amélioration mesurable de la santé (p. ex. le coût additionnel requis pour gagner une AVAQ).

Dans un système de santé publique, une nouvelle technologie de la santé améliorera les résultats globaux sur la santé seulement si ses effets bénéfiques sur la santé excèdent les coûts de renonciation associés aux ressources additionnelles requises qu'il faut débourser pour cette technologie. Le coût de renonciation se mesure au regard des avantages estimés pour la santé auxquels renoncent les autres patients du système de soins de santé lorsque des ressources fixes et intégralement affectées sont utilisées pour adopter un nouveau médicament. Une telle évaluation du coût de renonciation pour la santé traduit le coût maximal qu'un système de santé peut payer pour les bienfaits sur la santé offerts par une nouvelle technologie sans réduire la santé globale de la population. C'est ce qu'il convient d'appeler « un seuil du côté de l'offre ». Un tel seuil nécessite de connaître le coût marginal d'une AVAQ au sein du système de santé (c.-à-d., le point auquel l'acquisition d'une nouvelle technologie de la santé destinée à un ensemble de patients du système de santé publique entraînera la perte d'une AVAQ pour un autre ensemble de patients du système).

Il est souvent mentionné que le Canada est le seul pays ayant un système de soins de santé financé par l'État qui ne comporte pas d'assurance-médicaments universelle. Il en résulte une mosaïque de payeurs du secteur public et du secteur privé qui ne disposent pas du pouvoir d'achat national pour contrer le monopole de droit des titulaires de brevets. Cette situation de monopole se trouve renforcée lorsqu'une proportion sans cesse grandissante des dépenses publiques et privées est consacrée à des médicaments très coûteux pour lesquels il y a peu, voire pas du tout, de concurrents directs. En exigeant du CEPMB qu'il tienne compte de la valeur pharmacoéconomique de

ces médicaments, le Règlement modifié veille à ce que le concept de coût de renonciation soit pris en compte dans l'évaluation du caractère excessif d'un prix. Puisque le marché privé canadien des produits pharmaceutiques est un prolongement du système public et qu'il dépend de celui-ci pour fonctionner, l'intention politique du Règlement modifié est que le CEPMB adopte la perspective du système de santé publique et favorise un « seuil de rentabilité du côté de l'offre » dans l'estimation du coût de renonciation.

8) Que signifie la taille du marché dans le contexte des *Lignes directrices provisoires*?

L'incidence économique d'un médicament particulier sur les consommateurs dépend à la fois du prix et du volume. Lorsque les assureurs publics et privés sont interpellés pour couvrir le coût d'un médicament pour un nombre important de patients, son prix pourrait rendre ce médicament inaccessible aux consommateurs. Cela peut être vrai même dans le cas des médicaments ayant un profil pharmacoéconomique favorable, puisque la vaste étendue du marché auquel ils s'adressent peut éventuellement entraîner le déplacement de technologies plus rentables et, ainsi, contribuer à la croissance non viable des coûts des soins de santé. Le contraire est aussi vrai pour ce qui est des médicaments s'adressant à des marchés très restreints, puisqu'ils n'ont pas, au cas par cas, tendance à donner lieu à des limites d'abordabilité, même si leur coût de renonciation est très élevé. En exigeant du CEPMB qu'il tienne compte de la taille du marché d'un médicament, le Règlement modifié veille à ce que l'incidence globale de la couverture du médicament pour quiconque en a besoin est prise en compte dans la détermination du caractère excessif du prix du médicament. Il permet aussi au CEPMB de réévaluer les prix des médicaments au fil du temps, au gré de la croissance ou de la décroissance du marché auquel ils s'adressent.

9) Que signifient les termes PIB et PIB par habitant dans le contexte des *Lignes directrices provisoires*?

Le produit intérieur brut (PIB) sert à mesurer la production économique d'un pays. La croissance du PIB sert à évaluer la mesure dans laquelle la valeur marchande des biens et services produits par une économie, ajustée en fonction de l'inflation, augmente au fil du temps. Le PIB par habitant permet de mesurer la production d'un pays par rapport à sa population. Le premier est un indicateur de richesse sociale, tandis que le second est considéré comme un indicateur du niveau de développement économique au sein de cette société.

Même si l'on sait que le contexte financier varie d'un utilisateur institutionnel à un autre au Canada, la croissance du PIB d'une année à l'autre représente un indice du prix que la population canadienne peut se permettre pour les nouveaux médicaments brevetés qui arrivent sur le marché sur une base annuelle. Le PIB par habitant peut servir à des fins semblables pour fournir une valeur représentative du prix qui serait considéré comme excessif pour les consommateurs individuels. Ces nouveaux facteurs permettent au CEPMB d'évaluer l'incidence économique du prix d'un médicament breveté sur les assureurs et les consommateurs ainsi que d'élaborer des critères d'évaluation et des tests de taille du marché pour les médicaments qui risquent de poser problème sur le plan de l'abordabilité au sein du système de soins de santé canadien.

10) Comment le CEPMB aboutit-il à un seuil de valeur pharmacoéconomique de 60 000 \$/AVAQ dans les Lignes directrices provisoires?

Le seuil de 60 000 \$ par AVAQ se fonde sur des travaux universitaires préliminaires commandés par le CEPMB pour calculer le coût marginal d'une AVAQ dans le système de santé canadien, sur des estimations empiriques des seuils du côté de l'offre provenant d'autres administrations pertinentes, et sur des indices de tendances historiques relevés dans les évaluations du rapport coût-efficacité par les agences canadiennes d'ETS.

Dans le système de santé canadien, le gouvernement fédéral administre les normes nationales et accorde un soutien financier aux provinces et aux territoires qui sont responsables de la gestion et de la prestation des services de santé. Le seuil de rentabilité du côté de l'offre d'une province ou d'un territoire particulier est fonction, entre autres, du budget accordé à son propre système de soins de santé. Une évaluation des coûts de renonciation associés à la santé pour le système de santé canadien commandée par le CEPMB (Ochalek, Lomas et Claxton, 2018) est arrivée à la conclusion qu'un coût de 30 000 \$ par AVAQ serait raisonnable pour le Canada dans son ensemble, de même que, probablement, dans l'ensemble des provinces. Ces chiffres sont conformes, en général, aux estimations empiriques des seuils du côté de l'offre en vigueur dans d'autres administrations présentant des caractéristiques semblables au Canada sur les plans pharmaceutique et de la richesse².

Dans son rapport final, le *Groupe de travail du Comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix du CEPMB* (ci-après le « Groupe de travail ») faisait observer qu'aucune agence canadienne d'ETS n'avait, pour l'heure, établi de seuil politique explicite de coût par AVAQ. Cependant, on a rapporté des cas de seuils variant entre 50 000 \$ et 100 000 \$, les anticancéreux se situant habituellement à l'extrême supérieure de cette fourchette³.

En donnant effet à ce nouveau facteur dans les *Lignes directrices provisoires*, le CEPMB doit composer avec le fait que les travaux réalisés au Canada sur les seuils de rentabilité du côté de l'offre en sont encore au stade embryonnaire. Le CEPMB doit aussi tenir compte de l'incertitude relative des valeurs de RCED et des analyses coût-utilité sur lesquelles les RCED se fondent. L'approche préconisée par le CEPMB pour tenir compte de ces considérations contextuelles est orientée par son rôle, à savoir celui d'organisme de réglementation des prix plafonds et non d'organe de fixation des prix, ainsi que par la nécessité de fournir aux patients canadiens l'accès à de nouvelles technologies de la santé. Par conséquent, les *Lignes directrices provisoires* proposent un seuil de rentabilité initial de 60 000 \$ par AVAQ, soit le double de la meilleure estimation actuelle du coût marginal d'une AVAQ dans le système de santé canadien. Le seuil sera recalculé périodiquement pour tenir compte des variations du PIB, de l'ampleur des budgets en santé, de l'évolution de la recherche empirique et de la productivité marginale des services de santé qui font face au déplacement dans la foulée de l'adoption de nouveaux médicaments.

² Cela comprend : les travaux réalisés par Claxton et al. (2015), qui ont abouti à un seuil du côté de l'offre de 12 936 £ par AVAQ pour le système de santé public du R.-U.; les travaux réalisés par Vallejo-Torres et al. (2017), qui ont abouti à un seuil du côté de l'offre variant entre 21 000 € et 25 000 € par AVAQ pour le système de santé public de l'Espagne; et les travaux réalisés par Edney et al. (2017), qui ont abouti à un seuil du côté de l'offre de 28 033 \$AU par AVAQ pour le système de santé public de l'Australie.

³ Selon un article de 2016 du Hamilton Spectator : « le Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux a établi un seuil non officiel de 100 000 \$ par année de vie ajustée en fonction de la qualité pour les nouveaux médicaments contre le cancer. » Dans une lettre rédigée en 2009, le sous-ministre du ministère de la Santé et des Soins de longue durée de l'Ontario indique que le Comité d'évaluation des médicaments « considère habituellement qu'une fourchette de 40 000 \$ à 60 000 \$ par AVAQ est une plage acceptable. » [Traductions libres]

11) Comment le CEPMB aboutit-il à un seuil de taille de marché de 25 millions \$ dans ses *Lignes directrices provisoires*?

En plus d'appliquer un seuil de valeur pharmacoéconomique de 60 000 \$ par AVAQ, les *Lignes directrices provisoires* prévoient que le PEM des médicaments de catégorie I peut être ajusté davantage si les recettes annuelles générées par le produit excèdent le seuil de 25 millions de dollars. Comme mentionné précédemment, l'ajout des facteurs de la taille du marché et du PIB au Règlement reconnaît la tension qui pourrait apparaître entre le rapport qualité-prix à long terme d'un médicament (c.-à-d., sa rentabilité) et son abordabilité à court terme au sein du système de santé. Les hypothèses suivantes ont servi à orienter le calcul du seuil d'abordabilité de 25 millions de dollars, lequel se fonde sur l'application combinée de ces deux facteurs :

1. Pour qu'elles soient durables, les dépenses additionnelles pour des médicaments brevetés devraient être proportionnelles à la croissance annuelle anticipée du PIB au Canada.
2. Les montants consacrés aux médicaments brevetés dans les dépenses en santé devraient rester les mêmes, car les dépenses en soins de santé augmentent proportionnellement à la croissance du PIB.
3. Le nombre de médicaments brevetés prévus chaque année est calculé en tant que moyenne des cinq années précédentes.
4. Un impact budgétaire net moyen pour le pays peut être calculé pour chaque nouveau médicament breveté qui absorberait l'enveloppe budgétaire disponible pour toute nouvelle dépense en médicaments brevetés dans l'estimation de la croissance du PIB.

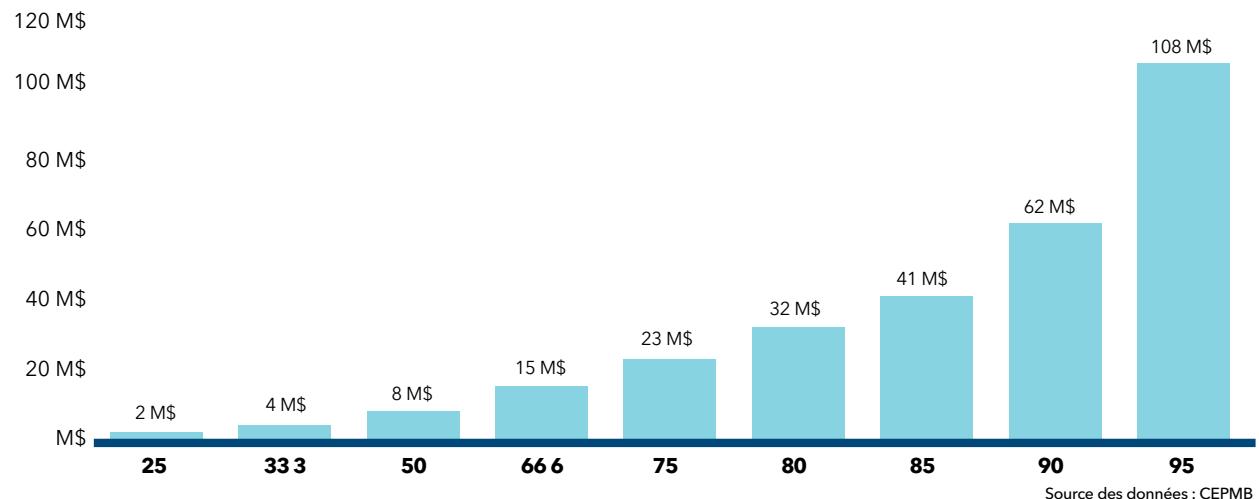
5. L'impact budgétaire net moyen pour le pays n'est pas un seuil approprié de taille du marché, car trop de médicaments pourraient avoir un impact budgétaire plus élevé que la moyenne.
6. Un seuil correspondant au double de l'impact budgétaire net moyen pour le pays serait plus conforme à une approche fondée sur le risque, car il attire l'attention réglementaire sur les médicaments brevetés dont le coût de renonciation risque d'être le plus élevé en raison de la taille du marché auquel ils s'adressent.

Une croissance des ventes d'un médicament breveté au Canada qui irait dans le sens des hypothèses formulées ci-dessus entraînerait une hausse annuelle de l'ordre de 432 millions de dollars des ventes du médicament breveté. Si l'on tient compte du fait que 36 nouveaux médicaments brevetés sont mis sur le marché chaque année pour absorber cette croissance, cela signifie que chaque médicament générera, en moyenne, 12 millions \$ en ventes de médicaments brevetés, comme indiqué ci-dessous. Le seuil de 25 millions \$ représente environ le double de ce montant.

Ventes annuelles moyennes de médicaments brevetés, de 2014 à 2018	14,9 G\$
Croissance annuelle des ventes de médicaments brevetés, en proportion du taux de croissance du PIB	432 M\$
Nombre moyen de nouveaux médicaments brevetés mis sur le marché par année, de 2014 à 2018	36
Seuil d'abordabilité moyen annuel par médicament	12 M\$

Selon l'analyse du CEPMB, plus de 75 % des médicaments brevetés mis en marché au cours des 20 dernières années ont réalisé des recettes inférieures à ce seuil durant les trois premières années de vente.

Percentiles relatifs aux revenus max. sur 3 ans (639 nouveaux médicaments mis sur le marché depuis 1998)



Ces chiffres seront mis à jour périodiquement pour tenir compte de l'évolution de l'IPC et du PIB.

12) Pourquoi les *Lignes directrices provisoires* accordent-elles une hausse de 50 % du PEM des médicaments de catégorie I qui traitent des problèmes de santé ayant une très faible prévalence au Canada?

En raison de l'acquisition de nouvelles connaissances et des avancées technologiques, de plus en plus de Canadiens reçoivent un diagnostic de maladie ou de trouble rare pour lequel ils doivent obtenir un traitement. Conformément à l'engagement d'aider les Canadiens aux prises avec des maladies rares pris par le Gouvernement du Canada dans le budget de 2019, les *Lignes directrices provisoires* prévoient un ajustement du PEM des médicaments brevetés servant à traiter des maladies et des troubles rares touchant des populations de patients restreintes

(c.-à-d. s'adressant à un petit marché en raison de leur faible prévalence). De fait, l'ajustement signifie que les plafonds des prix nets des médicaments brevetés pour le traitement de maladies et troubles rares et ayant un faible volume de ventes seront plus élevés que les plafonds de ceux servant au traitement de maladies plus répandues. Cela permet aussi une application plus uniforme du facteur de la valeur pharmacoéconomique parmi l'ensemble des médicaments de catégorie I (c.-à-d., l'utilisation du même seuil de 60 000 \$ par AVAQ pour tous ces médicaments) tout en produisant des plafonds de PEM substantiellement plus élevés pour les médicaments servant à traiter des maladies et troubles rares.

Le CEPMB a établi qu'une maladie (ou un trouble) est considérée comme rare si elle touche moins de 1 Canadien sur 2000. Cette mesure se fonde sur la définition utilisée par les Instituts de recherche en santé du Canada, par l'Union européenne, dans le rapport de février 2019 du Comité permanent de la santé intitulé « Améliorer l'accès aux traitements pour les Canadiens atteints de maladies et de troubles rares » et par les associations de patients canadiennes.

En vertu des *Lignes directrices provisoires*, le PEM des médicaments brevetés servant à traiter des maladies et troubles rares sera augmenté de 50 %, du moment que leurs recettes annuelles restent sous le seuil d'abordabilité de 12,5 millions de dollars défini ci-dessus. Cette hausse de 50 % vise à refléter le bénéfice accru que ces médicaments rapportent actuellement par rapport aux médicaments pour les maladies plus répandues. Le PEM sera alors appliqué de façon progressive à toute vente excédant ce seuil.

Le PEM est augmenté de 50 % au-dessus du prix pharmacoéconomique (PPE) pour les revenus (recettes annuelles) jusqu'à 12,5 millions \$. Pour les revenus entre 12,5 millions \$ et 25 millions \$, le PEM est établi au niveau du PPE, tandis que le PEM pour les revenus supérieurs à 25 millions \$ est établi par rapport au seuil d'abordabilité utilisé pour les médicaments de catégorie I. Cette approche est basée sur l'analyse des données sur les médicaments introduits entre 2010 et 2015 qui ont un chiffre de patients inférieur à 1 sur 2000 et pour lesquels les PPE étaient disponibles. Ces résultats indiquent qu'en moyenne, le prix de ces médicaments doit être au-dessus de 49 % du PPE atteindre avoir des revenus annuels de 12,5 millions \$.

13) Pourquoi les *Lignes directrices provisoires* n'utilisent-elles pas les mêmes seuils de coût par AVAQ mentionnés à la section de l'analyse coût-avantage du REIR?

Le REIR comporte une section sur l'analyse coût-avantage, qui décrit le calcul de l'impact économique attendu des nouveaux facteurs de fixation des prix prévus à l'article 85. L'analyse coût-avantage se fonde sur un modèle formulant un certain nombre d'hypothèses, notamment que le CEPMB appliquerait des seuils de 50 000 \$ par AVAQ pour les médicaments qui servent à

traiter des maladies ordinaires, de 150 000 \$ par AVAQ pour les médicaments servant à traiter des maladies rares, et de 35 000 \$ par AVAQ pour les médicaments qui servent à traiter des maladies à forte prévalence au sein de la population canadienne. Aux fins de la modélisation, ces hypothèses sont présentées comme un scénario possible de mise en œuvre des nouveaux facteurs prévus à l'article 85, et ne doivent pas servir de seuils obligatoires que le CEPMB doit observer dans ses *Lignes directrices*. Le CEPMB utilise un seuil de 60 000 \$ par AVAQ pour tous les médicaments, et la hausse de 50 % qu'il a accordée au PEM des médicaments servant à traiter les maladies et troubles rares va dans le sens de l'intention politique globale du Règlement modifié.

14) Quelles sont les nouvelles exigences en matière de production de rapports du Règlement modifié?

Le Règlement définit les renseignements que les titulaires de brevets doivent fournir au CEPMB au sujet des prix des médicaments brevetés vendus au Canada et dans d'autres pays, de leurs revenus et de leurs dépenses en R et D. Le Règlement modifié exige que les titulaires de brevets fournissent des renseignements supplémentaires pertinents au regard des nouveaux facteurs prévus à l'article 85, à l'exception des renseignements en lien avec le PIB et le PIB par habitant, ceux-ci étant fournis par Statistique Canada.

En ce qui a trait à la valeur pharmacoéconomique, le Règlement modifié exige des titulaires de brevets qui vendent des médicaments dont le coût annuel est de plus de 50 % du PIB par habitant de fournir au CEPMB toutes les analyses coût-utilité en lien avec ces médicaments publiées par une agence canadienne d'ETS, notamment l'ACMTS ou l'INESSS. Le CEPMB ne répétera pas les analyses pharmacoéconomiques effectuées par l'ACMTS et l'INESSS.

L’obligation pour le titulaire de brevet de fournir l’analyse coût-utilité la plus récemment publiée reçue ne s’applique qu’aux médicaments de catégorie I dont le coût annuel est de plus de 50 % du PIB par habitant. Les analyses coût-utilité ne sont habituellement effectuées qu’à certains moments clés du cycle de vie d’un médicament (p. ex. avant la mise en marché initiale ou suite à l’approbation réglementaire d’une nouvelle indication). Les titulaires de brevets ne sont pas tenus de préparer une analyse coût-utilité si aucune n’a été rendue publique auparavant. Si aucune analyse coût-utilité n’est disponible, le PEM est calculé en recourant à d’autres renseignements, par exemple le prix de médicaments de la même classe thérapeutique, les prix ailleurs dans le monde, et les données sur la taille du marché.

Pour ce qui est de la taille du marché, le Règlement modifié prévoit que les titulaires de brevets soumettent au CEPMB des données sur la consommation maximale estimée du médicament au Canada, par quantité de médicaments vendus, ainsi que la fourchette de dates prévue pour calculer la consommation maximale. Les titulaires rassemblent déjà ce type de données lorsqu’ils élaborent leurs plans d’affaires et leurs prévisions de ventes, ainsi que pour les processus de l’ACMTS. Les titulaires de brevets sont aussi tenus de fournir au CEPMB toute mise à jour de leurs estimations pouvant résulter de l’approbation d’une nouvelle indication ou d’une autre évolution importante du marché pour le médicament en question.

15) Pourquoi le PEM ne s’applique-t-il qu’aux médicaments brevetés de catégorie I?

En vertu des *Lignes directrices provisoires*, les médicaments de catégorie I sont soumis à la fois à un plafond du prix courant (PCM) et à un plafond du prix net (PEM). Les médicaments brevetés de catégorie II ne sont soumis qu’à un plafond du prix courant (PCM).

L’application du plafond du prix net aux médicaments brevetés de catégorie I se fonde (a) sur la probabilité accrue que ces médicaments aient peu ou pas du tout d’équivalents thérapeutiques, ce qui désavantagerait grandement les consommateurs (les assureurs publics et privés) au moment de négocier un prix acceptable du point de vue social avec le titulaire de brevet; et (b) la probabilité accrue que la taille des marchés auxquels s’adressent ces médicaments soulève des préoccupations sur le plan de l’abordabilité.

16) Pourquoi le PEM est-il évalué au regard du prix net plutôt que du prix courant?

L’évaluation du PEM au regard du prix net vise à traduire la réalité de la tarification confidentielle dans le contexte des médicaments brevetés de catégorie I ainsi qu’à permettre aux titulaires de brevets de respecter plus facilement les plafonds prévus par les *Lignes directrices provisoires* sans que cela ait une incidence sur le prix courant public.

17) Pourquoi le PCM est-il évalué au regard du prix courant plutôt que du prix net?

L'évaluation du PCM au regard du prix courant plutôt que du prix net permet de comparer des éléments semblables, car les tests effectués pour établir le PCM se fondent tous sur les prix courants nationaux et internationaux, qui ne comportent pas d'escomptes.

18) Quelles mesures de protection s'appliquent aux renseignements fournis par les brevetés?

La Loi contient des mesures de protection qui s'appliquent aux renseignements fournis par les brevetés. En particulier, les renseignements ou documents fournis au Conseil en application des articles 80, 81, 82 ou 83 (p. ex. les recettes, les prix moyens ou les recettes nettes et les déductions et réductions connexes) sont protégés; nul ne peut, après les avoir obtenus en conformité avec la présente loi, sciemment les communiquer ou en permettre la communication sans l'autorisation de la personne qui les a fournis, sauf s'ils ont été divulgués dans le cadre d'une audience publique tenue en vertu de l'article 83 ou s'ils font partie des exceptions énumérées en vertu de l'article 87(2). Les renseignements fournis au CEPMB peuvent aussi être sujets à la *Loi sur l'accès à l'information* et à la *Loi sur la protection des renseignements personnels*.

19) Pourquoi les *Lignes directrices provisoires* exigent-elles que les brevetés fournissent une analyse coût-utilité uniquement pour les médicaments dont le coût de traitement annuel est de plus de 50 % du PIB par habitant?

C'est ce qui est stipulé à l'article 4.1(5) du Règlement modifié.

20) Pourquoi le CEPMB utilise-t-il le rapport de l'ACMTS comme principal modèle source?

Les brevetés qui doivent présenter une analyse coût-utilité pour un médicament de catégorie I peuvent recourir aux analyses de diverses sources, soit : les rapports pharmacoéconomiques du Programme commun d'évaluation des médicaments (PCEM) et les rapports d'orientation économique finaux du Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux (PPEA) de l'ACMTS, ainsi que le modèle élaboré par l'INESSS dans ses *Évaluations aux fins d'inscription*.

Par défaut, l'approche préconisée par le CEPMB consistera à utiliser les modèles sources de l'ACMTS, ceux-ci étant représentatifs d'une plus grande part de la population canadienne. Si aucun rapport de l'ACMTS n'est disponible, ou si les rapports disponibles ne répondent pas aux critères définis dans les lignes directrices (p. ex. parce qu'ils ne contiennent pas d'analyse coût-utilité ou ne présentent pas une approche de modélisation de la minimisation des coûts), les rapports de l'INESSS seront utilisés.

21) Pourquoi les *Lignes directrices provisoires* fournissent-elles un seul plafond de prix pour un médicament breveté ayant plusieurs indications?

Dans la foulée des consultations avec les intervenants et les experts techniques, le CEPMB est d'avis que l'établissement de prix pour chaque indication serait extrêmement difficile à mettre en œuvre au Canada à l'heure actuelle, en raison des contraintes que supposent la saisie de données et la production de rapports sur le volume indication par indication. À la lumière de ces considérations, les *Lignes directrices provisoires* adoptent l'approche plus simple qui consiste à établir un seul prix plafond pour les médicaments à plusieurs indications. Dans les cas où un médicament breveté présente plus d'une indication, le CEPMB relèvera l'indication la plus susceptible d'avoir l'incidence la plus grande sur les consommateurs (l'*« indication pertinente »*) et établira ses plafonds à la lumière de cette constatation. Pour les médicaments de catégorie I, il s'agira de l'indication justifiant d'appliquer le critère d'évaluation de catégorie I; pour les médicaments de catégorie I pour lesquels plus d'une indication (ou aucune indication) rencontrent ce seuil, et pour les médicaments de catégorie II, l'indication pertinente sera celle qui traite l'état de santé ayant la plus forte prévalence (c.-à-d. la plus importante population de patients).

22) Le CEPMB collaborera-t-il avec l'ACMTS et l'INESSS pour s'assurer que les données nécessaires figurent dans leurs rapports?

Le CEPMB reconnaît que l'ACMTS et l'INESSS disposent d'une expertise dédiée et d'une réputation d'excellence en matière de production de rapports d'ETS au Canada. Le CEPMB n'a pas l'intention de reprendre le travail effectué par l'ACMTS et l'INESSS à ce titre.

Aussi, le CEPMB collaborera avec l'ACMTS et l'INESSS pour apporter les modifications qui pourraient s'avérer nécessaires aux processus et aux rapports afin de satisfaire aux exigences du nouveau cadre réglementaire.

23) Pourquoi les médicaments brevetés bénéficiant de droits acquis sont-ils soumis à la nouvelle annexe des pays de comparaison, et pourquoi la médiane internationale établit-elle leur prix plafond?

Les dispositions transitoires du Règlement modifié accordent des droits acquis aux médicaments brevetés qui ont reçu un numéro d'identification du médicament (DIN) de Santé Canada avant la publication du Règlement modifié dans la Partie II de la *Gazette du Canada* le 21 août 2019. Ces droits les exemptent de l'application des nouveaux facteurs de l'article 85. Ils demeurent toutefois soumis à la nouvelle annexe des pays de comparaison que nous appelons maintenant CEPMB11. Les médicaments brevetés vendus au Canada en vertu du Programme d'accès spécial (PAS) avant le 21 août 2019 ne bénéficieront pas de droits acquis, car ces médicaments ne reçoivent pas de DIN. De plus, les produits venant s'ajouter à des gammes de produits existants et qui se voient attribuer un DIN après le 21 août 2019 ne bénéficieront pas de droits acquis, même si les produits d'origine connexes qui existaient avant cette date bénéficient de tels droits.

Le PCM des médicaments bénéficiant de droits acquis est établi dans la fourchette inférieure du (i) prix médian dans les pays du CEPMB11 pour lesquels le breveté a fourni de l'information, ou (ii) selon le prix plafond qui était en vigueur avant la publication des présentes Lignes directrices. Le prix plafond médian est considéré comme compatible avec la responsabilité du Canada de payer sa juste part de l'innovation biopharmaceutique mondiale.

Le PCM peut être rajusté selon l'IPC dans certain cas.

24) Comment les *Lignes directrices provisoires* traitent-elles de l'IPC?

En vertu de l'alinéa 85(1)(d) de la *Loi*, le CEPMB est tenu de prendre en compte l'indice des prix à la consommation (IPC) au moment de déterminer si le prix d'un médicament breveté est excessif. Dans le contexte des *Lignes directrices provisoires*, ce facteur est pris en compte de trois façons : 1) le PCM est fixe pendant les trois premières années, ce qui a un effet équivalent à une augmentation du PCM en fonction de l'IPC par rapport au déclin moyen des prix internationaux; 2) quand le PCM est établi par la médiane des prix internationaux, et cette médiane augmente, le PEM peut être rajusté en fonction de l'IPC; et 3) le seuil d'abordabilité sera actualisé périodiquement pour tenir compte des variations de l'IPC. Ainsi, les tests et les plafonds définis dans les *Lignes directrices provisoires* demeurent pertinents à la lumière des changements au sein de l'économie canadienne tout en veillant à ce que les Canadiens ne paient pas de prix plus élevés que les consommateurs du CEPMB11 pour les médicaments brevetés.

25) Comment et quand le CEPMB assurera-t-il le suivi et rendra-t-il compte de l'incidence du Règlement modifié et des nouvelles Lignes directrices, notamment s'ils produisent les effets escomptés?

Le CEPMB s'est engagé à élaborer ainsi qu'à appliquer le Processus de surveillance et d'évaluation des Lignes directrices (PSELD), une stratégie de surveillance d'envergure, pour évaluer l'incidence des nouvelles Lignes directrices sur les patients, les fournisseurs de soins de santé et d'autres intervenants.

Le PSELD ciblera les domaines clés suivants : 1) l'incidence sur les prix des médicaments, 2) l'incidence sur l'accès aux médicaments, 3) les répercussions sur l'économie et 4) l'incidence sur les processus du CEPMB. Dans tous ces domaines, le CEPMB aura recours à des sources de données administratives, commerciales et internes pour étudier et documenter les changements après la mise en œuvre des lignes directrices par rapport à la période précédant ces changements. Même si la majorité des indicateurs seront quantitatifs, le PSELD aura également recours à certains indicateurs qualitatifs.

Une proposition détaillée de PSELD, y compris la portée des rapports qui seront rendus publics, sera présentée au Comité du CEPMB aux fins d'approbation au début de l'année 2020. Le plan de PSELD sera rendu public, et un premier rapport du PSELD sera publié après qu'au moins une année complète de données suivant la mise en œuvre soit disponible aux fins d'analyse. Au cours des années subséquentes, des rapports périodiques seront publiés pour surveiller les répercussions à long terme.



Conseil d'examen
du prix des médicaments
brevetés

Patented
Medicine Prices
Review Board

Canada