



Le 4 août 2020

D^r Mitchell Levine

Président, Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB)

333, avenue Laurier Ouest, bureau 1400

Ottawa (Ontario) K1P 1C1

Objet : Consultations sur les lignes directrices du CEPMB

Docteur Levine,

Le Regroupement québécois des maladies orphelines (RQMO) (www.rqmo.org) est une association qui regroupe plusieurs associations de maladies rares, des individus ou des membres de famille d'individus atteints d'une maladie rare et d'autres personnes intéressées par la cause des maladies rares. La mission du RQMO est : 1) d'informer et de soutenir les personnes concernées par une maladie rare *via* notre Centre iRARE; 2) d'éduquer et de diffuser de l'information sur les maladies rares et leurs enjeux et 3) de favoriser la recherche dans le domaine des maladies rares.

Nous sommes très préoccupés par le fait que le cadre de tarification proposé par le CEPMB limitera indûment et déraisonnablement l'accès aux médicaments permettant de sauver ou d'améliorer la vie des patients atteints de maladies rares. Ces patients sont déjà défavorisés dans notre système de santé actuel, car le Canada n'a aucune politique ou programme en matière de maladies rares comme les autres pays industrialisés. Les patients sont confrontés à de longs délais pour établir leurs diagnostics, à une prise en charge souvent sous optimale et des difficultés à accéder à des traitements. En fait, selon notre analyse récente, avec le système actuel, seulement 23 % des médicaments pour les maladies rares ayant été approuvés par la FDA américaine figurent sur la liste des médicaments remboursés par le régime d'assurance médicament public du Québec. Il est donc déjà extrêmement difficile pour nos patients d'avoir accès aux traitements dont ils ont besoin, et la mise en place du cadre de tarification du CEPMB ne fera qu'empirer la situation.

Plus précisément, les modifications apportées au dernier projet de lignes directrices ne répondent pas adéquatement à nos inquiétudes quant aux répercussions sur l'accès aux nouveaux médicaments et aux essais cliniques par les patients. En fait, nous sommes extrêmement déçus que le CEPMB et Santé Canada n'aient pas tenu compte des préoccupations des patients à ce sujet, et qu'aucune analyse des répercussions de ces modifications sur l'accès aux médicaments et aux

essais cliniques n'ait été réalisée. Modifier les règles du CEPMB sans connaître toutes les implications de ces changements est une décision irresponsable, surtout en cette période critique où nous aurons besoin d'avoir accès aux plus récents médicaments pour garder le plus possible les patients hors des hôpitaux et aussi pour lutter contre la COVID-19.

Déjà, nous constatons que de nouveaux médicaments révolutionnaires ne sont pas accessibles au Canada en raison de l'incertitude liée aux prix créée par la réforme. Les entreprises ont commencé à délaisser le marché canadien pour le lancement de leurs nouveaux médicaments, car elles ne le considèrent plus comme commercialement viable¹. Par exemple, alors que le médicament Trikafta contre la fibrose kystique est désormais disponible aux États-Unis et en Europe, l'entreprise n'a pas encore déposé de demande auprès de Santé Canada. Par conséquent, l'état de santé des patients se détériore rapidement, et certains d'entre eux décèdent en attendant que ce médicament arrive au Canada. Si le nouveau cadre de tarification du CEPMB est mis en œuvre, nous prévoyons que beaucoup d'autres traitements révolutionnaires contre des maladies rares ne pourront être mis à la disposition des patients québécois en raison de la réforme. Les patients atteints de maladies rares ne peuvent tout simplement pas se permettre d'attendre plus longtemps pour avoir accès à de nouveaux médicaments.

De plus, le nouveau cadre de tarification du CEPMB empêchera les patients atteints de maladies rares d'avoir accès à de nombreux essais cliniques. Souvent, il n'existe aucun traitement pour les maladies rares dont sont atteints les patients, et ceux-ci attendent avec impatience de pouvoir participer à des essais cliniques et ainsi d'avoir accès à de nouveaux médicaments en cours de développement. Ces essais constituent un élément essentiel du traitement des maladies rares, et les patients comptent sur eux pour améliorer leur état et rester en vie. Malheureusement, les impacts négatifs engendrés par le nouveau cadre de tarification du CEPMB sur les essais cliniques et la recherche au Canada peuvent déjà se faire sentir².

Outre les répercussions sur les patients, la réduction des investissements dans la recherche clinique au Canada pourrait avoir deux autres conséquences importantes pour notre système de santé.

La première est le soutien important qu'apporte cet investissement au système de santé du Québec. Pour de nombreux établissements de santé, le financement externe de la recherche clinique a permis la création de départements de recherche complets et d'une expertise importante. L'existence de cette infrastructure est extrêmement bénéfique, car elle permet à de nombreux projets de recherche d'être réalisés de manière efficace, opportune et rentable par des

¹ Étude menée par IQVIA, *New Medicine Launches: Canada in a Global Context*, juin 2020, p.13 : https://lifesciencesontario.ca/wp-content/uploads/2020/06/FR_LSO_Global-Launch-Benchmarking_Webinar-June22-20_Final.pdf

² Nigel SB Rawson, *Canadian Health Policy*, avril 2020, p. 4: https://www.canadianhealthpolicy.com/products/clinical-trials-in-canada-decrease--a-sign-of-uncertainty-regarding-changes-to-the-pmprb-.html?buy_type=

experts. Toute réduction importante du financement externe de la recherche menace cette infrastructure et, par conséquent, l'existence et la rentabilité de nombreuses autres activités de recherche.

La deuxième conséquence importante de la réduction des investissements en recherche clinique au Québec est la diminution de l'accès à des experts médicaux de premier plan pour les patients de la province. À l'heure actuelle, grâce à l'environnement positif de la recherche clinique au Québec, nos cliniciens et chercheurs de pointe sont en mesure de rester dans la province pour demeurer au service de nos patients tout en ayant la possibilité d'avoir une carrière de recherche gratifiante et reconnue mondialement. Si l'accessibilité à la recherche au Québec est réduite, plusieurs de ces experts choisiront de déménager ou de faire carrière ailleurs, privant ainsi les patients québécois de l'accès à leur expertise.

Finalement, nous craignons que la réforme fédérale aura pour effet de freiner les efforts du gouvernement du Québec visant à accélérer l'accès aux nouveaux médicaments pour les patients atteints de maladies rares. Entre autres, le Québec a récemment adopté certains changements relativement à l'évaluation de traitements pour les maladies rares et a mis sur pied un comité consultatif québécois pour les maladies rares. Ses efforts seront grandement minés par la réforme fédérale qui va considérablement restreindre l'accès aux traitements pour les maladies rares.

En conclusion, en tant que patients, nous appuyons le besoin d'avoir accès aux bons médicaments. Pour les patients atteints de maladies rares, dont la plupart souffrent d'affections évolutives et potentiellement mortelles pour lesquelles aucun traitement efficace n'est actuellement connu, cela signifie d'avoir accès à de nouveaux médicaments le plus rapidement possible. Pour que ceci se produise, il faut qu'il y ait un accès aux essais cliniques, une approbation réglementaire rapide et des processus décisionnels simplifiés en matière de financement.

Nous croyons qu'il est essentiel de prendre un temps d'arrêt, de prendre conscience des impacts qu'engendre déjà la réforme et d'envisager un processus différent et plus viable élaboré de concert avec les patients et les autres intervenants du système de la santé et qui garantira aux Québécois, incluant ceux atteints d'une maladie rare, un accès durable et rentable aux médicaments d'ordonnance.

Cordiales salutations,



Gail Ouellette, PhD.

Présidente-fondatrice, Regroupement québécois des maladies orphelines

Courriel : gail.ouellette@rqmo.org Tél. : (819) 437-6414

2030, boul. Pie-IX, bureau 403, Montréal (Québec) H1V 2C8