



Mémoire sur la protection des Canadiens contre les prix excessifs des médicaments : lignes directrices proposées visant le Règlement sur les médicaments brevetés

Soumis auprès de :

Consultations consacrées au Règlement sur les médicaments brevetés

PMPRB.Consultations.CEPMB@pmprb-cepmb.gc.ca

(70, promenade Colombine, pré Tunney

Ottawa (Ontario) K1A 0K9)

28 juillet 2020

Résumé et recommandations

Fibrose kystique Canada a le plaisir de transmettre ses observations dans le cadre de la consultation publique sur les lignes directrices révisées du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB).

Fondé en 1960, Fibrose kystique Canada est un organisme de bienfaisance national à but non lucratif, qui compte parmi les trois principaux organismes caritatifs dans le monde voués à la recherche d'un traitement curatif contre la fibrose kystique. Fibrose kystique Canada œuvre pour l'amélioration de la santé et de la qualité de vie des personnes atteintes de cette maladie au Canada. Nous nous employons à promouvoir des changements qui auront des effets bénéfiques sur les conditions de vie des Canadiens fibro-kystiques.

Fibrose kystique Canada appuie les efforts tendant à réduire le coût des médicaments sur ordonnance pour la population canadienne. Nous pensons que de telles mesures peuvent et doivent être mises en œuvre de manière à garantir un accès rapide aux nouveaux médicaments, et notamment aux médicaments de précision.

Nous sommes d'avis que le CEPMB peut parvenir à une baisse raisonnable du prix des médicaments afin que ces derniers puissent être accessibles en temps utile. Par exemple, il est estimé que la modification des pays de comparaison entre le CEPMB7 et le CEPMB11 proposé entraînera une baisse des prix pratiqués au Canada d'environ 20 %. Cependant, nous craignons que l'adoption de mesures visant à réduire davantage les prix fasse du Canada une anomalie parmi les pays de l'OCDE et un marché moins attirant pour le lancement de nouveaux médicaments, ce qui aurait pour effet de retarder ou d'empêcher l'accès à des médicaments innovants.

Fibrose kystique Canada reconnaît que les nouvelles lignes directrices contiennent des mesures susceptibles de faciliter les demandes d'approbation auprès de Santé Canada à l'égard d'un médicament révolutionnaire, Trikafta, qui permet de traiter jusqu'à 90 % des personnes atteintes de fibrose kystique. Néanmoins, ces mesures ne vont pas suffisamment loin pour garantir que ce médicament et les futurs médicaments de précision contre la fibrose kystique seront mis à la disposition des Canadiens qui en ont besoin.

Fibrose kystique Canada estime que la réintroduction du barème des niveaux de critères thérapeutiques est une étape positive vers la reconnaissance de l'innovation thérapeutique. Cependant, une telle mesure ne permet pas, en soi, un meilleur accès à des médicaments innovants. Pour la plupart de ces médicaments, des facteurs économiques continueront de s'appliquer et dissuaderont les entreprises de lancer des médicaments novateurs au Canada.

Fibrose kystique Canada estime que la catégorie des « médicaments de transition » est définie de manière trop restrictive et qu'elle n'aidera pas les Canadiens atteints de fibrose kystique à accéder à Trikafta. Le fabricant ne pourra pas faire approuver ce médicament par Santé Canada avant la date limite d'approbation fixée au 2 janvier 2021, même si la demande était soumise à la date du présent mémoire et faisait l'objet d'un examen prioritaire.

Bien que Fibrose kystique Canada appuie l'instauration de contrôles des prix en vue d'une accessibilité accrue, nous pensons que les mesures relatives aux prix ont pris trop rapidement une ampleur excessive, que les observations formulées n'ont pas été suffisamment intégrées et que les changements sont restés en deçà des commentaires recueillis jusqu'à présent au sujet de leur incidence sur les patients. Ces changements ont déjà créé un environnement de réglementation,

d'examen et de remboursement qui tend à décourager les fabricants de lancer leurs produits au Canada.

Le CEPMB n'a pas pleinement tenu compte des préoccupations qui ont été exprimées par la communauté fibro-kystique, les personnes atteintes de la maladie, leurs familles, les cliniciens et Fibrose kystique Canada à l'occasion de la première consultation sur les changements réglementaires en 2017 et pendant les consultations sur les lignes directrices de 2020.

Bien que le CEPMB ait semblé vouloir prendre en considération les inquiétudes des organisations dédiées à la fibrose kystique et des organisations de patients comme Fibrose kystique Canada, le processus de consultation n'a pas associé toutes les parties intéressées. Les renseignements présentés lors des consultations sur le règlement et les lignes directrices n'étaient pas faciles à comprendre pour le Canadien moyen, et les délais de consultation ont été trop courts. Or, ces changements influenceront sur l'accès aux médicaments non seulement pour les Canadiens atteints de fibrose kystique, mais aussi pour l'ensemble des personnes qui ont besoin de médicaments brevetés au Canada. Il est donc préoccupant de constater que pratiquement rien n'a été fait pour faire véritablement participer les Canadiens moyens de manière à les aider à comprendre l'incidence de ces changements, afin qu'ils puissent, eux aussi, participer en toute connaissance de cause aux décisions concernant des modifications susceptibles d'influer sur leur vie et leur santé.

Fibrose kystique Canada s'inquiète également du calendrier et du périmètre de ces lignes directrices, compte tenu de la pandémie actuelle, alors que la plupart des Canadiens portent leur attention sur d'autres enjeux et que les tribunaux examinent la légalité et la portée du mandat et des méthodes du CEPMB. Tant que les affaires en instance ne seront pas réglées et que tous les recours n'auront pas été épuisés, l'incertitude continuera de régner dans notre cadre de réglementation et de remboursement des médicaments, ce qui n'est pas de bon augure pour le lancement de nouveaux médicaments.

Dans son mémoire du 14 février 2020 au sujet des premières lignes directrices provisoires du CEPMB, Fibrose kystique Canada a formulé des recommandations semblables à celles figurant ci-dessous, en tenant compte des modifications apportées aux lignes directrices provisoires de juin 2020. En examinant cette dernière version des lignes directrices, nous avons cherché à déterminer dans quelle mesure nos recommandations de février 2020 avaient été prises en compte. Ces renseignements sont disponibles dans l'exposé détaillé du présent mémoire.

RECOMMANDATION N° 1 :

Dans le but de ramener les coûts des médicaments à des niveaux raisonnables, Fibrose kystique Canada exhorte le CEPMB à procéder par étapes, en commençant par modifier les pays de comparaison. Tous les autres changements destinés à réduire encore les prix devraient être suspendus jusqu'à ce que le CEPMB ait déterminé les répercussions de la première phase et que l'incidence des nouveaux critères économiques ait été évaluée minutieusement par un tiers indépendant.

RECOMMANDATION N° 2 :

Dans le but de rendre les médicaments innovants plus accessibles aux Canadiens qui en ont besoin maintenant, Fibrose kystique Canada demande au CEPMB de remplacer immédiatement la date limite d'*approbation* appliquée par Santé Canada aux médicaments de transition par une date limite de *demande*. Ainsi, les fabricants auraient jusqu'au 2 janvier 2021 pour *demande* un numéro d'identification du médicament (DIN), plutôt que pour *obtenir* un DIN.

RECOMMANDATION N° 3 :

Fibrose kystique Canada recommande qu'il soit confié à un tiers indépendant la tâche d'évaluer

l'incidence des nouveaux critères économiques sur la disponibilité des médicaments au Canada dans le but précis de déterminer si, quand et comment il convient d'appliquer les nouveaux critères économiques aux médicaments innovants, de précision et onéreux. Tant que ce travail n'aura pas été mené et que l'utilité de ces mesures n'aura pas été démontrée, il convient de n'adopter aucune mesure de ce type.

RECOMMANDATION N^o 4 :

Fibrose kystique Canada invite le gouvernement fédéral à exiger du CEPMB qu'il établisse sans délai un mécanisme officiel destiné à faire participer de manière significative et continue les représentants des patients à ses processus décisionnels et à ses travaux, afin que les patients aient la possibilité de faire entendre leur voix, d'exprimer leurs préférences et d'être adéquatement représentés. Il existe, dans de nombreux pays de comparaison du Canada, des conseils consultatifs de patients qui s'attachent à améliorer l'accès aux médicaments pour eux-mêmes et pour autrui. Maintenant que le CEPMB tiendra compte de la valeur économique de la vie des patients, les patients doivent également avoir leur mot à dire sur la valeur de leur vie.

EXPOSÉ DÉTAILLÉ

Fibrose kystique Canada

Fondé en 1960, Fibrose kystique Canada est un organisme de bienfaisance national à but non lucratif, qui compte parmi les trois principaux organismes caritatifs dans le monde voués à la recherche d'un traitement curatif contre la fibrose kystique. Mondialement reconnu pour le financement de la recherche, de l'innovation et des soins cliniques liés à la fibrose kystique, il investit davantage dans la recherche et les soins essentiels à la vie des personnes atteintes de fibrose kystique que tout autre organisme non gouvernemental au Canada. Depuis 1960, Fibrose kystique Canada a investi plus de 261 millions de dollars dans la recherche, l'innovation et les soins, ce qui explique pourquoi les taux de survie des Canadiennes et Canadiens atteints de fibrose kystique comptent parmi les plus élevés au monde. Fibrose kystique Canada œuvre pour l'amélioration de la santé et de la qualité de vie des personnes atteintes de fibrose kystique au Canada.

À propos de la fibrose kystique

La fibrose kystique est la maladie génétique mortelle la plus répandue chez les enfants et les jeunes adultes canadiens. Il n'existe aucun traitement curatif. La fibrose kystique touche différents organes, mais surtout l'appareil digestif et les poumons. Le degré de gravité de la fibrose kystique diffère d'une personne à l'autre. Toutefois, la persistance de la maladie et l'infection chronique des poumons, qui occasionnent le déclin progressif de la fonction pulmonaire, finissent par causer la mort de la majorité des personnes atteintes de fibrose kystique. La fibrose kystique entraîne généralement les complications suivantes :

- difficulté à digérer les matières grasses et les protéines;
- malnutrition et carences en vitamines en raison d'une mauvaise absorption des nutriments;
- infections des sinus;
- comorbidités telles que le diabète associé à la fibrose kystique et la maladie hépatique associée à la fibrose kystique.

La fibrose kystique est une maladie complexe causée par des mutations du gène régulateur de la perméabilité transmembranaire de la fibrose kystique (CFTR). Il existe plus de 2 000 mutations connues. La fibrose kystique a des répercussions considérables sur les personnes atteintes, leurs proches et la société dans son ensemble. Chaque semaine au Canada, deux personnes reçoivent un diagnostic de fibrose kystique, dont une dans le cadre d'un dépistage néonatal. Près d'un enfant sur 3 600 au Canada est atteint de fibrose kystique à la naissance.

Plus de 4 300 enfants, adolescents et adultes atteints de fibrose kystique fréquentent l'une des 42 cliniques multidisciplinaires spécialisées dans le traitement de la fibrose kystique au Canada. La fibrose kystique est encore aujourd'hui souvent considérée comme une maladie infantile, car l'espérance de vie ne dépassait guère 10 ans dans les années 1960. Toutefois, les avancées réalisées dans la lutte contre cette pathologie ont été exceptionnelles. Aujourd'hui, grâce aux soins fournis dans les cliniques multidisciplinaires spécialisées et aux traitements qui existent pour traiter les symptômes de la fibrose kystique, l'âge médian de survie d'un enfant né en 2018 est de 52,1 ans et les personnes atteintes de fibrose kystique au Canada ont 50 % de chances de vivre au-delà de cet âge. Plus de 60 % des personnes fibro-kystiques sont aujourd'hui adultes. Elles terminent leurs études, vont à l'université, poursuivent des carrières dans des domaines comme le droit, les sciences et les affaires, et fondent une famille. Pourtant, leur vie est encore trop souvent écourtée. La moitié des personnes

atteintes de fibrose kystique décédées en 2018 avaient moins de 33 ans.

La fibrose kystique demeure progressive, les comorbidités s'accumulent au fil de l'âge et la qualité de vie diminue. En 2018, les patients canadiens fibro-kystiques ont bénéficié, en tout, de plus de 18 900 consultations externes en lien avec la fibrose kystique. Les personnes ayant cette maladie présentent des épisodes d'infection et d'inflammation aiguë appelés « exacerbations pulmonaires », qui nécessitent souvent la prise d'antibiotiques par voie intraveineuse. La fréquence des exacerbations pulmonaires augmente généralement avec l'âge, parallèlement au déclin de la fonction respiratoire. Au total, en 2018, 1 209 personnes atteintes de fibrose kystique ont passé près de 26 500 jours à l'hôpital, ce qui équivaut à plus de 70 ans de manière cumulative.

Les médicaments existants contre la fibrose kystique aident à atténuer les symptômes de la maladie, mais il existe aujourd'hui des traitements modulateurs hautement efficaces (TMHE). Ces médicaments, également appelés modulateurs du CFTR, sont différents : ils ciblent la cause de la fibrose kystique en corrigeant la protéine CFTR défectueuse et ne se contentent pas de traiter les symptômes. Les TMHE peuvent considérablement améliorer la santé des personnes atteintes de fibrose kystique.

En 2012, Kalydeco, TMHE de première génération, a été approuvé par Santé Canada pour le traitement d'une mutation spécifique, puis, en 2014, pour d'autres mutations, qui touchent en tout près de 5 % de la population atteinte de fibrose kystique. Les médicaments de deuxième génération, Orkambi et Symdeko, ont été approuvés par Santé Canada en 2016 et 2018, respectivement. Ils conviennent aux patients porteurs de deux copies de la mutation la plus courante, la F508del, soit environ 50 % de la population atteinte de fibrose kystique. Enfin, un médicament de troisième génération, Trikafta, a été approuvé aux États-Unis avec six mois d'avance par la Food and Drug Administration (FDA) en octobre 2019 après avoir été qualifié de percée thérapeutique. Trikafta peut traiter les patients porteurs d'une seule copie de la mutation F508del, soit jusqu'à 90 % de la population canadienne atteinte de fibrose kystique. Le fabricant n'a pas encore soumis le médicament à l'approbation de Santé Canada. Kalydeco et Trikafta, en particulier, apportent un bénéfice clinique spectaculaire et, d'après les patients et les médecins, ont le pouvoir de changer la vie des personnes. Les études montrent que ces médicaments permettent, entre autres, d'accroître sensiblement la fonction pulmonaire, de réduire nettement les exacerbations pulmonaires et d'améliorer considérablement la qualité de vie^{1,2}.

En dépit de l'approbation de Santé Canada, et en raison notamment de la lourdeur et de la complexité de notre système d'approbation et de remboursement des médicaments destinés au traitement des maladies rares, la population canadienne a un accès très limité à ces nouveaux médicaments qui changent la vie.

Santé Canada a approuvé la commercialisation de Kalydeco pour la première fois en 2012. Au 7 février 2020, soit six ans après son approbation, Kalydeco n'est toujours pas pris en charge par les régimes publics d'assurance-médicaments au Canada pour l'ensemble des mutations.

Orkambi a été approuvé par Santé Canada en 2016. Près de quatre ans plus tard, ce médicament n'est accessible que dans quatre provinces : au Québec dans le cadre de la mesure du patient d'exception, ainsi qu'en Saskatchewan, en Alberta et en Ontario selon des critères d'accès extrêmement restrictifs. D'après les données dont nous disposons en février 2020, un seul enfant atteint de fibrose kystique a pu avoir accès à Orkambi selon les conditions prévues dans ces provinces.

Symdeko a été approuvé par Santé Canada le 27 juin 2018. À l'heure actuelle, le médicament n'est disponible que par l'intermédiaire d'un régime d'assurance privé, car le fabricant refuse toujours de soumettre le médicament à la procédure complexe imposée par le système canadien d'examen et de remboursement des médicaments de précision.

Trikafta est la plus grande innovation dans les soins de la fibrose kystique depuis que la maladie a été décrite pour la première fois en 1938. Ce médicament, qui pourrait traiter jusqu'à 90 % des Canadiens atteints de fibrose kystique, n'est pas encore disponible au Canada. En raison des préoccupations liées au nouveau cadre de réglementation du CEPMB, le fabricant n'a pas encore présenté de demande d'approbation auprès de Santé Canada. Fibrose kystique Canada l'exhorte toutefois à le faire dans les meilleurs délais. Le médicament a fait l'objet d'une procédure d'approbation accélérée aux États-Unis, ainsi qu'en Europe par l'intermédiaire de l'Agence européenne des médicaments (AEM).

Il importe de souligner que les TMHE mentionnés ci-dessus sont à la fine pointe de la médecine de précision. La médecine de précision, parfois aussi appelée médecine personnalisée, consiste à adapter le traitement aux caractéristiques individuelles de chaque patient et notamment à son génome. Elle est aujourd'hui largement reconnue comme l'avenir de la médecine, non seulement pour la fibrose kystique, mais pour l'ensemble des pathologies. Dans le cadre de la médecine de précision, les patients sont stratifiés en fonction de la cause biologique de leur pathologie, si bien que de nombreux médicaments de précision ciblent des populations de patients de plus en plus réduites et présentent globalement les mêmes défis que les médicaments dédiés aux maladies rares, comme le niveau élevé des coûts. On peut constater ce fait en observant la stratification des patients atteints de fibrose kystique selon les TMHE décrits ci-dessus.

Incidence du prix

L'accès limité et retardé à des médicaments de précision comme Kalydeco, Orkambi, Symdeko et Trikafta illustre la défaillance du système. Le dispositif canadien de réglementation, d'examen et de remboursement des médicaments destinés à de petits segments de la population est défavorable aux médicaments de précision novateurs.

Le prix des médicaments est un enjeu vital pour l'ensemble des Canadiens, car il est directement lié à la question de l'accessibilité. Toutefois, l'abordabilité n'est qu'un des aspects de l'accessibilité. La rapidité d'accès et la disponibilité des médicaments dans tous les systèmes de santé du Canada représentent également des facteurs majeurs.

Fibrose kystique Canada appuie les efforts stratégiques tendant à réduire le prix des médicaments et à maîtriser les dépenses des régimes d'assurance-médicaments. Néanmoins, il convient de tenir compte du contexte global de la disponibilité et de l'accès à des médicaments innovants, comme les médicaments de précision, qui se montrent à l'avant-garde de la médecine.

Nous convenons avec le CEPMB que la modification du panier des pays de comparaison utilisé par le CEPMB permettra d'abaisser le coût des médicaments au Canada à un niveau inférieur ou égal à la médiane des pays de l'Organisation de coopération et de développement économiques (OCDE), c'est-à-dire d'au moins 20 %. Cependant, le fait d'adopter des mesures destinées à réduire davantage les prix fera du Canada une anomalie parmi les pays de l'OCDE et un marché défavorable pour l'industrie pharmaceutique, si bien que les délais d'accès à des médicaments novateurs et de précision risquent d'être encore allongés dans le pays.

RECOMMANDATION N° 1 :

Dans le but de ramener les coûts des médicaments à des niveaux raisonnables, Fibrose kystique Canada exhorte le CEPMB à procéder par étapes, en commençant par modifier les pays de comparaison. Tous les autres changements destinés à réduire encore les prix devraient être suspendus jusqu'à ce que le CEPMB ait déterminé les répercussions de la première phase et que l'incidence des nouveaux critères économiques ait été évaluée minutieusement par un tiers indépendant.

Comme certaines de ces questions n'ont pas été abordées dans les lignes directrices provisoires de juin 2020, cette recommandation demeure valable et revêt un caractère encore plus urgent aujourd'hui. Si le gouvernement du Canada tient réellement à réduire le prix des médicaments, il devrait mettre en œuvre cette initiative et faire évaluer les autres mesures par un tiers indépendant.

Incidence sur l'accès

Avant les changements recommandés par le CEPMB, le Canada n'était déjà pas au même niveau que les autres pays développés pour ce qui est de permettre un accès rapide, équitable et financé par l'État à de nouveaux traitements. Au Canada, le délai d'attente entre l'autorisation de mise sur le marché de Santé Canada et le remboursement des médicaments vitaux contre la fibrose kystique par le régime public d'assurance-médicaments était de 449 jours dans les provinces comptant 80 % de la population admissible au régime national public d'assurance-médicaments, ce qui place le Canada au 15^e rang des 20 premiers pays de l'OCDE³. Il est donc impérieux que le Canada se dote d'un processus rapide et équitable pour mettre des médicaments révolutionnaires à la disposition des personnes qui en ont besoin.

D'après Médicaments novateurs Canada, entre 2011 et 2016, les provinces canadiennes ont couvert bien moins de nouveaux médicaments que la plupart des pays comparables de l'OCDE. Dans le meilleur des cas¹, 70 % des médicaments disponibles ont été pris en charge. Toutefois, à l'échelle du pays², ce chiffre tombait à 39 %. Pour les médicaments destinés au traitement des maladies rares, l'écart était encore plus grand : seuls 29 % d'entre eux étaient remboursés par un régime public au Canada, contre un taux impressionnant de 95 % pour les 20 pays de l'OCDE à l'étude.

Pris dans son ensemble, le Canada ne représente que 2 à 2,5 % du marché pharmaceutique mondial. Toutefois, comme indiqué ci-dessus, le Canada n'est pas un marché unique. Fibrose kystique Canada a malheureusement conscience des grandes disparités qui existent dans l'accès aux médicaments spécialisés contre la fibrose kystique entre les différentes provinces canadiennes.

Les médicaments étaient auparavant classés en fonction de leur impact clinique, c'est-à-dire selon qu'ils constituent une découverte ou apportent une amélioration importante, une amélioration modeste ou bien une amélioration minimale ou nulle par rapport aux traitements existants. Les prix maximums étaient déterminés en conséquence. Aux termes du nouveau règlement, les médicaments seront classés dans la catégorie I ou II en fonction de caractéristiques commerciales, telles que l'accessibilité, mesurée par la taille du marché, sans qu'on tienne vraiment compte de l'innovation, à l'exception de ce que laisse supposer la valeur pharmacoéconomique. Il faut toutefois noter que les

¹ Canada (meilleur des cas) = remboursement public dans au moins une liste de remboursement provinciale couvrant au moins 20 % des bénéficiaires couverts par un régime public.

² Canada (à l'échelle du pays) = remboursement public dans plusieurs listes de remboursement provinciales couvrant cumulativement au moins 80 % des bénéficiaires couverts par un régime public.

méthodes fondées sur le rapport coût-efficacité ne fonctionnent guère lorsqu'il s'agit d'évaluer des médicaments destinés au traitement de maladies rares. En effet, les modèles s'appliquent mal aux médicaments rares ou de précision^{4,5,6}, reposent sur une série d'hypothèses et donnent des résultats susceptibles de varier grandement, et ce, même avec des données identiques^{7,8}. Le nouveau règlement ne tient compte ni des médicaments de précision, ni des médicaments contre les maladies rares, ni des autres traitements spécialisés à prix élevé.

Les nouveaux critères économiques sont en grande partie expérimentaux dans la mesure où les méthodes correspondantes n'ont été mises à l'essai nulle part auparavant. Le nouveau règlement introduit un degré d'incertitude élevé pour les sociétés qui envisagent de lancer de nouveaux médicaments innovants et de précision. Or, qui dit incertitude dit risque, et le risque fait peur aux entreprises. Compte tenu de l'incertitude relative aux prix et à la capacité même d'accéder à l'ensemble du marché canadien, il y a fort à parier⁹ que les entreprises repousseront le lancement de nouveaux médicaments au Canada ou ne chercheront même pas à les y commercialiser. Cela se produit déjà dans le cas de la fibrose kystique. Les Canadiens ne devraient pas pâtir de processus expérimentaux susceptibles de nuire à leur santé sans que soit menée une vérification raisonnable, indépendante et appropriée.

RECOMMANDATION N° 2 :

Dans le but de rendre les médicaments innovants plus accessibles aux Canadiens qui en ont besoin maintenant, Fibrose kystique Canada demande au CEPMB de remplacer immédiatement la date limite d'*approbation* appliquée par Santé Canada aux médicaments de transition par une date limite de *demande*. Ainsi, les fabricants auraient jusqu'au 2 janvier 2021 pour *demander* un numéro d'identification du médicament (DIN), plutôt que pour *obtenir* un DIN.

RECOMMANDATION N° 3 :

Fibrose kystique Canada recommande qu'il soit confié à un tiers indépendant la tâche d'évaluer l'incidence des nouveaux critères économiques sur la disponibilité des médicaments au Canada dans le but précis de déterminer si, quand et comment il convient d'appliquer les nouveaux critères économiques aux médicaments innovants, de précision et onéreux. Tant que ce travail n'aura pas été mené et que l'utilité de ces mesures n'aura pas été démontrée, il convient de n'adopter aucune mesure de ce type.

Fibrose kystique Canada a demandé que cette initiative soit entreprise dans ses observations du 14 février 2020 concernant les lignes directrices provisoires. Cette recommandation reste en suspens jusqu'à ce qu'un tiers soit nommé et mène à bien son évaluation.

Contribution des intervenants

Fibrose kystique Canada sait gré au CEPMB d'avoir tenté de consulter les patients. Cependant, ces efforts se sont avérés insuffisants et n'ont pas porté leurs fruits. Compte tenu de la complexité et du caractère technique des lignes directrices, de nombreux patients et groupes de patients ont toujours du mal à comprendre pleinement les répercussions que ces changements auront sur l'accès aux médicaments brevetés et, au bout du compte, sur leur santé.

Selon ses propres mots, « 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 intervenants¹⁰ ».

Le CEPMB fondera ses décisions sur des sources de données administratives, commerciales et internes, mais il n'a pas indiqué comment il se tiendra à l'écoute des patients et des organisations de patients, ni précisé qu'il utilisera les riches données disponibles auprès d'organismes comme Fibrose kystique Canada pour mesurer les effets des lignes directrices.

Le CEPMB n'a toujours pas contacté Fibrose kystique Canada, qui possède pourtant l'un des meilleurs et des plus anciens registres de données sur les patients atteints de fibrose kystique au monde, afin de s'appuyer sur ces données pour démontrer l'utilité de l'accès à des médicaments innovants contre la fibrose kystique. Fibrose kystique Canada se tient prêt à travailler en partenariat sur cette question.

RECOMMANDATION N° 4 :

Fibrose kystique Canada invite le gouvernement fédéral à exiger du CEPMB qu'il établisse sans délai, de concert avec les autres organismes compétents, un mécanisme officiel destiné à faire participer de manière significative et continue les représentants des patients à ses processus décisionnels et à ses travaux, afin que les patients aient la possibilité de faire entendre leur voix, d'exprimer leurs préférences et d'être adéquatement représentés¹¹.

À notre connaissance, aucun mécanisme officiel, efficace et continu de concertation des représentants des patients n'a été établi depuis que nous avons formulé cette recommandation dans notre mémoire de février 2020. Cette recommandation n'a pas été suivie d'effet. Pourtant, il existe de nombreux exemples de dispositifs de concertation en vue de la prise de décisions concernant l'accès aux médicaments. Des organismes comme l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) et le Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux (PPEA) comptent des comités consultatifs de patients. Rien ne peut justifier que le CEPMB s'abstienne d'associer étroitement les patients alors même que de nombreux autres pays et régions s'y emploient. Compte tenu de l'importance de ses travaux pour la santé des patients, il est essentiel que le CEPMB accorde à ces derniers une véritable voix au chapitre.

Pour obtenir de plus amples renseignements, veuillez communiquer avec :

John Wallenburg, Ph. D.
Directeur en chef des activités scientifiques / Chief Scientific Officer
Fibrose kystique Canada / Cystic Fibrosis Canada
2323, rue Yonge, bureau 800
Toronto (Ontario) M4P 2C9
Téléphone : 416 485-9149
Courriel : jwallenburg@cysticfibrosis.ca

Bibliographie :

1. Middleton, P. G. et coll. « Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor for Cystic Fibrosis with a Single Phe508del Allele », *The New England Journal of Medicine*, vol. **381**, p. 1809-1819 (2019).
2. Heijerman, H. G. M. et coll. « Efficacy and safety of the elexacaftor plus tezacaftor plus ivacaftor combination regimen in people with cystic fibrosis homozygous for the F508del mutation: a double-blind, randomised, phase 3 trial », *Lancet*, vol. **394**, p. 940-1948 (2019).
3. Millson, B., Thiele, S., Zhang, Y., Dobson-Belaire, W. et Skinner, B. *L'accès aux nouveaux médicaments dans les régimes publics d'assurance médicaments : au Canada et dans des pays comparables*, innovativemedicines.ca, Médicaments novateurs Canada (2016).
4. Pettitt, D. A. et coll. « The Limitations of QALY: A Literature Review », *Journal of Stem Cell Research & Therapy*, vol. **6**, p. 1-7 (2016).
5. Pearson, I., Rothwell, B., Olaye, A. et Knight, C. « Economic Modeling Considerations for Rare Diseases », *Value in Health*, vol. **21**, p. 515-524 (2018).
6. Hyry, H. I., Stern, A. D., Cox, T. M. et Roos, J. C. P. « Limits on use of health economic assessments for rare diseases », *QJM*, vol. **107**, p. 241-245 (2014).
7. Rawson, N. S. et Lawrence, D. « Nouvelle réglementation sur les médicaments brevetés au Canada : Étude de cas mise à jour sur le processus décisionnel d'un fabricant au sujet d'une demande d'approbation d'un traitement pour une maladie rare », *Canadian Health Policy*, p. 1-21 (2020).
8. McGregor, M. « Cost-utility analysis: use QALYs only with great caution », *Canadian Medical Association Journal/Journal de l'Association médicale canadienne*, vol. **168**, p. 433-434 (2003).
9. Research Etc. *Impact of PMPRB Pricing Changes*, <https://lifesciencesontario.ca> (2020). Accessible à partir de l'adresse <https://mailchi.mp/868042ab030d/new-federal-drug-pricing-rules-already-delaying-product-launches-and-costing-jobs-survey-reveals?e=3c854e7495>, consulté le 10 février 2020.
10. Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés. *Consultation sur les Lignes directrices provisoires du CEPMB 2019*, p. 1-18 (2019).
11. Cote, C. *Submission to PMPRB Draft Guidelines Consultation*, p. 1-8, Coalition canadienne des organismes de bienfaisance en santé (2020).