

# Mémoire : Consultations prébudgétaires en vue du budget fédéral de 2023



Soumis par : Kelly Grover, présidente et chef de la  
direction

Date de soumission : 10 février 2023

## **Résumé des recommandations**

- 1) Mettre en œuvre la stratégie nationale sur les médicaments pour le traitement des maladies rares qui a été promise dans le budget de 2019.
- 2) Réduire les obstacles réglementaires à l'innovation pharmaceutique et à l'accès aux médicaments.
- 3) Adopter rapidement le Projet de loi C-22 et établir sans tarder la Prestation canadienne pour les personnes handicapées avec des critères d'admissibilité qui tiennent compte des déficiences chroniques, intermittentes et progressives.
- 4) Demander au Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) de procéder à des examens de prix en vertu du cadre réglementaire et des lignes directrices en vigueur jusqu'à l'adoption de nouvelles lignes directrices qui assurent une plus grande certitude sur le marché.

## Introduction

La fibrose kystique affecte les personnes qui en sont atteintes et leurs familles à plusieurs niveaux. Leur sommeil est moins réparateur, car il est interrompu par des quintes de toux. Ils doivent attendre d'avoir terminé leurs routines quotidiennes de traitements et de physiothérapie avant de passer du temps avec leurs proches. Leurs études et leur travail sont interrompus par des infections et des séjours à l'hôpital. La dynamique familiale peut être mise à mal par le stress lié à la gestion de cette maladie chronique. Leurs rêves d'avenir sont assombris par les lourdes réalités d'une maladie rare et mortelle.

Mais il y a de l'espoir. Il existe des médicaments très efficaces qui traitent l'anomalie de base de la fibrose kystique, plutôt que les symptômes seuls, et qui améliorent considérablement les résultats sur la santé et la qualité de vie de nombreuses personnes atteintes de fibrose kystique. Ces traitements offrent une nouvelle réalité aux personnes touchées par cette maladie.

Cependant, il faut un accès plus abordable et plus rapide aux médicaments et des mesures de soutien aux personnes handicapées plus inclusives si l'on veut que tous les Canadiens atteints de fibrose kystique puissent avoir accès aux traitements recommandés par leurs médecins. À ces fins, nous demandons aux parlementaires et au gouvernement du Canada de mettre en œuvre les recommandations suivantes.

### **Première recommandation : Mettre en œuvre la stratégie nationale sur les médicaments pour le traitement des maladies rares qui a été promise dans le budget de 2019.**

La fibrose kystique est une maladie rare. Les Canadiens atteints de maladies rares ont besoin d'une stratégie pour s'assurer qu'ils disposent des médicaments dont ils ont besoin en temps opportun et à un prix abordable. La mosaïque de programmes d'accès aux médicaments du Canada est défailante et laisse de côté les Canadiens atteints de maladies rares, dont la fibrose kystique. Il y a de grandes incohérences dans la couverture accordée par chaque province, des franchises et des quotes-parts inabordables et, dans certaines provinces, de longs délais d'attente pour avoir accès aux médicaments.

Le Canada fait figure d'exception par rapport aux pays comparables, qui ont mis en œuvre de telles stratégies il y a plusieurs années déjà. Le 4 janvier 2023 marquait le 40<sup>e</sup> anniversaire de la [Orphan Drug Act](#) de la Food and Drug Agency des États-Unis. Cette loi « a incité les sociétés pharmaceutiques à consacrer plus de ressources à la recherche, au développement et à la distribution d'agents thérapeutiques pour les personnes atteintes de maladies rares, qui jusque-là avaient été rendues "orphelines" par la communauté médicale et scientifique ».<sup>1</sup> Cette loi a joué un rôle déterminant dans l'innovation et l'accès. Pendant ce temps, les Canadiens atteints de maladies rares demeurent orphelins. Cela doit changer maintenant.

Les personnes atteintes de fibrose kystique, une maladie évolutive et mortelle, et l'ensemble de la communauté FK ont dû faire des démarches énergiques à chaque étape pour avoir accès à de nouveaux traitements importants, notamment Trikafta, qui peut changer leur vie.

Trikafta peut améliorer considérablement la vie d'un patient. Par exemple, Trikafta peut aider environ 90 % de la population atteinte de FK au Canada, réduisant les exacerbations et les hospitalisations. Une étude canadienne réalisée en 2020 a révélé que l'introduction rapide de Trikafta entraînerait d'ici 2030 une amélioration de la santé de nombreux patients et une augmentation de 9,2 ans de l'âge médian de survie estimé d'un enfant qui naît avec la FK.<sup>ii</sup>

Malgré cela, il a fallu deux ans d'efforts considérables de plaidoyer aux niveaux fédéral, provincial et territorial pour obtenir l'accès public à Trikafta pour les personnes âgées de 12 ans et plus, puis pour les personnes âgées de 6 à 11 ans. Bien que cette attente soit beaucoup trop longue pour les personnes atteintes d'une maladie mortelle, cela est considéré comme rapide par rapport à d'autres médicaments contre les maladies rares.

En outre, de nombreuses personnes qui ont essayé d'obtenir ce médicament se sont heurtées à des problèmes d'accès, notamment des délais de traitement et d'inscription sur les listes de médicaments, des franchises et des primes d'assurance élevées, et une coordination complexe des prestations entre les régimes privés et publics. Les Canadiens atteints de maladies rares ne devraient pas avoir à payer pour des médicaments qui peuvent leur sauver la vie ou leur offrir l'avenir dont ils rêvent.

Une étude comparative internationale<sup>iii</sup> sur le remboursement en vertu d'un régime public des médicaments orphelins dans les provinces canadiennes comparativement aux pays de l'Europe a révélé ce qui suit :

*L'Agence européenne des médicaments (EMA) a accordé le statut de médicament orphelin à 63 traitements approuvés. Cinquante-trois (84 %) de ces médicaments avaient également été soumis pour approbation à la Food and Drug Agency (FDA), et 41 (65 %) à Santé Canada. En Europe, l'Allemagne, le Danemark et le Royaume-Uni affichaient le plus haut pourcentage de médicaments orphelins remboursés par l'État (84 %, 70 %, 68 %, respectivement).*

*En comparaison, l'Ontario (32 %), le Québec (25 %) et l'Alberta (25 %) affichaient le pourcentage le plus élevé de médicaments remboursés parmi les provinces canadiennes. La période médiane la plus courte (en mois) entre l'approbation par l'EMA et la décision juridictionnelle de remboursement était en Autriche (3,2), suivie de l'Allemagne (4,1) et de la Finlande (6,0). Au Canada, la période médiane la plus courte (en mois) entre l'approbation réglementaire et le remboursement était en Colombie-Britannique (17,3), au Québec (19,6) et au Manitoba (19,6), tandis que la période la plus longue était à l'Île-du-Prince-Édouard (38,5), suivie de la Nouvelle-Écosse (25,9) et de Terre-Neuve (25,1).*

Le Canada se doit de faire mieux. Le gouvernement du Canada doit mettre en œuvre la [stratégie nationale sur les médicaments pour le traitement des maladies rares](#) qui a été promise dans le [budget fédéral de 2019](#).

*« ... aider les Canadiens atteints d'une maladie rare à accéder aux médicaments dont ils ont besoin, le gouvernement propose, dans le budget de 2019, d'investir 1 milliard de dollars sur deux ans, à compter de 2022-2023, et jusqu'à 500 millions de dollars par année par la suite ».*

En février 2019, le Comité permanent de la santé (CPS) a publié un [rapport](#) sur les obstacles auxquels se heurtent les Canadiens atteints de maladies rares pour avoir accès aux traitements et sur la façon dont les gouvernements fédéral, provinciaux et territoriaux pourraient travailler ensemble pour éliminer ces obstacles. Ce rapport recommandait ce qui suit :

- Que le gouvernement du Canada, en collaboration avec les provinces et les territoires, mette sur pied un processus conjoint pour autoriser la mise en marché et le remboursement des médicaments destinés au traitement des maladies rares.
- Que Santé Canada et l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé lancent en même temps leurs processus respectifs d'évaluation scientifique des médicaments contre les maladies rares, et en fassent une pratique courante.
- Qu'on intègre le remboursement des médicaments destinés au traitement des maladies rares au programme national d'assurance-médicaments créé par le gouvernement du Canada, en collaboration avec les provinces et les territoires, et ce, en modifiant la *Loi canadienne sur la santé* conformément à la recommandation du Comité permanent de la santé de la Chambre des communes dans son rapport intitulé [Un régime d'assurance-médicaments universel pour tous les Canadiens : une nécessité](#).

Nous voilà maintenant en février 2023 et nous sommes toujours sans cadre réglementaire, sans financement et sans marche à suivre. Le gouvernement fédéral doit donner suite à son engagement de mettre en œuvre dès maintenant une stratégie sur les médicaments contre les maladies rares. Et surtout, cette stratégie doit améliorer l'accès aux médicaments contre les maladies rares. Il doit s'agir d'une approche concertée et viable, avec des rôles définis pour les payeurs publics et privés, tout en rationalisant les processus d'examen des médicaments et en réduisant le chevauchement des efforts, afin d'accélérer l'accès aux médicaments contre les maladies rares. Enfin, la stratégie devrait favoriser la recherche et l'innovation et encourager les sociétés pharmaceutiques à introduire leurs médicaments contre les maladies rares au Canada, un peu comme l'ont fait les pays comparables, notamment la [Orphan Drug Act](#) des États-Unis.

## Deuxième recommandation : Réduire les obstacles réglementaires à l'innovation pharmaceutique et à l'accès aux médicaments.

Au Canada, le système de réglementation des médicaments est désuet et n'est pas conçu pour évaluer les médicaments contre les maladies rares. Dans le cadre de son [programme d'innovation de la réglementation](#), Santé Canada a ouvert un processus de [consultation](#) sur le projet de règlement agile et des lignes directrices pour l'homologation des médicaments et des instruments médicaux.

Les modifications proposées au Règlement sur les aliments et drogues et au Règlement sur les instruments médicaux visent à :

- réduire les problèmes de réglementation et les obstacles à l'innovation;
- rendre le système de réglementation fondé sur des données scientifiques du Canada plus agile et mieux harmonisé à l'échelle internationale.

Les modifications proposées et les documents d'orientation visent à :

- améliorer les [pratiques](#) de gestion des risques, y compris l'évaluation continue des risques, des avantages et des incertitudes;
- accélérer l'accès au sein du marché canadien grâce à des [examens](#) en continu pour les présentations de médicaments, permettant ainsi aux fabricants de fournir des renseignements précis après qu'un médicament ait été présenté;
- recruter des participants représentatifs dans le cadre d'essais cliniques afin que la population qui utilisera le médicament soit adéquatement représentée. Ainsi, on s'assurera que les [données](#) recueillies dans le cadre des essais cliniques sont utilisées pour évaluer l'innocuité et l'efficacité auprès de diverses populations;
- garantir un accès continu et rapide à des [médicaments](#) d'urgence en santé publique sûrs et efficaces.

Cette liste n'est pas exhaustive. Certains objectifs peuvent créer de nouveaux obstacles ou exacerber les obstacles existants à l'accès. Par exemple, il est primordial d'assurer la diversité des essais cliniques pour améliorer l'accès aux médicaments pour les populations mal desservies. Cependant, ces populations sont souvent difficiles à rejoindre, notamment dans les communautés de maladies rares. Le gouvernement du Canada doit collaborer avec les intervenants afin d'accroître la capacité en matière d'essais cliniques et d'améliorer l'inclusion de populations rares et diversifiées.

D'autre part, certains objectifs sont nécessaires pour appuyer la mise en œuvre d'une stratégie sur les médicaments contre les maladies rares. Il convient de noter que de nouveaux risques ou incertitudes quant à l'innocuité, à l'efficacité ou à la qualité d'un médicament pour les indications autorisées peuvent être identifiés par :

- des évaluations de données concrètes après l'autorisation de commercialisation; ou
- de nouvelles données probantes tirées d'études et de rapports.

L'utilisation de données probantes pour évaluer l'impact d'un médicament est cruciale pour améliorer l'accès pour les petites populations de personnes atteintes de maladies rares pour lesquelles des essais cliniques à grande échelle ne sont pas possibles. Dans ses documents de consultation sur le règlement agile, Santé Canada reconnaît que :

*Le marché a évolué pour comprendre des thérapies plus complexes et personnalisées. Notre système de réglementation doit également évoluer pour veiller à ce que la population ait accès aux médicaments dont elle a besoin.*

Le projet de règlement permettra également aux « examens de médicaments précis qui répondent à des besoins non comblés afin de recourir à l'autorisation d'un organisme de réglementation étranger de confiance » et l'harmonisation avec les organismes de réglementation internationaux. Ces deux mesures pourraient contribuer à accélérer l'accès aux médicaments contre les maladies rares.

Cependant, l'utilisation de données de laboratoire pour éclairer la prise de décisions au niveau réglementaire a été exclue. Cela laisse les Canadiens pour compte à un moment où d'autres pays utilisent des technologies révolutionnaires pour permettre l'accès aux modulateurs de la FK aux personnes qui présentent des mutations plus rares et ultra-rares et pour qui aucun essai clinique n'a été réalisé. La National Health Services (NHS) du Royaume-Uni, la Federal Drug Agency (FDA) des États-Unis et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (L'ANSM) de la France ont tous utilisé des données de laboratoire pour élargir l'accès aux personnes présentant des mutations rares qui peuvent être traitées avec Trikafta.

Le Programme de thérapie individualisée de la fibrose kystique (PTIFK), un partenariat entre Fibrose kystique Canada et The Hospital for Sick Children, est bien placé pour améliorer l'accès pour les personnes présentant des mutations rares. Pour élargir l'accès aux médicaments de précision, Santé Canada doit créer une mesure dans son projet de règlement agile et ses documents d'orientation pertinents pour que les données de grande qualité de laboratoire puissent servir à éclairer la prise de décisions.

Le ministère israélien de la Santé a eu recours aux données du PTIFK et des données sur les organoïdes pour accorder un accès à court terme à Trikafta en dérogation des directives sur l'étiquette aux personnes présentant une mutation rare, bien qu'aucun essai clinique n'ait été réalisé pour ce groupe de personnes. Le fait que des données de laboratoire canadiennes aient été utilisées pour éclairer la prise de décisions par un ministère des Affaires étrangères, mais qu'elles ne soient pas retenues ici même au Canada, démontre l'absurdité de nos pratiques actuelles en matière de données probantes.

**Troisième recommandation : Demander au Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) de procéder à des examens de prix en vertu du cadre réglementaire et des lignes directrices en vigueur jusqu'à l'adoption de nouvelles lignes directrices qui assurent une plus grande certitude sur le marché.**

En 2019, le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) a proposé des changements drastiques dans la manière dont il détermine les prix excessifs des médicaments. De nombreux intervenants s'y sont opposés et ont exprimé de sérieuses inquiétudes quant à certains changements proposés. Après de multiples décisions des tribunaux, certains des changements proposés ont été déclarés inconstitutionnels. Ainsi, la portée des changements proposés a été considérablement réduite.

En juin 2022, le directeur parlementaire du budget (DPB) a publié un [rapport](#) [disponible en anglais seulement] qui soulignait ce que les communautés de patients disent depuis des années :

*... Si leur prix est inférieur, les nouveaux médicaments novateurs pourraient ne pas être accessibles rapidement à la population canadienne... Canada doit inévitablement trouver un équilibre entre l'intérêt des consommateurs qui finissent par payer pour des produits pharmaceutiques, et l'obligation de contribuer au financement de la R-D et d'encourager la mise au point de produits futurs.<sup>iv</sup>*

En août 2022, le CEPMB a mis en œuvre des directives provisoires qui prévoyaient de ne pas effectuer d'examen du prix de tout nouveau médicament breveté jusqu'à ce que de nouvelles lignes directrices soient mises en œuvre. De nouvelles directives devaient être mises en œuvre le 1<sup>er</sup> janvier 2023, mais cette mise en œuvre a été reportée jusqu'à nouvel ordre.

Tout cela crée de l'incertitude quant au contexte réglementaire et de remboursement au Canada, ce qui a une incidence sur l'accès aux médicaments novateurs. Comme les fabricants sont moins susceptibles de lancer des produits novateurs sur des marchés d'incertitude, le CEPMB devrait procéder à l'examen des prix en vertu du cadre réglementaire et des directives actuelles jusqu'à ce que de nouvelles directives soient adoptées. Nous savons très bien que l'incertitude coûte aux Canadiens leur santé et, dans certains cas, leur vie.

Le CEPMB a tenu de nombreuses consultations avec des intervenants, y compris les communautés de patients, mais jusqu'à présent très peu des commentaires partagés semblent avoir été considérés dans les plus récentes versions des directives. Le CEPMB se doit d'écouter les intervenants et de travailler avec nous pour trouver rapidement une nouvelle façon d'aller de l'avant.



**Quatrième recommandation : Adopter rapidement le Projet de loi C-22 et établir sans tarder la Prestation canadienne pour les personnes handicapées avec des critères d'admissibilité qui tiennent compte des déficiences chroniques, intermittentes et progressives.**

Près d'un Canadien handicapé sur cinq vit dans la pauvreté, et un plus grand nombre encore risque de tomber sous le seuil de pauvreté.<sup>v</sup> La myriade de programmes canadiens de soutien aux personnes handicapées ne fournit pas de niveaux adéquats ni équitables de soutien financier. Pour aider à résoudre ce problème, le [Projet de loi C-22](#), *Loi sur la prestation canadienne pour les personnes handicapées*, vise une prestation canadienne pour les personnes handicapées (PCPH) pour les Canadiens handicapés admissibles qui sont en âge de travailler.

Bien que nous appuyions la mise en œuvre de la PCPH, elle ne suffira pas à elle seule à sortir les Canadiens handicapés de la pauvreté. La mesure selon laquelle la PCPH aidera ou non les Canadiens handicapés dépend de l'endroit où ils vivent, du fait qu'ils reçoivent ou non une prestation de soutien en vertu d'un programme public provincial ou territorial d'aide aux personnes handicapées et de la façon dont ces mesures de soutien s'appliquent parallèlement.

Un [rapport](#) récemment publié démontre l'état désastreux du système de soutien actuel pour les personnes handicapées au Canada :

*Peu importe la province qu'elles habitent, le revenu d'aide sociale des personnes seules et handicapées n'atteint pas le seuil de pauvreté officiel. De plus, les ménages de huit des dix provinces sont en deçà du seuil de pauvreté monétaire profonde. **L'écart de revenu pour atteindre le seuil de pauvreté officiel varie de 4 700 \$ à 14 700 \$, selon la province.***<sup>vi</sup>

La PCPH est conçue pour résoudre les problèmes d'équité dans l'ensemble des administrations, mais la valeur du soutien accordé est inférieure à ce dont les Canadiens handicapés ont besoin pour vivre au-dessus du seuil de pauvreté, et ne reflète pas non plus les coûts supplémentaires associés au fait de vivre avec un handicap. Nos gouvernements doivent travailler ensemble pour relever ces défis.

Dans l'ensemble, la Prestation canadienne pour les personnes handicapées est un pas dans la bonne direction qui aura une incidence sur la vie de plusieurs. Pour maximiser l'accès à la PCPH, le gouvernement du Canada doit s'assurer qu'il adopte une définition inclusive du handicap, telle que celle légiférée dans la [Loi canadienne sur l'accessibilité](#):

*...Déficience notamment physique, intellectuelle, cognitive, mentale ou sensorielle, trouble d'apprentissage ou de la communication ou limitation fonctionnelle, de nature permanente, temporaire ou épisodique, manifeste ou non et dont l'interaction avec un obstacle nuit à la participation pleine et égale d'une personne dans la société.*

Cette définition est plus inclusive que celle du [Crédit](#) d'impôt pour personnes handicapées (CIPH), un « gardien » de l'accès à la plupart des programmes fédéraux, provinciaux et territoriaux de soutien aux personnes handicapées. La définition du CIPH ne tient pas compte des périodes d'invalidité grave épisodiques associées à la fibrose kystique et d'autres affections qui peuvent toucher les gens de façon intermittente. L'application universelle de la définition de la Loi canadienne sur l'accessibilité aidera à harmoniser tous nos programmes de soutien aux personnes handicapées et à mieux servir les Canadiens handicapés.

### **À propos de la fibrose kystique et de Fibrose kystique Canada**

La fibrose kystique (FK) est la maladie génétique mortelle la plus répandue et touche plus de 4 332 enfants et jeunes adultes canadiens. Il n'existe aucun traitement curatif. Parmi les Canadiens qui ont succombé à la FK depuis les cinq dernières années, la moitié avaient moins de 37 ans. La fibrose kystique est une maladie multisystémique progressive et dégénérative qui touche principalement les poumons et l'appareil digestif. En plus des effets physiques de la maladie, de plus en plus de personnes fibro-kystiques font face à des problèmes de santé mentale, l'anxiété et la dépression étant courantes au sein de cette population. La transplantation pulmonaire bilatérale est la dernière option pour les patients en phase terminale de la maladie; la plupart des décès attribuables à la FK sont causés par la maladie pulmonaire.

Fibrose kystique Canada a complètement révolutionné l'histoire de la fibrose kystique. Nos avancées en recherche et en soins ont plus que doublé l'espérance de vie. Fondé par des parents en 1960, Fibrose kystique Canada est devenu un leader quant à l'engagement des personnes touchées par la maladie : celles atteintes de la maladie, les parents, les proches aidants, les bénévoles, les chercheurs et les professionnels de la santé, les gouvernements et les donateurs. Tous ensemble nous allons toujours plus loin pour les 4 332 enfants et adultes canadiens fibro-kystiques grâce aux traitements, à la recherche et à notre service d'information et de soutien. Malgré les progrès remarquables, notre travail n'est pas terminé. Nous nous engageons à ne pas nous arrêter et à aller toujours plus loin, jusqu'à ce que les personnes atteintes de fibrose kystique puissent profiter pleinement de tout ce que la vie offre de merveilleux. Pour en savoir plus, consultez le site [www.fibrosekystique.ca](http://www.fibrosekystique.ca).

---

<sup>i</sup> *The Orphan Drug Act Turns 40: NORD Celebrates Its Impact on Rare Diseases*. National Organization for Rare Diseases (NORD). 4 janvier 2023

<sup>ii</sup> *Projecting the impact of delayed access to elxacaftor/tezacaftor/ivacaftor for people with Cystic Fibrosis*. Journal of Cystic Fibrosis. 24 août 2020. Stanojevic S, Vukovojac K, Sykes J, Ratjen F, Tullis E, Stephenson *et al*.

<sup>iii</sup> *An international comparative analysis of public reimbursement of orphan drugs in Canadian provinces compared to European countries*. Orphanet J Rare Dis 17. 4 mars 2022. Ward, L.M., Chambers, A., Mechichi, E. *et al*.

<sup>iv</sup> *Canadian patented drug prices: gauging the change in reference countries*. Office of the Parliamentary Budget Officer. 14 juin 2022

<sup>v</sup> Canada. Statistique Canada. « Le Quotidien - Enquête canadienne sur l'incapacité, 2017 », 28 novembre 2018.

<sup>vi</sup> *Advancing the Canada disability benefit quickly to meaningfully support working age adults with disabilities*. [Maytree Foundation](#). 15 novembre 2022