



POUR UN MEILLEUR ACCÈS AUX TRAITEMENTS POUR LES MALADIES RARES : UNE QUESTION D'ÉQUITÉ

Il y a iniquité entre les personnes atteintes de maladies rares et les personnes atteintes de maladies communes dans notre système de santé.

Les Québécois et Québécoises atteints de maladies rares sont désavantagés de plusieurs façons :

- Il y a très peu de médicaments ou de traitements spécifiques pour leurs maladies;
- Lorsqu'il en existe, beaucoup ne sont pas disponibles au Canada.
- Lorsque certains sont approuvés par Santé Canada, un bon nombre ne sont pas remboursés par notre Régime général d'assurance médicament (RGAM) ou ne sont pas inclus dans la liste des médicaments d'hôpitaux soit à cause de la façon inadéquate de les évaluer soit à cause du prix.

Il y a iniquité entre les individus atteints de maladies rares différentes ou des mêmes maladies rares.

Certains Québécois et Québécoises atteints de maladies rares réussissent néanmoins à avoir accès à leurs traitements :

- au Québec, il y a le programme de « patients d'exception » par lequel le médecin traitant peut demander l'autorisation à la Régie de l'assurance-maladie (RAMQ) de traiter son patient avec un médicament non inscrit sur la liste. Cela est donc du cas par cas. Qu'arrive-t-il aux patients pour lesquels le médecin ne fait pas la demande ou pour lesquels la demande est refusée?
- Des patients dans certains hôpitaux ou dans certaines régions géographiques obtiennent leur traitement et d'autres pas, car la décision de le payer peut être prise par l'hôpital ou l'Agence de santé et de services sociaux. L'accès peut donc dépendre du code postal.
- Certains groupes de patients atteints d'une maladie rare ont accès à leur médicament par différents mécanismes ou structures même s'il n'a pas été évalué par le Conseil du médicament/INESSS (Institut national d'excellence en santé et en services sociaux) ou si l'évaluation a été négative : par exemple, le Programme national de traitement de la maladie de Gaucher, l'Initiative canadienne de la maladie de Fabry avec son centre de traitement à l'Hôpital Sacré-Cœur, le centre de traitement de la tyrosinémie, etc.
- Certains patients ont accès à leur médicament grâce à leur assurance-médicament privée même si le médicament n'est pas sur la liste des médicaments remboursés par le régime public.

- Enfin, comme dernier recours, certains parents d'enfants atteints d'une maladie rare ont fait des appels publics dans les médias et ont réussi à obtenir l'accès au traitement pour leur enfant.

Il faut trouver des solutions pour que les Québécois et Québécoises atteints de maladies rares soient traités de façon équitable dans notre système de santé, particulièrement en ce qui concerne l'accès à leurs traitements.

La rareté ne peut être une raison pour une moins grande accessibilité à des traitements disponibles pour une partie de la population des malades québécois. Il faut envisager des approches nouvelles dans l'évaluation des médicaments ou d'autres types de thérapies et dans la répartition du coût lié à leur remboursement qui permettent un accès équitable et raisonnable pour les personnes atteintes de maladies rares. Le gouvernement appuie et vante les initiatives menant à des approches thérapeutiques innovatrices, particulièrement les soins de santé personnalisés, mais les personnes aux prises avec des maladies rares en bénéficient peu.

Le gouvernement du Québec doit considérer une politique générale et novatrice d'achat de médicaments pour les maladies rares. Il doit suivre l'exemple des pays qui étudient la question du coût des médicaments pour les maladies rares de façon globale et non pas cas par cas. Il faut prendre en considération les aspects éthiques et sociétaux, afin que les personnes atteintes de maladies rares puissent bénéficier d'une juste distribution des ressources¹.

Des statistiques et des faits

Au Québec, les personnes atteintes de maladies rares font face à des obstacles à plusieurs niveaux quant à l'accès aux médicaments orphelins :

- Disponibilité :

Il n'y a qu'environ 250 médicaments orphelins pour 400 maladies différentes sur un total de 7 000 maladies rares :

- seulement un peu plus de la moitié de ces 250 médicaments orphelins a été approuvé par Santé Canada (~126), alors qu'ils sont autorisés pour le marché ailleurs dans le monde (généralement parce que le fabricant n'a pas fait la demande d'autorisation au Canada);
- au Québec, seulement un peu plus de la moitié de ces derniers (~75) ont été évalués pour remboursement par le régime d'assurance médicament public;
- des 54 médicaments approuvés pour remboursement au Québec, deux tiers le sont avec des critères d'exception (par exemple, seulement pour une certaine maladie ou pour une sous-population de patients). (*analyse faite en novembre 2013; voir schéma en annexe*)²

- Évaluation de la valeur thérapeutique par le Conseil du médicament/INESSS du Québec pour fins d'inscription sur les listes de médicaments. La méthodologie actuelle ne répond ni aux particularités des maladies rares ni aux limites des essais cliniques³ :

- deux tiers des médicaments évalués par le Conseil du médicament/INESSS ont été refusés sur la base de leur valeur thérapeutique;
- en 2007, dans la Politique du médicament du Québec, une recommandation était inscrite à l'effet qu'il fallait mettre au point un cadre d'évaluation « *qui tiendrait compte des particularités de ces maladies et de ces patients dans une optique de financement par l'intermédiaire du RGAM ou des établissements de santé et de services sociaux.* »⁴

- les Québécois et Québécoises atteints de maladies rares attendent toujours ce cadre d'évaluation spécifique, alors que d'autres provinces nous ont devancés (Ontario, Alberta, Colombie-Britannique et Nouveau Brunswick).
- La preuve de l'ineptie du cadre d'évaluation actuel a été faite l'an passé lorsque le comité scientifique de l'INESSS a affirmé dans son rapport sur un médicament orphelin que les caractéristiques inhérentes à la maladie rare étaient un obstacle à l'évaluation de sa valeur thérapeutique, mais qu'il a néanmoins fait une recommandation négative au ministre de la Santé.⁵
- **Coûts** : malgré les incitatifs financiers offerts par des politiques du médicament orphelin aux compagnies pharmaceutiques, le prix des médicaments orphelins demeure généralement élevé :
 - étant donné le faible nombre de personnes atteintes d'une maladie rare, on estime que les coûts des médicaments orphelins disponibles à ce jour au Canada représenteraient moins de 1 % du budget total des médicaments remboursés;⁶
 - le Québec ne participe pas aux négociations des prix des médicaments avec les compagnies comme le font les autres provinces et il est la seule province qui exige la publication des prix négociés. Par conséquent, le Québec paie plus cher ses médicaments que les autres provinces.

**Le RQMO travaille avec différents intervenants pour améliorer l'accès aux médicaments orphelins pour les personnes atteintes de maladies rares au Québec (patients, associations de patients, médecins et autres professionnels de la santé, compagnies pharmaceutiques, etc.)*

***Le RQMO compte sur l'appui de donateurs privés, publics et corporatifs, incluant des subventions éducatives sans restriction de la part de compagnies pharmaceutiques, ce qui a permis le développement de ce site Web.*

¹ Regroupement québécois des maladies orphelines . Les maladies rares et orphelines, oubliées par le gouvernement - Le RQMO demande au ministre Réjean Hébert la mise en place d'une politique sur les médicaments orphelins. Communiqué de presse, juin 2013. <http://www.newswire.ca/en/story/1180901/les-maladies-rares-et-orphelines-oubliees-par-le-gouvernement-le-rqmo-demande-au-ministre-rejean-hebert-la-mise-en-place-d-une-politique-sur-les-medic>

² Regroupement québécois des maladies orphelines. Pour un meilleur accès aux traitements pour les maladies rares. Une question d'équité. Fiche technique en préparation du dîner-causerie sur l'accès aux traitements pour les maladies rares, 21 février 2014. http://www.rqmo.org/PDF/Document_preparatoire_diner-conference_21_fevrier.pdf

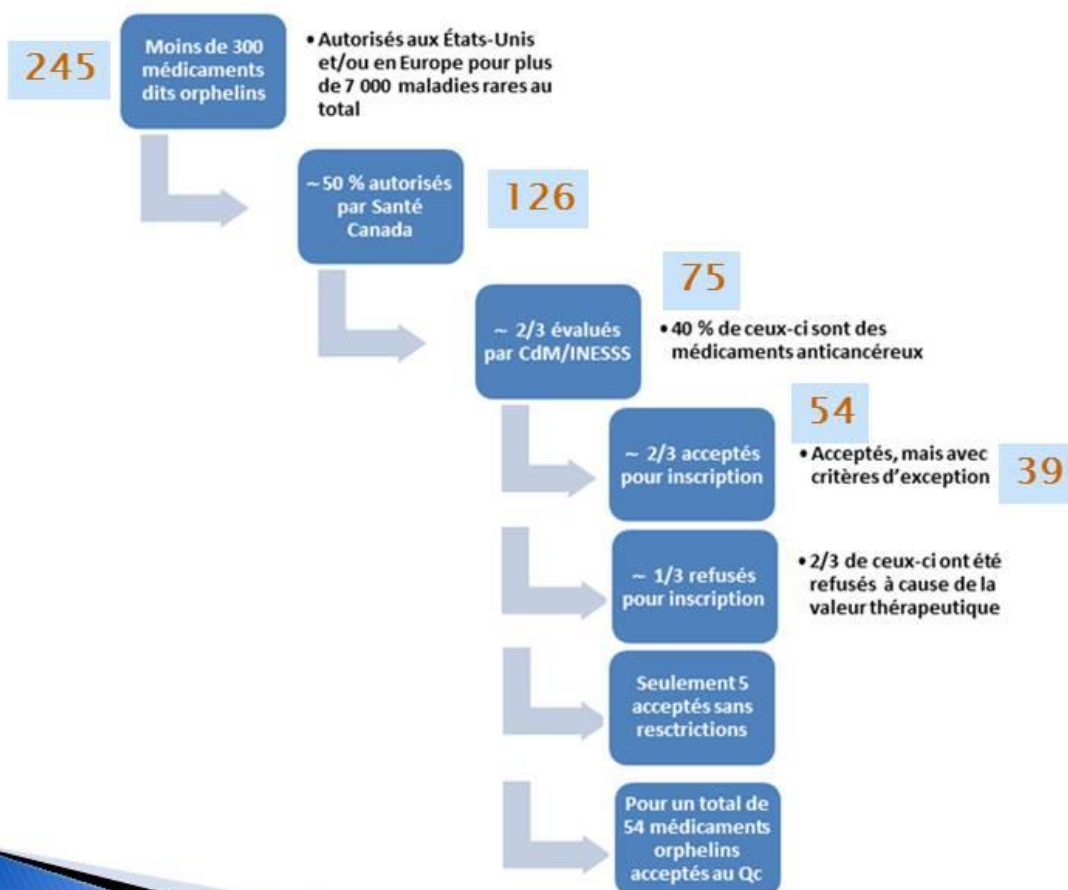
³ INESSS. Processus et critères d'évaluation. <http://www.inesss.qc.ca/activites/evaluation-des-medicaments/processus-et-criteres-devaluation.html>

⁴ Gouvernement du Québec. La Politique du médicament. 2007. https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/DocuAdmin/Lois_Politiques/Politique_medicament.pdf

⁵ Institut national d'excellence en santé et en services sociaux. Extrait de l'avis au ministre sur VPRIV- La maladie de Gaucher type I, juin 2013, [file:///C:/Users/Gail.MININT.624C2FQ/Downloads/vpriv_2013_06_CAV%20\(1\).pdf](file:///C:/Users/Gail.MININT.624C2FQ/Downloads/vpriv_2013_06_CAV%20(1).pdf)

⁶ Priest, Lisa. "National drug policy for rare diseases has fallen between the cracks." The Globe and Mail. April 4, 2011. www.theglobeandmail.com/news/national/time-to-lead/national-drug-policy-for-rare-diseases-has-fallen-between-the-cracks/article575248/

Disponibilité des médicaments orphelins



(novembre 2013)