Maladies rares : le RQMO salue la pérennisation du financement fédéral de 500 millions de dollars par année et appelle à une vision nationale ambitieuse

Montréal, le 18 novembre 2026 – Le Regroupement québécois des maladies orphelines (RQMO) accueille très favorablement l'annonce de la ministre fédérale de la Santé, l'honorable Marjorie Michel, confirmant le maintien sur une base permanente d'un financement annuel de 500 millions de dollars consacré à la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares.

Cette décision, annoncée le 16 octobre dernier lors de la rencontre des ministres fédéral, provinciaux et territoriaux de la Santé à Winnipeg, représente une avancée importante pour les centaines de milliers de personnes vivant avec une maladie rare au Canada, leurs familles et leurs proches aidants.

« La pérennisation de cet investissement constitue un signal politique fort : les maladies rares doivent demeurer une priorité des gouvernements et l'accès aux traitements ne peut dépendre de mesures temporaires ou de cycles budgétaires incertains. Nous saluons cette décision et souhaitons reconnaître le leadership de la ministre Marjorie Michel dans ce dossier. Il s'agit maintenant de transformer cet engagement financier en améliorations concrètes et durables dans la vie des personnes concernées », souligne ***Jonathan Pratt, directeur général du RQMO.***

Une avancée importante, mais qui doit s'inscrire dans une vision plus large

Pour le RQMO, cette annonce doit constituer le point de départ d'une nouvelle étape dans le développement des politiques canadiennes en maladies rares. Si l'accès aux médicaments demeure un enjeu fondamental, les besoins des personnes vivant avec une maladie rare dépassent largement la seule question du remboursement des traitements.

Le RQMO estime que les prochaines orientations de la Stratégie nationale devraient notamment s'articuler autour de quatre priorités :

1. **Assurer un accès équitable et rapide aux traitements.** Il est essentiel de poursuivre les efforts visant à améliorer l'accès aux médicaments orphelins, aux thérapies innovantes, aux thérapies géniques et aux traitements personnalisés. Les personnes vivant avec une maladie rare doivent pouvoir bénéficier des avancées scientifiques en temps opportun, peu importe leur province ou leur territoire de résidence.
2. **Accélérer le diagnostic et améliorer l'accès aux services génétiques.** Le délai diagnostique demeure une réalité difficile pour de nombreuses familles. En effet, l'errance diagnostique impacte directement les personnes touchées au niveau de leur santé mais aussi au niveau administratif, social et financier. Un diagnostic précoce permet notamment de lutter contre l'errance diagnostique en orientant plus rapidement les patients vers les soins appropriés, en évitant certaines complications et, dans plusieurs situations, en permettant d'accéder à des traitements qui peuvent modifier considérablement le parcours de la maladie. Le renforcement de l'accès aux tests génétiques, au dépistage et à l'expertise spécialisée doit donc faire partie intégrante des priorités nationales.
3. **Développer une approche intégrée des soins et des services.** Les personnes vivant avec une maladie rare ont besoin de parcours de soins mieux coordonnés, d'un accès aux équipes multidisciplinaires, de services de proximité et d'un accompagnement adapté à leurs réalités. Les proches aidants et les organismes communautaires (comme les associations de patients) doivent également être reconnus comme des partenaires essentiels du système de santé afin de réduire l'isolement et de permettre un accompagnement soutenu tout au long du parcours de soins des patients.
4. **Soutenir la recherche, l'innovation et la collecte de données.** Le Canada possède une expertise scientifique considérable. Il doit continuer à soutenir la recherche fondamentale et clinique, les essais cliniques, le développement de thérapies innovantes et la création de registres permettant de mieux comprendre les maladies rares et d'évaluer les résultats des interventions.

Le Québec doit également préparer la prochaine étape

Au Québec, cette annonce arrive à un moment charnière, alors que le Plan d'action québécois sur les maladies rares 2023-2027 approche de son échéance. Le RQMO estime que le gouvernement du Québec doit dès maintenant travailler à la continuité et au renouvellement de ses engagements, en s'appuyant sur les investissements fédéraux et sur les acquis de sa Politique québécoise pour les maladies rares.

Il sera également essentiel de clarifier les modalités de renouvellement des ententes bilatérales fédérales-provinciales, dont l'entente Canada-Québec actuelle prend fin le 31 mars 2027. La prévisibilité du financement et la continuité des mesures mises en place sont indispensables pour assurer des progrès durables.

« Nous avons maintenant une occasion importante de bâtir sur les fondations établies au cours des dernières années. Nous souhaitons que les gouvernements fédéral et provinciaux travaillent avec les personnes concernées, les organismes qui les représentent, les professionnels de la santé et les chercheurs afin de développer une véritable vision intégrée des maladies rares. Les patients ne devraient pas avoir à choisir entre obtenir un diagnostic, accéder à un traitement ou bénéficier d'un accompagnement adéquat », affirme ***Casandra Poitras, vice-présidente du RQMO.***

Le RQMO souhaite contribuer activement à la prochaine phase

Le RQMO réitère sa volonté de collaborer avec les gouvernements et les partenaires du réseau de la santé afin que les prochaines orientations nationales répondent aux besoins réels des personnes vivant avec une maladie rare.

La pérennisation des 500 millions de dollars annuels constitue une étape déterminante. Le prochain défi sera de faire de cet engagement le moteur d'une politique nationale cohérente, ambitieuse et centrée sur les patients, où le diagnostic précoce, l'accès aux traitements, la qualité des soins, la recherche et le soutien aux familles seront considérés comme les composantes indissociables d'une même démarche.

Parce que chaque personne vivant avec une maladie rare mérite d'être diagnostiquée, soignée, accompagnée et entendue.



Jonathan Pratt, Ph.D, MBA
Directeur général
Regroupement québécois des maladies orphelines

Casandra Poitras

Casandra Poitras
Vice-Présidente du conseil d'administration
Regroupement québécois des maladies orphelines