Mémoire
sur le document de consultation générale sur la Politique du médicament

présenté à :
La Commission des Affaires sociales

par :

ACTELION

Laval, février 2005
TABLE DES MATIÈRES

1) INTRODUCTION ..................................................................................2
2) ACTELION PHARMACEUTIQUES CANADA INC. ............................3
3) LA PRISE EN CHARGE DES MALADIES ORPHELINES ..................5
4) ACCÈS AUX MÉDICAMENTS ORPHELINS ...................................7
5) CONCLUSION ..................................................................................10

Mémoire sur le document de consultation générale sur la Politique du médicament
AVANT-PROPOS

Actelion Pharmaceutiques Canada inc. tient à remercier la Commission des Affaires sociales pour lui avoir permis de participer à la consultation générale, consultation qui étudiera le projet de Politique du médicament, déposé par le ministre de la Santé et des Services sociaux le 16 décembre dernier.
1) INTRODUCTION

Nous avons bien accueilli la décision du ministre de la Santé et des Services sociaux, M. Philippe Couillard, d’adopter une politique du médicament. Cette politique servira de cadre de référence pour renforcer et améliorer le Régime général d’assurance médicaments (RGAM); régime qui doit assurer un accès équitable des patients aux médicaments innovateurs lorsque leur état de santé le nécessite.

Nous tenons à souligner l’importance du maintien de la règle de 15 ans dont les bénéfices sur l’économie du Québec demeurent supérieurs à ses coûts. Avec cette décision, le gouvernement du Québec démontre sa volonté et son intérêt à protéger de façon compétitive la propriété intellectuelle et à favoriser le dynamisme de l’industrie pharmaceutique, une industrie internationale.

La principale contribution d’Actelion Pharmaceuticals Canada inc. à la consultation générale consiste à apporter certaines informations afin de sensibiliser les membres de la Commission des Affaires sociales aux maladies orphelines et aux rôles de l’État et des autres intervenants dans la prise en charge des personnes qui en souffrent.
2) ACTELION PHARMACEUTIQUES CANADA INC.

Actelion se consacre à la recherche biopharmaceutique, et sa démarche innovatrice a fait de la société l'un des chefs de file mondiaux en matière de recherche sur l'endothélium, la couche interne de tous les vaisseaux du corps qui sécrète une hormone appelée endothéline. La compagnie Actelion Ltée a été fondée en 1997 et a connu une croissance rapide depuis ses origines à Allschwill (Bâle), en Suisse, pour devenir une entreprise biopharmaceutique mondiale dont les effectifs comptent plus de 800 professionnels du domaine pharmaceutique au sein de ses sociétés affiliées en Allemagne, en Autriche, en Australie, au Brésil, au Canada, en Chine, en Espagne, aux États-Unis, en France, en Grèce, en Italie, au Japon, au Royaume-Uni, en Suède et aux Pays-Bas.

Au début de l’an 2001, Actelion Pharmaceutiques Canada inc. a ouvert ses bureaux à Laval (Québec), où elle emploie actuellement 27 personnes.

Actelion continue de centrer ses recherches sur l'endothélium et fait œuvre de pionnier dans ce domaine très prometteur et hautement spécialisé. Actelion se sert maintenant des connaissances scientifiques obtenues lors de ses recherches sur l'endothélium, particulièrement sur les petites molécules, dans le cadre de projets touchant à la cardiologie, à la neurologie et à l’oncologie.

En décembre 2001, Actelion Pharmaceutiques Canada inc. a lancé le premier antagoniste des récepteurs de l'endothéline sous le nom de Tracleer®, administré par voie orale pour traiter une maladie orpheline connue sous le nom d'hypertension artérielle pulmonaire. Le médicament Tracleer fait actuellement l’objet d’études cliniques pour d’autres indications.

En plus de son traitement révolutionnaire pour l'hypertension artérielle pulmonaire, Actelion Pharmaceutiques Canada inc. a mis sur le marché Zavesca®, un produit indiqué dans le traitement de la maladie de Gaucher de type 1 et qui a été approuvé en Europe, aux États-Unis et au Canada. La maladie de Gaucher est une maladie génétique invalidante caractérisée par un déséquilibre métabolique d'une substance appelée glucosylcéramide qui est à l'origine d'une surcharge lipidique au niveau du foie et de la rate.
Zavesca est également mis à l’essai pour d’autres maladies orphelines comme la maladie Tay-Sachs, une maladie génétique héréditaire qui se traduit par un déficit enzymatique. L’enzyme manquante ou en quantité insuffisante dans le sang de l’enfant a pour effet de laisser s’accumuler dans le système nerveux des lipides, qui par leur présence entraîneront des désordres neurologiques sévères.

Finalement, d’autres médicaments, aussi pour des maladies orphelines, sont en phase de développement car notre objectif de recherche est de développer de nouveaux médicaments pour répondre aux besoins médicaux non comblés.
3) LA PRISE EN CHARGE DES MALADIES ORPHELINES

Une maladie orpheline est une maladie rare qui n’atteint pas plus de 1 000 personnes par million d’habitants. L’Organisation Mondiale de la Santé (OMS) en identifie 5 000. Nombre de ces maladies sont incurables sinon mortelles à plus au moins long terme. Ces maladies requièrent des soins de santé en milieu hospitalier ou à domicile et affectent grandement la qualité de vie des patients et leurs proches.

Actelion Pharmaceutiques Canada inc. a fait un choix en prenant comme axe de recherche, le développement de nouvelles molécules capables de traiter certains types de maladies orphelines. Notre compagnie a choisi l’intérêt des patients, même si les risques d’échec sont élevés en cours de développement, que le caractère orphelin de ces maladies compromet l’expérimentation en raison du nombre restreint de patients et que les défis de l’accès au marché sont contraignants.

Pour que l’industrie soit prête à investir dans la recherche de médicaments orphelins, il faut que tous les gouvernements concernés s’impliquent de façon proactive comme c’est le cas aux États-Unis, en Europe et au Japon où des politiques ont été adoptées spécifiquement pour prendre en charge les patients souffrant de maladies orphelines.

L’exemple des États-Unis

Les autorités américaines responsables de la santé publique ont fait des maladies orphelines une priorité. Dès 1983, une réglementation sur les médicaments orphelins a été adoptée. À ce jour, environ 1 200 médicaments sont désignés et, parmi ceux-ci, 238 ont déjà été approuvés.

Le Comité des médicaments orphelins est responsable, entre autres, d’accorder la désignation des médicaments orphelins.

La réglementation américaine en matière de médicaments orphelins est considérée comme exemplaire puisque le programme européen sur les maladies rares (ou orphelins) a été largement inspiré par cette dernière.

1 Santé Canada. Direction des médicaments. Politique en matière de médicaments orphelins. 27 novembre 1996.
L'exemple de l'Union européenne

En 1999, un programme « maladies rares » a été adopté par le Parlement européen. Un des objectifs de ce programme est la mise en place d'un réseau européen d'information destiné aux familles de victimes de maladies orphelines, aux chercheurs, aux professionnels de la santé et à d'autres acteurs. À ce jour, environ 126 médicaments sont désignés et parmi ceux-ci, 7 sont approuvés. Le programme a permis de traiter plus de personnes aux prise avec des maladies orphelines.

Le programme européen vise à former et à mettre à jour les connaissances des professionnels de la santé, afin d'améliorer les aspects diagnostique, préventif et curatif des maladies orphelines.

Les initiatives américaine et européenne concrétisent l'engagement des gouvernements de favoriser l'accès au marché à des médicaments orphelins pour que la recherche et le développement de nouveaux médicaments soient intensifiés dans ce domaine.

La formule adoptée par les États-Unis et l'Union européenne répond aux demandes répétées des victimes de maladies orphelines et de leur famille et crée un nouveau type de partenariat entre les gouvernements et l'industrie pharmaceutique. Les premiers à bénéficier de ce type de partenariat sont les patients aux prises avec des maladies orphelines.

Les expériences américaine et européenne doivent nous inspirer comme Canadiens, pour permettre aux patients atteints de maladies orphelines d'avoir un meilleur accès aux thérapies essentielles qui pourront améliorer leur santé et leur qualité de vie.
4) ACCÈS AUX MÉDICAMENTS ORPHELINS

Les nouvelles thérapies en émergence pour traiter les maladies orphelines sont le résultat de mesures incitatives que les États-Unis et l'Europe ont adoptées durant les dernières années.

Le coût d'acquisition des médicaments orphelins est élevé et, sans support financier de la part des gouvernements, l'accès à ces médicaments serait difficile, sinon impossible. De même, le coût de développement de ces médicaments ne pourrait être acceptable sans les incitatifs gouvernementaux accordés aux compagnies de recherche.

Dans le projet de Politique du médicament que le ministre de la Santé et des Services sociaux, M. Philippe Couillard, vient de déposer, nous ne retrouvons pas de propositions qui pourraient assurer une prise en charge de toutes les maladies orphelines présentes au Québec. La seule proposition qui traite d'un type de maladies orphelines est la proposition 10 qui se lit comme suit :

Le ministre envisage :

**d'assurer le financement public des médicaments utilisés dans le traitement de maladies métaboliques héréditaires, uniquement pour ceux dont la valeur thérapeutique est démontrée lors de l'évaluation par le Conseil du médicament.**

Nous croyons que cette proposition doit être modifiée afin de tenir compte de toutes les maladies orphelines et non seulement des maladies métaboliques héréditaires.

La proposition 10 démontre clairement que l'intention ministérielle est d'évaluer les médicaments orphelins de la même manière que toute autre pharmacothérapie (ex. antihypertenseurs, antidiabétiques, etc.).

L'évaluation des médicaments orphelins sur la même base que les autres médicaments serait impossible sinon irréaliste, en raison du mode d'évaluation des critères utilisés par le Conseil du médicament. Nous croyons que l'évaluation des deux critères, à savoir la valeur thérapeutique et la justesse du prix, doit être absolument adaptée aux médicaments orphelins pour arriver à une conclusion juste et équitable.
Est-ce que les patients québécois devraient être privés de médicaments efficaces pour traiter des maladies graves, invalidantes et incurables parce que le mode d'évaluation actuel ne permet pas d'arriver à une conclusion juste et équitable ?

Pour toutes les raisons mentionnées plus haut, nous demandons au ministre de la Santé et des Services sociaux de tenir compte des particularités des maladies orphelines. Le Conseil du médicament devrait reconnaître les difficultés auxquelles sont confrontées les compagnies pharmaceutiques qui ont pris le risque financier pour développer de nouveaux médicaments orphelins. Ainsi, la prévalence des maladies orphelines devrait être considérée dans le cadre du processus d'évaluation pour le remboursement.

Afin de mieux sensibiliser les membres de la Commission, nous voulons vous décrire l'exemple d'un médicament orphelin utilisé dans le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire.

Le cas du Tracleer\textsuperscript{®} (Bosentan)

Le Tracleer\textsuperscript{®} (Bosentan) est un médicament orphelin utilisé dans le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire. Cette maladie touche à peu près 2000 Canadiens; elle est mortelle et considérée comme maladie rare ou orpheline. L'âge moyen des personnes affectées par l'hypertension artérielle pulmonaire est de 35 ans et la maladie touche trois fois plus de femmes que d'hommes. Les patients souffrant de l'hypertension artérielle pulmonaire primaire ont une espérance de vie moyenne de 2,8 années et de seulement 6 mois dans la forme la plus sévère de la maladie.

Le seul traitement existant qui peut être administré à domicile et par voie orale est le Tracleer\textsuperscript{®}. Il a été reconnu par Santé Canada dans le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire de classes fonctionnelles III et IV. Toutefois, le Québec ne rembourse ce médicament que pour les patients avec l'hypertension artérielle pulmonaire de classe III. À cet effet, le Conseil du médicament prétend qu'il est difficile d'évaluer le Tracleer\textsuperscript{®} en raison du nombre insuffisant de patients de classe IV ayant participé aux études cliniques.
Déjà, l'hypertension artérielle pulmonaire est une maladie rare, les patients qui souffrent de la classe IV sont encore plus rares. C'est pourquoi il est difficile pour notre compagnie de recruter un nombre élevé de patients pouvant faire partie des études cliniques.

Les études qui ont porté sur le Tracleer® chez 14 patients de classe IV ont démontré que ce médicament améliore la survie et permet aussi le ralentissement de la progression de la maladie.

Toutes les provinces canadiennes remboursent le Tracleer® pour les patients souffrant d'hypertension artérielle pulmonaire de classe IV, à l'exception du Québec. Les médecins du Québec qui traitent l'hypertension artérielle pulmonaire et d'autres maladies orphelines doivent avoir le choix entre toutes les options thérapeutiques existantes, reconnues pour leur efficacité, afin d'assurer à leurs patients les meilleurs soins de santé possibles.

Le Régime général d'assurance médicaments (RGAM) doit assurer l'accès aux médicaments essentiels pour tous les citoyens indépendamment de leur maladie, âge ou situation financière.
5) CONCLUSION

Nous croyons que pour les intérêts des patients québécois, il est impératif que le Conseil du médicament adopte un nouveau système d'évaluation des médicaments orphelins qui sera rapide, prioritaire et utilisant des critères d'évaluation adaptés à la réalité des maladies orphelines.

Les patients qui souffrent de maladies orphelines ont le droit aux mêmes soins de santé que les autres malades. Sur le plan éthique, pouvons-nous laisser ces patients sans soins, parce que le coût de la prise en charge est trop élevé?

Les maladies orphelines touchent un petit nombre de patients dont la vie est affectée de façon majeure, c'est pourquoi les Québécois qui en souffrent sont considérés comme les plus démunis de notre société. Nous avons l'obligation morale comme acteurs dans le domaine des soins de santé, et plus particulièrement le gouvernement du Québec, de prendre en charge ces personnes et de leur assurer une qualité de vie adéquate, qui leur permettrait de mieux développer leur potentiel social et économique. Il est de la dignité humaine de procéder ainsi.