



LE FORUM CANADIEN DES
INNOVATEURS SPÉCIALISÉS
DANS LES MALADIES RARES

Gouvernement du Québec
Commission de la santé et des services sociaux

Mémoire dans le cadre des consultations du *projet de loi 15 : Loi visant à rendre le système de santé et de services sociaux plus efficace*

Préoccupations importantes concernant l'accès aux traitements pour les patients atteints de maladies rares

19 mai 2023

À propos d’iRARE

Le Forum canadien des innovateurs spécialisés dans les maladies rares (iRARE) est un réseau d’entreprises biopharmaceutiques canadiennes vouées à améliorer la vie des patients atteints de maladies orphelines.

Ce réseau comprend les 17 membres suivants:

Alexion Canada	Ipsen Canada
Amicus Therapeutics	Janssen Canada
Argenyx Canada	Mitsubishi Tanabe Pharma Canada
Astellas Canada	Recordati Rare Diseases
Biogen Canada	Sanofi Canada
Biomarin Pharmaceutical	Sobi Canada
Boehringer Ingelheim Canada	Ultragenyx Pharmaceutical Canada
GlaxoSmithKline Canada	Vertex Canada
Horizon Therapeutics	

Contexte des maladies rares au Québec

Dans sa *Politique québécoise pour les maladies rares*, le gouvernement du Québec définit une maladie rare comme une condition touchant moins d’une personne sur 2 000. Bien que ces maladies soient rares, près de 700 000 Québécois sont aux prises avec une telle maladie. 80% des maladies rares sont génétiques, et près de 75% des personnes atteintes sont des enfants. Certaines régions et populations au Québec sont plus touchées par les maladies rares, notamment dans Charlevoix-Saguenay et chez les Premières Nations et Inuits.¹

Les Québécois atteints de maladies rares, qui sont souvent débilitantes et mortelles, éprouvent de grandes difficultés à obtenir les soins dont ils ont de besoin. À titre d’exemple, un sondage récemment mené pour le compte de l’Organisation canadienne des maladies rares révèle que les patients attendent en moyenne presque quatre ans pour obtenir un diagnostic adéquat et moins de la moitié d’entre eux peuvent facilement avoir accès aux médicaments requis.²

Le Québec se distingue du restant du Canada en termes de programmes qui ont pour but d’améliorer les soins de santé prodigués aux Québécois atteints de maladies rares. L’adoption de la *Politique québécoise pour les maladies rares* et du *Plan d’action québécois sur les maladies rares* soutenu par un financement de 17,2 millions \$ font du Québec un chef de file en ce qui concerne l’accès aux soins de santé pour les maladies rares.

Le Québec a aussi adopté des mesures exceptionnelles, mentionnées ci-dessous, qui permettent aux patients atteints de maladies rares d’accéder aux traitements dont ils ont de besoin pour survivre et mieux vivre.

Toutefois, des changements proposés par le gouvernement à ces mesures vont à l’encontre des politiques

¹ Pour une meilleure reconnaissance et prise en charge des personnes atteintes de maladies rares : *Politique québécoise pour les maladies rares* : <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2022/22-916-01W.pdf>; et Comité projet sur les maladies rares de Montréal InViVo, Des acteurs engagés, déterminés à agir avec le gouvernement pour une politique québécoise sur les maladies rares : <https://www.montreal-invivo.com/wp-content/uploads/2022/04/miv-planactionmaladiesrares-fr-f-04-08-2022-300dpi.pdf>

² Sondage de la communauté des maladies rares au Canada: https://www.raredisorders.ca/content/uploads/CORD-Rare-Disease-Survey_Full-Report_Feb-2870.pdf

québécoises et viendront miner le leadership du Québec et entraîneront des effets néfastes sur les patients atteints de maladies rares.

Dispositions du projet de loi 15 qui vont restreindre l'accès aux médicaments pour les maladies rares

iRARE et ses membres sont grandement préoccupés par les articles **334 à 337 du projet de loi 15** qui viendraient imposer des limites déraisonnables au programme d'accès aux médicaments à des fins de « nécessité médicale particulière » ou à des traitements d'exception en milieu hospitalier. Nous avons également de vives inquiétudes quant à l'intention du gouvernement d'apporter des restrictions similaires à la **mesure du patient d'exception qui est gérée par la Régie de l'assurance maladie du Québec (RAMQ)** qui permet un accès exceptionnel à des médicaments dispensés par les pharmacies communautaires, à l'extérieur des établissements de santé.

Si ces mécanismes d'accès exceptionnel sont modifiés pour empêcher l'accès aux médicaments qui ont reçu une recommandation négative de l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) quant à la valeur thérapeutique, tel qu'il est proposé par le gouvernement, **plusieurs patients atteints de maladies rares seront privés de traitements essentiels à leur survie ou à leur bien-être**. À cet effet, une étude récente démontre que 40% des médicaments pour les maladies rares qui ont été évalués par l'INESSS ont reçu une recommandation négative de cette agence.³ Le système actuel est en fait mal adapté aux médicaments visant à traiter les maladies rares. Ceci s'explique notamment par le fait que les résultats cliniques pour les médicaments pour les maladies rares sont souvent imprégnés d'une plus grande incertitude compte tenu de la petite taille de la population de patients.

En effet, les études cliniques sont fréquemment plus petites et d'envergure plus restreinte et reposent parfois sur une méthodologie autre que celle d'essais cliniques randomisés, et ce, parce que peu ou très peu de patients sont atteints d'une maladie rare spécifique. Par ailleurs, bien que les maladies rares soient sévères, débilitantes, chroniques et souvent mortelles, elles sont moins connues et parfois moins comprises que les maladies courantes. Les experts cliniques, les associations de patients et les patients qui pourraient contribuer à l'évaluation d'un traitement sont aussi moins nombreux, ce qui nuit à la compréhension juste du fardeau de la maladie et de l'importance d'avoir un accès rapide aux traitements. Finalement, considérant le petit nombre de patients atteints de ces maladies, il est probable qu'un innovateur n'ait pas la capacité de générer de nouvelles données autres que des données en contexte réel de soins, qui sont généralement jugées insuffisantes pour permettre une nouvelle évaluation à l'INESSS. Ainsi, une recommandation négative quant à la valeur thérapeutique pour une indication en maladie rare signifie souvent une impossibilité pour les patients d'avoir accès à un traitement, et ce, bien que les résultats de l'étude clinique aient été positifs et que les patients pourraient en bénéficier.

Les mécanismes d'accès exceptionnel constituent donc une bouée de sauvetage pour plusieurs Québécois souffrant de maladies rares. Ces mécanismes ont été conçus pour offrir une voie d'accès dans des cas où un clinicien le juge nécessaire et qu'il n'existe pas d'autres options de traitement possible. Les cliniciens sont les mieux placés pour déterminer quelles thérapies sont nécessaires pour leurs patients et ont souvent accès à de nouvelles données scientifiques qui peuvent justifier leur utilisation et qui n'ont peut-être pas été examinées par l'INESSS. Ainsi, il s'avère primordial de respecter la compétence des cliniciens afin qu'ils puissent offrir les

³ Ward et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2022) 17:113: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-022-02260-6>

meilleurs soins possibles à leurs patients surtout lorsque les options thérapeutiques sont restreintes, comme dans le domaine des maladies rares pour lesquelles près de 95% des maladies n'ont pas de traitements.⁴

Il est aussi important de faire la distinction entre les recommandations de l'INESSS, qui sont émises à un moment précis et avec un objectif populationnel, et les mécanismes d'accès exceptionnel, qui sont utilisés par des cliniciens experts, avec les plus récentes données scientifiques et pour un patient précis. En termes simples, les limitations actuellement proposés aux mécanismes d'accès exceptionnel reviendraient à retirer le « patient » de la mesure du « patient d'exception » et du motif de « nécessité médicale particulière ».

Le Québec se distingue des autres provinces canadiennes en raison de ses programmes d'accès exceptionnel qui permettent d'offrir des traitements nécessaires à des patients vulnérables qui en ont désespérément besoin, y compris ceux atteints de maladies rares. À cet égard, la **Politique québécoise pour les maladies rares** fait expressément référence et met en lumière l'importance de ces mesures exceptionnelles :⁵

Le RGAM se distingue des régimes en vigueur dans le reste du Canada notamment pour les raisons suivantes : [...] il comprend la mesure dite du « patient d'exception », une garantie du RGAM qui assure la couverture de médicaments qui ne sont pas inscrits sur la Liste des médicaments ou de médicaments d'exception prescrits pour une indication thérapeutique ne figurant pas sur la Liste des médicaments. Cette mesure permet notamment la couverture de plusieurs médicaments onéreux servant au traitement de maladies rares.

Il faut aussi souligner qu'à l'extérieur du cadre du RGAM, certains traitements médicamenteux pour les maladies rares sont fournis gratuitement aux patients par les établissements de santé selon la liste de médicaments-établissements. Les cliniciens ont également la latitude de requérir l'accès à des médicaments ne figurant pas sur la liste de médicaments-établissements, et ce, dans un contexte de nécessité médicale particulière.

Finalement, le Québec s'est aussi engagé à faire croître le secteur des sciences de la vie étant donné le rôle important que ce secteur joue pour protéger la santé des Québécois, faire avancer les connaissances scientifiques et soutenir et stimuler l'économie du Québec. À cet égard, le gouvernement du Québec a récemment renouvelé sa **Stratégie québécoise des sciences de la vie** afin de renforcer ce secteur qui constitue un des piliers de l'économie québécoise. Cette stratégie mentionne clairement la mesure du patient d'exception à titre de programme aidant à soutenir la compétitivité du Québec pour le remboursement des médicaments :⁶

Le Québec peut se targuer d'offrir à sa population un des meilleurs accès aux médicaments en Amérique du Nord. En vertu de la Loi sur l'assurance médicaments (RLRQ, chapitre A-29.01), chaque personne établie au Québec doit être couverte par un régime d'assurance médicaments public ou privé. Cette loi prévoit également des obligations minimales de couverture à l'ensemble des régimes privés, correspondant à la Liste des médicaments du Régime général d'assurance médicaments (RGAM).

⁴ Comité projet sur les maladies rares de Montréal InViVo, Des acteurs engagés, déterminés à agir avec le gouvernement pour une politique québécoise sur les maladies rares : <https://www.montreal-invivo.com/wp-content/uploads/2022/04/miv-planactionmaladiesrares-fr-f-04-08-2022-300dpi.pdf>

⁵ Politique québécoise pour les maladies rares, 2022 : <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2022/22-916-01W.pdf>

⁶ Stratégie québécoise des sciences de la vie 2022-2025 : https://cdn-contenu.quebec.ca/cdn-contenu/adm/min/economie/publications-adm/politique/PO_strategie_sciences_vie_2022-2025_MEI.pdf

En outre, la mesure dite du « patient d'exception » permet la couverture de médicaments qui ne sont pas inscrits sur la Liste des médicaments du RGAM, dans des circonstances particulières et exceptionnelles. Elle s'applique tant au régime public qu'aux régimes privés.

Ainsi, les modifications proposées aux mécanismes d'accès exceptionnel vont à l'encontre des politiques québécoises relatives aux maladies rares et aux sciences de la vie et viendront miner les objectifs du gouvernement visant à améliorer les soins de santé des Québécois et à accélérer la croissance du secteur des sciences de la vie.

Recommandations à la commission de la santé et des services sociaux

iRARE et ses membres recommandent que les dispositions **334 à 337 du projet de loi 15** soient revues afin d'enlever les restrictions qui limiteraient le programme d'accès aux médicaments à des fins de « nécessité médicale particulière » ou à des traitements d'exception en milieu hospitalier.

De même, nous encourageons la commission de la santé et des services sociaux à demander au gouvernement de mettre en pause les restrictions envisagées à **la mesure du patient d'exception gérée par la RAMQ** afin de pouvoir tenir des consultations substantielles avec les parties prenantes avant d'apporter des modifications.

Plus particulièrement, afin de comprendre les répercussions possibles et probables, iRARE encourage le gouvernement à consulter tous les intervenants du milieu de la santé et du secteur des sciences de la vie, y compris les associations de patients, les associations médicales et les compagnies qui innovent en sciences de la vie, sur les changements proposés ci-dessus. **Il s'agit de changements majeurs qui pourraient entraîner de graves conséquences néfastes pour les Québécois atteints de maladies rares et qui soulèvent des questions de compétences, d'éthique et d'équité des soins** qui méritent des consultations avec l'ensemble des parties prenantes, ce qui n'a pas été fait jusqu'à maintenant. iRARE et ses membres croient fortement que le gouvernement peut trouver des solutions alternatives en travaillant de concert avec les intervenants pour mieux encadrer les programmes d'accès exceptionnel et ainsi assurer leur pérennité.

Considérant qu'environ 95% des maladies rares sont des maladies orphelines,⁷ c'est-à-dire qu'elles sont sans traitement, il nous apparaît crucial de ne pas limiter davantage l'accès lorsqu'un traitement est approuvé au Canada.

⁷ Comité projet sur les maladies rares de Montréal InViVo, Des acteurs engagés, déterminés à agir avec le gouvernement pour une politique québécoise sur les maladies rares : <https://www.montreal-invivo.com/wp-content/uploads/2022/04/miv-planactionmaladiesrares-fr-f-04-08-2022-300dpi.pdf>