

**Mémoire de l'OCMR au Comité permanent de la santé de la Chambre des Communes  
concernant l'étude du projet de loi C-64, la *Loi concernant l'assurance médicaments***

***Les maladies rares et le projet de loi C-64 :  
Ressemblances, différences et leçons à tirer***

22 mai 2024

---

L'Organisation canadienne pour les maladies rares (OCMR) apprécie l'opportunité de partager ses perspectives sur le projet de loi C-64, en s'appuyant sur son expérience concernant la mise en œuvre de la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares*, et plus particulièrement sur les progrès réalisés et les défis survenus à ce jour.

Pour mettre ces perspectives en contexte, il est important de noter que les maladies rares constituent un problème de santé publique important qui touche plus de 3 millions de Canadiens (1 Canadien sur 12). Chaque maladie rare, par définition, n'affecte qu'un très petit nombre de personnes.

La plupart des maladies rares ont des conséquences graves, débilitantes ou mortelles. Bien que la plupart d'entre elles touchent les enfants, un nombre important de maladies rares survenant à l'âge adulte sont diagnostiquées. Parmi les 7 000 maladies rares connues, seulement 5 % bénéficient de traitements efficaces. Il est frustrant et inadmissible que seulement 60 % de ces traitements soient approuvés au Canada, en partie à cause du processus de remboursement des médicaments qui est complexe, lent et incertain et qui comporte plusieurs étapes.

En outre, environ 25% des traitements des maladies rares approuvés par Santé Canada et recommandés par l'Agence des médicaments du Canada (AMC) et/ou l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) réussissent à se rendre jusqu'aux patients par l'entremise de régimes publics d'assurance médicaments. Les patients atteints de maladies rares qui n'ont pas accès à un traitement efficace subissent des interventions chirurgicales sous-optimales ou ont recours à des médicaments non homologués. On observe un déclin évitable des capacités fonctionnelles pour plusieurs de ces patients, ce qui les oblige à abandonner leurs études ou à quitter leur emploi. D'autres font face à des événements qui auraient pu être évités et qui mettent leur vie en danger ou qui mettent fin à leur vie, ce qui mène à l'invalidité et un décès prématuré.

*Parcours vers la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares*

Il y a une quinzaine d'années, le gouvernement fédéral a signé le premier (et à ce jour le seul) accord de financement avec les provinces et les territoires pour fournir un accès universel à deux médicaments révolutionnaires contre des maladies rares. L'accord de partage de risques prévoyait un programme de prise en charge des patients sur dix ans, avec une collecte de données permettant de rendre compte chaque année de l'efficacité des médicaments et d'actualiser le protocole de traitement sur la base de données réelles. À l'époque, ce « projet pilote » était considéré comme un cadre potentiel pour un programme fédéral/provincial/territorial de médicaments pour les maladies rares. Dans les années qui ont suivi, l'Initiative canadienne sur la maladie de Fabry (ICMF) a démontré que le médicament était non seulement efficace, mais aussi rentable.

Depuis l'ICMF, il y a eu de nombreux groupes de travail et plusieurs discussions sur le sujet, mais rien ne s'est concrétisé jusqu'à l'annonce fédérale de 2019 d'un milliard de dollars pour une stratégie nationale pour les médicaments pour les maladies rares. L'OCMR a organisé des consultations avec plusieurs parties prenantes même pendant la COVID pour maintenir la pression et s'assurer que les besoins des patients étaient au cœur de la stratégie.

Finalement, en mars 2023, le gouvernement fédéral a officiellement lancé la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares*, qui prévoit l'allocation de 1,4 milliard de dollars par le biais d'accords bilatéraux afin de rendre les « thérapies nouvelles et émergentes » ainsi que les thérapies existantes disponibles « le plus tôt possible, leur assurant ainsi une meilleure qualité de vie ».

Cependant, plus d'un an s'est écoulé depuis cette annonce et il est inacceptable que *pas un seul sou n'ait été dépensé pour financer un seul médicament contre les maladies rares pour un seul patient*.

Étant donné le préambule du projet de loi C-64 qui établit un lien clair avec la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* et la référence explicite à l'engagement de « maintenir le financement à long terme pour les provinces, les territoires et les peuples autochtones pour améliorer l'accessibilité et le caractère abordable des produits pharmaceutiques, en commençant par ceux pour maladies rares », il s'avère important de prendre en compte les perspectives de la communauté des maladies rares concernant la mise en œuvre du régime national d'assurance médicaments.

Au nom de la communauté des maladies rares, l'OCMR est consternée et ne comprend pas que le gouvernement fédéral présente un projet de loi sur l'assurance médicaments nationale alors qu'aucun progrès tangible n'ait été réalisé quant à la mise en œuvre de la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares*.

Cette stratégie nationale a été lancée il y a plus d'un an pour permettre, selon l'annonce du gouvernement, l'accès à des médicaments « nouveaux et émergents », y compris

« des traitements de pointe » susceptibles « d'améliorer considérablement la qualité de vie d'un patient » et qui devraient être accessibles « le plus tôt possible ». Wow ! Où était cette urgence et cet engagement envers les patients au cours de la dernière année? Il est inadmissible et contraire à l'éthique de lancer un programme conçu pour transformer et sauver des vies et de ne pas le mettre en œuvre par la suite. De plus, ceci n'augure rien de bon pour la mise en place d'un régime national d'assurance médicaments.

#### *Enseignements tirés de la loi C-64 et de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares*

On remarque des similitudes mais aussi des différences majeures entre le projet de loi C-64 et la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares*. Contrairement au projet de loi C-64 qui met l'accent sur « l'utilisation appropriée des médicaments sur ordonnance » qui « priorise la sécurité des patients, qui optimise les résultats en matière de santé et qui renforce la viabilité du système de santé », la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* est davantage axée sur la qualité de vie du patient, qui doit être atteinte grâce à un meilleur « accès aux médicaments nouveaux et émergents » ainsi qu'à des investissements dans l'infrastructure liée aux maladies rares afin « de favoriser le diagnostic précoce et le dépistage des maladies rares ». De plus, cette stratégie nationale comprend le passage essentiel suivant qui ne figure pas dans le projet de loi C-64, ce qui nous permet d'espérer une voie différente pour la mise en œuvre de la stratégie: « [Le financement de la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares*] aidera les patients atteints de maladies rares, notamment les enfants, à avoir accès aux traitements le plus tôt possible, leur assurant ainsi une meilleure qualité de vie. »

Enfin, en ce qui concerne la mise en œuvre, la stratégie nationale prévoit comme prochaine étape essentielle à l'élaboration d'accords bilatéraux que « le gouvernement du Canada collaborera avec les provinces et territoires pour sélectionner un petit nombre de médicaments nouveaux et émergents dont les coûts seraient partagés et qui seraient pris en charge de manière constante dans l'ensemble du pays, dans l'intérêt des patients ».

Pour être honnête, l'OCMR s'inquiète surtout du fait que la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* ne dispose pas d'un plan de mise en œuvre articulé ni d'un plan d'action concret. Ce serait rétrograde, voire désastreux, pour les patients atteints de maladies rares que les étapes de mise en œuvre du projet de loi C-64 s'appliquent à cette stratégie nationale.

Voici quelques-unes de nos préoccupations et de nos recommandations.

1. ***Catégories et listes de médicaments prédéterminées*** : Le projet de loi C-64 a été présenté avec deux catégories de traitements prédéterminés et une liste de thérapies sans consultation publique et sans critères clairs quant à leur sélection. En outre, cette approche n'offre pas la possibilité d'obtenir un traitement optimal individualisé qui favoriserait de meilleurs résultats et une meilleure

qualité de vie. Selon l'annonce du ministre, l'OCMR s'attend à ce que la mise en œuvre de la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* se traduise par une liste ouverte et évolutive, fondée sur l'urgence, les besoins non satisfaits et les perspectives des patients et des cliniciens, avec un financement prévu non seulement pour les médicaments, mais aussi pour le dépistage, le diagnostic, la surveillance des médicaments et la gestion des maladies. L'OCMR estime que l'objectif d'un programme national d'assurance médicaments devrait être de fournir les thérapies qui offrent la plus grande valeur pour chaque patient, ce qui nécessite du soutien pour obtenir un diagnostic précis et gérer la maladie.

2. ***Comment les thérapies nouvelles et innovantes seront-elles incluses et les patients auront-ils leur mot à dire ?*** Le projet de loi C-64 prévoit la mise en place d'un régime public d'assurance médicaments par le biais d'une « couverture universelle au premier dollar à payeur unique » des contraceptifs et des médicaments contre le diabète. En outre, le projet de loi C-64 prévoit la nomination d'un comité d'experts chargé de proposer des options opérationnelles et financières pour « un régime d'assurance médicaments national et universel à payeur unique ». En revanche, l'annonce de la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* donne la responsabilité au gouvernement fédéral, aux provinces et aux territoires de « sélectionner un petit nombre de médicaments nouveaux et émergents dont les coûts seraient partagés et qui seraient pris en charge de manière constante dans l'ensemble du pays, dans l'intérêt des patients ». L'OCMR estime qu'une stratégie nationale optimale pour les médicaments, qui vise les traitements pour les maladies rares ou les maladies plus communes, devrait miser sur la façon de rendre disponibles les nouvelles thérapies et les traitements de pointe plutôt que de se laisser distraire par la façon de mettre en place un modèle de financement à payeur unique.
3. ***Au moins, l'assurance médicaments bénéficie d'un calendrier :*** Le projet de loi C-64 fixe des échéances pour des éléments clés, notamment un délai d'un an pour élaborer (1) une liste de médicaments essentiels en vue d'un formulaire national, (2) une stratégie nationale d'achat en gros et (3) une stratégie d'utilisation appropriée des médicaments. La *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* ne fixe pas de calendrier de mise en œuvre, de sorte que les seuls éléments de l'annonce qui ont été mis en place sont les subventions de recherche pour les Instituts de recherche en santé du Canada (IRSC), les registres de l'ACM et les initiatives de dépistage chez les nouveau-nés, ainsi que la convocation d'un groupe consultatif sur la mise en œuvre organisé par la Direction des maladies rares et de l'assurance médicaments de Santé Canada. L'OCMR exige que des mesures soient prises pour les deux programmes, assorties d'un calendrier et d'une obligation de rendre des comptes au public, avec des opportunités de fournir des commentaires, en commençant par la phase initiale de mise en œuvre.

4. ***Des « comités d'experts » pro forma sans de véritables responsabilités et rôles consultatifs*** : Le projet de loi C-64 prévoit la création d'un comité d'experts chargé de donner des conseils sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance médicaments. L'OCMR fait part des enseignements qu'elle a tirés de son expérience au sein du groupe consultatif sur la mise en œuvre de la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* au cours de la première année. Les réunions ont principalement consisté à fournir aux membres du groupe consultatif des informations, dont la plupart étaient déjà connues, et n'ont apporté aucun éclaircissement sur les accords bilatéraux. Nous avons demandé, mais n'avons reçu aucune information sur *qui, quoi, quand et où* les discussions avaient lieu et sur les progrès réalisés quant au contenu des accords potentiels. En outre, on ne sollicite pas nos perspectives (conseils) sur les accords bilatéraux, même en ce qui concerne les critères de sélection des thérapies initiales à financer, la manière dont les fonds seraient alloués et, surtout, les investissements visant à garantir le dépistage, le diagnostic et l'utilisation optimale des médicaments. Malgré la promesse initiale de webinaires publics, le groupe consultatif n'a fourni aucune mise à jour « officielle » et n'a pas consulté le public. Le manque de transparence, de communication et de responsabilisation crée un environnement de détresse, de méfiance et de mécontentement à l'égard de la stratégie nationale (malgré l'engagement de 1,5 milliard de dollars) et compromet la promesse de fournir des thérapies efficaces pour améliorer la vie des personnes vivant avec des maladies rares. L'OCMR exige que les groupes consultatifs du régime d'assurance médicaments et de la mise en œuvre de la stratégie nationale reçoivent les informations nécessaires pour fournir de véritables conseils plutôt que de servir de caisse de résonance ou d'approbation tacite de décisions prises à huis clos.
5. ***Des solutions fondées sur le plus petit dénominateur commun ne fonctionnent pas*** : Comme le projet de loi C-64, la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* propose d'initier la mise en œuvre avec un petit nombre de médicaments. Cependant, cette stratégie nationale (tel qu'elle a été annoncée, mais pas encore mise en œuvre) présente plusieurs avantages par rapport au projet de loi C-64. Contrairement au projet de loi C-64, les médicaments visés par la stratégie nationale n'ont pas été définis à l'avance, mais doivent être déterminés conjointement avec les provinces et les territoires. Un autre point important de différenciation est la référence dans la stratégie nationale aux « médicaments nouveaux et émergents » et à « l'amélioration de l'accès aux médicaments existants » plutôt qu'aux « médicaments essentiels » qui semblent définir le régime national d'assurance médicaments. Enfin, nous notons que les coûts des médicaments pour les maladies rares visés par la stratégie nationale « seraient partagés et [...] seraient pris en charge de manière constante dans l'ensemble du pays, dans l'intérêt des patients » mais ne seraient pas nécessairement assujettis à l'approche du projet de loi C-64 qui prévoit une « couverture universelle au premier dollar à payeur unique » pour les deux

premières catégories de médicaments et le mandat confié au comité d'experts. L'OCMR exige que le régime national d'assurance médicaments et la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares* visent PLUS HAUT et mettent de l'avant des procédures de mise en œuvre permettant un accès optimal à des thérapies individualisées présentant la plus grande valeur pour le patient et la société, plutôt que de viser le « plus petit dénominateur commun » de « médicaments essentiels » en se fondant sur un objectif populationnel et en répondant à des normes de soins « minimales ». L'assurance médicaments et la stratégie nationale devraient garantir l'accès à des thérapies innovantes, de pointe, qui traitent non seulement les symptômes mais aussi les causes sous-jacentes de la maladie, qui non seulement ralentissent la progression de la maladie mais peuvent aussi prévenir ou inverser les symptômes, et qui non seulement prolongent la qualité de vie mais peuvent aussi potentiellement « guérir » une maladie.

- 6. *Devenir un leader - viser à être le meilleur* :** Le Canada se joint au débat sur l'accès universel aux médicaments d'ordonnance plus tard que beaucoup d'autres pays. D'une part, cela nous a obligé ou permis de développer un secteur privé d'assurance médicaments qui est complété par des régimes publics d'assurance médicaments aux niveaux provincial et territorial. D'autre part, le gouvernement canadien n'a pas fait preuve de leadership pour faire du Canada un pays de premier plan, un endroit propice à l'investissement dans la recherche pharmaceutique, les essais cliniques et l'accès à des produits pharmaceutiques de pointe qui produiront des résultats optimaux pour les patients et la société. Il importe peu de savoir qui et comment les médicaments sont financés si le Canada ne s'engage pas à fournir les meilleures thérapies ayant les plus grandes incidences positives sur la vie des patients.

### **À propos de l'OCMR**

L'OCMR est le réseau national canadien des organisations représentant toutes les personnes atteintes de maladies rares. L'OCMR présente une voix forte et commune pour promouvoir des politiques en matière de santé et un système de santé qui répondent aux besoins des personnes atteintes de maladies rares. L'OCMR travaille avec les gouvernements, les chercheurs, les cliniciens et l'industrie pour promouvoir la recherche, le diagnostic, le traitement et les services pour toutes les maladies rares au Canada.