



Le 20 janvier 2025

Lettre transmise à : ministre@msss.gouv.qc.ca

Monsieur Christian Dubé
Ministre de la Santé
Ministère de la Santé et Services Sociaux
1075, chemin Sainte-Foy, 15e étage
Québec, Québec, G1S 2M1

Objet : Préoccupations concernant des changements à la mesure du patient d'exception

Monsieur le Ministre,

Nous vous écrivons au nom de la communauté des patients atteints de maladies rares et de cancer afin d'exprimer nos inquiétudes profondes concernant l'intention du gouvernement de modifier la mesure du patient d'exception et l'absence de consultations avec les patients et les cliniciens qui seront touchés par ces changements.

La mesure du patient d'exception est une voie d'accès essentielle pour plusieurs patients atteints de maladies rares ou de cancers. Elle permet aux patients d'accéder à des médicaments approuvés par Santé Canada et recommandés par leur médecin, même lorsque l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) estime que le gouvernement ne devrait pas rembourser ces traitements. Une recommandation négative de l'INESSS ne signifie pas que ces médicaments sont inefficaces, car Santé Canada a reconnu leur efficacité. Cela reflète parfois plutôt les difficultés inhérentes à évaluer certains médicaments, comme dans le cas des maladies rares où la collecte de données peut être plus ardue et complexe étant donné la rareté de la maladie et la petite population de patients atteints. Même si le remboursement public d'un médicament n'est pas recommandé par l'INESSS pour l'ensemble de la population, celui-ci peut tout de même s'avérer nécessaire à la survie et au bien-être de certains Québécois lorsqu'aucune autre option de traitement n'est disponible.

Cette mesure est particulièrement importante pour les patients atteints de maladies rares, car ils se heurtent fréquemment à des obstacles dans l'accès aux soins et aux traitements dont ils ont besoin. Reconnaisant ces défis, votre gouvernement a adopté une politique pour les maladies rares qui souligne l'importance de la mesure du patient d'exception pour répondre aux besoins uniques de ces patients. Grâce à vos efforts, le Québec constitue d'ailleurs un chef de file dans le domaine des maladies rares en étant la première province canadienne à avoir mis en place une politique et un plan d'action pour les maladies rares.

Cependant, le gouvernement prévoit désormais modifier la mesure du patient d'exception afin d'en restreindre l'accès. Les critères d'admissibilité à la mesure de *nécessité médicale particulière* permettant un accès exceptionnel dans les hôpitaux ont déjà été resserrés par la *Loi visant à rendre le système de santé et de services sociaux plus efficace*. En restreignant la

mesure du patient d'exception, le gouvernement cible maintenant les médicaments obtenus en pharmacie, ce qui risque d'affecter un nombre beaucoup plus élevé de Québécois.

Cette situation est inacceptable. Le gouvernement du Québec a un devoir moral de protéger les citoyens les plus vulnérables. La mesure du patient d'exception répond à cet impératif en offrant une chance à ceux qui, autrement, n'auraient pas accès aux traitements dont ils ont besoin. Restreindre son accès pourrait avoir des conséquences graves, notamment des pertes de vies humaines et des graves conséquences sur la qualité de vie de milliers de citoyens.

À cet égard, nous avons récemment sondé nos communautés afin de recueillir des témoignages sur leurs expériences concernant la mesure du patient d'exception. Voici quelques témoignages qui démontrent clairement l'importance de cette mesure :

- *« [La mesure du patient d'exception] lui a sauvé la vie. Elle a été hospitalisée deux fois pour une opération des reins et un collapsus pulmonaire au cours de l'année précédant l'obtention du médicament. »*
- *« [La mesure du patient d'exception] a changé la donne : une tumeur cérébrale qui aurait nécessité une troisième opération n'a pas eu besoin d'être opérée, la tumeur ayant diminué de 30 %. »*
- *« Cela a enlevé un stress et angoisse de moins afin qu'il puisse bénéficier d'autres traitements afin de prolonger sa vie et avoir une meilleure qualité de vie. Chaque personne mérite d'avoir une autre chance si on sait qu'il existe d'autres options pour aider les patients. Il ne faut pas les abandonner. Ce sont des êtres humains avec des familles et non un numéro. Ça aide aussi la famille à passer à travers tout ça et de se sentir soutenu et non abandonné par le gouvernement. C'est encore plus frustrant de savoir qu'il existe un traitement, mais qu'on n'y a pas accès à cause de la bureaucratie et les barrières d'accès. »*

Nous savons que le gouvernement cherche à réaliser des économies, notamment dans le système de la santé. Cependant, si cette volonté de réduire les coûts motive la décision du gouvernement à vouloir restreindre la mesure du patient d'exception, nous vous encourageons fortement à explorer d'autres options qui ne compromettraient pas l'accès aux traitements pour les patients vulnérables. Par exemple, le gouvernement du Québec pourrait envisager de conclure une entente avec le gouvernement fédéral dans le cadre de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares afin que le Québec puisse accéder à sa part des 1,4 milliard de dollars alloués à cette initiative. Ces fonds additionnels pourraient être utilisés pour mieux financer la mesure du patient d'exception.

Par ailleurs, nous sommes aussi très préoccupés par l'absence de vraies consultations sur cet enjeu. Bien que le gouvernement prévoie apporter ces modifications d'ici deux mois, le gouvernement n'a pas encore partagé les changements en question avec les patients et n'a pas lancé de consultations formelles leur donnant l'opportunité de communiquer leurs perspectives sur ces changements. Nous demandons donc plus de transparence, une belle marque de votre mandat dans plusieurs dossiers. Aucune décision concernant les patients ne devrait être prise sans leur avis, surtout lorsque des vies sont en jeu.

Le temps est un facteur important pour de nombreux patients souffrant de maladies rares ou de cancers. Tout retard dans l'accès à un traitement peut entraîner des conséquences irréversibles, voire fatales. Nous vous demandons donc de surseoir à toute modification de la

mesure du patient d'exception tant que de véritables consultations avec les patients et les cliniciens n'auront pas eu lieu.

Nous comptons sur votre engagement pour garantir que les patients québécois puissent continuer à recevoir les traitements dont ils ont désespérément besoin. N'hésitez pas à communiquer avec nous si vous souhaitez discuter de cet enjeu important.

Veillez agréer, Monsieur le Ministre, l'expression de nos meilleures salutations.



Jonathan Pratt
Directeur général du Regroupement
québécois des maladies orphelines



Eva Villalba
Directrice générale, Coalition Priorité Cancer
au Québec



Jida El Hajjar
Vice-présidente de l'Organisation canadienne
des maladies rares (CORD)



Catherine Boivin
Patiente partenaire du Réseau québécois de
l'amyotrophie spinale et membre du conseil
d'administration de l'Organisation canadienne
des maladies rares (CORD)

c.c. : Étienne Grenier, directeur du cabinet adjoint du ministre de la Santé,
etienne.grenier@msss.gouv.qc.ca
Florence Bélanger, conseillère politique du ministre de la Santé,
florence.belanger@msss.gouv.qc.ca