

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

La Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares de 1,5 milliard de dollars du gouvernement du Canada est rentable pour les patients et la société, mais il reste encore beaucoup à faire

25 novembre 2025 (Ottawa, Ontario) – À mi-parcours de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares (2024-2027) du gouvernement fédéral, l'Organisation canadienne des maladies rares (OCMR) est heureuse d'annoncer que les enfants et les adultes atteints de neuf maladies rares graves différentes bénéficient désormais de médicaments qui améliorent considérablement leur qualité de vie, et dans certains cas, leur sauvent la vie.

Ces neuf médicaments font partie d'une liste d'au moins douze médicaments qui seront financés par les provinces et les territoires dans le cadre d'accords bilatéraux au cours de la phase I de la stratégie nationale. Il s'agit de médicaments destinés à traiter différents types de maladies rares graves :

- **Hyperoxalurie primitive de type 1 (HP1)** : Une anomalie génétique des enzymes hépatiques entraînant des lésions rénales
- **Maladie de Von Hippel-Lindau (VHL)** : Affection causant une variété de tumeurs et de kystes dans différents organes
- **Neurofibromatose de type 1 (NF1)** : Une affection génétique qui provoque la croissance de tumeurs sur les nerfs
- **Fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP ou syndrome de la personne raide)** : Maladie ultra-rare caractérisée par la transformation graduelle des muscles et des tissus conjonctifs en os, limitant progressivement les mouvements et la respiration
- **Lymphome diffus à grandes cellules B (LDGCB)** : Le LDGCB est un lymphome non hodgkinien agressif qui croît rapidement et qui nécessite un traitement urgent
- **Mycosis fongoïde/syndrome de Sézary (MF/SS)** : Ce sont des cancers du sang rares qui attaquent la peau
- **Lymphome à grandes cellules B (LGCB)** : Un cancer du sang à croissance rapide provoquant une enflure rapide des ganglions lymphatiques, de la fièvre et de la fatigue

- **Syndrome de Bardet-Biedl (SBB)** : Une maladie génétique qui perturbe les signaux du cerveau qui régulent l'appétit et provoque une faim insatiable et une obésité grave
- **Hypercholestérolémie familiale homozygote (HFHo)**: Un trouble héréditaire qui entraîne des niveaux extrêmement élevés de « mauvais cholestérol », augmentant le risque de maladie cardiaque précoce

La Dr Jennifer Adams, dont la fille a reçu un diagnostic d'HP1 à l'âge de 18 mois, qualifie Oxlumo de « médicament qui change la vie ». Grâce à ce médicament, « la qualité de vie de sa fille s'est améliorée, le nombre de visites à l'hôpital a été réduit et il a probablement éliminé la nécessité de recourir à la dialyse ou à des greffes coûteuses à l'avenir ».

Malheureusement, dans le cas de ces maladies et, en fait, de la plupart des maladies rares, les patients sont souvent diagnostiqués trop tard pour tirer le maximum des bienfaits relatifs au traitement.

« Une partie importante des fonds fédéraux est censée servir au dépistage et au diagnostic », a déclaré Durhane Wong-Rieger, présidente et directrice générale de l'Organisation canadienne des maladies rares. « La communauté des patients s'est engagée à travailler avec les provinces et les territoires pour mettre sur pied des initiatives visant à atteindre les objectifs relatifs à l'établissement d'un diagnostic en temps opportun et à la collecte de données en situation réelle afin d'obtenir des résultats optimaux. »

Un sondage révèle l'incidence sur les patients et le système de santé

Cette absence de services relatifs au dépistage et au diagnostic entraîne une utilisation intensive des ressources du système de santé par les patients qui cherchent de l'aide pour des problèmes de santé inexpliqués. Un nouveau sondage national mené par Ipsos pour l'OCMR révèle que les répondants ont déclaré avoir eu en moyenne 14 visites chez des omnipraticiens et des spécialistes avant de recevoir un diagnostic exact. De plus, un patient sur quatre (25 %) a été hospitalisé au moins une fois au cours de la dernière année.

« C'est très préoccupant, étant donné qu'une [étude aux États-Unis](#) a montré que l'accès précoce au diagnostic et aux traitements transforme la vie des patients tout en réduisant, à long terme, les coûts pour les familles et les systèmes de santé », a déclaré M^{me} Wong-Rieger. « De même, une [étude européenne](#) a montré qu'un accès plus rapide aux traitements pour les maladies rares allège le fardeau qui pèse sur les familles. »

Par conséquent, alors que la première année et demie de la phase I de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares a principalement porté sur le financement de médicaments essentiels par les régimes publics, la seconde moitié devrait être consacrée à élargir le dépistage précoce, assurer un accès rapide aux traitements et investir dans des réseaux de spécialistes et des infrastructures de données qui soutiennent la valeur à long terme.

De telles mesures permettraient au Canada d'être bien préparé en vue de la phase II de la stratégie nationale au-delà de l'année 2027, lorsque les ententes actuelles arriveront à échéance. Le Canada doit continuer à soutenir le financement direct des médicaments pour les maladies rares, mais aussi investir dans des modèles de soins intégrés et coordonnés qui sont essentiels pour réduire les inégalités et améliorer les résultats. Les gouvernements et les systèmes de santé doivent renforcer la collecte de données en situation réelle, en intégrant de nombreux aspects des coûts des soins de santé afin d'obtenir une vue d'ensemble.

« Ces mesures nous permettraient d'optimiser la rentabilité de cette stratégie pour les patients, leur famille et la société canadienne dans son ensemble », a ajouté M^{me} Wong-Rieger.

L'OCMR a organisé un petit-déjeuner aujourd'hui sur la Colline du Parlement avec des politiciens fédéraux et des représentants du gouvernement pour souligner l'importance de prolonger et d'améliorer les avantages offerts aux Canadiens par l'entremise de la stratégie nationale sur les maladies rares.

« C'est un investissement que le Canada ne peut pas se permettre d'abandonner si nous voulons garantir aux Canadiens atteints de maladies rares les soins essentiels qu'ils méritent », a ajouté M^{me} Wong-Rieger.

À propos de l'Organisation canadienne des maladies rares (OCMR)

L'OCMR est le réseau national d'organisations représentant celles et ceux qui sont atteints d'une maladie rare au Canada. L'OCMR est une voix unique et forte qui milite en faveur de politiques en matière de santé et d'un système de santé qui tiennent compte des patients atteints d'une maladie rare. L'OCMR collabore avec les gouvernements, les chercheurs, les cliniciens et les représentants de l'industrie pour promouvoir la recherche, le diagnostic, le traitement et les services à l'égard de toutes les maladies rares au Canada. Environ 1 Canadien sur 12, soit environ 3,5 millions de personnes sont touchées par un ou plusieurs des milliers de maladies rares. Les deux tiers d'entre elles sont des enfants. Pour en savoir plus, visitez le site www.raredisorders.ca (en anglais).

Pour les entrevues et les demandes de renseignements des médias : Don Sancton au nom de l'OCMR, 514 206-1191.