

i RARE

LE FORUM CANADIEN DES
INNOVATEURS SPÉCIALISÉS
DANS LES MALADIES RARES

Consultations prébudgétaires du Québec 2024-2025
Présenté au ministère des Finances du Québec

2 février 2024

A. À propos d'iRARE

Le Forum canadien des innovateurs spécialisés dans les maladies rares (iRARE)¹ est un réseau d'entreprises biopharmaceutiques canadiennes vouées à améliorer la vie des patients atteints de maladies rares.

Ce réseau comprend les 19 membres suivants:

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

B. Contexte et synthèse des recommandations

Le gouvernement du Québec définit une maladie rare comme une condition touchant moins d'une personne sur 2 000². 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 enfants³.

Les Québécois atteints de maladies rares, qui sont souvent débiliterantes et mortelles, éprouvent de grandes difficultés à obtenir les soins dont ils ont de besoin. À titre d'exemple, un sondage 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 requis⁴.

Reconnaissant les défis auxquels sont confrontés les Québécois touchés par une maladie rare, le Québec s'est récemment doté d'une politique et d'un plan d'action sur les maladies rares⁵ soutenu par un financement de 17,2 millions de dollars afin d'améliorer la qualité des soins offerts.

En s'appuyant sur les efforts déployés jusqu'à présent, iRARE encourage le gouvernement à continuer à progresser afin d'assurer des diagnostics plus précoces et un accès plus rapide aux traitements et aux soins de qualité pour les Québécois atteints d'une maladie rare.

¹ <https://fr.rarei.ca/>

² Politique québécoise pour les maladies rares, 2022 : <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2022/22-916-01W.pdf>

³ Politique québécoise pour les maladies rares, 2022 : <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>

⁴ Sondage de la communauté des maladies rares au Canada: https://www.raredisorders.ca/content/uploads/CORD-Rare-Disease-Survey_Full-Report_Feb-2870.pdf

⁵ Politique québécoise pour les maladies rares, 2022 : <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2022/22-916-01W.pdf>; Plan d'action québécois sur les maladies rares 2023-2027 : <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/document-003573/?&date=DESC>

Plus particulièrement, dans le contexte des consultations relatives au Budget 2024, iRARE formule les recommandations suivantes:

1. Nous demandons au gouvernement de mettre en œuvre les articles 334 à 337 de la *Loi visant à rendre le système de santé et de services sociaux plus efficace* de façon à ne pas restreindre l'accès des patients atteints de maladies rares aux médicaments dont ils ont de besoin pour survivre et mieux vivre.
2. Nous demandons au gouvernement d'adopter des mesures concrètes et d'allouer les ressources financières adéquates pour améliorer les soins et les traitements pour les patients atteints de maladies rares dans le cadre de son *Plan d'action québécois sur les maladies rares*.

C. Recommandations détaillées

Première recommandation

Nous demandons au gouvernement de mettre en œuvre les articles 334 à 337 de la *Loi visant à rendre le système de santé et de services sociaux plus efficace* de façon à ne pas restreindre l'accès des patients atteints de maladies rares aux médicaments dont ils ont de besoin pour survivre et mieux vivre.

Les patients atteints de maladies rares font face à une panoplie d'obstacles quant au diagnostic, traitement et la prise en charge de leur maladie. L'accès à des thérapies innovantes peut changer la vie de ces patients en améliorant considérablement leur qualité de vie et la gestion de leur maladie.

Cependant, l'accès à de nouveaux médicaments pour les maladies rares est limité. Tout d'abord, environ 95 % des maladies rares sont des maladies orphelines, c'est à dire, sans traitements approuvés ou commercialisés⁶. Même lorsqu'un traitement est disponible, il est souvent très difficile pour les patients d'y avoir accès en temps opportun. Tel que précédemment mentionné, moins de la moitié des personnes atteintes de maladies rares peuvent facilement avoir accès aux médicaments requis⁷.

Au Québec, une étude démontre que 40% des médicaments pour les maladies rares qui ont été évalués par l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) à des fins de remboursement par le gouvernement ont reçu une recommandation négative⁸. 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. Une recommandation négative de l'INESSS signifie que ces médicaments ne seront pas remboursés par le gouvernement et que de nombreux patients n'y auront pas accès bien que les résultats des études cliniques aient été positifs et que les patients pourraient en bénéficier.

Pour parer à certaines de ces difficultés, le Québec offre deux mécanismes d'accès exceptionnels aux médicaments : la mesure de nécessité médicale particulière en milieu hospitalier et la mesure du patient d'exception en milieu communautaire. Ils 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. Ces mécanismes constituent une

⁶ 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>

⁷ Sondage de la communauté des maladies rares au Canada : https://www.raredisorders.ca/content/uploads/CORD-Rare-Disease-Survey_Full-Report_Feb-2870.pdf

⁸ Ward et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2022) 17:113 : <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-022-02260-6>

réelle bouée de sauvetage pour plusieurs Québécois souffrant de maladies rares, car ils leur permettent d'avoir accès à des médicaments qui ne seraient autrement pas disponibles.

Cependant, le gouvernement a récemment adopté les articles 334 à 337 de la *Loi visant à rendre le système de santé et de services sociaux plus efficace* qui imposent davantage de limites à la mesure de nécessité médicale particulière en milieu hospitalier et qui pourraient ainsi compromettre l'accès à certains médicaments contre les maladies rares. Il s'avère donc primordial que le gouvernement travaille en collaboration avec les cliniciens et la communauté des maladies rares pour faire en sorte que ces dispositions ne soient pas mises en œuvre de façon à nuire à l'accès aux médicaments pour les maladies rares. La mise en application de ces dispositions devrait permettre une certaine souplesse afin de laisser aux cliniciens la possibilité de prendre les meilleures décisions pour leurs patients étant donné qu'ils sont les mieux placés pour déterminer quelles thérapies sont nécessaires pour améliorer ou mieux gérer leur condition.

Plus particulièrement, iRARE veut souligner l'importance de ne pas couper ou limiter l'accès aux patients qui sont déjà stabilisés sur un traitement obtenu par le biais de la mesure de nécessité médicale particulière en milieu hospitalier. Cet accès obtenu avant la mise en œuvre de la *Loi visant à rendre le système de santé et de services sociaux plus efficace* devrait être maintenu et les nouvelles restrictions prévues dans cette loi ne devraient pas s'appliquer à ces cas.

Aussi, les cliniciens et les intervenants de la communauté des maladies rares devraient être plus spécifiquement consultés concernant la mise en place du registre prévu par la loi qui comprendra les décisions relatives à la mesure de nécessité médicale particulière en milieu hospitalier.

Nous tenons aussi à souligner que ces nouvelles restrictions (c'est-à-dire celles prévues aux articles 334 à 337 de la loi) ne devraient pas être répliquées pour la mesure du patient d'exception qui est gérée par la Régie de l'assurance maladie du Québec (RAMQ) et qui permet un accès exceptionnel à des médicaments dispensés par les pharmacies à l'extérieur des établissements de santé. Étant donné la portée plus large de cette mesure vu qu'elle vise les médicaments dispensés en milieu communautaire, davantage de patients atteints de maladies rares pourraient subir les effets néfastes de nouvelles restrictions et voir leur santé et leur bien-être se détériorer. Si le gouvernement considère tout de même modifier la mesure du patient d'exception malgré ces préoccupations, des consultations réelles avec les intervenants doivent être tenues au préalable afin de mitiger tout effet négatif sur la santé des patients.

Finalement, il importe de souligner que dans le cadre de la Stratégie québécoise des sciences de la vie, le Québec s'est 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 Québec⁹. 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.

⁹ https://cdn-contenu.quebec.ca/cdn-contenu/adm/min/economie/publications-adm/politique/PO_strategie_sciences_vie_2022-2025_MEI.pdf

Deuxième recommandation

Nous demandons au gouvernement d'adopter des mesures concrètes et d'allouer les ressources financières adéquates pour améliorer les soins et les traitements pour les patients atteints de maladies rares dans le cadre de son *Plan d'action québécois sur les maladies rares*.

Le Québec se distingue du reste du Canada par les programmes offerts pour améliorer les soins de santé prodigués aux personnes atteintes de maladies rares. L'adoption de la *Politique québécoise pour les maladies rares*¹⁰ et du *Plan d'action québécois sur les maladies rares*¹¹ font du Québec un chef de file dans ce domaine.

Nous encourageons maintenant le gouvernement à adopter des mesures concrètes pour améliorer les soins médicaux offerts aux Québécois touchés par une maladie rare, tels que le dépistage et le diagnostic, et l'accès aux médicaments et aux essais cliniques. Plus particulièrement, le ministère de la Santé et des services sociaux devrait adopter des objectifs de rendement précis, mesurer les progrès réalisés par rapport à ces objectifs et communiquer publiquement ces informations. Par ailleurs, l'implantation du plan d'action devrait être effectuée en collaboration avec la communauté des maladies rares, y compris les groupes de patients, les cliniciens, les chercheurs, les associations telles qu'iRARE et les compagnies biopharmaceutiques. C'est en travaillant ensemble que nous irons plus vite et plus loin pour le bénéfice de la communauté rare.

Nous saluons aussi le financement de 17,2 millions de dollars alloués par le budget précédent¹² pour appuyer la mise en œuvre du plan d'action. Cependant, des fonds supplémentaires sont nécessaires afin de réellement améliorer l'accès des patients aux soins et aux traitements, y compris le soutien nécessaire à leurs proches aidants. À cet égard, le gouvernement du Québec devrait encourager le gouvernement fédéral à débloquer les fonds promis aux provinces en mars dernier lors du lancement de la *Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares*¹³. Dans le cadre de cette annonce, le gouvernement du Canada s'est engagé à allouer jusqu'à 1,4 milliard de dollars aux provinces et territoires. Le Québec est en mesure d'obtenir plus de 300 millions de dollars de ce financement, ce qui aiderait à améliorer l'accès aux médicaments, ainsi qu'à favoriser le diagnostic précoce et le dépistage des maladies rares.

¹⁰ Politique québécoise pour les maladies rares, 2022 : <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2022/22-916-01W.pdf>

¹¹ Plan d'action québécois sur les maladies rares 2023-2027 : <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/document-003573/?&date=DESC>

¹² <https://www.quebec.ca/nouvelles/actualites/details/meilleur-acces-aux-soins-et-davantage-de-prevention-quebec-lance-un-plan-daction-pour-les-maladies-rares-47453>

¹³ Investissements pour soutenir l'accès aux médicaments pour les maladies rares : <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/nouvelles/2023/03/investissements-pour-soutenir-les-maladies-rares.html>