

## Étude comparative sur les politiques publiques pour les maladies rares

Montréal InVivo travaille sur une nouvelle initiative visant à comparer la performance du Québec et du Canada en matière de politiques économiques et de santé pour les maladies rares, en comparaison avec d'autres provinces canadiennes et juridictions internationales.

Pour cette raison, Montréal InVivo a mandaté « [Synergyx Conseil](#) » pour réaliser une étude comparative des politiques pour les maladies rares afin de :

- Comprendre les meilleures pratiques et stratégies mises en œuvre dans les pays et régions qui soutiennent des politiques de santé et de développement économique pour les maladies rares, améliorant ainsi leur compétitivité dans ce créneau.
- Faire des recommandations au gouvernement du Québec et du Canada pour des politiques de santé et des mesures économiques pouvant être mises en œuvre pour attirer plus d'investissements privés et améliorer la compétitivité
- Plaider pour le développement d'une stratégie globale pour les maladies rares au Québec

---

### Contexte

Le Canada accuse un retard important en matière de maladies rares, tant sur le plan législatif que les politiques de santé et économiques visant à encourager la recherche et l'accès aux traitements pour les personnes affectées.

La majorité des pays industrialisés se sont dotés de lois, de plan ou de stratégie en matière de maladies rares : les États-Unis ont adopté en 1983 le *Orphan Drug Act*, d'autres pays ont suivi ou se sont inspirés du modèle américain, notamment le Japon (1993), l'Australie (1998) et l'Union Européenne (2000). La France en est déjà à son troisième *Plan national maladies rares* (2018-2022). L'Allemagne travaille actuellement sur son deuxième *Plan d'action national pour les personnes avec des maladies rares*. En fait, 26 des 28 pays membres de l'Union Européenne possèdent leur propre plan national pour les maladies rares.

Le gouvernement canadien avait initialement rejeté l'idée d'une politique sur les médicaments orphelins en 1997. Puis en 2012, Santé Canada avait annoncé son intention d'élaborer un cadre stratégique. Presque dix ans plus tard, les Canadiens atteints de maladies rares continuent d'attendre la mise en œuvre d'un plan complet. En janvier 2021, Santé Canada a annoncé une consultation avec les associations de patients pour les maladies rares dans le cadre de la *Mobilisation en ligne sur une stratégie nationale visant les médicaments onéreux pour le traitement des maladies rares*.

Au Québec, le gouvernement provincial avait mis sur pied le Groupe de travail québécois sur les maladies rares (GTQMR) en juillet 2018. Le GTQMR a présenté les résultats de ses travaux dans un rapport publié en juillet 2020 avec des recommandations générales de niveau stratégique concernant l'organisation des soins et services pour la prise en charge des personnes affectées par les maladies rares.

Bien que les actions entamées par le gouvernement canadien et québécois représentent les premiers pas dans la bonne direction, il demeure qu'il reste beaucoup de mesures à entreprendre avant d'en arriver à un plan national ou une stratégie adressant les besoins complexes que requièrent les personnes atteintes de maladies rares.

## Politiques de santé et politiques économiques

Les incitatifs aux entreprises ont été la pierre angulaire des politiques visant à stimuler la recherche et le développement de médicaments, dits orphelins, pour le traitement des maladies rares. Ces incitatifs ont eu les effets désirés de stimuler la recherche sur les traitements dans les maladies rares.

Les législations, règlements et politiques en Europe et aux États-Unis ont été élaborés dans le but d'encourager la recherche et le développement de médicaments pour le traitement de maladies rares. Essentiellement, cinq grandes catégories d'incitatifs ont été créées: les crédits d'impôt, les évaluations prioritaires des médicaments par les agences réglementaires, les subventions de recherche, le soutien scientifique dans le développement du protocole de recherche clinique et l'exclusivité commerciale.

Ces avantages financiers et structurels en soutien à la recherche et le développement des traitements pour les maladies rares ont eu un impact important sur l'expansion de l'industrie pharmaceutique et la commercialisation des médicaments pour les maladies rares.

## Accès aux traitements

La politique canadienne actuelle sur le développement et la mise en marché d'un médicament n'est pas adaptée pour les médicaments orphelins. Quant à la politique québécoise de remboursement de médicaments, elle n'adresse pas, dans son état actuel, la problématique de l'accessibilité aux médicaments pour les maladies rares.

Bien qu'il n'existe pas de programme national de couverture de médicaments, considérés onéreux, pour les maladies rares, la plupart des Canadiens bénéficient d'une certaine protection contre le coût de ces médicaments grâce à des programmes de régimes d'assurance provinciaux, territoriaux, fédéraux ou des régimes d'assurance privée.

En somme, le Canada n'a présentement pas de régime d'assurance national pour les médicaments traitant les maladies rares comme la France et l'Allemagne, mais plutôt un mélange hétéroclite de régimes d'assurance-médicaments publics et privés. Par conséquent, cela résulte en des iniquités dans la couverture des médicaments pour les maladies rares d'une province à une autre.

## Nécessité de développer un plan national et intégré

Le Canada devrait s'inspirer du modèle de développement des plans nationaux pour les maladies rares de la France et de l'Allemagne. Le cadre central du plan national doit être développé avec les objectifs prioritaires d'améliorer le diagnostic et le dépistage des maladies rares, d'offrir une meilleure coordination des soins et un soutien adapté aux patients. De plus, le plan devrait mettre en place des mesures pour un accès plus efficace et équitable aux traitements, ainsi que de favoriser l'émergence de l'innovation et la recherche pour les maladies rares.

Il serait primordial que le Canada mette en place un cadre législatif et réglementaire, spécifiquement développé pour les maladies rares. À travers ce processus, le Canada devrait aussi consulter les patients et les familles atteints de maladies rares, les cliniciens spécialisés, les chercheurs du domaine et les représentants de l'industrie pharmaceutique. Les Canadiens ont besoin d'un cadre pour les médicaments orphelins dans le but d'assurer un accès rapide à des traitements sûrs et efficaces.

D'ailleurs les regroupements de patients pour les maladies rares, tels que le *Canadian Organization for Rare Disorders* (CORD) et le Regroupement québécois des maladies orphelines (RQMO), avaient chacun développé des stratégies sur les maladies rares, des politiques favorisant la recherche innovante, des plans d'actions et de nombreuses propositions, visant principalement à réduire les délais de dépistage et de diagnostic, à améliorer la prise en charge des patients et à optimiser l'accès aux traitements. Le gouvernement fédéral et les gouvernements provinciaux pourraient adopter et mettre en place les stratégies développées par CORD et RQMO, puisque ces cadres stratégiques ont été élaborées et validées par des experts scientifiques et cliniques en maladies rares.

## Des pistes de solutions

Les sources d'inspiration sont nombreuses en matière de développement et de remboursement des médicaments pour les maladies rares. La majorité des 30 pays membres de l'Organisation de coopération et de développement économique (OCDE) se sont dotés de politiques, de programmes ou de lois sur les médicaments orphelins, sous la forme de désignations, d'exclusivités commerciales, de subventions pour la recherche, d'accès aux médicaments avant l'autorisation de mise en marché, de crédits d'impôt, de subventions à la recherche et des exonérations des frais d'évaluation par les agences réglementaires.

Premièrement, en respectant le partage des compétences en santé des provinces, le gouvernement du Canada devrait créer un projet de loi fédéral incluant une stratégie nationale pour les maladies rares. Un plan d'action détaillé avec des échéanciers de travail précis ainsi que des montants d'argent octroyés pour soutenir les actions et la mise en place du plan à travers les provinces. L'efficacité de cette approche a été démontrée en France et en Allemagne. D'ailleurs, en 2017 l'Ontario a développé son cadre stratégique aligné avec celui proposé par CORD, incluant un plan d'action, un échéancier de travail et des subventions à partir de fonds publics.

Deuxièmement, le gouvernement fédéral devrait modifier le Règlement sur les aliments et drogues afin d'ajouter une protection additionnelle sur la propriété intellectuelle des médicaments pour les maladies rares. Étant donné que le temps requis pour effectuer la recherche et le développement de ces médicaments peut être excessivement long, l'octroi d'un délai additionnel de protection sur les brevets pourrait être un incitatif stratégique important pour les compagnies pharmaceutiques. Cette mesure permettrait au Canada d'être plus concurrentiel sur le marché international et d'être plus attrayant pour les investissements étrangers.

Un autre incitatif à considérer par le gouvernement fédéral est la possibilité d'octroyer une exclusivité commerciale aux compagnies pharmaceutiques qui développent des médicaments pour les maladies rares. Les études aux États-Unis et en Europe démontrent que cette mesure a été un des meilleurs incitatifs pour la recherche et l'innovation dans les maladies rares, puisqu'elle procure une certitude pour les compagnies pharmaceutiques d'en tirer un avantage commercial tangible. La période d'exclusivité commerciale est de sept ans aux États-Unis, cinq ans en Australie, dix ans au Japon et dans l'Union européenne (avec un deux ans additionnels pour une indication pédiatrique, pour un total de douze ans d'exclusivité en Europe).

Une autre intervention intéressante serait d'accorder des crédits d'impôt, des subventions ou du financement pour encourager la recherche et le développement des thérapies pour les maladies rares. L'expérience aux États-Unis et en Europe démontre que ces incitatifs financiers permettent aux compagnies pharmaceutiques de récupérer un certain retour sur leur investissement, autrement impossible avec la simple commercialisation et la vente des médicaments. Aux États-Unis, un crédit d'impôt de 50% est applicable aux coûts associés à la recherche clinique sur les médicaments orphelins. Au Canada, le *Programme de la recherche scientifique et du développement expérimental* (RS&DE) existe pour obtenir des crédits d'impôt. Toutefois, ce programme n'est pas spécifiquement conçu pour la recherche dans les maladies rares.

Ensuite, il faudrait des projets de loi concrets sur l'accessibilité, comme les politiques de remboursements des médicaments, et que ceux-ci soient adoptés au niveau des provinces. Une initiative pancanadienne visant à harmoniser les politiques de remboursement des provinces permettrait de rendre l'accès aux traitements plus rapide, efficace et équitable.

Une initiative souvent négligée est la sensibilisation du public et l'éducation des professionnels de la santé sur les maladies rares. Une très faible partie de la population canadienne comprend précisément ce qu'est une maladie rare. Il est donc important de remédier rapidement à cet enjeu afin d'obtenir un réseau d'experts cliniciens spécialisés à travers le Canada. D'ailleurs, une des recommandations du GTQMR dans son rapport de juillet 2020 est de développer un plan de formation des professionnels de première ligne pour la reconnaissance des maladies rares et l'orientation rapide des patients vers une expertise pour effectuer un diagnostic.

Finalement, les propositions de CORD et RQMO au sujet de la création d'un registre pour la collecte des données sur les maladies rares seraient pertinentes dans le contexte canadien et québécois. Cela permettrait de comptabiliser le nombre de personnes atteintes de maladies rares, d'effectuer un suivi de ces personnes tout au long de leur maladie, d'avoir accès à une banque de patients afin de faciliter le recrutement dans les essais cliniques, de cumuler les données sur la situation clinique réelle, les coûts de traitement des maladies rares et la couverture d'assurance des médicaments. Ces données en vie réelle contribueront au développement des projets de loi fondés sur des données probantes.

## **Conclusion**

En conclusion, ce dont le Canada a besoin c'est plus qu'une stratégie, mais bien un plan national pour les maladies rares, articulé autour de grands axes. Le succès de cette approche a été bien démontré en Europe, notamment en Allemagne, en France et au Royaume Uni. Un plan national doit englober plusieurs axes stratégiques, particulièrement le soutien de la recherche et le développement par l'innovation, un partage des données sur les maladies rares à l'échelle nationale internationale, ainsi qu'un accompagnement et un soutien adapté des patients dans la gestion des maladies.

Le plan national pour les maladies rares doit donc être élaboré avec le but principal de favoriser l'émergence d'innovations thérapeutiques au Canada, de diminuer les délais pour obtenir un diagnostic, un accès rapide aux soins et traitements, et une meilleure prise en charge des personnes atteintes par les maladies rares.