

SOMMAIRE EXÉCUTIF

EN UN COUP D'OEIL

Qu'est-ce qu'une maladie rare ?

L'Organisation mondiale de la santé qualifie de rare toute maladie/condition touchant 1 personne sur 2000 ou moins.

Au Québec, ce sont environ 690 000 personnes qui vivent au quotidien avec une maladie rare.

De nombreuses maladies rares sont des maladies chroniques, progressives et mortelles. Près de 75 % de ces maladies touchent les enfants.

ÉTAT DE LA SITUATION AU QUÉBEC

Jusqu'en mai 2022, le Québec ne possédait pas encore de politique ni de plan d'action spécifique aux maladies rares.

Au cours des dernières années, les familles, les groupes de défense des patients et la communauté des sciences de la vie ont mené des actions pour sensibiliser le public et le gouvernement à prendre action.

HISTORIQUE

En 2019, Montréal Invivo a mis sur pied un comité projet spécialisé sur les maladies rares ayant pour mission de proposer un plan stratégique sur les maladies rares.

Dévoilé en avril 2022, le présent plan a pour objectif d'informer et d'inspirer le gouvernement du Québec à agir rapidement et saisir l'opportunité d'être un pionnier au Canada dans le domaine des maladies rares.

Inspiré des meilleures pratiques internationales, ce document s'inscrit en complémentarité de la Politique québécoise sur les maladies rares et s'arrime avec les Stratégies québécoises en sciences de la vie (SQSV) et en recherche et innovation (SQRI).

Composition du comité

Chercheurs

Groupes patients

Cliniciens

Industrie des sciences
de la vie

PRINCIPES DIRECTEURS AU CŒUR DE LA RÉFLEXION

Approche patient
et développement
économique
du Québec.

OBJECTIFS DU PLAN

- Permettre aux patient(e)s québécois (ses) atteint(e)s d'une maladie rare d'avoir un accès rapide et optimal aux innovations thérapeutiques et diagnostiques
- Améliorer la compétitivité de l'écosystème d'innovation québécois pour attirer les investissements et développer nos compétences en s'inspirant des meilleures pratiques internationales.



ENJEUX

01

Offre de soins aux patient(e)s sous-optimale et complexe

02

Le niveau de financement limite la compétitivité des activités de recherche et de développement

03

Environnement d'affaires significativement moins compétitif

04

Préoccupations sur la capacité de payer pour les nouvelles innovations à valeur ajoutée



RECOMMANDATIONS



Accélérer le diagnostic
afin de limiter l'errance diagnostique



Améliorer la prise en charge
pour la santé des patients



Regrouper les données de santé
afin d'optimiser les trajectoires de soins et les opportunités de recherche



Soutenir le développement d'innovations
au Québec



Faire lever des études cliniques
pour améliorer les soins aux patients et créer de la richesse économique



Améliorer l'accès aux traitements approuvés
afin que les patient(e)s québécois(es) bénéficient rapidement des innovations



Créer un fonds public-privé
dédié aux maladies rares

PROCHAINES ÉTAPES

La création d'une **table de concertation** regroupant les parties prenantes sera essentielle pour développer une vision globale, mobiliser l'écosystème, renforcer la collaboration entre toutes les parties prenantes et assurer un déploiement rapide et optimal du plan d'action découlant de la politique québécoise sur les maladies et des autres initiatives de la communauté des maladies rares.

Le gouvernement du Québec, suivant le dévoilement de sa Politique nationale en maladies rares devra également développer et mettre en œuvre un **plan d'action** pour assurer la mise en place de mesures concrètes.

Le gouvernement du Canada s'est engagé à aller de l'avant avec une stratégie nationale sur les médicaments pour les maladies rares et prévoit des investissements pouvant aller jusqu'à un milliard de dollars pour donner l'accès aux Canadiens à des traitements pour les maladies rares à compter de 2022-2023. Le Québec doit donc également **saisir cette opportunité** sans délai.