

# Solutions canadiennes recherchées pour les maladies rares

## En bref

### 1 Canadien sur 12

est atteint d'une maladie rare<sup>1</sup>



### Plus de 10 000

maladies rares connues<sup>2</sup>



### 65 % des traitements

des maladies rares sont disponibles au Canada<sup>3</sup>



### 2 ans

est le délai moyen de remboursement public des médicaments pour les maladies rares au Canada, soit 2 fois plus long que dans les autres pays développés<sup>4</sup>



### 90 % des maladies rares

n'ont pas d'options de traitement<sup>5</sup>



### 2 personnes sur 3 atteintes

de maladies rares sont des enfants<sup>6</sup>



## L'histoire de Ryan – le parcours d'une patiente

Ryan a reçu un diagnostic de maladie de Gaucher alors qu'elle n'avait que trois semaines. C'est une maladie rare causée par une carence en enzymes qui entraîne l'accumulation de quantités nocives de certains gras. Maintenant âgée d'un an, Ryan a perdu l'ouïe et la vision, elle a également des crises d'épilepsie et de la difficulté à avaler. Ses parents, Mallory et Cameron, se sont retirés de leur pratique chiropratique pour offrir à Ryan les soins dont elle a besoin. Sa première année de vie a été engloutie par d'innombrables rendez-vous chez un spécialiste et des pertes de fonction notables. Même s'il existe des traitements approuvés pour certains patients atteints de la maladie de Gaucher, les restrictions imposées à l'accès à ces thérapies ont causé aux parents de Ryan bien du souci. Ceux-ci s'inquiètent que leur fille pourrait être retirée du traitement à tout moment. Ryan est maintenant inscrite à un essai clinique de thérapie génique aux États-Unis.

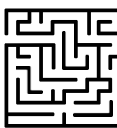


## Quels sont les défis?

Les traitements pour les maladies rares exigent habituellement des coûts par patient plus élevés que les médicaments pour des maladies courantes dans le contexte de programmes de recherche et développement à risque élevé et de petites populations de patients.



Le système complexe d'examen des médicaments du Canada peut décourager ou retarder le lancement de nouveaux traitements au Canada. Les patients d'autres pays développés, dont les États-Unis et l'Europe, ont accès plus tôt aux nouveaux traitements.



Les patients font face à de nombreux obstacles, y compris des disparités dans la couverture entre les provinces et une coassurance plus élevée.



## Quelles sont les possibilités?

Le Canada est l'un des seuls pays développés à ne pas avoir de stratégie nationale pour les maladies rares, mais des efforts sont en cours pour en mettre une en œuvre.



L'amélioration de l'accès aux traitements et aux essais cliniques peut sauver et améliorer considérablement la vie des patients.



L'amélioration de l'accès aux traitements peut libérer des ressources du système de santé et assurer que les Canadiens sont en meilleure santé et contribuent à l'économie.



## Ce qui se passe

Le gouvernement du Canada a promis un milliard de dollars sur deux ans à compter de 2022-2023 pour lancer la stratégie nationale sur les médicaments pour les maladies rares afin d'améliorer leur accès. On ne sait pas comment ce financement sera utilisé. Parmi les principaux chefs de file provinciaux dans ce dossier, on compte le Québec qui a lancé la première stratégie pour les maladies rares en juin 2022.

Les gouvernements ont investi 525 millions de dollars dans le traitement des maladies rares non cancéreuses en 2021, ce qui représente seulement 3,2 % des dépenses publiques totales en médicaments.<sup>7</sup> L'augmentation des investissements pour élargir l'accès aux médicaments pour les maladies rares est gérable. De nombreuses lacunes et des retards en matière d'accès pourraient être comblés grâce à des stratégies fédérales et provinciales sur les maladies rares.

## Solutions possibles

- **Investir dans les infrastructures :** Appuyer et financer les propositions relatives aux réseaux de centres d'expertise pour les maladies rares au Canada.
- **Processus distinct pour les maladies rares :** Créer des programmes permettant aux patients atteints de maladies rares et à leurs médecins de demander un accès financé aux médicaments.
- **Éliminer les obstacles à l'accès :** Créer des processus d'évaluation des technologies de la santé personnalisés qui reconnaissent la nature particulière du développement des traitements pour les maladies rares ; éviter d'exiger de tels examens pour les médicaments ayant un faible impact budgétaire.

<sup>1</sup> <https://www.ourcommons.ca/Content/Committee/421/HESA/Reports/RP10349306/hesarp22/hesarp22-e.pdf>

<sup>2</sup> <https://rare-x.org/case-studies/the-power-of-being-counted>

<sup>3</sup> Une analyse comparative internationale du remboursement public des médicaments orphelins dans les provinces canadiennes par rapport aux pays européens : <https://ojrd.biomedcentral.com/track/pdf/10.1186/s13023-022-02260-6.pdf>

<sup>4</sup> MNC explique les délais de remboursement public des nouveaux médicaments pour les patients canadiens (30 juin 2020) : <http://innovativemedicines.ca/wp-content/uploads/2020/07/CADTH-TTL-8.5x11-EN-Final.pdf>

<sup>5</sup> <https://rarediseases.org/new-report-finds-medical-treatments-for-rare-diseases-account-for-only-11-of-us-drug-spending-nearly-80-of-orphan-products-treat-rare-diseases-exclusively/>

<sup>6</sup> [https://www.raredisorders.ca/content/uploads/CORD\\_Canada\\_RD\\_Strategy\\_22May15.pdf](https://www.raredisorders.ca/content/uploads/CORD_Canada_RD_Strategy_22May15.pdf)

<sup>7</sup> Affiche d'Eversana, Conférence annuelle de l'Association canadienne pour la thérapie des populations 2021 : [https://www.capt-actp.ca/wp-content/uploads/2021/10/35-Lech-CAPT\\_2021\\_Poster\\_27Sept2021\\_final.pdf](https://www.capt-actp.ca/wp-content/uploads/2021/10/35-Lech-CAPT_2021_Poster_27Sept2021_final.pdf)