

New Patented Medicine Regulations in Canada: Case Study of a Manufacturer's Decision-Making about Regulatory Submission for a Rare Disorder Treatment



Author

Nigel SB Rawson, Ph.D.

Publication Date

October 2018.

Citation

Rawson, Nigel SB (2018). New Patented Medicine Regulations in Canada: Case Study of a Manufacturer's Decision-Making about Regulatory Submission for a Rare Disorder Treatment. *Canadian Health Policy*, October 2018. Toronto: Canadian Health Policy Institute. URL: www.canadianhealthpolicy.com

Copyright

©Canadian Health Policy Institute Inc. All rights reserved. Unauthorized reproduction or distribution of this article in whole or in part is strictly prohibited.

EN/FR

SUMMARY

Introduction

The Canadian federal government has proposed sweeping changes for the price review guidelines of the Patented Medicine Prices Review Board (PMPRB), the quasi-judicial agency whose role is to ensure that the prices of patented medicines sold in Canada are not excessive. The revisions are due to come into effect in 2019.

Objective

The objective of this article is to examine the proposed changes in the guidelines and to apply them to a hypothetical case study of the decision-making process that the pharmaceutical manufacturer of a new medication for a rare disorder is likely to go through when assessing whether to seek regulatory approval in Canada under the new PMPRB regulations.

Results

The case study presented here demonstrates that the proposed changes in the PMPRB's guidelines will create a high level of uncertainty among manufacturers of drugs for rare disorders. Manufacturers will be faced with a decision of whether to introduce a new product into Canada with limited flexibility on how it can be priced across different payers and Canadian health systems, limited visibility on market share, and no certainty regarding what an acceptable price in Canada will be.

Conclusions

The high level of uncertainty being generated by the proposed changes in the PMPRB's guidelines will imperil the launch of all new medicines in Canada because it will significantly decrease the attractiveness of the country as a priority jurisdiction in which pharmaceutical companies seek regulatory approval for new products. The uncertainty will especially impact manufacturers of new specialty high-cost medications, but it will not be limited to them. The result will be long delays in patient access to important new therapies. In some cases, manufacturers may not seek regulatory approval in Canada if they decide that the Canadian market is not worth the risk of failing to secure a reasonable price in both Canada and other jurisdictions. This would eliminate access for all patients, even those with private insurance. Access to drugs for rare disorders with insurance coverage is already difficult, if not impossible, to obtain for many Canadian patients. The changes in the PMPRB's regulations are likely to make the situation much worse.

INTRODUCTION

As part of its present focus on “affordability, accessibility and appropriate use of prescription drugs,”¹ the Canadian federal government has proposed sweeping changes for the price review guidelines of the Patented Medicine Prices Review Board (PMPRB), the quasi-judicial agency whose role is to ensure that the prices of patented medicines sold in Canada are not excessive.² The revisions are due to come into effect in 2019.

The new regulations would replace countries that have relatively higher drug prices with lower price countries in the PMPRB’s international price comparison analysis, enforce a hard threshold per quality-adjusted life year (QALY), impose a reduction in a drug’s price if its annual sales in Canada exceed a defined level, and require pharmaceutical companies to divulge information to the PMPRB on confidential rebates and other commercial terms negotiated with payers in Canada.³

This article examines the proposed changes in the guidelines and applies them to a hypothetical case study of the decision-making process that the pharmaceutical manufacturer of a new medication for a rare disorder is likely to go through when assessing whether to seek regulatory approval in Canada under the new PMPRB regulations.

PMPRB REGULATIONS TRANSFORMATION

After the first sale of a new patented drug, the PMPRB presently performs a scientific review of the medicine and categorizes it as being a breakthrough or a substantial, moderate or slight/no improvement over current therapy. The price that a pharmaceutical manufacturer intends to charge for the drug in Canada is then assessed against the highest and median international prices (HIPC7 and MIPC7) in seven comparator countries: France, Germany, Italy, Sweden, Switzerland, the United Kingdom and the United States (the PMPRB7). The criteria for setting the price in each scientific assessment category is shown in [Table 1](#).

¹ Health Canada (2017). Remarks from the Honourable Jane Philpott, Minister of Health, to the Economic Club of Canada – May 16, 2017. Ottawa: Government of Canada. https://www.canada.ca/en/health-canada/news/2017/05/economic_club_ofcanada-may162017.html.

² PMPRB (2018). Mandate and jurisdiction. Ottawa: Government of Canada. <http://pmprb-cepmb.gc.ca/about-us/mandate-and-jurisdiction>.

³ PMPRB (2018). Steering Committee on Modernization of Price Review Guidelines. Ottawa: Government of Canada. <http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/view.asp?ccid=1378&lang=en>.

DATA TABLES

Table 1: Present PMPRB Price Criteria

Scientific review result:	Breakthrough	Substantial improvement	Moderate improvement	Slight/no improvement
Price allowed:	MIPC7	Higher of MIPC7 and top price of drugs in same therapeutic class	Midpoint of MIPC7 and top price of drugs in same therapeutic class	Usually, top price of drugs in same therapeutic class

Note: No patented product is ever permitted to be priced higher than the HIPC7

Table 2: Relevant characteristics of Innocel

Indication	First-line therapy for long-term treatment of a genetic mutation causing a rare, severely-debilitating musculoskeletal disorder
Annual prevalence of indication	About 60-70 Canadians; Innocel would be appropriate therapy for 55 patients
Formulation	Oral 150 mg tablet to be taken twice daily
Health Canada review	Priority because Innocel is for a severe disease with no effective therapeutic alternative
Manufacturer's estimated ICER	\$625,000 per QALY
CADTH's estimated ICER	\$975,000 per QALY
Manufacturer's list price	\$292,000 per year

* CADTH: Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health; ICER: Incremental cost-effectiveness ratio; QALY: Quality-adjusted life year

Table 3: Assessment of Innocel as a Category 1 Medicine

PMPRB Criteria	Assessment	Fulfills Category 1 criteria?
First-in-class or substantial improvement over existing therapy	Yes	Yes
ICER > \$30,000 per QALY	CADTH: \$975,000 per QALY	Yes
Market size > \$20 million per year	55 x \$233,600 = \$12.85 million	No
Average annual cost > GDP per capita*	\$233,600 > \$66,900	Yes

* GDP per capita in 2017 was approximately \$66,900. Trading Economics (2018). Canada GDP per capita. <https://tradingeconomics.com/canada/gdp-per-capita>.

The proposed changes in the PMPRB's regulations will require a much more complex process with five components:⁴

1. Median International Price Test

Instead of the seven countries that have been used for price comparisons during the past 30 years, a new test will be introduced based on 12 comparator countries in which the relatively higher drug price countries of Switzerland and the United States will be replaced with the lower price countries of Australia, Belgium, Japan, the Netherlands, Norway, South Korea and Spain. The new group of comparator countries, which will be known as the PMPRB12, effectively represents the entire 31 Organization for Economic Cooperation and Development countries. All new medications will be assigned a Maximum List Price (MLP) based on the median of prices in the PMPRB12 (MIPC).⁵

2. Screening Drugs into Two Categories

All new patented medicines will be screened into one of two categories.

Category 1 medicines will be given both an MLP, based on the MIPC, and a Maximum Rebated Price (MRP). Category 1 products will be those that have one or more of the following characteristics, which are likely to capture most innovative medicines:

- First-in-class or represents a substantial improvement over existing therapy.
- An incremental cost-effectiveness ratio (ICER) above a \$30,000⁶ per QALY threshold for clinically significant indications.
- Expected annual market sales in Canada of more than a \$20 million per year threshold.
- An average annual treatment cost above Canada's per capita gross domestic product (GDP).

Category 2 products will be all those not assigned to Category 1.

3. MRP for Category 1 Products

The establishment of the MRP for Category 1 products will consist of two steps:

- The first step will be a pharmacoeconomic analysis using data from the review performed by the reimbursement recommendation review processes of the Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH). Category 1 drugs will be required to have an ICER of less than \$60,000 per QALY, unless they meet certain clinical characteristics, such as an indication that has a high burden of disease or is a rare disorder or there is a significant absolute QALY gain, in which case the ICER target threshold will be

⁴ PMPRB (2018). Guidance document on changes to the Guidelines. Ottawa: Government of Canada. <http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/view.asp?ccid=1376&lang=en>.

⁵ The median is the midpoint of the prices in the comparator countries.

⁶ All monetary values are in Canadian dollars.

\$90,000 to \$150,000 per QALY.

- The second step will assess the potential market size of the product and GDP factors. Any new drug with an estimated annual sales value in Canada that exceeds \$20 million (this threshold will increase annually based on GDP growth and the consumer price index) within any of its first five years of sales will have a further price adjustment imposed (a 10% reduction in MRP for each additional \$10 million in revenue up to a maximum of 50%). In addition, if the annual cost is greater than the Canadian per capita GDP, the manufacturer will be required to make another price reduction. It should be noted that, even if a Category 1 drug meets the applicable ICER threshold, an adjustment in price will be required if the application of the market size and GDP factors raise affordability concerns.

4. MLP for Category 2 Products

Category 2 products will have an MLP based on the lower of the MIPC and the average of the prices of drugs in the same therapeutic class. No Category 2 drug will be given an MLP that is less than the lowest price country in the PMPRB12.

5. Re-benching of Prices

All new medicines will be given an interim MLP for three years or until the drug is sold in seven countries, whichever comes first. At this point, the MLP will be frozen, as will the MRP, unless re-benching is triggered by the approval of a new indication, sales that exceed the expected market size, new

evidence on cost-effectiveness, or significant changes in international prices. Manufacturers may apply for a price re-benching with evidence of increased cost-effectiveness, smaller market, or a significant increase in the consumer price index.

CASE STUDY: Decision-Making about Regulatory Submission under New PMPRB Regulations

This case study relates to a hypothetical new drug known as Innocel whose relevant characteristics are summarized in [Table 2](#).

Innocel has been developed for patients with a specific genetic mutation suffering from a rare, severely-debilitating musculoskeletal disorder that has a prevalence of about 60-70 Canadians (both children and adults) per year. Innocel would be appropriate therapy for 55 patients. Innocel is formulated as an oral 150 mg tablet to be taken twice daily and is indicated as first-line therapy for long-term treatment to be used in addition to the present standard of care, which consists of diet and physiotherapy. As a treatment for a severe disease with no effective therapeutic alternative, Innocel received a priority review from Health Canada.

The manufacturer's list price for Innocel is \$400 per tablet, i.e. \$292,000 per year. In its submission for health technology assessment (HTA) to CADTH, the manufacturer's estimated ICER based on the list price is \$625,000 per QALY. However, as it frequently does, CADTH used more conservative cost estimates, an

assumption of no price reduction at loss of exclusivity and a different utility decline ratio and, consequently, estimated the ICER to be \$975,000 per QALY.

Under the existing process, the manufacturer launches Innocel at a list price of \$292,000 per year after regulatory approval from Health Canada. The PMPRB becomes involved after Innocel's first sale. The PMPRB agrees with Health Canada's assessment of Innocel as a substantial improvement and assesses its Canadian list price against the MIPC7, i.e. the median of the prices in the PMPRB7 countries.⁷ The PMPRB finds that the Canadian list price for Innocel is the same as the MIPC7 and, therefore, is within guidelines.

How might the proposed PMPRB reforms apply to Innocel if it were launched in 2019?

The assessment of Innocel by the PMPRB under the proposed regulations will be entirely different based on the draft guidelines currently under consideration.

The first process would be the international price reference test using the PMPRB12 countries to calculate the MLP. We will assume that since prices in several of the countries in the PMPRB12 group are lower, the MIPC is 20% lower than the MIPC7, resulting in an MLP for Innocel of \$233,600 per year.

The second process would be an assessment to see whether Innocel should be classified as a Category 1 drug. As the

data in [Table 3](#) demonstrate, Innocel fulfills three of the four requirements, although only one is necessary.

The next process would consist of the calculation of the MRP. Even if the PMPRB assessed Innocel against the higher cost-effectiveness threshold of \$150,000 per QALY, it would fail the test, resulting in a requirement for a confidential rebate reduction to all payers. The second step in this component would be the assessment of the potential market size of the drug and GDP factors. Innocel would pass the first of these tests and not require a further price reduction based on market size. However, Innocel would fail the per capita GDP test, which would trigger a price decrease, but the size of the potential reduction is unclear. The required reductions could amount to an 80-90% decrease in the manufacturer's proposed price.

What Should Innocel's Manufacturer Do About Its Price?

The manufacturer's decision-making process about submission for regulatory approval for Innocel is complicated by the fact that, at the time Innocel receives regulatory approval from Health Canada, CADTH's HTA recommendation is unknown (it commonly takes more than six months after regulatory approval) and the PMPRB evaluation, which presently takes about a year but may take longer under the new regulations, does not begin until the time of the first sale of Innocel.

Some possible decisions by Innocel's

⁷ Since there are no other drugs in the same therapeutic class (see Table 1), Innocel's price is assessed against the MIPC7.

manufacturer are:

- Launch Innocel at the annual price of \$292,000 and face a PMPRB excessive price investigation, which is likely to delay patient access.
- Make a huge reduction in Innocel's price at the time that regulatory approval is received, including a list price of \$233,600 and a maximum rebated price that would require an 80-90% reduction in total to meet the ICER threshold and the GDP test. However, such a decision would be a risk to the pricing of Innocel in other countries because other payers could calculate the effective price given the fixed ICER threshold. This strategy would bring the Canadian affiliate company into conflict with its global headquarters.
- Delay the launch of Innocel in Canada until after it has been launched in other countries. If Innocel has previously been launched in only a few of the PMPRB12 countries, the MIPC may change as the drug becomes available in more of the PMPRB12, which could lead to the manufacturer delaying the launch in Canada until there is more certainty in the MIPC. This would delay access for Canadian patients.
- Not to seek regulatory approval for Innocel in Canada. This will deny access to Canadian patients. Even if patients and healthcare providers wanted to access Innocel through Health Canada's Special Access Programme, its price would need to comply with the PMPRB's rules.

DISCUSSION

The case study presented here demonstrates that the proposed changes in the PMPRB's guidelines will create a high level of uncertainty among manufacturers of drugs for rare disorders. Manufacturers will be faced with a decision of whether or not to introduce a new product into Canada with limited flexibility on how it can be priced across different payers and Canadian health systems, limited visibility on market share, and no certainty regarding what an acceptable price in Canada will be. Although the case study concerns a medicine for a genetic condition, rare disorders include many other non-genetic conditions, including rare cancers.

A crucial question that would arise for manufacturers of drugs like Innocel would be: is the drug commercially viable in Canada with a discount of 80-90% if there is an indirect risk to pricing negotiations in other countries? Since CADTH's estimate of the drug's ICER is published and the PMPRB threshold is known, another HTA group would find it easy to calculate the general discount given to Canadian payers if Innocel is in compliance with the proposed regulations and would try to leverage the Canadian price in their negotiations with the manufacturer. Manufacturers of drugs like Innocel may simply make the decision not to seek regulatory approval in Canada.

There are already numerous barriers that pharmaceutical manufacturers of drugs for rare disorders must overcome before their products can be accessed by the patients

who need them.⁸ In particular, it is commonly difficult to obtain insurance coverage in Canadian federal and provincial drug plans for drugs intended for individuals with rare disorders. The reasons for this include the sticker price shock that public and private drug insurance plans suffer from when they see the cost of many new medicines, and the fact that current cost-effectiveness methods used in HTAs do not work well when evaluating drugs for rare disorders.⁹ QALYs give the impression of precision but have several limitations,¹⁰ because health economic models are based on a set of assumptions and results can vary widely, even between different HTA agencies using the same data.

The potential negative impact of the proposed revisions in the PMPRB's guidelines is not limited to drugs for rare disorders. Consider, for example, a manufacturer that develops an oral anti-diabetic drug, which we will call Glucopil, designed to be taken once daily that is more effective and has a better safety profile than similar existing oral anti-diabetic drugs. The manufacturer wants to be competitive with existing oral anti-diabetic drugs and wants to charge \$730 per year. This price is consistent with the midpoint of the 12 comparator countries

and the CADTH reimbursement recommendation review finds that Glucopil is cost-effective and within the \$60,000 threshold. The Canadian Diabetes Association estimates that the prevalence of diabetes in Canada in 2010 is 7.6% so that about 2.7 million Canadians have the disease.¹¹ Many Canadians are unaware that they have diabetes, but we will assume that about half (1.3 million) are being treated. Since there are several drugs for diabetes, we will further assume that only 10% of the 1.3 million people with diabetes, i.e. 130,000, are suitable candidates for Glucopil. If all 130,000 individuals with diabetes received Glucopil for a year at \$730 each, the estimated cost would be approximately \$95 million, which would far exceed the \$20 million annual sales threshold in the proposed PMPRB guidelines and would trigger a requirement to adjust the confidential price of Glucopil by up to 50%. Even if the manufacturer dropped its list price to \$365 per year, it would be faced with either limiting sales to less than 54,000 Canadians with diabetes or an additional price reduction.

The proposed regulations include little explanation for the screening criteria for Category 1 products. Some minimal reasoning for the choice of the ICER

⁸ Rawson NSB (2018). Regulatory, reimbursement and pricing barriers to accessing drugs for rare disorders in Canada. Vancouver: Fraser Institute.

⁹ Richter T, Janoudi G, Amegatse W, Nester-Parr S (2018). Characteristics of drugs for ultra-rare diseases versus drugs for other rare diseases in HTA submissions made to the CADTH CDR. *Orphanet J Rare Dis* 13: 15.

¹⁰ Pettitt D, Raza S, Naughton B, Roscoe A, Ramakrishnan A, Ali A, Davies B, Dopson S, Hollander G, Smith JA, Brindley DA (2016). The limitations of QALY: a literature review. *J Stem Cell Res Ther* 6: 4.

¹¹ Canadian Diabetes Association (2011). Diabetes: Canada at the tipping point. Toronto: Canadian Diabetes Association. <https://www.diabetes.ca/CDA/media/documents/publications-and-newsletters/advocacy-reports/canada-at-the-tipping-point-english.pdf>.

thresholds for Category 1 products is provided, but almost all HTA agencies do not use hard cost-effectiveness thresholds, preferring to use a more flexible approach; moreover, a cost-effectiveness threshold is not an effective or appropriate tool for establishing a market price. While a first-in-class drug has no comparator and, as such, there may be a risk of it being priced excessively, there is no justification in the proposed regulations for assuming that an annual sales value exceeding \$20 million or an annual cost greater than Canada's per capita GDP implies an excessive price. The blanket inclusion of these medicines as Category 1 products seems to devalue or penalize truly ground-breaking medications. In addition, market sales of new drugs in diverse population groups can vary significantly each year, which could lead to a medicine moving from Category 2 to a Category 1 some years into its commercialization, creating even more uncertainty for manufacturers.

The proposed regulations also lack any provision to safeguard pricing of drugs that are currently on the Canadian market. If manufacturers are forced to implement a 20% price reduction for an entire portfolio, they may remove the products from Canadian shelves, which would exacerbate the drug shortage challenge already existing in Canada.

CONCLUSION

The high level of uncertainty being generated by the proposed changes in the PMPRB's guidelines will imperil the launch of all new medicines in Canada because they will significantly decrease the attractiveness of the country as a priority jurisdiction in which pharmaceutical companies seek regulatory approval for new products.¹² The uncertainty will especially impact manufacturers of new specialty high-cost medications, but it will not be limited to them. The result will be long delays in patient access to important new therapies. In some cases, manufacturers may not seek regulatory approval in Canada if they decide that the Canadian market is not worth the risk of failing to secure a reasonable price in both Canada and other jurisdictions. This would eliminate access for all patients, even those with private insurance. Access to drugs for rare disorders with insurance coverage is already difficult, if not impossible, to obtain for many Canadian patients. The changes in the PMPRB's regulations are likely to make the situation much worse.

The proposed changes in the PMPRB's regulations also do not augur well for any National Pharmacare plan that may be introduced by the federal and provincial governments. Canadian governments appear to be moving towards a basic system built on a formulary of inexpensive genericized drugs and a small, restricted access list of specialty medications

¹² Pugatch Consilium (2017). Ascending the peak of pharmaceutical innovation. Biopharmaceutical competitiveness and investment (BCI) survey, 4th edition. Washington, DC: Pugatch Consilium. http://www.pugatch-consilium.com/reports/BCI_2017_Report.pdf.

(including drugs for rare disorders) limited to those available from manufacturers willing to accept substantial price reductions. Canadian governments should be developing inventive and coherent nationwide policies to balance timely and fair access to all medicines but especially new costly drugs, with appropriately competitive pricing negotiations so that treatments are accessible to Canadians who need them. Affordability and accessibility should be implemented together, not as one or the other. The creation of more barriers to deter or delay pharmaceutical manufacturers from bringing the many new medicines in development to Canada denies both hope and health benefits to Canadians with unmet health needs.

ACKNOWLEDGEMENTS

Free public access to this research paper was made possible by an Open Access project sponsorship provided to CHPI by 3Sixty Public Affairs Inc.

The author received independent funding for this research from RAREi, a collaboration of innovative pharmaceutical companies focused on the development of medicines for rare disorders, including Alexion Pharma Canada Corp., Biogen Canada Inc., Biomarin Pharmaceutical Inc., Horizon Therapeutics Canada, Ipsen Biopharmaceuticals Canada Inc., Shire Pharma Canada ULC, Sobi Canada, and Vertex Pharmaceuticals (Canada) Inc.

AUTHOR



Dr. Nigel SB Rawson (Ph.D., M.Sc.) is President of Eastlake Research Group and an affiliated scholar with CHPI. Dr. Rawson holds a

M.Sc. in statistics from the University of Newcastle-upon-Tyne and a Ph.D. in pharmacoepidemiology from the University of Southampton. He was a Sessional Faculty member in the DeGroot School of Business at McMaster University, has held academic research positions in the Universities of London and Southampton in the United Kingdom, University of Saskatchewan as Merck Frosst/MRC Research Professor in Pharmacoepidemiology, and was Professor of Pharmacoepidemiology at Memorial University of Newfoundland. Dr. Rawson has also been a senior researcher in an independent research centre in one of the largest health insurers in the United States, where he collaborated with the Food and Drug Administration on drug safety studies, and GlaxoSmithKline's only epidemiologist in Canada providing advice and analysis for the company's current and developing medicines and vaccines. Dr. Rawson has published more than 120 book chapters and articles in peer-reviewed journals.

Nouvelle réglementation des médicaments brevetés au Canada : Étude de cas sur le processus décisionnel d'un fabricant quant à la présentation d'une demande d'autorisation d'un traitement contre une maladie rare



Auteur

Nigel S. B. Rawson, Ph. D.

Date de publication

Octobre 2018.

Citation

Rawson, Nigel S. B. (2018). Nouvelle réglementation des médicaments brevetés au Canada : Étude de cas sur le processus décisionnel d'un fabricant quant à la présentation d'une demande d'autorisation d'un traitement contre une maladie rare. *Canadian Health Policy*, octobre 2018. Toronto : Canadian Health Policy Institute. www.canadianhealthpolicy.com

Droit d'auteur

© Canadian Health Policy Institute Inc. Tous droits réservés. La distribution ou la reproduction non autorisée de cet article, en tout ou en partie, est strictement interdite.

EN/FR

RÉSUMÉ

Introduction

Le gouvernement fédéral canadien a proposé d'importantes modifications aux lignes directrices sur l'examen des prix suivies par le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB), l'organisme quasi judiciaire qui veille à ce que les prix des médicaments brevetés vendus au Canada ne soient pas excessifs. Ces modifications doivent entrer en vigueur en 2019.

Objectif

Cet article vise à examiner les modifications qu'on propose d'apporter aux lignes directrices et à les appliquer à une étude de cas hypothétique sur le processus décisionnel que suivrait vraisemblablement le fabricant d'un nouveau médicament contre une maladie rare pour évaluer s'il chercherait à le faire approuver au Canada étant donné la nouvelle réglementation du CEPMB.

Résultats

L'étude de cas montre que les modifications proposées aux lignes directrices du CEPMB entraîneraient un degré élevé d'incertitude chez les fabricants de médicaments contre des maladies rares. Ceux-ci auront à décider s'il vaut la peine de commercialiser un nouveau produit au Canada malgré le manque de souplesse quant aux prix applicables à différents payeurs et systèmes de santé, la faible prévisibilité de leur part de marché et l'incertitude relative aux prix qui seront jugés acceptables dans ce pays.

Conclusions

Le niveau élevé d'incertitude engendré par les modifications proposées aux lignes directrices du CEPMB mettra en péril le lancement de tous les nouveaux médicaments au Canada. En effet, l'incertitude réduira grandement l'attrait de ce pays comme endroit prioritaire où les sociétés pharmaceutiques cherchent à faire approuver leurs nouveaux produits. Cette incertitude touchera particulièrement – mais pas seulement – les fabricants de médicaments spécialisés à coût élevé. En conséquence, les patients devront attendre longtemps avant d'avoir accès à de nouveaux traitements importants. Dans certains cas, les fabricants pourraient carrément décider de renoncer à faire approuver leurs produits au Canada s'ils déterminent qu'une éventuelle commercialisation sur le marché canadien ne suffirait pas à compenser le risque de ne pas pouvoir les vendre à un prix raisonnable au Canada et dans d'autres pays. Une telle situation empêcherait tous les patients, même ceux ayant une assurance privée, d'avoir accès à ces médicaments. Il est pourtant déjà difficile, sinon impossible, pour beaucoup de patients canadiens d'obtenir des médicaments contre des maladies rares qui sont couverts par leur assurance. Les modifications proposées à la réglementation du CEPMB aggraveront vraisemblablement la situation.

INTRODUCTION

Le gouvernement fédéral canadien, qui s'est donné comme priorité « l'abordabilité, l'accessibilité et l'utilisation appropriée des médicaments sur ordonnance »¹³, a proposé d'importantes modifications aux lignes directrices sur l'examen des prix suivies par le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB), l'organisme quasi judiciaire qui veille à ce que les prix des médicaments brevetés vendus au Canada ne soient pas excessifs¹⁴. Ces modifications doivent entrer en vigueur en 2019.

Aux termes de la nouvelle réglementation, les pays qui affichent des prix des médicaments relativement plus élevés seraient remplacés par des pays dont les prix sont plus faibles pour la comparaison internationale qu'effectue le CEPMB. De plus, on imposerait un plafond strict par année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) et une réduction du prix d'un médicament si les ventes annuelles au Canada dépassent le seuil fixé, en plus d'exiger que les sociétés pharmaceutiques communiquent des renseignements confidentiels au CEPMB sur les ristournes et autres modalités commerciales négociées avec les payeurs au Canada¹⁵.

Le présent article examine les modifications qu'on propose d'apporter aux lignes directrices et les applique à une étude de cas hypothétique sur le processus décisionnel que suivrait vraisemblablement le fabricant d'un nouveau médicament contre une maladie rare pour évaluer s'il chercherait à le faire approuver au Canada étant donné la nouvelle réglementation du CEPMB.

MODIFICATION À LA RÉGLEMENTATION DU CEPMB

Actuellement, lorsqu'un nouveau médicament breveté est vendu pour la première fois, le CEPMB le soumet à un examen scientifique et le classe dans l'une des catégories suivantes : découverte, amélioration importante, amélioration modeste, ou amélioration minime ou nulle par rapport aux traitements actuels. Ensuite, le prix que le fabricant prévoit fixer pour ce médicament au Canada est comparé au prix le plus élevé et à la médiane des prix dans sept pays : la France, l'Allemagne, l'Italie, la Suède, la Suisse, le Royaume-Uni et les États-Unis (groupe « CEPMB7 »). Les critères servant à établir le prix maximal pour chaque catégorie de l'examen scientifique sont indiqués au [Tableau 1](#).

¹³ Santé Canada (2017). *Notes d'allocation de l'honorable Jane Philpott, ministre de la Santé, lors du Economic Club of Canada – le 16 mai, 2017* [sic]. Ottawa : Gouvernement du Canada. https://www.canada.ca/fr/sante-canada/nouvelles/2017/05/economic_club_ofcanada-le16mai2017.html.

¹⁴ CEPMB (2018). *Mandat et compétence*. Ottawa : Gouvernement du Canada. <http://pmprb-cepmb.gc.ca/fr/a-propos-de-nous/-mandat-et-comp%C3%A9tence>.

¹⁵ CEPMB (2018). *Comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix*. Ottawa : Gouvernement du Canada. <http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/view.asp?ccid=1378&lang=fr>.

TABLEAUX

Tableau 1 : Critères actuels du CEPMB pour la réglementation des prix

Catégorie selon l'examen scientifique :	Découverte	Amélioration importante	Amélioration modeste	Amélioration minimale ou nulle
Prix maximal autorisé :	Médiane des prix internationaux (MPI) du CEPMB7	Prix le plus élevé entre la MPI du CEPMB7 et le plus élevé des prix des médicaments de la même catégorie thérapeutique	Point médian entre la MPI du CEPMB7 et le plus élevé des prix des médicaments de la même catégorie thérapeutique	Habituellement, le plus élevé des prix des médicaments de la même catégorie thérapeutique

Remarque : Aucun médicament breveté ne peut être vendu à un prix supérieur au prix le plus élevé du CEPMB7.

Tableau 2 : Caractéristiques pertinentes du médicament Innocel

Indication	Traitement de première intention à long terme pour un trouble musculosquelettique rare causé par une mutation génétique et entraînant une invalidité grave
Prévalence annuelle	De 60 à 70 Canadiens; Innocel serait le traitement approprié pour 55 patients
Dose	Comprimés oraux de 150 mg à prendre deux fois par jour
Évaluation de Santé Canada	Prioritaire parce qu'Innocel est indiqué pour une maladie grave et n'a pas de substitut thérapeutique efficace
RCED estimé par le fabricant	625 000 \$/AVAQ
RCED estimé par l'ACMTS	975 000 \$/AVAQ
Prix courant du fabricant	292 000 \$/année

* ACMTS : Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé; RCED : rapport coût/efficacité différentiel; AVAQ : année de vie ajustée en fonction de la qualité

Tableau 3 : Évaluation d'Innocel en tant que médicament de catégorie 1

Critères du CEPMB	Évaluation	Répond aux critères de la catégorie 1?
Premier de sa catégorie ou apporte une amélioration substantielle par rapport aux traitements existants	Oui	Oui
RCED > 30 000 \$/AVAQ	ACMTS : 975 000 \$/AVAQ	Oui
Taille du marché > 20 M\$ par année	55 × 233 600 \$ = 12,85 M\$	Non
Coût annuel moyen > PIB par habitant*	233 600 \$ > 66 900 \$	Oui

* Le PIB par habitant s'élevait à environ 66 900 \$ en 2017. Trading Economics (2018). *Canada GDP per capita*. <https://tradingeconomics.com/canada/gdp-per-capita>.

Les modifications proposées à la réglementation du CEPMB rendraient le processus beaucoup plus complexe. Il aurait désormais cinq composantes¹⁶ :

1. Test de la médiane des prix internationaux

Pour réaliser la comparaison des prix, le nouveau test remplacerait le groupe de sept pays utilisé depuis 30 ans par un groupe de 12 pays qui exclurait la Suisse et les États-Unis – des pays où le prix des médicaments est relativement plus élevé – et ajouterait l’Australie, la Belgique, le Japon, les Pays-Bas, la Norvège, la Corée du Sud et l’Espagne – des pays où les prix sont plus faibles. Le nouveau groupe de comparaison (appelé « CEPMB12 ») se veut essentiellement un échantillon représentatif des 31 pays de l’Organisation de coopération et de développement économiques (OCDE). Tous les nouveaux médicaments se verront attribuer un prix courant maximum (PCM) établi en fonction de la médiane des prix (MPI)¹⁷ du CEPMB12.

2. Présélection des médicaments, qui seront classés dans deux catégories

Tous les nouveaux médicaments brevetés seront soumis à un examen de présélection et classés dans deux catégories.

Les médicaments de catégorie 1 se verront attribuer à la fois un PCM, établi en fonction de la MPI, et un prix escompté maximum

(PEM). Les médicaments de la catégorie 1, qui regroupera la plupart des médicaments novateurs, seront ceux qui possèdent une ou plusieurs des caractéristiques suivantes :

- est le premier de sa catégorie ou apporte une amélioration substantielle par rapport aux traitements existants;
- a un rapport coût/efficacité différentiel (RCED) supérieur à 30 000 \$¹⁸/AVAQ pour les indications cliniquement significatives;
- est susceptible d’avoir des ventes en excès du seuil de taille de marché de 20 M\$/année;
- a un coût de traitement annuel moyen supérieur au produit intérieur brut (PIB) par habitant.

Tous les médicaments qui n’entrent pas dans la catégorie 1 seront de catégorie 2.

3. PEM pour les médicaments de catégorie 1

L’établissement d’un PEM pour les médicaments de catégorie 1 se fera en deux étapes :

- La première étape sera une analyse pharmacoéconomique réalisée à partir de données provenant de l’évaluation de l’Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS), qui vise à formuler des

¹⁶ CEPMB (2018). *Document d’orientation sur la modification des Lignes directrices*. Ottawa : Gouvernement du Canada. <http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/view.asp?ccid=1376&lang=fr>.

¹⁷ La médiane est la valeur du milieu de l’ensemble des prix des pays de comparaison.

¹⁸ Tous les montants sont exprimés en dollars canadiens.

recommandations en matière de remboursement. Les médicaments de catégorie 1 devront avoir un RCED inférieur à 60 000 \$/AVAQ, à moins qu'ils répondent à certaines caractéristiques cliniques, par exemple une charge de morbidité élevée ou dans le cas d'une maladie rare ou un gain absolu important dans les AVAQ. Dans ces cas, le seuil du RCED sera de 90 000 \$ à 150 000 \$ par AVAQ.

- La deuxième étape consistera à évaluer la taille du marché potentiel du médicament ainsi que des facteurs liés au PIB. Tout nouveau médicament dont les ventes annuelles estimatives au Canada dépasseront 20 M\$ (ce seuil augmentera annuellement en fonction de la croissance du PIB et de l'Indice des prix à la consommation) au cours des cinq premières années de vente sera assujéti à un rajustement de prix (réduction de 10 % du PEM pour chaque tranche supplémentaire de 10 M\$, jusqu'à concurrence de 50 %). De plus, si le coût annuel est supérieur au PIB canadien par habitant, le fabricant devra accorder une réduction de prix supplémentaire. Soulignons que même si un médicament de catégorie 1 respecte le seuil du RCED applicable, il peut être assujéti à un rajustement de prix si l'application des facteurs liés à la taille de marché et au PIB soulève des questions quant à l'abordabilité.

4. PCM pour les médicaments de catégorie 2

Les médicaments de catégorie 2 se verront attribuer un PCM établi en fonction du prix

le plus faible entre la MPI et le prix moyen des médicaments de la même catégorie thérapeutique. Aucun médicament de catégorie 2 ne se verra attribuer un PCM inférieur au prix le plus faible dans les pays du CEPMB¹².

5. Révision du prix de référence

Tous les nouveaux médicaments auront un PCM provisoire pour une période de trois ans ou lorsque le médicament est vendu dans sept pays, selon la première éventualité. Le PCM sera ensuite gelé, de même que le PEM, à moins que l'un ou l'autre des critères de révision du prix de référence suivants ne soient déclenchés : nouvelle indication approuvée, ventes supérieures à la taille du marché attendue, nouvelles preuves concernant le rapport coût/efficacité ou changements importants dans les prix internationaux. Les fabricants pourront demander une révision du prix de référence en faisant la preuve d'un meilleur rapport coût/efficacité, d'un marché plus restreint ou d'une augmentation importante de l'Indice des prix à la consommation.

ÉTUDE DE CAS : Processus décisionnel quant à la présentation d'une demande d'autorisation d'un médicament étant donné la nouvelle réglementation du CEPMB

Cette étude de cas présente un nouveau médicament hypothétique appelé « Innocel », dont les caractéristiques pertinentes sont indiquées au [Tableau 2](#).

Innocel a été développé à l'intention de patients portant une mutation génétique particulière et souffrant d'un trouble musculosquelettique rare entraînant une invalidité grave. Sa prévalence est d'environ 60 à 70 Canadiens (enfants et adultes) par année. Innocel serait le traitement approprié pour 55 patients. Il est offert sous forme de comprimés oraux de 150 mg à prendre deux fois par jour et est indiqué comme traitement de première intention à long terme, à utiliser concurremment avec ce que prévoit la norme de soins actuelle, c'est-à-dire un régime particulier et de la physiothérapie. Étant donné qu'il s'agit d'un traitement contre une maladie grave qui n'a pas de substitut thérapeutique efficace, Innocel a fait l'objet d'une évaluation prioritaire par Santé Canada.

Le prix courant établi par le fabricant pour Innocel est de 400 \$ par comprimé, c'est-à-dire 292 000 \$ par année. Dans sa demande d'évaluation des technologies de la santé (ETS) réalisée par l'ACMTS, le fabricant estimait son RCED à 625 000 \$/AVAQ en fonction de ce prix courant. Cependant, l'ACMTS a, comme elle a l'habitude de le faire, utilisé des estimations de coûts plus prudentes, a supposé que le prix du médicament ne serait pas réduit au moment de la perte de son exclusivité et a appliqué un facteur de réduction d'utilité différent. En conséquence, elle a estimé que le RCED serait de 975 000 \$/AVAQ.

Suivant le processus actuel, le fabricant lance Innocel à un prix courant de 292 000 \$ par année après avoir obtenu l'autorisation

de Santé Canada. Le CEPMB intervient après la première vente d'Innocel. Il partage l'avis de Santé Canada selon lequel Innocel apporte une amélioration substantielle et compare son prix courant au Canada avec la médiane des prix des pays du CEPMB¹⁹. Le CEPMB constate que le prix courant au Canada pour Innocel correspond à la MPI et donc qu'il respecte les lignes directrices.

Quelle incidence pourraient avoir les modifications proposées à la réglementation du CEPMB sur le lancement d'Innocel en 2019?

L'évaluation d'Innocel par le CEPMB serait complètement différente selon les lignes directrices à l'étude.

La première partie du processus serait la comparaison du prix avec ceux des pays du CEPMB¹², pour calculer le PCM. Étant donné que les prix sont plus faibles dans plusieurs pays de ce groupe, nous supposons que la MPI serait inférieure de 20 % à celle du CEPMB⁷, ce qui donnerait un PCM de 233 600 \$ par année pour Innocel.

La deuxième partie consisterait à déterminer si Innocel devrait être classé dans la catégorie 1. Comme l'indique le [Tableau 3](#), Innocel répond à trois des quatre critères requis, bien qu'un seul soit suffisant.

La troisième partie est le calcul du PEM. Même si le CEPMB évaluait Innocel en fonction d'un rapport coût/efficacité élevé

¹⁹ Étant donné qu'il n'existe pas de médicaments de la même catégorie thérapeutique (voir le Tableau 1), le prix d'Innocel est comparé à la MPI du CEPMB⁷.

de 150 000 \$/AVAQ, il échouerait à ce test, ce qui obligerait le fabricant à accorder une ristourne confidentielle à l'ensemble des payeurs. Ensuite, il faudrait évaluer la taille de marché potentielle du médicament et les facteurs liés au PIB. Innocel passerait le premier de ces tests et ne subirait donc pas une réduction de prix supplémentaire en raison de la taille du marché. Toutefois, il échouerait au test lié au PIB par habitant, ce qui entraînerait une réduction de prix d'une ampleur difficile à déterminer. Les réductions exigées pourraient atteindre de 80 à 90 % du prix suggéré par le fabricant.

Quelle décision le fabricant d'Innocel devrait-il prendre quant au prix?

Le processus décisionnel du fabricant quant à la présentation aux autorités d'Innocel est compliqué par le fait qu'au moment d'obtenir l'autorisation de Santé Canada, la recommandation découlant de l'ETS de l'ACMTS n'est pas encore connue (il faut souvent attendre plus de six mois après l'autorisation) et que l'examen du CEPMB, qui prend actuellement environ un an – mais qui pourrait s'allonger selon la nouvelle réglementation – ne commence pas avant la première vente du médicament.

Voici quelques-unes des décisions que pourrait prendre le fabricant d'Innocel :

- Lancer Innocel au prix annuel de 292 000 \$ et faire l'objet d'une enquête pour prix excessif du CEPMB, ce qui retardera probablement l'accès au médicament par les patients.
- Accorder une énorme réduction du prix d'Innocel au moment de son approbation, c'est-à-dire un prix courant à 233 600 \$ et un prix escompté maximum réduit de 80 à 90 % au total pour respecter le seuil du RCED et le test lié au PIB. Cependant, cette décision pourrait compromettre la tarification d'Innocel dans d'autres pays parce que les autres payeurs pourraient calculer le prix réel en fonction du seuil fixe du RCED. Cette stratégie mettrait la filiale canadienne en conflit avec sa société mère multinationale.
- Retarder le lancement d'Innocel au Canada jusqu'à ce qu'il ait été lancé dans d'autres pays. Si le médicament a été lancé précédemment dans seulement quelques pays du CEPMB¹², la MPI pourrait changer à mesure qu'il devient disponible dans d'autres pays de ce groupe, ce qui pourrait inciter le fabricant à retarder le lancement au Canada jusqu'à ce qu'il y ait une plus grande certitude relative à la MPI. Cette décision retarderait l'accès au médicament par les patients canadiens.
- Ne pas chercher à obtenir l'approbation d'Innocel au Canada. Cette décision empêcherait les patients canadiens d'avoir accès au médicament. Même si les patients et les fournisseurs de soins de santé voulaient obtenir Innocel grâce au Programme d'accès spécial de Santé Canada, son prix devrait respecter les règles du CEPMB.

ANALYSE

L'étude de cas présentée montre que les modifications proposées aux lignes directrices du CEPMB entraîneraient un degré élevé d'incertitude chez les fabricants de médicaments contre des maladies rares. Ceux-ci auront à décider s'il vaut la peine de commercialiser un nouveau produit au Canada malgré le manque de souplesse quant aux prix applicables à différents payeurs et systèmes de santé, la faible prévisibilité de leur part de marché et l'incertitude relative aux prix qui seront jugés acceptables dans ce pays. Bien que l'étude de cas concerne un médicament pour une condition génétique, les maladies rares comprennent beaucoup de conditions non génétiques, dont certains cancers rares.

Les fabricants d'un médicament comme Innocel devront se poser une question essentielle : le médicament est-il commercialement viable au Canada avec une réduction de prix de 80 à 90 % s'il y a un risque indirect de compromettre les négociations liées aux prix dans d'autres pays? Puisque l'estimation du RCED du médicament réalisée par l'ACMTS est publiée et que le seuil du CEPMB est connu, un autre organisme d'ETS pourrait facilement calculer la ristourne générale accordée aux payeurs canadiens si Innocel respecte la réglementation proposée, et tenterait de tirer parti du prix canadien

dans ses négociations avec le fabricant. Les fabricants de médicaments comme Innocel pourraient carrément décider de renoncer à faire approuver leurs produits au Canada.

Les fabricants de médicaments contre des maladies rares doivent déjà franchir de nombreux obstacles pour que les patients qui en ont besoin puissent y avoir accès²⁰. En particulier, il est souvent difficile d'obtenir des régimes d'assurance-médicaments fédéraux et provinciaux qu'ils couvrent les médicaments à l'intention des personnes souffrant d'une maladie rare. Cette situation s'explique notamment par le choc que vivent les régimes d'assurance-médicaments publics et privés lorsqu'ils apprennent le coût de beaucoup de nouveaux médicaments, et le fait que les méthodes d'ETS fondées sur le rapport coût/efficacité s'appliquent mal à l'évaluation des médicaments contre des maladies rares²¹. Les AVAQ sont un indicateur qui donne une impression de précision, mais qui comporte plusieurs limites²², parce que les modèles d'économie de la santé sont fondés sur une série d'hypothèses et que les résultats peuvent varier grandement, même entre différents organismes d'ETS qui utilisent les mêmes données.

Les conséquences négatives potentielles des modifications proposées aux lignes directrices du CEPMB ne se limitent pas aux

²⁰ Rawson, N. S. B. (2018). *Regulatory, reimbursement and pricing barriers to accessing drugs for rare disorders in Canada*. Vancouver : Institut Fraser.

²¹ Richter, T., Janoudi, G., Amegatse, W. et Nester-Parr, S. (2018). Characteristics of drugs for ultra-rare diseases versus drugs for other rare diseases in HTA submissions made to the CADTH CDR. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 13(1).

²² Pettitt, D., Raza, S., Naughton, B., Roscoe, A., Ramakrishnan, A., Ali, A., Davies, B., Dopson, S., Hollander, G., Smith, J. A. et Brindley, D. A. (2016). The limitations of QALY: a literature review. *Journal of Stem Cell Research & Therapy*, 6(4).

médicaments contre des maladies rares. Supposons qu'un fabricant développe un médicament oral contre le diabète – que nous appellerons Glucopil – qui doit être pris une fois par jour et qui est plus efficace et sécuritaire que les médicaments similaires existants. Le fabricant veut être concurrentiel par rapport aux autres médicaments oraux contre le diabète et établit un prix de 730 \$ par année. Ce prix correspond à la médiane du groupe des 12 pays de comparaison et la recommandation de l'ACMTS en matière de remboursement conclut que le Glucopil a un bon rapport coût/efficacité et qu'il respecte le seuil de 60 000 \$. D'après l'Association canadienne du diabète, on estimait que la prévalence du diabète au Canada en 2010 était de 7,6 %, soit environ 2,7 millions de personnes atteintes²³. Bon nombre de ces personnes ignorent qu'elles souffrent de diabète, mais supposons que près de la moitié (1,3 million) reçoivent un traitement. Étant donné qu'il existe plusieurs médicaments contre le diabète, supposons aussi que le Glucopil conviendrait à seulement à 10 % des personnes traitées, c'est-à-dire 130 000 patients. Si toutes ces personnes recevaient le Glucopil pendant un an à un coût de 730 \$ chacune, le coût estimatif total serait d'environ 95 M\$, soit beaucoup plus que le seuil de ventes annuelles de 20 M\$ établi dans les lignes directrices proposées du CEPMB. Celles-ci entraîneraient donc une réduction obligatoire du prix confidentiel du Glucopil pouvant atteindre 50 %. Même si le

fabricant réduisait son prix courant à 365 \$ par année, il serait forcé soit de limiter ses ventes à moins de 54 000 Canadiens atteints de diabète, soit d'accorder une autre réduction de prix.

La réglementation proposée donne peu d'explications sur les critères de présélection des médicaments de catégorie 1. Une justification minimale du choix des seuils du RCED pour les médicaments de catégorie 1 est fournie, mais la quasi-totalité des organismes d'ETS n'utilisent pas de seuil strict en matière de rapport coût/efficacité, préférant avoir recours à une approche plus souple. Par ailleurs, un seuil de rapport coût/efficacité n'est pas un outil efficace ni approprié pour l'établissement d'un prix de marché. Bien qu'un médicament qui est le premier de sa catégorie ne puisse être comparé et donc, qu'il est possible que son prix soit excessif, il n'y a aucun raisonnement dans la réglementation proposée qui justifierait de supposer que des ventes annuelles supérieures à 20 M\$ ou qu'un coût annuel plus élevé que le PIB canadien par habitant implique que le prix est excessif. L'inclusion sans distinction de ces médicaments dans la catégorie 1 semble dévaloriser ou pénaliser des médicaments réellement révolutionnaires. De plus, les ventes de nouveaux médicaments sur des marchés dont la composition est diverse peuvent fluctuer d'une année à l'autre, ce qui pourrait entraîner le reclassement d'un médicament de la catégorie 2 à la catégorie 1 quelques années après sa

²³ Association canadienne du diabète (2011). *Diabète : Le Canada à l'heure de la remise en question*. Toronto : Association canadienne du diabète. <https://www.diabetes.ca/CDA/media/documents/publications-and-newsletters/advocacy-reports/canada-at-the-tipping-point-french.pdf>.

commercialisation et pourrait susciter une incertitude encore plus grande chez les fabricants.

En outre, la réglementation proposée ne prévoit pas de mesures pour préserver les prix des médicaments déjà commercialisés sur le marché canadien. Si l'on oblige les fabricants à accorder une réduction de prix de 20 % pour un portefeuille complet de produits, ils pourraient décider de les retirer des tablettes, ce qui aggraverait les problèmes de pénurie de médicaments que connaît déjà le Canada.

CONCLUSION

Le niveau élevé d'incertitude engendré par les modifications proposées aux lignes directrices du CEPMB mettra en péril le lancement de tous les nouveaux médicaments au Canada. En effet, l'incertitude réduira grandement l'attrait de ce pays comme endroit prioritaire où les sociétés pharmaceutiques cherchent à faire approuver leurs nouveaux produits²⁴. Cette incertitude touchera particulièrement – mais pas seulement – les fabricants de médicaments spécialisés à coût élevé. En conséquence, les patients devront attendre longtemps avant d'avoir accès à de nouveaux traitements importants. Dans certains cas, les fabricants pourraient carrément décider de renoncer à faire approuver leurs produits au Canada s'ils déterminent qu'une éventuelle commercialisation sur le marché canadien ne suffirait pas à compenser le risque de ne

pas pouvoir les vendre à un prix raisonnable au Canada et dans d'autres pays. Une telle situation empêcherait tous les patients, même ceux ayant une assurance privée, d'avoir accès à ces médicaments. Il est pourtant déjà difficile, sinon impossible, pour beaucoup de patients canadiens d'obtenir des médicaments contre des maladies rares qui sont couverts par leur assurance. Il est probable que les modifications proposées à la réglementation du CEPMB aggraveront nettement la situation.

Les modifications proposées à la réglementation du CEPMB ne sont pas de bon augure pour un éventuel régime public national d'assurance-médicaments qui serait mis en place par les gouvernements fédéral et provinciaux. Les gouvernements canadiens semblent s'orienter vers un système de base fondé sur une liste de médicaments composée de médicaments génériques peu coûteux et d'un faible nombre de médicaments spécialisés d'accès limité (y compris ceux contre les maladies rares) offerts seulement par les fabricants qui acceptent des réductions de prix considérables. Les gouvernements du pays devraient élaborer des politiques pancanadiennes ingénieuses et cohérentes pour établir un équilibre entre, d'une part, un accès rapide et équitable à tous les médicaments – mais surtout aux nouveaux médicaments coûteux – et, d'autre part, des négociations visant à obtenir des prix suffisamment concurrentiels de sorte que les traitements soient offerts aux Canadiens

²⁴ Pugatch Consilium (2017). *Ascending the peak of pharmaceutical innovation: Biopharmaceutical competitiveness and investment (BCI) survey, 4th edition*. Washington: Pugatch Consilium. http://www.pugatch-consilium.com/reports/BCI_2017_Report.pdf.

qui en ont besoin. L'abordabilité et l'accessibilité devraient être mises en œuvre conjointement, et non à l'exclusion l'une de l'autre. La création d'obstacles supplémentaires dissuadant ou retardant les sociétés pharmaceutiques qui souhaitent commercialiser au Canada de nombreux nouveaux médicaments en développement équivaut à anéantir des espoirs et à refuser de combler les besoins de patients canadiens.

REMERCIEMENTS

L'accès gratuit au présent article a été rendu possible grâce à l'appui de 3Sixty Public Affairs Inc., qui a commandité un projet d'accès libre du CHPI.

L'auteur a reçu un financement indépendant de RAREi, une association formée par des sociétés pharmaceutiques innovatrices qui développent des médicaments contre des maladies rares, dont Alexion Pharma Canada Corp., Biogen Canada Inc., Biomarin Pharmaceutical Inc., Horizon Therapeutics Canada, Ipsen Biopharmaceuticals Canada Inc., Shire Pharma Canada ULC, Sobi Canada et Vertex Pharmaceuticals (Canada) Inc.

AUTEUR



Nigel S. B. Rawson (Ph. D., M. Sc.) est président du Eastlake Research Group et chercheur associé au CHPI. Il est titulaire d'une maîtrise en

statistique de l'Université de Newcastle-upon-Tyne et d'un doctorat en pharmacoépidémiologie de l'Université de Southampton. Il a occupé plusieurs postes dans le monde universitaire : chargé de cours à l'École de commerce DeGroot de l'Université McMaster, chercheur aux universités de Londres et de Southampton (Royaume-Uni), professeur titulaire de la chaire de recherche Merck Frosst/CRM en pharmacoépidémiologie de l'Université de Saskatchewan, et professeur de pharmacoépidémiologie à l'Université Memorial de Terre-Neuve. M. Rawson a aussi été chercheur principal dans le centre de recherche indépendant de l'un des principaux assureurs aux États-Unis, où il a collaboré avec la Food and Drug Administration sur des études portant sur la sécurité des médicaments, et le seul épidémiologiste de GlaxoSmithKline au Canada à fournir des conseils et des analyses sur les médicaments et les vaccins commercialisés et en développement de cette entreprise. M. Rawson a publié plus de 120 chapitres de livres et articles dans des revues scientifiques à comité de lecture.