

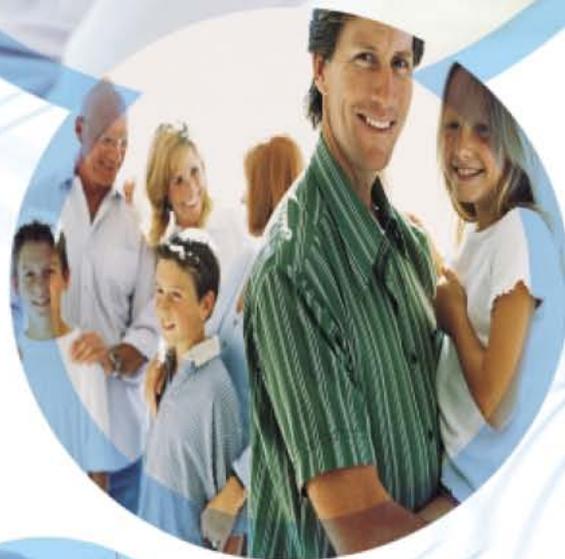
**Pour un accès approprié et uniformisé
aux nouveaux médicaments
d'oncologie au Québec**

Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouveaux
médicaments d'oncologie

Décembre 2007

Direction de la lutte contre

le cancer



Le rapport *Pour un accès approprié et uniformisé aux nouveaux médicaments d'oncologie au Québec* a été préparé par le Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouveaux médicaments d'oncologie, comité mandaté par la Direction de la lutte contre le cancer du ministère de la Santé et des Services sociaux du Québec.

Présidence	Docteur Antoine Louffi, Direction de la lutte contre le cancer, MSSS
Membres	Docteur Donald Aubin, Agence de la santé et des services sociaux du Saguenay–Lac-Saint-Jean Madame Louise Massicotte, Agence de la santé et des services sociaux de Montréal Docteur Gerald Batist, représentant du RUIS de l'Université McGill Madame Carole Deschambault, représentante du RUIS de l'Université de Montréal Docteure Catherine Doyle, représentante du RUIS de l'Université Laval Docteur Jean Latreille, représentant du RUIS de l'Université de Sherbrooke Monsieur Jean-François Bussièrès, Programme de gestion thérapeutique des médicaments Monsieur Marc Vallée, Programme de gestion thérapeutique des médicaments
Invitée	Madame Lise Rochette-Ménard, Agence de la santé et des services sociaux de Montréal
Coordination	Brigitte Laflamme, Direction de la lutte contre le cancer, MSSS Mélanie Kavanagh, Direction de la lutte contre le cancer, MSSS

En raison de leur récente mise sur pied et de leur mandat actuel, ce rapport n'a pas été soumis pour commentaires aux comités régionaux pharmaceutiques.

Le genre masculin utilisé dans ce document désigne aussi bien les femmes que les hommes.

Table des matières

1.	INTRODUCTION.....	4
2.	L'ACCESSIBILITÉ AUX NOUVEAUX MÉDICAMENTS D'ONCOLOGIE	5
2.1.	LA MISE EN MARCHÉ DES MÉDICAMENTS AU CANADA	5
2.2.	L'ACCÈS AUX MÉDICAMENTS POUR LA POPULATION QUÉBÉCOISE	7
2.2.1.	<i>D'autres entités québécoises intéressées par les nouveaux médicaments d'oncologie.....</i>	<i>9</i>
3.	LES PROBLÉMATIQUES ENTOURANT L'ACCESSIBILITÉ AUX NOUVEAUX MÉDICAMENTS D'ONCOLOGIE	11
4.	UNE ORGANISATION DES SERVICES PERMETTANT UNE ACCESSIBILITÉ BALISÉE	13
4.1.	UN MODÈLE D'ACCÈS AUX NOUVEAUX MÉDICAMENTS D'ONCOLOGIE	13
4.1.1.	<i>Des règles d'utilisation précises</i>	<i>13</i>
4.1.2.	<i>Des responsabilités partagées</i>	<i>13</i>
4.1.3.	<i>Un financement encadré</i>	<i>14</i>
5.	RECOMMANDATIONS	16
6.	CONCLUSION	18

Liste des figures

FIGURE 1. SCHÉMA DU CHEMINEMENT DES PRODUITS THÉRAPEUTIQUES	6
---	---

Liste des tableaux

TABLEAU 1. PARTAGE DES RESPONSABILITÉS ET IMPUTABILITÉ EN LIEN AVEC CE MODÈLE D'ACCÈS	15
---	----

1. Introduction

Depuis quelques années, l'industrie pharmaceutique est en plein essor en ce qui concerne l'oncologie. De plus en plus de nouveaux médicaments arrivent sur le marché et ceux déjà disponibles peuvent souvent être utilisés dans des contextes thérapeutiques différents. Et les prix de ces médicaments ne cessent de croître. En parallèle, les personnes atteintes de cancer sont de mieux en mieux informées et se tiennent à l'affût de toutes découvertes scientifiques pouvant être d'un quelconque intérêt thérapeutique. Dans un contexte où les attentes sont sans cesse grandissantes quant au droit d'avoir accès à tout traitement potentiellement curatif mais aussi où nous devons faire des choix, il importe de baliser l'accès à ces médicaments.

En ce sens, à la demande du Ministre de la Santé et des Services sociaux, la Direction de la lutte contre le cancer a mis sur pied un groupe de travail afin d'encadrer l'accessibilité aux nouveaux antinéoplasiques. Ce Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouveaux médicaments d'oncologie, principalement composé d'administrateurs et de cliniciens du réseau, a reçu le mandat de proposer des pistes de solution afin d'assurer un accès raisonnable et équitable pour tous les patients du Québec aux nouveaux médicaments d'oncologie, dans une perspective d'utilisation optimale.

La première rencontre du Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouveaux médicaments d'oncologie a eu lieu le 25 mai 2006. Au terme de son mandat, le groupe s'est réuni à six reprises. Il importe de mentionner que les travaux du groupe de travail ont prioritairement et majoritairement portés sur l'élaboration de balises afin d'encadrer l'accessibilité aux nouvelles molécules *homologuées* par Santé Canada et *inscrites* sur l'une des listes de médicaments du Québec.

Ce rapport résume les travaux du groupe de travail et fait état, dans un premier temps, du processus canadien de mise en marché des médicaments et de l'accès aux nouvelles molécules d'oncologie pour la population. Par la suite, les problématiques entourant l'obtention d'un accès équitable aux nouvelles molécules d'oncologie sont soulevées et des pistes de solution sont proposées. Notamment, un modèle de mécanisme d'accès aux nouvelles molécules est décrit. Finalement, le rapport présente les recommandations émises par le Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouveaux médicaments d'oncologie.

2. L'accessibilité aux nouveaux médicaments d'oncologie

2.1. La mise en marché des médicaments au Canada

Lorsqu'un fabricant veut commercialiser une nouvelle molécule au Canada, il doit déposer une demande d'homologation auprès de Santé Canada. Avant d'émettre son avis de conformité, Santé Canada doit évaluer l'efficacité, l'innocuité et la qualité du médicament, comme le requiert la *Loi sur les aliments et drogues* et ses règlements. Santé Canada doit absolument émettre un avis de conformité pour que le fabricant puisse procéder à la commercialisation de son médicament au Canada. Un médicament homologué se voit ensuite attribué un numéro d'identification.

Dans certains cas, Santé Canada peut émettre des avis de conformité avec conditions. Un avis de conformité avec conditions est une autorisation de mettre un médicament sur le marché (c'est-à-dire un avis de conformité), à la condition que le fabricant entreprenne des études supplémentaires pour en vérifier l'avantage clinique. En approuvant un produit en vertu de la *Politique sur les avis de conformité avec conditions*, Santé Canada peut accélérer la mise sur le marché d'un médicament pouvant sauver des vies. Les conditions associées à l'approbation permettent à Santé Canada de surveiller l'innocuité et l'efficacité du médicament grâce à une meilleure surveillance postérieure à la commercialisation.

Des avis de conformité avec conditions sont émis uniquement à l'égard de médicaments indiqués pour le traitement, la prévention ou le diagnostic d'une maladie grave, fatale ou sévèrement débilitante :

- a) lorsque aucun autre traitement pour cette maladie n'est offert sur le marché canadien;
- b) lorsque ce nouveau produit présente un profil d'avantages et de risques nettement meilleur que celui des produits existants.

Santé Canada envisage d'émettre un avis de conformité avec conditions à l'égard d'un médicament admissible lorsque celui-ci a fait preuve d'une efficacité prometteuse durant les essais cliniques. Le produit doit être d'une grande qualité et présenter un profil d'avantages et de risques acceptable.

Le fabricant d'un médicament approuvé en vertu de la *Politique sur les avis de conformité avec conditions* est tenu d'effectuer d'autres essais cliniques afin de vérifier l'avantage du médicament. En outre, il doit surveiller de près les effets indésirables du médicament et présenter des mises à jour régulières à Santé Canada. Une fois que le fabricant a fourni des preuves satisfaisantes de l'efficacité du médicament à Santé Canada et que le ministère de la Santé fédéral estime que toutes les conditions convenues au départ ont été remplies, les conditions associées à l'approbation sont retirées.

Les présentations subséquentes auprès de Santé Canada pour une nouvelle indication d'un médicament déjà commercialisé doivent démontrer l'efficacité, l'innocuité, la pharmacologie clinique et la qualité de celui-ci dans cette nouvelle indication indépendamment de la présentation originale. Selon les résultats de l'examen des données, de telles présentations peuvent obtenir un avis de conformité, avec des conditions ou non.

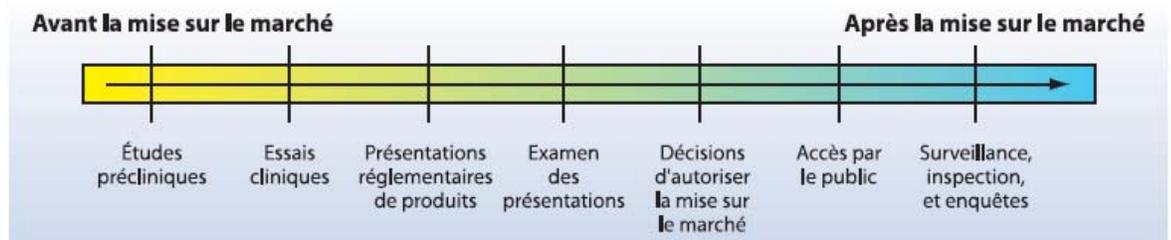
Par ailleurs, le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés a comme mandat de veiller à ce que les prix des médicaments brevetés au Canada ne soient pas excessifs. Ce mandat se réalise sous l'autorité du ministre fédéral de la Santé.

Au Canada, un médicament antinéoplasique peut donc être obtenu sur ordonnance lorsque celui-ci détient un avis de conformité, avec conditions ou non, dans l'indication pour laquelle il sera utilisé ainsi qu'un numéro d'identification. Par contre, en l'absence d'une homologation canadienne, il est tout de même possible d'avoir accès à certains médicaments. En effet, au Canada, un antinéoplasique non homologué peut être obtenu selon les modalités suivantes :

- sur ordonnance, pour un médicament ne détenant pas d'avis de conformité mais utilisé dans le cadre d'un protocole de recherche clinique autorisé par Santé Canada. Certains protocoles de recherche prennent la forme d'études ouvertes (*open study*) et de programmes de gratuité (*expanded access*) qui permettent la pénétration d'une molécule dans le marché canadien avant l'obtention de son avis de conformité par Santé Canada;
- sur ordonnance, pour un médicament ne détenant pas d'avis de conformité. Santé Canada autorise alors le fabricant à rendre disponible ce médicament à un médecin, via un pharmacien d'établissement, pour un patient spécifique dans le cadre de son *Programme d'accès spécial*. Il importe toutefois de mentionner que le fabricant étranger n'a aucune obligation de vendre son médicament à un clinicien situé au Canada. Aussi, le fabricant peut vendre le médicament au prix qu'il détermine si le médicament n'est pas breveté au Canada où il doit respecter les lignes directrices du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés s'il est breveté.

Dans le cadre de la démarche de renouveau législatif, Santé Canada a publié à l'été 2006 un document synthèse sur le processus de réglementation canadien pour l'accès aux produits thérapeutiques¹. Ce document est une mise en contexte permettant de comprendre les étapes de la mise en marché des médicaments au Canada. Nous reproduisons ici un fil du temps de la mise en marché d'un médicament tiré de cet ouvrage. Il est à noter qu'un médicament obtenu via le *Programme d'accès spécial* de Santé Canada contourne ce processus usuel d'études, d'essais et d'examens, tout en accédant au marché.

Figure 1. Schéma du cheminement des produits thérapeutiques



Source : Santé Canada. *L'accès aux produits thérapeutiques – Le processus de réglementation au Canada*, http://www.hc-sc.gc.ca/ahc-asc/pubs/hpfb-dgpsa/access-therapeutique_acces-therapeutique_f.html, page 3.

En juin 2006, Santé Canada a publié un rapport du Groupe de travail ministériel fédéral / provincial / territorial sur la *Stratégie nationale relative aux produits pharmaceutiques*². Le groupe de travail recommande que le travail de préparation d'une structure pour les médicaments onéreux soit accéléré et que celui-ci se concentre principalement sur les questions concernant les données probantes, l'éthique et le besoin d'aligner adéquatement les systèmes réglementaires et de remboursement. Tel qu'entendu dans *Un plan décennal pour consolider les soins de santé* et dans le document *Fédéralisme asymétrique*, le Québec conserve son propre programme d'assurance médicaments et, par conséquent, ne participe pas à

¹ Le rapport 2006 de la Direction générale des produits de santé et des aliments de Santé Canada sur *L'accès aux produits thérapeutiques – Le processus de réglementation au Canada* peut être consulté à l'adresse suivante : http://www.hc-sc.gc.ca/ahc-asc/pubs/hpfb-dgpsa/access-therapeutique_acces-therapeutique_f.html (consulté en ligne le 23 août 2007).

² Le rapport d'étape de juin 2006 du Groupe de travail ministériel fédéral / provincial / territorial de Santé Canada sur la *Stratégie nationale relative aux produits pharmaceutiques* peut être consulté à l'adresse suivante : http://www.hc-sc.gc.ca/hcs-sss/pubs/care-soins/2006-nps-snpp/index_f.html (consulté en ligne le 23 août 2007).

l'élaboration de cette stratégie. Le Québec est toutefois ouvert à un partage de l'information et des pratiques exemplaires.

2.2. L'accès aux médicaments pour la population québécoise

Parce que la gestion du système de santé est de compétence provinciale, chaque province canadienne détermine les modalités d'accès et de remboursement des médicaments disponibles. Au Québec, l'accès aux médicaments est déterminé par la *Loi sur l'assurance médicaments* et la *Loi sur les services de santé et les services sociaux*. Aussi, le Québec s'est doté en 2007 d'une *Politique du médicament*. Cette politique présente des orientations globales et intégrées et énonce 29 orientations ministérielles regroupées autour de quatre axes, soit l'accessibilité aux médicaments, l'établissement d'un prix juste et raisonnable des médicaments, leur usage optimal et le maintien d'une industrie biopharmaceutique dynamique au Québec.

La *Loi sur l'assurance médicaments* institue un régime général d'assurance médicaments (RGAM) qui assure à l'ensemble de la population du Québec un accès raisonnable et équitable aux médicaments requis par leur état de santé. À cette fin, il prévoit une protection de base en ce qui a trait aux coûts des médicaments et de certains services pharmaceutiques. Le RGAM exige des bénéficiaires une participation financière qui tient notamment compte de leur situation économique.

La circulaire 2000-033, mieux connue sous le nom « malade sur pied », établit par ailleurs la responsabilité des établissements qui exploitent un centre hospitalier de soins généraux et spécialisés au regard des médicaments administrés sur place. En ce sens, l'établissement a l'obligation de fournir les médicaments prescrits par le médecin et nécessaires au maintien ou à l'amélioration de la santé de la clientèle ambulatoire. Pour cette clientèle, les établissements doivent fournir, sans frais pour l'usager, la médication requise lorsqu'elle est prescrite par un médecin, administrée sur place dans le cadre d'un traitement offert par cet établissement, et qui implique le recours à des ressources humaines ou techniques de celui-ci, comme c'est le cas pour la chimiothérapie.

Au Québec, le fabricant doit faire une demande d'inscription auprès du Conseil du médicament afin que le médicament soit évalué en vue de son inscription ou non sur la *Liste du régime général d'assurance médicaments* ou sur la *Liste des médicaments-établissements*. Le Conseil du médicament a été créé en vertu de la *Loi sur l'assurance médicaments* et relève du ministre de la Santé et des Services sociaux. Il a pour fonction d'assister le ministre dans la confection et la mise à jour des deux listes de médicaments. En vue de réaliser ce mandat, le Conseil du médicament est tenu, selon la *Loi sur l'assurance médicaments*, de baser ses avis sur les éléments suivants :

- « Si le Conseil considère que la valeur thérapeutique d'un médicament est démontrée, il transmet son avis au ministre après avoir évalué les aspects suivants :
 - 1) la justesse du prix;
 - 2) le rapport entre le coût et l'efficacité du médicament;
 - 3) les conséquences de l'inscription du médicament à la liste sur la santé de la population et sur les autres composantes du système de santé;
 - 4) l'opportunité de l'inscription du médicament à la liste en regard de l'objet du régime général. »

À la suite de son évaluation, le Conseil du médicament fait ses recommandations directement au Ministre de la Santé et des Services sociaux. Après consultation auprès du Conseil du médicament et en vertu de la *Loi sur les services de santé et les services sociaux* ainsi que de la *Loi sur l'assurance médicaments*, il est de la responsabilité du ministre de décider ou non d'inscrire un médicament aux listes de médicaments du RGAM et des établissements de santé. Ces deux listes sont mises à jour périodiquement. Tel que stipulé

dans la *Loi sur les services de santé et les services sociaux*, un établissement ne peut fournir que des médicaments qui apparaissent sur la liste dressée à cette fin par le ministre, sauf exceptions prévues.

En effet, lorsqu'un médicament n'apparaît pas sur l'une de ces deux listes, il existe néanmoins une alternative à son utilisation au Québec. Comme il est stipulé dans l'article 116 de la *Loi sur les services de santé et les services sociaux*: « un établissement où est institué un Conseil des médecins, dentistes et pharmaciens (CMDP) peut en outre fournir, pour des motifs de nécessité médicale particulière, d'autres médicaments que ceux apparaissant sur la liste [...] et qui ont reçu l'avis de conformité du gouvernement fédéral. Dans ce cas, le médecin ou le dentiste qui désire utiliser ou prescrire ces médicaments doit demander l'opinion du CMDP ». Toujours selon cet article 116, il est stipulé qu'un « établissement où est institué un CMDP peut également fournir, pour un traitement d'exception, d'autres médicaments que ceux apparaissant sur la liste [...] et qui n'ont pas obtenu l'avis de conformité du gouvernement fédéral ou des médicaments apparaissant ou non à cette liste lorsqu'ils sont utilisés pour des indications reconnues mais non approuvées. Dans ces cas, le médecin ou le dentiste qui désire utiliser ou prescrire ces médicaments doit obtenir l'autorisation écrite du CMDP ». Ces options sont de plus en plus souvent utilisées, particulièrement pour les nouveaux médicaments ou les nouvelles indications. Ces utilisations hors liste devraient être documentées au dossier du patient. En outre, il est exigé des établissements de santé qu'ils se dotent d'une liste locale de médicaments pertinente à leurs besoins et leurs activités cliniques. En parallèle, en vertu du *Règlement sur l'organisation et l'administration des établissements*, le comité de pharmacologie doit contribuer à l'utilisation optimale des médicaments dans l'établissement.

La *Liste du régime général d'assurance médicaments* présente également des médicaments d'exception dont le coût est couvert par le RGAM dans les cas, aux conditions ou pour les indications thérapeutiques que le ministre détermine par règlement. Ces conditions varient selon qu'il s'agit de la couverture assumée par la Régie de l'assurance maladie du Québec (RAMQ) ou d'une couverture assumée en vertu d'une assurance collective privée ou d'un régime d'avantages sociaux. L'inclusion de médicaments d'exception à cette liste vise à couvrir des médicaments qui ne sont efficaces que dans certaines indications restreintes ou des circonstances spécifiques comme, par exemple, en cas d'intolérance ou de contre-indication aux médicaments déjà disponibles. Pour les personnes assurées par la RAMQ une autorisation doit être obtenue par celle-ci pour que le médicament puisse être couvert. Cette autorisation est accordée à la suite d'une demande complétée par le médecin traitant. La RAMQ avise alors la personne assurée et le médecin demandeur par lettre. Cette lettre doit par la suite être présentée au pharmacien. Un système interactif établi entre la RAMQ et les pharmacies permet d'autoriser le paiement du médicament avant que le pharmacien n'ait vu la lettre, mais ce dernier devra toutefois en prendre connaissance à posteriori. Pour les personnes assurées par le secteur privé, les modalités d'autorisation pour les médicaments d'exception peuvent varier.

En ce qui concerne le financement, une enveloppe budgétaire globale est octroyée par le Ministère aux agences de la santé et des services sociaux pour le fonctionnement des établissements de leurs territoires. Cette enveloppe est indexée de façon paramétrique à raison d'une prévision d'augmentation d'environ 2 % pour les dépenses autres que salariales, dont font partie les médicaments et les fournitures médicales. En sus s'ajoute annuellement une indexation récurrente communément appelée « coût de système spécifique ». Chaque agence reçoit ce coût de système spécifique et le distribue entre les établissements selon des règles qu'elle aura préalablement établies. Celui-ci représente, sur la base des augmentations moyennes de la dépense pour les cinq dernières années, environ 6 % à 8 % du coût annualisé des médicaments et des fournitures médicales de l'exercice financier précédent. Cet ajout budgétaire particulier permet aux établissements de supporter une hausse de volume ou de prix des médicaments et des

fournitures médicales, ou bien un changement des pratiques médicales qui engendre des dépenses supplémentaires.

2.2.1. D'autres entités québécoises intéressées par les nouveaux médicaments d'oncologie

Le Comité de l'évolution des pratiques en oncologie

Le Comité de l'évolution des pratiques en oncologie (CEPO) est un comité d'expert en oncologie, imputable à la Direction de la lutte contre le cancer du Ministère, qui contribue à améliorer la pratique oncologique au Québec en élaborant notamment des guides de pratique clinique. Ces guides sont destinés aux cliniciens du réseau et portent exclusivement sur la valeur thérapeutique d'un traitement. Aucune analyse pharmaco-économique n'est effectuée par le CEPO. Son mandat est le suivant :

- préparer ou adopter (et adapter, au besoin) des recommandations pour la pratique clinique sur le dépistage et le traitement (radiothérapie, chirurgie, chimiothérapie, etc.) du cancer, ainsi que sur les examens d'investigation liés à cette maladie ;
- préparer des guides d'administration des différents médicaments utilisés en oncologie et des fiches de conseils destinés aux patients ;
- proposer des mécanismes favorisant l'adoption des guides de pratique dans le milieu clinique ;
- effectuer une veille scientifique ;
- agir comme comité scientifique de l'Unité d'évaluation des technologies en oncologie de l'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS).

Depuis 2006, une collaboration étroite entre le CEPO et le Conseil du médicament se développe afin d'arrimer les travaux de ces deux entités au regard de l'évaluation de la valeur thérapeutique d'un médicament. Un mode de fonctionnement est en train d'être conjointement établi afin que l'expertise clinique et l'information requise soit partagée. Aussi, un représentant du Conseil du médicament est membre du CEPO à titre d'observateur. Tous les membres du CEPO ayant signé une entente de confidentialité avec le Conseil du médicament, les membres du CEPO sont informés de tout dossier touchant l'oncologie et peuvent échanger en tout temps avec le Conseil à ce propos. Lorsque approprié, le CEPO fournit un avis au Conseil afin de les aider dans leur démarche d'évaluation de la valeur thérapeutique d'une molécule antinéoplasique. D'autres membres du Conseil du médicament sont aussi ponctuellement invités aux réunions du CEPO lorsque des discussions sur des sujets d'intérêts communs ont lieu. Tout est mis en place pour favoriser un accord sur la valeur thérapeutique d'un médicament, sur la base des données probantes.

Le Programme de gestion thérapeutique des médicaments

Le Programme de gestion thérapeutique des médicaments (PGTM) est une initiative conjointe des cinq centres hospitaliers universitaires et tous les membres proviennent de ces cinq établissements. Le fonctionnement du PGTM est assuré par trois comités : le comité exécutif, le comité scientifique et le comité d'évaluation des technologies. Le comité exécutif est composé des cinq directeurs des services professionnels (DSP), des cinq chefs de département de pharmacie et du président du comité scientifique. Le comité scientifique, lui, est composé de médecins et de pharmaciens provenant des cinq centres hospitaliers universitaires. Pour sa part, le comité d'évaluation des technologies est en formation et aura pour mandat de réaliser l'évaluation pharmacoéconomique des médicaments, tout en tenant compte des considérations éthiques et sociétales.

Le mandat du PGTM est le suivant :

- favoriser une utilisation optimale des médicaments en terme d'efficacité, d'innocuité et d'efficience en priorisant la qualité dans la dispensation des soins et la communication de l'information afin d'améliorer la santé des usagers et de la population;
- limiter une utilisation des médicaments qui serait sous optimale en terme de coûts et d'efficience ;
- contribuer aux missions de soins, d'enseignement, de recherche et d'évaluation des nouvelles technologies des centres hospitaliers universitaires;
- assurer l'efficacité et l'efficience du programme par la mise en commun des expertises et des ressources;
- développer un modèle d'intervention clinique visant la mise en place d'outils efficaces et utiles aux cliniciens pour préconiser l'utilisation optimale des médicaments dans les centres hospitaliers universitaires;
- permettre l'évaluation de l'utilisation optimale des médicaments par les analyses descriptives, les revues d'utilisation des médicaments et celles de suivi.

Les évaluations actuelles des nouveaux médicaments ou des nouvelles indications pour un médicament déjà disponible réalisées par le PGTM sous l'égide de son comité scientifique tiennent compte des paramètres d'efficacité, d'innocuité ainsi que de l'impact budgétaire sur les cinq centres hospitaliers universitaires. Comme la constitution du comité d'évaluation des technologies n'est pas finalisée, elles ne tiennent pas encore pleinement compte de la dimension efficience, laissant de côté pour l'instant l'évaluation du rapport coût-efficacité et de la prise en compte des considérations éthiques et sociétales.

Par ailleurs, afin de favoriser un meilleur arrimage de leurs travaux respectifs, une représentante du PGTM est actuellement membre du CEPO où il s'effectue un partage des priorités et des échéanciers de travail.

3. Les problématiques entourant l'accessibilité aux nouveaux médicaments d'oncologie

Les résultats issus de la recherche clinique sont maintenant plus souvent diffusés à la population via différents médias. De ce fait, la population est de mieux en mieux informée au regard des nouveaux développements pharmaceutiques et les personnes atteintes de cancer revendiquent un droit d'accès à tout médicament jugé efficace par l'opinion publique et ce, peu importe qu'il soit disponible ou non au Canada ou au Québec. Les attentes de la population sont donc grandissantes quant à l'amélioration du processus d'accès à tous ces nouveaux traitements.

Au niveau canadien et québécois, plusieurs façons de faire actuelles apparaissent comme des obstacles potentiels à l'obtention d'un accès raisonnable, juste et équitable aux nouveaux médicaments d'oncologie pour toutes les personnes en ayant besoin. Notamment, les constats suivants ont été relevés par le Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouvelles molécules d'oncologie :

- l'augmentation du recours au *Programme d'accès spécial* de Santé Canada pour les médicaments d'oncologie. Dans certains cas, un médicament peut même être utilisé pendant plusieurs années via ce programme avant qu'il n'obtienne un avis de conformité et qu'il ne soit ajouté aux listes de médicaments provinciales. C'est notamment le cas de l'oxaliplatine (Eloxatin^{MC}, Sanofi-Aventis) qui est utilisée au Canada depuis 1998, mais qui a seulement reçu son avis de conformité le 15 juin 2007 pour le traitement du cancer colorectal métastatique en association avec le 5-fluorouracile et la leucovorine;
- l'émergence de médicaments coûteux qui obtiennent un avis de conformité et qui remplacent des médicaments obtenus via le *Programme d'accès spécial* de Santé Canada. C'est par exemple le cas du bortézomib (Velcade^{MC}, Janssen-Ortho Inc.) qui a reçu deux avis de conformité avec conditions³ en 2005 et 2006 pour le traitement du myélome multiple, alors qu'une option thérapeutique fort utile dans ce contexte est la thalidomide, laquelle est seulement accessible via le *Programme d'accès spécial* de Santé Canada;
- les prix auxquels sont commercialisés les nouveaux médicaments sont de plus en plus élevés. De ce fait, toute planification budgétaire basée sur les coûts engendrés historiquement peut être risquée et imprécise;
- les établissements de santé et les agences de la santé et des services sociaux soulignent que la venue de nouveaux médicaments d'oncologie plus coûteux exige une répartition budgétaire différente. L'augmentation des coûts des médicaments en oncologie est généralement liée aux glissements thérapeutiques (utilisation d'un médicament dans plusieurs indications et contextes thérapeutiques) et à l'utilisation de molécules émergentes très coûteuses. Selon la perspective des établissements, cette augmentation de la dépense induite pour les médicaments d'oncologie dépasse largement l'indexation globale octroyée par le Ministère aux agences de la santé et des services sociaux (coût de système spécifique). Chacune des agences pouvant effectuer la distribution de ces sommes selon les règles régionales qu'elle aura préétabli en fonction du financement autorisé par le Ministère, ce mode de financement engendre une disparité entre les divers établissements de santé quant à l'accès aux médicaments sur le territoire de l'agence;

³ 27 janvier 2005 : approbation avec conditions du bortézomib (Velcade^{MC}, Janssen-Ortho Inc.) pour le traitement des patients atteints de myélome multiple qui ont fait une rechute après la thérapie de première intention et sont réfractaires à leur toute dernière thérapie.

24 avril 2006 : approbation avec conditions du bortézomib (Velcade^{MC}, Janssen-Ortho Inc.) pour le traitement du myélome multiple progressif chez des patients qui ont reçu au moins un traitement antérieur et qui ont déjà fait l'objet d'une greffe de cellules souches ou chez lesquels cette technique n'est pas envisageable.

- les administrateurs et les cliniciens du réseau de la santé et des services sociaux ont actuellement peu accès aux motifs menant à la décision d'inscrire ou non un médicament sur les listes de médicaments du Québec. Ce manque d'information peut donc nuire à la compréhension de la décision prise. Il importe toutefois de mentionner que le Conseil du médicament a exprimé sa volonté de rendre davantage transparent son processus (plan de travail et échéanciers) et que des travaux ont été entrepris en ce sens, notamment au regard de la diffusion de l'information. Par ailleurs, le Conseil du médicament n'a pas l'habitude de procéder à l'évaluation d'un médicament n'ayant pas obtenu son avis de conformité de Santé Canada et il ne tient pas toujours compte des alternatives de traitement sans avis de conformité dans son évaluation comparative entre le médicament à l'étude et le traitement standard actuel;
- chaque établissement constitue son formulaire local, c'est-à-dire la liste des médicaments pour lesquels il assumera le coût. Cette façon de faire induit nécessairement un manque d'uniformité quant à l'accès aux médicaments sur tout le territoire québécois.

Ces problématiques peuvent engendrer une disparité régionale quant à l'accessibilité aux nouvelles molécules d'oncologie et font en sorte qu'il est parfois difficile d'assurer à la personne atteinte de cancer un accès raisonnable, équitable et le plus près possible de son milieu de vie aux nouveaux médicaments d'oncologie.

4. Une organisation des services permettant une accessibilité balisée

Lorsqu'un nouvel antinéoplasique est homologué, avec conditions ou non, par Santé Canada et qu'il est inscrit à la *Liste du régime général d'assurance médicaments* ou à la *Liste des médicaments-établissements*, des règles d'utilisation devraient être développées selon un processus standardisé pour tout le Québec afin de baliser son accessibilité. De telles règles d'utilisation pourraient également être développées pour les cas où un médicament est inscrit pour une nouvelle indication thérapeutique.

Prenant pour assises différentes réalités qui existent déjà dans le réseau de la santé et des services sociaux du Québec, le Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouveaux médicaments d'oncologie propose un modèle d'accès qui s'appuie sur les trois critères suivants :

- des règles d'utilisation précises, lesquelles devraient être émises le plus rapidement possible afin de baliser l'utilisation d'une nouvelle molécule ou d'une molécule existante dans une nouvelle indication;
- des responsabilités partagées par tous les intervenants impliqués, dont fait notamment partie la nécessité de travailler en réseau pour une approche coordonnée de prestation des services aux patients;
- un financement encadré en lien avec le respect des règles d'utilisation.

4.1. Un modèle d'accès aux nouveaux médicaments d'oncologie

4.1.1. Des règles d'utilisation précises

Ce modèle d'accès repose premièrement sur l'élaboration de règles d'utilisation qui viennent baliser l'utilisation de la molécule concernée à l'intérieur du critère d'utilisation reconnu par le Conseil du médicament. Ces règles sont établies sur la base des meilleures évidences scientifiques disponibles afin d'encadrer au mieux la pratique clinique québécoise.

Les règles d'utilisation seront élaborées par un groupe d'experts mandaté par la Direction de la lutte contre le cancer. La constitution de ce groupe sera établie en fonction de l'expertise nécessaire pour l'élaboration de ces règles. Minimale, des représentants du CEPO, du Conseil du médicament et des équipes interdisciplinaires suprarégionales de lutte contre le cancer seraient interpellés pour faire partie de ce groupe d'experts. Ces règles d'utilisation seront par la suite entérinées par la Direction de la lutte contre le cancer.

Plusieurs éléments devront être précisés, toujours à l'intérieur du critère d'utilisation reconnu par le Conseil du médicament, par ces règles. Notamment, les critères d'accessibilité des patients, la durée du traitement, les paramètres d'évaluation et de suivi de la maladie y seront circonscrits. Ces règles prévoiraient également les lieux préférentiels d'administration de la molécule, qui pourraient être par exemple les centres hospitaliers où une équipe interdisciplinaire de lutte contre le cancer possédant l'expertise appropriée est présente.

Les décisions entourant ces règles d'utilisation seraient appliquées sur tout le territoire québécois, sans modification, dans un souci d'équité et d'uniformité.

4.1.2. Des responsabilités partagées

Une fois les règles d'utilisation entérinées, la Direction de la lutte contre le cancer verra à les diffuser auprès de toutes les agences de la santé et des services sociaux et des établissements du réseau.

Au niveau de l'établissement, de par sa contribution à l'utilisation optimale des médicaments dans l'établissement, le Comité de pharmacologie sera mandaté par le DSP afin qu'une estimation du nombre de patients pouvant bénéficier du traitement concerné soit faite. Pour ce faire, un lien étroit devra être développé entre le Comité de pharmacologie et le responsable du programme de lutte contre le cancer de l'établissement. Le Comité de pharmacologie aura également comme tâche de nommer un pharmacien responsable de l'utilisation de la molécule au sein de l'établissement.

Le pharmacien responsable de l'utilisation de la molécule devra s'assurer, de concert avec le chef du département de pharmacie et le chef du département clinique concerné, que les règles d'utilisation sont respectées au sein de son établissement. Ce pharmacien sera également responsable du registre dans lequel seront colligées toutes les variables jugées utiles au suivi de l'utilisation balisée de la molécule concernée, dans une indication donnée. Pour se faire, un mécanisme général sera instauré afin que toutes les entités impliquées puissent colliger une information uniforme et standardisée. Dans cette optique, les systèmes d'information actuels et la définition des données minimales à colliger seront améliorés.

Il appartiendra à chaque établissement de désigner, s'il le juge opportun, une personne responsable de la coordination de la gestion interne de cet accès aux nouvelles molécules.

Le DSP aura la responsabilité d'informer l'agence de la santé et des services sociaux de laquelle il relève des prévisions de volume afin que celle-ci puisse déterminer le budget approprié. Un processus de reddition de compte pour le financement sera alors instauré. Cette démarche doit reposer sur une concertation active et efficace entre le responsable du programme de lutte contre le cancer de l'établissement, le Comité de pharmacologie, le DSP et l'agence de la santé et des services sociaux. Aussi, le Comité de pharmacologie étant actif en permanence, toute information pertinente devra être transmise à l'agence afin que celle-ci puisse réajuster au besoin sa planification budgétaire annuelle.

Par ailleurs, si l'expertise est absente au niveau local, il appartiendra aux réseaux régionaux de s'assurer d'élaborer les ententes nécessaires avec les centres locaux pour la dispensation de ces services afin que les personnes atteintes de cancer puissent bénéficier d'un accès à la molécule le plus près possible de leur résidence en fonction des responsabilités de leurs centres hospitaliers régional et local.

4.1.3. Un financement encadré

Le respect des règles d'utilisation, en tous points, permettra à un établissement dispensateur de services de recevoir de l'agence de la santé et des services sociaux de laquelle il relève le financement approprié.

Les sommes prévues pour l'utilisation d'une molécule seront gérées par l'agence. En ce sens, si une entente est contractée entre un centre régional et un centre local afin de traiter les patients le plus près possible de leur milieu de vie, le financement de la molécule devra être octroyé à l'établissement local.

Il est à noter que le modèle de financement actuel pouvait être ajusté afin de répondre plus adéquatement aux besoins particuliers du réseau. Les agences de la santé et des services sociaux ont la responsabilité d'ajuster le financement en fonction des coûts additionnels en utilisant la formule d'ajustement du coût de système spécifique en fonction du volume d'utilisation aux six mois.

Dans le cas où, exceptionnellement, une déviation aux règles d'utilisation serait envisagée pour un patient donné, il appartiendra au Comité de thérapie du cancer⁴ (« tumor board ») d'évaluer la pertinence clinique d'offrir ou non ce traitement au patient. Dans l'affirmative, le Comité de thérapie du cancer présentera sa

⁴ Le Comité de thérapie du cancer est un comité décisionnel composé de chirurgiens, d'oncologues médicaux, de radio-oncologues, de pharmaciens et de pathologistes, eu égard à une décision de traitement pour un patient donné.

requête au Comité de pharmacologie afin d'obtenir localement la permission de déroger aux règles provinciales d'utilisation. La décision thérapeutique devra être par la suite entérinée par le DSP de l'établissement, le cas échéant. Dans ce contexte, le financement de la molécule sera à la seule charge de l'établissement dispensateur du service.

Le tableau 1 résume les responsabilités des divers intervenants impliqués dans la mise sur pied d'un tel modèle d'accès aux nouvelles molécules d'oncologie.

Tableau 1. Partage des responsabilités et imputabilité en lien avec ce modèle d'accès

<i>Ministre / Ministère</i>	<i>Agences / réseau régional</i>	<i>Établissements</i>
<ul style="list-style-type: none"> ○ Inscrire une molécule sur les listes de médicaments du Québec après avis du Conseil du médicament ○ Sanctionner, via la Direction de la lutte contre le cancer, les règles d'utilisation élaborées par les experts du réseau ○ Faire un rapport annuel de l'utilisation de la molécule et des coûts inhérents ○ Déterminer les données minimales à colliger afin d'assurer le suivi ○ Instaurer un mécanisme général afin que toutes les entités impliquées puissent colliger une information uniforme et standardisée ○ Prévoir une rétroaction de l'information en lien avec le suivi de la molécule 	<ul style="list-style-type: none"> ○ Répartir, à l'intérieur du coût de système spécifique, les sommes nécessaires de façon paramétrique par établissement ○ Colliger aux six mois l'utilisation de la molécule en fonction des règles d'utilisation ○ S'assurer d'une utilisation cohérente entre les établissements, tel que déterminé au départ ○ Instaurer un processus de reddition de compte pour le financement 	<ul style="list-style-type: none"> ○ S'engager à fournir la molécule selon les règles d'utilisation ○ Mandater le Comité de pharmacologie, via le DSP et en lien avec le responsable du programme de lutte contre le cancer, afin qu'il estime le nombre de patients pouvant bénéficier du traitement ○ Tenir informer l'agence, via le DSP, des besoins budgétaires pour les médicaments en oncologie ○ Identifier un pharmacien responsable de la gestion appropriée de la molécule, lequel devra s'assurer, de concert avec le chef du département de pharmacie et le chef du département clinique concerné, d'une utilisation cohérente en fonction des règles d'utilisation ○ Colliger toutes les variables jugées utiles par la Direction de la lutte contre le cancer au suivi de l'utilisation balisée de la molécule ○ Élaboration d'un rapport d'utilisation biannuel qui sera remis par le pharmacien responsable au DSP de son établissement

5. Recommandations

Compte tenu des contextes canadien et québécois actuels, et dans l'optique d'une accessibilité raisonnable, équitable et d'une utilisation optimale, le Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouvelles molécules d'oncologie émet les recommandations suivantes pour les médicaments d'oncologie homologués et inscrits à l'une ou l'autre des listes de médicaments du Québec. Ces recommandations ont été regroupées selon trois volets :

Évaluation des médicaments d'oncologie

- Que la décision d'introduire un médicament sur la *Liste des médicaments-établissements* demeure sous la responsabilité du Ministre de la Santé et des Services sociaux, basée sur les recommandations du Conseil du médicament;
- Que le processus général d'évaluation du Conseil du médicament devienne plus transparent;
- Que le processus d'évaluation pharmacoéconomique du Conseil du médicament tienne compte des comparateurs sans avis de conformité;
- Qu'un groupe d'experts s'attarde à la question des nouvelles molécules d'oncologie non homologuées et que l'implication potentielle des divers acteurs québécois soit analysée dans ce contexte.

Contrôle de la qualité

- Qu'un modèle d'accès aux nouvelles molécules d'oncologie, comprenant les éléments suivants, soit constitué :
 - l'élaboration de règles d'utilisation précises permettant d'optimiser l'accès aux nouvelles molécules d'oncologie,
 - l'implication des cliniciens, notamment des représentants du CEPO, du PGTM et des équipes interdisciplinaires suprarégionales de lutte contre le cancer, pour l'élaboration de règles d'utilisation,
 - un partage des responsabilités pour l'application des décisions concernant les règles d'utilisation sur tout le territoire québécois, sans modification, dans un souci d'équité et d'uniformité,
 - un programme de suivi de l'utilisation des nouveaux médicaments d'oncologie, lequel comprendrait :
 - i. le développement de mécanismes de contrôle de la qualité et de suivi de l'utilisation des nouvelles molécules,
 - ii. l'instauration d'un processus de reddition de compte pour le financement,
 - iii. l'amélioration des systèmes d'information et de la définition des données minimales à colliger,
 - iv. l'instauration d'un mécanisme général afin que toutes les entités impliquées puissent colliger une information uniforme et standardisée;
- Que les établissements concernés s'assurent d'identifier toutes les ressources nécessaires afin que le modèle d'accès puisse fonctionner;

- Qu'un registre québécois du cancer soit mis sur pied afin de soutenir l'introduction des nouvelles molécules et de faciliter les décisions administratives;
- Que des mécanismes d'accès intra-RUIS et inter-RUIS soient implantés plutôt que de se diriger vers des cliniques d'accès spécifiques pour certaines molécules.

Financement des nouveaux médicaments d'oncologie

Nonobstant les représentations faites par les membres du Groupe de travail sur les modalités financières des nouvelles molécules d'oncologie, il a été convenu après étude :

- Que les agences de la santé et des services sociaux ajustent le financement et répartissent, à l'intérieur du coût de système spécifique, les sommes nécessaires par établissement en fonction du volume d'utilisation;
- Qu'un suivi financier serré soit effectué par les agences de la santé et des services sociaux et qu'un ajustement soit fait périodiquement en fonction de la réalité de chaque établissement;
- Que tout financement de nouvelles molécules d'oncologie, eu égard au modèle d'accès proposé, soit relié à l'application stricte de ces règles.

6. Conclusion

Tout au long de ces travaux, le Groupe de travail sur l'accessibilité aux nouveaux médicaments d'oncologie a tenu compte à la fois des contextes canadien et québécois actuels et des différentes réalités qui existent déjà dans le réseau de la santé et des services sociaux du Québec quant à l'accès aux nouveaux médicaments d'oncologie. Dans cette optique, il propose un modèle d'accès qui s'appuie sur des règles d'utilisation précises, des responsabilités partagées par tous les intervenants impliqués et un financement encadré en lien avec le respect des règles d'utilisation.

Le modèle proposé constituerait une façon optimale, efficace et efficiente d'assurer un accès raisonnable, équitable et uniformisé aux nouvelles molécules d'oncologie ou aux nouvelles indications pour une molécule déjà accessible. Il importe toutefois de rappeler que ce modèle s'appuie dès le départ sur le fait que les nouvelles molécules sont homologuées par Santé Canada et inscrites sur l'une ou l'autre des listes de médicaments du Québec.

L'instauration d'un tel modèle de mécanisme d'accès devra se faire en parallèle avec un ajustement du mode de financement actuel afin de répondre plus adéquatement aux besoins particuliers des agences et des établissements du réseau. Cette réorganisation budgétaire devra toutefois se faire à l'intérieur du coût de système spécifique octroyé par le Ministère aux agences de la santé et des services sociaux.

En ce qui concerne les antinéoplasiques non homologués ou non inscrits sur les listes de médicaments québécoises, il serait également opportun de définir éventuellement les paramètres de leur utilisation.