

L'intégration des avancées dans le domaine du médicament représente un défi scientifique, social et économique majeur. Pour les patients, leurs familles et leurs soignants, l'accès aux soins les plus innovants constitue un espoir d'une meilleure qualité de vie. Depuis sa mise en place, l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) a entrepris une réflexion sur l'introduction de l'innovation. Il donc mis sur pied, au début de janvier 2012, un comité d'évaluation des innovations pour déterminer des pistes de solutions visant à améliorer l'accès aux médicaments à caractère jugé prometteur pour les personnes atteintes de cancer en fin de vie, tout en garantissant que cet accès demeure équitable et raisonnable pour tous les patients et l'ensemble de la population.

Le rôle de l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux

L'INESSS a pour mission de promouvoir l'excellence clinique et l'utilisation efficiente des ressources dans le secteur de la santé et des services sociaux.

L'évaluation des médicaments aux fins de remboursement est une des fonctions de l'INESSS. Celle-ci se fait en fonction de cinq critères inscrits dans sa Loi, soit la valeur thérapeutique, la justesse du prix, le rapport entre le coût et l'efficacité, ainsi que les conséquences et l'opportunité de l'inscription du médicament sur le système de soins et de services. La démonstration de la valeur thérapeutique est un prérequis à la prise en compte des quatre autres critères. Soulignons que cette évaluation s'inscrit dans un processus délibératif auquel participent des cliniciens, des chercheurs, des éthiciens, des pharmacoéconomistes et des citoyens. À la suite de cette délibération, l'INESSS a transmis ses recommandations au ministre de la Santé et des Services sociaux.

Pourquoi les médicaments anti-cancéreux ?

Le cancer, première cause de mortalité au Québec comme au Canada, est une préoccupation majeure pour la société et une priorité gouvernementale. Le Programme québécois de lutte contre le cancer, et la création, en avril 2011, d'une Direction québécoise du cancer, témoignent de l'importance accordée à la prise en charge efficace des personnes atteintes de cette maladie. Par ailleurs, les récentes avancées en recherche ont permis l'arrivée de nouvelles molécules prometteuses, mais coûteuses, comme les thérapies ciblées.

Le Québec en comparaison avec les autres provinces canadiennes

En matière d'inscription de médicaments, le Québec se démarque quant à la rapidité avec laquelle il procède à l'évaluation et au nombre de molécules faisant l'objet d'une recommandation d'inscription. Il semble toutefois y avoir des différences en ce qui concerne les médicaments anticancéreux. Comment expliquer ces différences ? L'INESSS s'est donc penché sur les modalités d'inscription qui existent ailleurs. On a pu constater que plusieurs provinces et pays ont développé différents mécanismes et programmes permettant d'augmenter l'accès à certains médicaments, souvent coûteux, qui pourraient constituer une percée significative dans le traitement d'une maladie comme le cancer.

Afin de conserver un juste équilibre entre l'accessibilité aux médicaments et la pérennité du système, il est souhaitable que des modèles innovants soient instaurés pour permettre l'introduction de médicaments à caractère jugé prometteur. Cette démarche est un progrès remarquable au Québec pour les personnes atteintes de cancer.

L'impact financier des médicaments anticancéreux au sein des établissements de la santé

Les dépenses en médicaments dans les établissements du réseau de la santé du Québec totalisaient 606 millions de dollars en 2010-2011. Cette dépense augmente d'environ 5 % par année depuis les dix dernières années.

En ce qui concerne les médicaments antinéoplasiques, la croissance annuelle moyenne se situe aux alentours de 15,5 % pour les établissements. L'utilisation accrue des médicaments et l'arrivée de médicaments coûteux sur le marché expliquent en partie ce phénomène. Pour les centres hospitaliers du Québec, la classe des médicaments antinéoplasiques correspond à 35,5 % des dépenses en médicaments en 2010-2011.

D'une part, sur le plan individuel, le Québec souhaite permettre aux personnes atteintes de cancer en fin de vie d'avoir le meilleur accès possible aux avancées thérapeutiques. D'autre part, sur le plan collectif, il faut s'assurer d'introduire ces nouveaux médicaments à des prix abordables.

Dans ce contexte, afin de conserver un juste équilibre entre l'accessibilité aux médicaments et la pérennité du système, il est de plus en plus souhaitable que des modèles innovants soient instaurés pour permettre une meilleure appréciation de la valeur ajoutée de ces médicaments.

Le projet pilote sur l'évaluation de médicaments anticancéreux

En novembre 2011, l'INESSS a mis en place un projet dans lequel il a exploré de nouvelles avenues pour l'évaluation de sept médicaments anticancéreux à caractère jugé prometteur (Afinitor^{MC}, Alimta^{MC}, Iressa^{MC}, Erbitux^{MC}, Herceptin^{MC}, Revlimid^{MC}, Zitiga^{MC}). Selon nos estimations, ce projet a permis de donner accès à ces médicaments à plus de 1 500 personnes atteintes de cancer. L'INESSS a pu estimer, selon les standards pharmacoéconomiques et les expériences d'ententes hors Québec, que si les ententes de partage de risque recommandées dans le projet pilote avaient été conclues, des économies substantielles de près de 10 millions \$ auraient pu être réalisées.

Les travaux du Comité d'évaluation des innovations – Volet cancer en fin de vie

Le Comité d'évaluation des innovations – Volet cancer en fin de vie, composé de membres de plusieurs milieux, notamment des chercheurs, des éthiciens, des oncologues, des citoyens et des patients, a procédé à la révision du cadre d'évaluation des médicaments aux fins d'inscription, en plus d'explorer les mécanismes développés ailleurs pour favoriser l'introduction. À partir des réflexions du comité, l'INESSS a formulé neuf recommandations, regroupées en

trois grandes avenues, soit : un élargissement du cadre actuel d'évaluation des médicaments aux fins d'inscription, de nouveaux outils pour assurer une introduction cohérente de l'innovation et une meilleure gestion de l'information au Québec.

L'INESSS juge qu'un médicament est à caractère prometteur s'il :

- peut apporter un bénéfice clinique significatif pour le patient par rapport aux options thérapeutiques existantes, soit un gain de santé important et un profil d'effets indésirables favorable;
- est indiqué pour une maladie pour laquelle il n'existe actuellement pas de traitement ou représente une amélioration cliniquement importante comparativement au traitement actuel;
- a un potentiel élevé d'amélioration du traitement d'une maladie pour laquelle le traitement actuel n'est pas satisfaisant;
- a un potentiel pour améliorer l'organisation ou l'efficacité du système des soins de santé.

1. Un élargissement du cadre d'évaluation aux fins d'inscription

À la lumière de ces réflexions, l'INESSS a revu son cadre d'évaluation, l'a comparé à ce qui se fait dans d'autres organisations et a proposé de nouvelles façons de faire. Certaines propositions ont déjà été intégrées.

Parmi ces nouvelles façons de faire, notons l'ajout de rencontres avec les fabricants pour discuter de l'introduction cohérente de l'innovation, dont la faisabilité d'une entente de partage de risques. Les fabricants seront aussi invités à soumettre des argumentaires sur les aspects éthique et sociétal, dont l'INESSS souhaite optimiser l'analyse.

L'enrichissement de la participation citoyenne est une autre amélioration que l'INESSS souhaite apporter à son cadre d'évaluation. Déjà, depuis septembre 2011, des membres citoyens siègent aux comités scientifiques de l'Institut. L'INESSS s'assure également d'accroître sa collaboration avec les organismes appropriés.

Pour les patients

- Un accès plus rapide aux médicaments
- Un plus grand choix de traitements disponibles
- Une analyse enrichie par une connaissance plus juste des valeurs et des attentes des patients et des citoyens

L'usage des médicaments en conformité avec les meilleures pratiques cliniques fondées sur les données probantes est une des priorités de l'INESSS. Il apparaît de plus en plus nécessaire que le Québec se dote d'outils normalisés afin de connaître l'utilisation des médicaments anticancéreux

et s'assurer de leur utilisation optimale. Ainsi, des mécanismes administratifs pour assurer le suivi des médicaments devront être mis en place notamment pour certains médicaments associés à des règles d'utilisation.

2. L'introduction d'une nouvelle démarche pour assurer une introduction cohérente de l'innovation et permettre l'accès à certains médicaments

En comparant les diverses organismes d'évaluation des médicaments, l'INESSS a constaté que la plupart d'entre eux avaient développé des mécanismes d'introduction de l'innovation, dont le développement de la preuve et les ententes de partage de risque financier.

Dans le cadre de ses travaux, l'INESSS a développé un concept novateur par l'introduction de la notion de médicament à caractère jugé prometteur.

Une entente de partage de risque peut porter soit sur des paramètres financiers (entente de partage de risque financier) soit sur l'ajout de données cliniques (développement de la preuve)

Ces médicaments souvent coûteux, dont la valeur thérapeutique est reconnue, sont parfois associés à une incertitude quant à l'ampleur des bénéfices cliniques. Ainsi, lorsque des données supplémentaires, par exemple sur la qualité de vie ou sur la survie globale, sont nécessaires à l'évaluation pharmacoéconomique, l'INESSS propose de suggérer, avant de recommander d'inscrire le médicament, une entente visant le développement de la preuve. À la suite d'un maintien à l'étude, le fabricant pourrait soumettre à l'INESSS un protocole précisant les modalités du développement de la preuve, qui repose sur les balises (questions de recherche, indicateurs, résultats cliniques attendus, etc.) définies au préalable par l'INESSS et les cliniciens du réseau.

Pour les cliniciens

- Plus grand choix de traitement
- Participation accrue à l'évaluation des médicaments

Lorsque le médicament à caractère jugé prometteur atteint un ratio coût-efficacité qui ne permet pas à l'INESSS de recommander son inscription, il peut alors faire l'objet d'une entente de partage de risque financier, qui est du ressort du ministère de la Santé et des Services sociaux. Ces ententes peuvent être de différents types, notamment une diminution du prix, un coût fixe par patient, ou une entente de type prix-volume. Tout comme pour le développement de la preuve, l'Institut recommande alors le maintien à l'étude du produit. L'INESSS présentera alors au ministre une avenue potentielle pour permettre un

accès encadré au médicament visé. Il se propose aussi d'appuyer le ministère, si ce dernier le juge nécessaire, en lui fournissant les paramètres cibles nécessaires à la réussite des ententes.

La mise en place de ces nouveaux mécanismes permettra d'introduire l'innovation, au bénéfice des patients québécois, tout en assurant une utilisation efficiente des ressources dans un constant souci de préserver la pérennité du régime.

3. Une meilleure gestion de l'information au Québec

Les enjeux liés aux médicaments à caractère jugé prometteur, souvent coûteux, nécessitent d'avoir accès à des données permettant d'en assurer le suivi dans des conditions de pratique réelle. Ainsi, il y a lieu de mettre en place des systèmes d'information permettant de colliger des données fiables, valides et de qualité. Ainsi, il est souhaitable que le Québec dispose de banques de données permettant de colliger de l'information (molécules, indication thérapeutique, dosage, durée de la thérapie, etc.) pour favoriser l'usage optimal et le suivi systématique des médicaments. Enfin, pour certains médicaments présentant une incertitude quant à l'ampleur des bénéfices reconnus, la collecte de données dans un contexte clinique pourrait contribuer au développement de la preuve.

Conclusion

Au terme du projet pilote et à la lumière des réflexions du Comité d'évaluation des innovations – Volet cancer en fin de vie, l'INESSS propose que le Québec mette en place des mécanismes, à l'instar de ceux des autres provinces canadiennes, qui favoriseront l'accessibilité à l'innovation médicamenteuse pour le bénéfice des personnes atteintes de cancer dans un contexte de fin de vie, dans le respect de l'équité et des ressources disponibles. Les principaux mécanismes proposés par l'INESSS pour y parvenir sont :

- un élargissement du cadre d'évaluation aux fins d'inscription, déjà entrepris par l'INESSS;
- de nouveaux outils pour assurer une introduction cohérente de l'innovation, comme les ententes de partage de risque financier ou de développement de la preuve avec les partenaires du réseau;
- une meilleure gestion de l'information au Québec.

La lutte au cancer est une des priorités gouvernementales. L'INESSS souhaite que ses propositions contribuent à maintenir le Québec en tête de ligne en matière d'accès aux médicaments.

L'introduction de ces nouveaux mécanismes que sont les ententes de partage de risque financier et le développement de la preuve est un progrès qui permettra aux personnes atteintes de cancer en fin de vie d'avoir accès à des médicaments tout en assurant la pérennité du régime.