

---

*Revue Juridique étudiante de l'Université de Montréal*



Volume 4 – 2018

---

*L'accès aux médicaments des maladies  
orphelines : une approche comparée*

Joëlle Brunet

---



# L'accès aux médicaments des maladies orphelines : une approche comparée

Joëlle Brunet\*

---

## Résumé

Cet article établit que la politique canadienne actuelle sur le développement et la mise en marché d'un médicament et la politique québécoise de remboursement de médicaments n'adressent pas la problématique de l'accessibilité aux médicaments des maladies orphelines et qu'elles sont déficientes. Nous proposons un survol des différentes définitions et exemples de ce qu'est une « maladie orpheline » et un « médicament orphelin » selon plusieurs entités et États. Un examen approfondi est fait sur des alternatives canadiennes possibles : le programme d'accès spécial (PAS), le programme patients d'exception et le remboursement au choix par l'établissement. Ensuite, une comparaison est réalisée avec la politique étrangère des États-Unis et le *Orphan Drug Act*. Plusieurs critiques et limitations sont soulevées concernant le système américain pour ensuite transposer quelques pistes de solutions à considérer au Canada. Enfin, la question des recours en vertu de la *Charte canadienne des droits et libertés* est évoquée.

## Abstract

This article establishes that the current Canadian policy on the development and marketing of a drug and the Quebec drug reimbursement policy do not address the problem of accessibility to drugs for orphan diseases and that they are deficient. It offers an overview of the different definitions and examples of what is an "orphan disease" and an "orphan drug" according to several entities and states. A thorough examination is made of possible Canadian alternatives: the special access program (PAS), the exceptional patient program and the reimbursement of your choice by the establishment. A comparison is also made with U.S. foreign policy and the *Orphan Drug Act*. Several criticisms and limitations are raised concerning the American system and then transpose some possible solutions to consider in Canada. Finally, it raises the issue of remedies under the *Canadian Charter of Rights and Freedoms*.

---

\* Juriste et étudiante à la maîtrise en Droit et Politiques de la santé de l'Université de Sherbrooke.

## TABLE DES MATIÈRES

Introduction . . . . .	29
I. Qu'est-ce qu'une maladie orpheline ? . . . . .	30
II. Qu'est-ce qu'on entend par accessibilité ? . . . . .	32
III. Action internationale visant cette problématique . . . . .	33
A. Position de l'Organisation mondiale de la santé (OMS). . . . .	33
B. Europlan : lignes directrices et recommandations . . . . .	34
C. Plateforme Orphanet. . . . .	34
IV. Politique canadienne sur l'accès aux médicaments . . . . .	35
A. Au niveau fédéral . . . . .	35
1. Politique canadienne et Santé Canada . . . . .	35
2. Programme d'accès spécial (PAS) . . . . .	39
3. Canada's Rare Disease Strategy (2015) . . . . .	43
B. Au niveau provincial. . . . .	44
1. Regroupement québécois des maladies orphelines (RQMO) . . . . .	44
2. Médicaments remboursés par la RAMQ et les recommandations de l'INESSS . . . . .	45
3. Procédure d'accès aux médicaments d'exception . . . . .	48
4. Programme de patients d'exception . . . . .	48
5. Médicaments remboursés en établissement . . . . .	49
V. Comparaison avec une politique étrangère : les États-Unis . . . . .	50
A. Définitions de maladie orpheline et médicament orphelin. . . . .	50
B. <i>Orphan Drug Act</i> (1983) . . . . .	50
C. <i>Rare Diseases Act</i> (2002) . . . . .	52
D. Critiques et limitations . . . . .	52
VI. Solutions envisageables au Canada . . . . .	55
A. Recours législatifs et administratifs . . . . .	55
B. Recours judiciaires : Qu'en est-il de la <i>Charte canadienne         des droits et libertés</i> ? . . . . .	58
Conclusion . . . . .	64

Au cours de leur vie, la plupart des gens vivent des problèmes de santé multiples, qu'ils soient bénins ou aigus. Ainsi, ces personnes ont besoin de services de santé auprès de plusieurs établissements, laboratoires, professionnels de santé ou services de cliniques externes. De plus, de nombreuses maladies ou infections sont traitées à travers une médication développée par les compagnies pharmaceutiques. Néanmoins, l'accès aux médicaments n'est pas toujours uniforme entre les patients et ils n'ont pas tous la même chance. C'est le cas des gens atteints de maladies orphelines ou rares.

Les médias à travers le monde ont relaté le cas de l'entrepreneur Martin Shkreli qui, suivant l'achat de plusieurs médicaments par sa compagnie, dont le *Daraprim*<sup>1</sup> et le *Thiola*<sup>2</sup>, en a augmenté les prix entre vingt et cinquante fois environ, prenant ainsi en otage les patients ayant besoin de ces médicaments. Dans un reportage de l'émission *La facture* du 26 janvier 2016, on a présenté la situation d'une patiente de Trois-Rivières atteinte d'une cystinurie, maladie héréditaire rare qui touche environ une trentaine de personnes au Québec qui, pour éviter l'insuffisance rénale, doit prendre seize comprimés de *Thiola* par jour afin d'éviter l'accumulation de calculs rénaux. Suivant l'achat du médicament, le prix par comprimé est passé de 1,77 \$ à 40 \$ et la Régie de l'Assurance-Maladie du Québec (ci-après « RAMQ ») refusera par la suite de rembourser ces médicaments en raison de la hausse vertigineuse du prix unitaire. L'accès à ce médicament est complexe car le médecin traitant doit chaque année renouveler sa demande d'autorisation à Santé Canada et cette patiente ne peut se permettre de payer les frais de sa poche puisqu'ils s'élèveraient à 344 000 \$ par

1. Le médicament *Daraprim* traite la toxoplasmose qui est une infection parasitaire attrapée par des gens ayant un système immunitaire déficient (comme ceux atteints du sida ou d'un cancer). Laurence Niosi, « Un entrepreneur achète un médicament et augmente son prix de 50 fois », *ICI Radio-Canada*, septembre 2015, en ligne : <<http://ici.radio-canada.ca/nouvelles/International/2015/09/22/005-medicament-augmentation-prix-pharmaceutique-reseaux-sociaux.shtml>> (consulté le 21 juin 2017).
2. Le médicament *Thiola* traite les gens atteints de la cystinurie. Cette maladie héréditaire qui débute à l'enfance touche les reins où il y a une grande accumulation de calculs rénaux de cystine et la trop grande formation de pierres aux reins peut détruire ces mêmes reins. Lisa M. GUAY-WOODFORD, « Hereditary nephropathies and developmental abnormalities of the urinary tract », dans Lee GODLMAN et Andrew I. SCHAFER (dir.), *Goldman's Cecil Medicine*, 24<sup>e</sup> éd., Philadelphie, Elsevier Saunders, 2012, p. 800-801.

année. La famille de la patiente concernée ou une assurance privée sont donc les principales options de cette patiente afin de payer ces frais, outre celle qu'un établissement accepte d'inclure ces derniers dans son enveloppe budgétaire et les lui fournisse gratuitement. Le centre hospitalier régional de Trois-Rivières acceptera ultimement de le faire mais ce ne sont pas tous les patients atteints de maladies orphelines qui ont cette chance. Nombreux demeurent à la merci des fluctuations des prix et sont laissés à eux-mêmes<sup>3</sup>.

## I. QU'EST-CE QU'UNE MALADIE ORPHELINE ?

La définition de maladie orpheline est variable. Dans l'Euroman<sup>4</sup>, on la considère comme une maladie qui ne compte pas plus de 5 cas pour 10 000 habitants (1 cas pour 2 000 habitants)<sup>5</sup>. Le critère américain admet moins de 200 000 personnes atteintes sur le territoire, soit environ 1 personne sur 1 500<sup>6</sup>. Le taux considéré au Québec est pour sa part le même que celui proposé par l'Euroman, soit moins de 5 cas pour 10 000 personnes<sup>7</sup>. La Belgique a toutefois formulé une définition plus précise d'une maladie rare :

Les maladies rares, y compris celles d'origine génétique, sont des maladies mettant la vie en danger ou entraînant une invalidité chronique et dont la prévalence est si faible que des efforts combinés spécifiques sont requis pour les combattre. La définition des maladies rares englobe les maladies génétiques, les cancers rares, les maladies auto-immunes, les malformations congénitales, les maladies d'origine toxique, infectieuse et autres.<sup>8</sup>

3. Esther NORMAND, « Prix des médicaments : des patients pris en otages », *ICI Radio-Canada*, janvier 2016, en ligne : <<http://ici.radio-canada.ca/tele/lafacture/2015-2016/segments/reportage/4915/prix-medicament-flambee-hopital-entrepreneur-americain?isAutoPlay=1>> (consulté le 21 juin 2017) ; *Loi sur les services de santé et services sociaux*, R.L.R.Q., c. S-4.2, art. 116 (4).
4. *Infra*, section III.B.
5. Stéphanie ELGER, *Prise en charge des maladies rares : Expériences étrangères*, publications INESSS, n° 6, vol. n° 7, Québec, ETMIS, août 2011, p. 7-8.
6. *Rare Diseases Act of 2002*, Pub. L. No 107-280, § 2, 116 Stat. 1988 (2002), section 2 (a) (1).
7. S. ELGER, préc., note 5, p. 7-8.
8. Alain DENIS, Pascale GRUBER-EJNÈS, Peter RAEYMAEKERS. *Recommandations et propositions de mesures en vue du Plan belge pour les maladies rares – Phase I*. Bruxelles, Fonds Maladies Rares et Médicaments Orphelins, 2010, en ligne : <[http://www.europlanproject.eu/DocumentationAttachment/Recommendations%20and%](http://www.europlanproject.eu/DocumentationAttachment/Recommendations%20and%20)

Malgré le petit nombre de patients atteints de maladies orphelines, on croit qu'il existe à ce jour entre 5 000 et 7 000 maladies rares distinctes<sup>9</sup>. De plus, la définition de médicaments orphelins varie selon les législations respectives des États, quoiqu'elle désigne habituellement celles dont il est impossible *a priori* d'amortir les coûts de recherche et de développer simplement par le biais de la commercialisation<sup>10</sup>.

Prenons l'exemple d'une maladie orpheline, soit la maladie de Fabry<sup>11</sup>, définie comme étant :

Une maladie génétique héréditaire du métabolisme des glycosphingolipides, de transmission liée au chromosome X, due au déficit en une enzyme lysosomale : l'alpha-galactosidase A. C'est une maladie de surcharge, du groupe des maladies lysosomales. Les hommes et les femmes sont atteints. Classiquement, les signes cliniques débutent dans l'enfance par des douleurs des extrémités et des signes dermatologiques (angiokératomes). Par la suite, se développe la maladie de surcharge multiviscérale avec des symptômes cardiaques (hypertrophie ventriculaire gauche, arythmies), neurologiques (accidents vasculaires cérébraux), ORL (hypoacousie) et rénaux (protéinurie, insuffisance rénale).<sup>12</sup>

Cette maladie grave atteint plusieurs systèmes dans le corps d'une personne et diminue drastiquement son espérance de vie<sup>13</sup>. Le meilleur traitement développé à ce jour est une enzymothérapie substitutive (ETS) grâce à deux médicaments : le *Fabrazyme* (agalsidase bêta) et le *Replagal* (agalsidase alpha)<sup>14</sup>. Ces deux médicaments permettent

---

20Proposed%20Measures%20for%20a%20Belgian%20Plan%20for%20Rare%20Diseases\_Phase%20I%20-%20french%20(fr).pdf> (consulté le 12 avril 2017).

9. *Id.*

10. Règlement (CE) no<sup>o</sup> 141/2000 du 16 déc. 1999 concernant les médicaments orphelins, Parlement européen et du Conseil, J.O. n<sup>o</sup> L018 du 22 janvier 2000, p. 0001-0005, art. 3 (1a) ; *Orphan Drug Act*, Pub. L. No 97-414, § 1, 96 Stat. 2049 (1983).

11. Donna M. Krasnewich et Ellen Sidransky, « The lysosomal storage diseases », dans Lee Godlman et Andrew I. Schafer (dir.), *Goldman's Cecil Medicine*, 24<sup>e</sup> éd., Philadelphie, Elsevier Saunders, 2012, p. 1359-1360.

12. Olivier LIDOVE et Nadia BELMATOUG, « Maladie de Fabry », *Orphanet*, octobre 2011, en ligne : <[https://www.orpha.net/data/patho/Pro/fr/Urgences\\_Fabry.pdf](https://www.orpha.net/data/patho/Pro/fr/Urgences_Fabry.pdf)> (consulté le 18 juin 2017).

13. Dominique P. GERMAIN, « Fabry disease », (2010) *Orphanet Journal of Rare Diseases*, en ligne : <<https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/1750-1172-5-30>> (consulté le 18 juin 2017).

14. Uma RAMASWAMI, « Update on role of agalsidase alfa in management of Fabry disease », (2010) *Drug Design, Development and Therapy*, en ligne : <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/21552486>> (consulté le 18 juin 2017).

de ralentir considérablement l'évolution de la maladie et malgré le manque de disponibilité de données à long terme sur ces traitements, il est prouvé qu'ils aident à traiter partiellement ses symptômes<sup>15</sup>. La permission de commercialisation en Europe pour ces deux médicaments a été accordée en 2001, alors qu'au Canada, l'avis de conformité est venu bien plus tard<sup>16</sup>. L'Europe est par ailleurs souvent en avance sur le Canada quant aux autorisations de commercialisation pour les médicaments de maladies rares<sup>17</sup>.

## II. QU'EST-CE QU'ON ENTEND PAR ACCESSIBILITÉ ?

Du point de vue global, la *Loi canadienne sur la santé*<sup>18</sup> édicte que pour qu'une province reçoive la pleine contribution pécuniaire du fédéral, un régime général d'assurance en santé doit respecter cinq critères, dont celui de l'accessibilité. Cela inclut d'offrir des services de santé uniformes pour tous sans égard à leur capacité de payer ou non<sup>19</sup>. Néanmoins, cette obligation ne vise pas en particulier les médicaments. D'un autre côté, l'article 51 de la *Loi sur l'assurance médicaments* stipule que :

Cette politique vise à favoriser l'intégration de l'usage des médicaments dans l'ensemble des actions qui sont destinées à améliorer la santé et le bien-être de la population, notamment au moyen d'un régime général

- 
15. « Fabrazyme », Produit-sante.canada.ca, Mississauga (ON), Genzyme Canada Inc., 2014, en ligne : <[https://pdf.hres.ca/dpd\\_pm/00027975.PDF](https://pdf.hres.ca/dpd_pm/00027975.PDF)> ; « Replagal », Produit-sante.canada.ca, Lexington (MA), Shire Human Genetic Therapies, Inc., 2017, en ligne : <[https://pdf.hres.ca/dpd\\_pm/00038145.PDF](https://pdf.hres.ca/dpd_pm/00038145.PDF)> (consultés le 18 juin 2017).
  16. *Id.* ; EUROPEAN MEDICINES AGENCY, *EPAR Summary for the public: Fabrazyme*, London, février 2013, en ligne : <[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/EPAR\\_Summary\\_for\\_the\\_public/human/000370/WC500020541.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_Summary_for_the_public/human/000370/WC500020541.pdf)> (consulté le 18 juin 2017) ; EUROPEAN MEDICINES AGENCY, *EPAR Summary for the public: Replagal*, London, juin 2015, en ligne : <[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/EPAR\\_-\\_Summary\\_for\\_the\\_public/human/000369/WC500053606.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-_Summary_for_the_public/human/000369/WC500053606.pdf)> (consulté le 18 juin 2017). Au Canada, l'avis de conformité a été donné en 2004 pour le *Fabrazyme*, voir <<http://webprod5.hc-sc.gc.ca/noc-ac/info.do?no=4&lang=fra>> et pour le *Replagal*, mais ce dernier est seulement avec conditions, voir <<http://webprod5.hc-sc.gc.ca/noc-ac/info.do?no=3&lang=fra>> (consultés le 18 juin 2017).
  17. Par exemple, pour les médicaments *Fabrazyme* ou *Replagal*, ceux-ci ont été autorisés en Europe au minimum une dizaine d'années avant le Canada.
  18. *Loi canadienne sur la santé*, L.R.C., 1985, c. C-6, art. 7 e) et 12(1).
  19. *Id.*



d'assurance médicaments, et, compte tenu des ressources financières disponibles, à atteindre les principaux objectifs suivants :

1° l'accessibilité équitable et raisonnable aux médicaments requis par l'état des personnes ; [...] »<sup>20</sup>

Ainsi, il serait important de toujours employer les principes d'équité et d'accès raisonnable lorsqu'on parle d'accessibilité aux médicaments des maladies orphelines, lorsqu'ils sont requis en raison de l'état de santé des personnes. Toutefois, cela ne représente pas la réalité dans la mesure où les médicaments orphelins sont la plupart du temps absents de la liste des médicaments assurés par la RAMQ, que leurs prix sont excessivement élevés et que le processus bureaucratique d'accès aux traitements est laborieux et parfois arbitraire. Cette étude fait état de ces affirmations. Nous traiterons d'abord de l'action internationale faite à ce jour visant la problématique des maladies orphelines pour ensuite développer sur la situation du Canada et des États-Unis en la matière.

### III. ACTION INTERNATIONALE VISANT CETTE PROBLÉMATIQUE

#### A. Position de l'Organisation mondiale de la santé (OMS)

L'Organisation mondiale de la santé (ci-après « OMS ») promeut la collaboration entre les différents États afin de combattre les maladies rares<sup>21</sup>. Par ailleurs, dans un pays industrialisé autant que dans un pays en voie de développement, la personne atteinte d'une maladie rare perd souvent symboliquement toute identité nationale lorsqu'elle se tourne vers les traitements possibles, souvent sont offerts à l'étranger, pour se définir plutôt par sa maladie<sup>22</sup>. L'OMS encourage ainsi la communication entre individus se trouvant dans une situation semblable, peu importe les frontières qui les séparent, puisqu'elle permet d'échanger

20. *Loi sur l'assurance médicaments*, L.R.Q., c. A-29.01, art. 51 (nous soulignons).

21. Gary HUMPHREYS, « Combattre les maladies rares ensemble », *Bulletin de l'Organisation Mondiale de la Santé*, vol. n° 90, n° 6, juin 2012, p. 401-476 ; ORGANISATION MONDIALE DE LA SANTÉ, « Rares et essentiels » : *Considérons les médicaments destinés au traitement des maladies rares comme des médicaments essentiels*, septembre 2006.

22. *Id.*

de l'information sur les traitements disponibles selon les États et sur les recherches les plus prometteuses. D'ailleurs, de nombreux organismes œuvrant pour les intérêts de patients atteints de maladies rares ont tendance à développer une approche de collaboration internationale<sup>23</sup>. Une action proactive à ce niveau peut ainsi aider les patients pour qui ces médicaments sont essentiels à trouver les traitements requis où qu'ils soient offerts. Grâce à la base de données Orphanet<sup>24</sup> et aux réseaux sociaux utilisés par les associations des maladies orphelines, un libre accès à des informations sur les maladies rares, les médicaments orphelins et les essais cliniques en cours se tisse<sup>25</sup>.

## B. Europlan : lignes directrices et recommandations

La Commission des Communautés européennes s'est réunie en 2008 pour lutter contre les maladies orphelines (« Les maladies rares : un défi pour l'Europe ») et a élaboré des lignes directrices et des recommandations pour tous les pays membres afin de s'attaquer à la problématique. L'Union européenne a ensuite fait adopter le projet européen Europlan, qui se base sur les principes d'universalité, d'accès aux soins de qualité, d'équité et de solidarité<sup>26</sup>, et 27 États membres se sont engagés à implanter une stratégie nationale. En 2009, des directives ont été précisées afin d'aider les pays membres à établir leur plan national<sup>27</sup>. Cependant, il reste beaucoup de progrès à faire pour plusieurs de ces membres, puisque plusieurs n'ont pas atteint les objectifs alors qu'ils étaient engagés à atteindre avant 2013.

## C. Plateforme Orphanet

Le site web français Orphanet cherche à compiler toutes les informations existantes sur les maladies orphelines. Il propose par exemple

---

23. *Id.*

24. *Infra*, section II.C.

25. *Id.*

26. COMMISSION DES COMMUNAUTÉS EUROPÉENNES, *Les maladies rares, un défi pour l'Europe*, Bruxelles, COM (2008) 679 (final), en ligne : <[http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/docs/rare\\_com\\_fr.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_fr.pdf)> (consulté le 17 juin 2017).

27. COUNCIL OF THE EUROPEAN UNION, « Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases », *Official Journal of the European Union*, Luxembourg, 2009, en ligne : <<http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>> (consulté le 20 juin 2017).

une liste exhaustive des médicaments orphelins offerts pour traiter les différentes pathologies<sup>28</sup>. Chaque pays peut disposer d'une page officielle sur Orphanet et le Canada<sup>29</sup> fait partie des membres disposant d'une telle page, de même que la province du Québec<sup>30</sup>. Cette base de données commune a révolutionné l'accessibilité des informations offertes aux patients atteints de ce type de maladies, puisque les renseignements sur les maladies rares, sur les médicaments orphelins existants ou en cours de développement étaient auparavant dispersés à travers le monde, sans moyen préétabli d'interaction.

#### IV. POLITIQUE CANADIENNE SUR L'ACCÈS AUX MÉDICAMENTS

Suivant la présentation des actions orchestrées au niveau international pour faciliter le traitement des maladies orphelines, nous allons maintenant traiter de la politique canadienne sur l'accès aux médicaments au niveau fédéral puis provincial.

##### A. Au niveau fédéral

###### 1. *Politique canadienne et Santé Canada*

La politique canadienne de mise en marché du médicament cherche à concilier deux objectifs : promouvoir la recherche et le développement de l'innovation par l'entremise de brevets de médicaments innovants tout en favorisant l'accès des médicaments génériques à un prix raisonnable<sup>31</sup>. Le brevet est un instrument permettant de déclarer un monopole de commercialisation sur une invention pendant une période donnée<sup>32</sup>. L'invention peut quant à elle être définie comme « toute réalisation, tout procédé, toute machine, fabrication

28. ORPHANET, *Liste des médicaments orphelins*, en ligne : <[http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Drugs\\_ListOrphanDrugs.php?lng=FR](http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Drugs_ListOrphanDrugs.php?lng=FR)> (consulté le 19 juin 2017).

29. En ligne : <<http://www.orpha.net/national/CA-FR/index/page-d-accueil/>> (consulté le 19 juin 2017).

30. En ligne : <<http://www.orpha.net/national/CA-FR/index/orphanet-québec/>> (consulté le 19 juin 2017).

31. Mathieu GAGNÉ et Mélanie BOURASSA-FORCIER, *Précis de droit pharmaceutique*, Cowansville, Éditions Yvon Blais, 2012, p. 150.

32. *Loi sur les brevets*, L.R.C., 1985, c. P-4, art. 2.

ou composition de matières, ainsi que tout perfectionnement de l'un d'eux, présentant le caractère de la nouveauté et de l'utilité »<sup>33</sup>. Le droit exclusif de commercialisation de cette invention a une limite de temps maximale qui est de 20 ans à partir de la demande de brevet<sup>34</sup>. Les brevets sont un incitatif pour la recherche puisqu'ils protègent, en vue d'un futur investissement financier, les données scientifiques essentielles à une invention en limitant les revendications par les tiers, tout en partageant ces mêmes données afin de permettre l'amélioration et la diffusion des avancées scientifiques<sup>35</sup>. Or, cette divulgation complète de l'invention, à l'aide de conférences scientifiques et de multiples publications médicales, est primordiale lorsqu'il est question de maladies orphelines, puisque très peu de gens en sont atteints dans chaque pays et qu'elle permet aux chercheurs de rassembler le peu d'informations disponibles et connues à leur sujet<sup>36</sup>.

Avant de pouvoir commercialiser le médicament, une compagnie pharmaceutique doit passer par les différentes phases d'essais cliniques et ensuite demander un avis de conformité à Santé Canada. Ainsi, pour obtenir cet avis de conformité, la compagnie doit fournir assez d'informations pour prouver l'efficacité, la qualité et la sécurité du médicament à partir de ses données cliniques<sup>37</sup>. Il est possible de recevoir un avis de conformité sous conditions, notamment lorsque les études nécessaires à son obtention ne sont pas encore disponibles<sup>38</sup>. Cette dernière mesure peut parfois être utilisée pour des médicaments orphelins où la collecte de données reste ardue. Une fois cet avis de conformité obtenu, il est possible pour une drogue novatrice de bénéficier de la protection des données de 8 ans<sup>39</sup>. Cette protection n'est possible que dans le cas d'une drogue innovante, soit une drogue qui contient un ingrédient mé-

33. *Id.*, art. 2 « invention ».

34. *Id.*, art. 44.

35. *Id.*, art. 10 (2) ; *Teva Canada Ltée c. Pfizer Canada inc.*, 2012 CSC 60. Il existe énormément de littérature concernant les brevets et le sujet pourrait faire l'objet d'une analyse distincte, complète et détaillée.

36. M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 115.

37. *Règlement sur les aliments et drogues*, C.R.C. c. 870, art. C.08.002 (2) (3).

38. *Id.* ; *Corporation de soins de santé Hospira c. Canada (Procureur général) et Ministère de la santé*, 2010 CF 213.

39. *Règlement sur les aliments et drogues*, préc., note 37, art. C.08.004.1.

dicinal jamais approuvé par Santé Canada (les variantes étant aussi exclues)<sup>40</sup>. On doit donc considérer cette drogue innovante comme un *breakthrough*, puisqu'il s'agit souvent, mais pas toujours, du premier médicament développé pour traiter une condition particulière. Très peu de médicaments novateurs peuvent donc se voir attribuer cette protection des données. Dans le cas des maladies orphelines, la plupart des médicaments « orphelins » n'arrivent pas à se doter d'avis de conformité de Santé Canada tout simplement<sup>41</sup> puisqu'il est laborieux de faire des essais cliniques lorsque très peu de gens en sont atteints. De ce fait, prouver l'efficacité et l'innocuité de ces médicaments demeure ardu. C'est pourquoi plusieurs médicaments demeurent au stade expérimental sans être approuvés par Santé Canada. La possibilité d'avoir une protection des données avec les médicaments orphelins sera davantage développée ultérieurement dans cette analyse<sup>42</sup>.

Le système de brevets empêchant l'octroi de tout avis de conformité à un médicament générique durant la période de protection des données et protégeant l'investissement de ces compagnies pharmaceutiques dans un produit relativement nouveau sur le marché<sup>43</sup>, le gouvernement canadien, dans le cadre de la réalisation de l'objectif de la politique canadienne d'accès aux médicaments, a créé le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (ci-après « CEPMB »). Celui-ci a pour but de protéger les intérêts des consommateurs de produits pharmaceutiques et a pour mandat de surveiller les prix des médicaments brevetés afin qu'ils ne soient pas excessifs. Le CEPMB doit par ailleurs présenter des comptes-rendus au gouvernement sur les tendances des valeurs marchandes et sur le ratio des dépenses en recherche-développement et les

40. *Id.* ; pour la définition de « drogue innovante », voir *Canada (ministère de la Santé) c. Celgene Inc.*, 2013 FCA 43.

41. Par exemple, les médicaments *Fabrazyme* et *Replagal* pour traiter la maladie de Fabry n'avait pas reçu d'avis de conformité (AC) par Santé Canada, comme l'édicte ce rapport de 2004 : SANTÉ CANADA, *Examen règlementaire des produits pharmaceutiques, des produits biologiques et des matériels médicaux : Résumé annuel du rendement de 2004*, Ottawa, Publications Santé Canada, 2005, p. 28-29, en ligne : <<http://publications.gc.ca/Collection/H1-9-18-2004F.pdf>> (consulté le 21 juin 2017). A l'heure actuelle, le *Fabrazyme* a reçu un avis de conformité et le *Replagal* a reçu un avis de conformité sous conditions.

42. *Infra*, section VI.A.

43. M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 140-142.

ventes subséquentes des médicaments brevetés<sup>44</sup>. Pour établir la compétence du CEPMB à l'endroit d'un médicament breveté, trois conditions doivent être respectées : le fabricant doit détenir un brevet sur l'invention reliée au médicament et le fabricant doit le vendre au Canada<sup>45</sup>. Une fois ces conditions remplies, le CEPMB doit évaluer si le prix d'un médicament breveté est excessif ou non à partir de plusieurs facteurs. Il prend en compte le prix de vente du médicament sur le marché canadien<sup>46</sup>, le prix de vente d'une même catégorie thérapeutique au Canada et à l'étranger<sup>47</sup>, les variations de l'indice du prix et les autres facteurs définis dans un règlement. Il peut aussi tenir compte des coûts de production et de mise en marché du médicament et d'autres informations qu'il juge pertinentes<sup>48</sup>. Le CEPMB possède certaines lignes directrices lors de cette évaluation. Par exemple, lorsqu'un médicament breveté est considéré comme une découverte importante ou une amélioration importante thérapeutique, le prix ne peut pas être supérieur à la médiane des prix observés dans les sept pays de comparaison (France, Allemagne, Italie, Suède, Suisse, Royaume-Uni et États-Unis)<sup>49</sup>. Enfin, le CEPMB dispose de pouvoirs quasi judiciaires puisqu'il peut enjoindre un fabricant à corriger son prix, à l'aide d'une ordonnance<sup>50</sup>. De la sorte, il peut soit lui imposer de baisser son prix pour une période donnée, soit de diminuer le prix d'un autre médicament lié ou de demander une indemnité à verser au gouvernement canadien<sup>51</sup>.

En ce qui a trait aux maladies orphelines, il est difficile d'avoir accès aux médicaments dits orphelins puisque la plupart du temps, ils ne

44. *Id.*, p. 153-154 ; *Loi sur les brevets*, préc., note 32, art. 80 à 87, 89 et 100.

45. M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 154-155 ; *ICN Pharmaceuticals Inc. c. Canada (Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés)*, [1997] 1 C.F. 32, par. 57 et s. (Fed. C.A.).

46. *Celgene Corp. c. Canada (Procureur général)*, [2011] 1 R.C.S. 3.

47. *Léo Pharma Inc. c. Canada (Procureur général)*, 2007 CF 307.

48. *Loi sur les brevets*, préc., note 32, art. 85.

49. CONSEIL D'EXAMEN DU PRIX DES MÉDICAMENTS BREVETÉS, *Compendium des politiques, des Lignes directrices et des procédures*, Ottawa, Publications du Canada, juin 2015, Appendice 5, en ligne : <[http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/CMFiles/LRG/Guidelines/Compendium-June2015\\_F.pdf](http://www.pmprb-cepmb.gc.ca/CMFiles/LRG/Guidelines/Compendium-June2015_F.pdf)> (consulté le 21 juin 2017).

50. *Celgene Corp. c. Canada (Procureur général)*, préc., note 46.

51. *Loi sur les brevets*, préc. note 32, art. 83 ; M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 156-157.

sont pas approuvés par Santé Canada<sup>52</sup> comme nous l'avons vu, sont encore au stade expérimental (essais cliniques)<sup>53</sup> ou ne sont pas inscrits sur les listes officielles de remboursement par le gouvernement puisqu'ils sont trop chers<sup>54</sup>. Donc, le patient atteint d'une maladie rare devra se tourner vers d'autres avenues moins conventionnelles pour avoir accès aux traitements nécessaires.

## 2. Programme d'accès spécial (PAS)

Le programme d'accès spécial (ci-après « PAS »<sup>55</sup>) a été créé afin de permettre l'accès à des traitements d'urgence à partir d'une drogue nouvelle ne faisant pas l'objet d'un avis de conformité émis par Santé Canada<sup>56</sup>. Ce processus prend en général 24 heures et est accepté sous certaines conditions. Ainsi, le PAS contribue à traiter les gens atteints de maladies graves ou mortelles dans le cas où il constitue leur seule option. On entend par « seule option » le fait qu'aucun médicament classique ne se soit avéré efficace ou soit disponible (dans les produits commercialisés ou dans les essais cliniques). Par conséquent, le PAS est la seule façon d'accéder à des médicaments non disponibles sur le marché canadien. Ces médicaments en sont usuellement à la phase expérimentale ou déjà mis en marché à l'étranger (comme c'est souvent le cas en Europe)<sup>57</sup>. Les médicaments

52. *Supra*, section IV.A.1.

53. *Id.*

54. *Infra*, section IV.B.2.

55. M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, *préc.*, note 31, p. 114 à 120.

56. DIRECTION DES PRODUITS THÉRAPEUTIQUES, *Ligne directrice finale sur le Programme d'accès spécial (PAS) – médicaments*, Ottawa, Santé Canada, décembre 2013.

57. M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, *préc.*, note 31, p. 114-115 ; DIRECTION DES PRODUITS THÉRAPEUTIQUES, *Ligne directrice finale sur le Programme d'accès spécial (PAS) – médicaments*, *préc.*, note 56 ; DIRECTION DES PRODUITS THÉRAPEUTIQUES, feuillet d'information : *Programme d'accès spécial – Médicaments*, Ottawa, Santé Canada, 18 mars 2015 ; *Règlement sur les aliments et drogues*, *préc.*, note 37, art. C.08.010 et C.08.011 ; ORPHANET, « Les médicaments orphelins en Europe », 2016, en ligne : <[http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education\\_AboutRareDiseases.php?lng=FR&stapage=ST\\_EDUCATION\\_EDUCATION\\_ABOUTORPHANDRUGS\\_EUR](http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutRareDiseases.php?lng=FR&stapage=ST_EDUCATION_EDUCATION_ABOUTORPHANDRUGS_EUR)> (consulté le 21 juin 2017). Les conditions considérées sont une maladie grave du patient, la disponibilité des essais cliniques, le résultat d'une prise antérieure d'un médicament, les données de Santé Canada sur le médicament orphelin, l'état clinique du patient, les données fournies par le praticien dans sa demande et d'autres renseignements possibles.

auxquels les gens ont accès sont les produits pharmaceutiques, biologiques et radiopharmaceutiques. Cependant, ils n'ont pas accès aux drogues d'usage restreint<sup>58</sup>. Enfin, la vente d'un médicament à travers le PAS fait en sorte que cette drogue n'est pas soumise aux dispositions de la *Loi sur les aliments et drogues* et du *Règlement sur les aliments et drogues*<sup>59</sup>. Le PAS ne constitue pas un substitut ou un moyen accéléré de commercialiser un produit sans avis de conformité de Santé Canada, mais plutôt un programme exceptionnel. Aussi, l'autorisation du PAS pour un médicament, qui n'équivaut pas à une déclaration de sécurité, d'efficacité et de bonne qualité de celui-ci, reste une option rarissime<sup>60</sup>.

La procédure du PAS est par ailleurs assez complexe. Il faut d'abord que le praticien dépose une demande à l'aide d'un formulaire. Il doit fournir de nombreux renseignements dont, entre autres, la pathologie qui affecte son patient, les données sur l'usage, l'efficacité et l'innocuité du médicament orphelin et les quantités requises pour ce patient. La transparence est primordiale<sup>61</sup>. Toutes ces informations doivent être transmises au Directeur général, qui est le sous-ministre adjoint de la Direction générale des produits de santé et des aliments du ministère (DGPSA)<sup>62</sup>. Il est également important que le médecin obtienne un consentement libre et éclairé du patient. Toutefois, en définitive, le fabricant a toujours un mot à dire sur l'autorisation. Il peut décider d'accepter de distribuer ou non le médicament en question et il peut même ajouter certaines conditions<sup>63</sup>. Le médecin traitant devra au surplus fournir des comptes-rendus de l'usage du médicament, autant au directeur qu'au fabricant<sup>64</sup>. Il est impossible

---

58. DIRECTION DES PRODUITS THÉRAPEUTIQUES, feuillet d'information : *Directives pour faire une demande d'accès spécial*, Ottawa, Santé Canada, 18 mars 2015 ; *Règlement sur les aliments et drogues*, préc., note 37, art. C.08.010 (1.1).

59. *Règlement sur les aliments et drogues*, préc., note 37, art. C.08.011 (2).

60. DIRECTION DES PRODUITS THÉRAPEUTIQUES, préc., note 58.

61. SANTÉ CANADA, *Programme d'accès spécial (PAS)*, de Santé Canada, FORMULAIRE A (pour la demande), FORMULAIRE B (pour une utilisation ultérieure) et FORMULAIRE C (pour le suivi), révisé janvier 2008.

62. *Règlement sur les aliments et drogues*, préc., note 37, art. A.01.010 « Directeur » et C.08.010.

63. *Code civil du Québec*, L.Q., 1991, c. 64, art. 10 ; DIRECTION DES PRODUITS THÉRAPEUTIQUES, feuillet d'information : *Directives pour faire une demande d'accès spécial*, préc., note 58.

64. *Règlement sur les aliments et drogues*, préc., note 37, art. C.08.010 (1) b) i).



de consulter une base de données sur les autorisations octroyées par le passé puisqu'il s'agit d'une banque de données interne<sup>65</sup>. Dès lors, il faut toujours faire une demande d'accès spécial pour avoir l'information sur le statut d'un médicament<sup>66</sup>. Il faut aussi mentionner que l'autorisation donnée par le directeur général relève d'un pouvoir discrétionnaire et qu'il effectue une analyse au cas par cas<sup>67</sup>. Le PAS peut en outre seulement autoriser une quantité maximale d'approvisionnement égale à six mois pour une maladie chronique. Il faut ainsi faire des demandes de renouvellement par la même procédure. Donc, les patients ont droit à une quantité déterminée pour une période déterminée. Lorsqu'on fait appel à ce programme, il est souvent impossible d'avoir accès autrement à un médicament. Comme les frais ne sont pas remboursés par le système public de santé, le patient, sa famille, ou parfois une assurance privée doit acquitter les frais afférents, même s'il s'agit de cas très rares<sup>68</sup>. Il peut arriver dans certains cas que le fabricant fournisse le médicament gratuitement grâce à un programme de compassion, mais cela dépend entièrement de sa discrétion.

Enfin, il est important de mentionner qu'une directive (ICH) pour le PAS a été établie afin d'encadrer les délais des déclarations lors de l'usage de ces médicaments<sup>69</sup>. Le praticien doit informer le PAS dans un délai de 7 jours lorsqu'il constate des effets indésirables fatals ou qui met la vie du patient en danger. Cette échéance est de 15 jours pour tout autre effet indésirable. Dans tous les cas, le praticien doit partager les informations à l'aide du formulaire approprié<sup>70</sup>.

65. DIRECTION DES PRODUITS THÉRAPEUTIQUES, préc., note 58.

66. *Id.*

67. *Id.*

68. *Id.*

69. Il s'agit de l'*International Conference on Harmonisation (ICH)*. DIRECTION GÉNÉRALE DES PRODUITS DE SANTÉ ET DES ALIMENTS, *Ligne directrice à l'intention de l'industrie – Gestion des données cliniques sur l'innocuité des médicaments : Définitions et normes relatives à la déclaration rapide ICH thème E2A*, Santé Canada, Ottawa, 1995, en ligne : <<http://www.hc-sc.gc.ca/dhp-mps/prodpharma/applic-demande/guide-ld/ich/efficac/e2a-fra.php>> (consulté le 22 juin 2017).

70. SANTÉ CANADA, *Ligne directrice à l'intention de l'industrie et des praticiens, Programme d'accès spécial – Médicaments*, Ottawa, Canada, décembre 2013, section 6.1. Le nom du formulaire est le « Council for International Organizations of Medical Sciences (CIOMS) ».

Ce processus est complexe et laborieux pour des patients atteints de maladies rares et très coûteux. Le quotidien de ces individus est déjà assez pénible du simple fait de vivre avec leur mal. Comment peut-on expliquer que certaines personnes atteintes d'une maladie doivent passer par des démarches complexes alors que d'autres, atteints d'une autre maladie, peuvent simplement se rendre à la pharmacie ou à l'hôpital pour se faire traiter ? Ce processus assure-t-il réellement un accès équitable conformément aux principes susmentionnés dans cette étude ?

En 2012, un rapport du Conseil sénatorial avait été porté à l'attention du gouvernement fédéral sur l'importance de développer une politique canadienne sur les maladies orphelines et leurs médicaments<sup>71</sup>. De plus, un projet pilote a été annoncé en août 2014 par le gouvernement conservateur afin de recueillir les commentaires des patients atteints de maladies rares afin d'évaluer la situation d'accessibilité aux médicaments orphelins au Canada. On expliquait que cette analyse permettrait d'établir un cadre officiel pour favoriser l'innovation et la recherche dans les traitements tout en écoutant les témoignages des patients<sup>72</sup>. Il ne semble pas y avoir eu davantage de développement depuis. Cependant, une initiative de réglementation 2017-2019 sur les médicaments orphelins afin de modifier le *Règlement sur les aliments et drogues* pour favoriser leur présence sur le marché canadien semble prendre forme<sup>73</sup>. L'avenir nous le dira si ce plan prospectif se concrétisera.

---

71. COMITÉ SÉNATORIAL PERMANENT DES AFFAIRES SOCIALES, DES SCIENCES ET DE LA TECHNOLOGIE, *L'infrastructure des essais cliniques au Canada : Ordonnance pour améliorer l'accès aux nouveaux médicaments*, Ottawa, Sénat, novembre 2012, p. 31, en ligne : <<https://sencanada.ca/content/sen/Committee/411/soci/rep/rep14nov12-f.pdf>> (consulté le 12 avril 2017).

72. GOUVERNEMENT DU CANADA, « Communiqué de presse – La ministre Ambrose annonce un projet pilote de participation des patients sur les médicaments orphelins », dans *Archives* du Gouvernement du Canada, 6 août 2014, en ligne : <<http://nouvelles.gc.ca/web/article-fr.do?nid=873619&tp=1>> (consulté le 22 juin 2017).

73. Voir en ligne : <<http://www.hc-sc.gc.ca/ahc-asc/legislation/acts-reg-lois/frp-ppr/2016-2018/odrd-momr-fra.php>> (consulté le 12 avril 2017).

### 3. *Canada's Rare Disease Strategy (2015)*

Cette politique a été élaborée par la *Canadian Organization of Rare Disorders (CORD)*<sup>74</sup> (ci-après « CORD ») qui, en mai 2015, a officiellement lancé cette première stratégie canadienne visant à améliorer les soins et l'accessibilité aux traitements des maladies rares. Elle comporte cinq objectifs et vise à « améliorer la détection précoce et la prévention, fournir des soins opportuns, équitables et fondés sur des données probantes, renforcer le soutien communautaire, favoriser la recherche innovatrice et offrir un accès durable aux thérapies prometteuses »<sup>75</sup>. Chacun de ces objectifs a été analysé afin de faire ressortir la situation actuelle, les éléments déficients et les actions ou solutions à porter afin d'améliorer la situation. Ils se sont basés sur les trois principes suivants : l'accès équitable, le patient au cœur du processus et une priorité accordée à la coordination et la collaboration<sup>76</sup>. Suivant la présentation de cette stratégie, le CORD a ensuite développé le *Consensus Framework for Ethical Collaboration (November 2016)*<sup>77</sup> afin d'encourager la collaboration éthique entre les différentes entités (patients, organisations, professionnels de la santé, industrie pharmaceutique, etc.). Il est clair que le CORD travaille constamment à la promotion des maladies orphelines au Canada. Puisque la stratégie de 2015 est toute récente et que peu s'est concrétisé à Ottawa en la matière, le CORD espère qu'il y aura des développements à venir à ce sujet au cours des prochaines années.

74. Site officiel du CANADIAN ORGANIZATION OF RARE DISORDERS (CORD), en ligne : <<https://www.raredisorders.ca>> (consulté le 23 juin 2017) ; Layla Bozich, « Group releases strategy to help Canadians with rare diseases get care », *The Globe and Mail*, 25 mai 2015, en ligne : <<http://www.theglobeandmail.com/life/health-and-fitness/health/group-releases-strategy-to-help-canadians-with-rare-diseases-get-care/article24586987/>> (consulté le 21 juin 2017).

75. CANADIAN ORGANIZATION OF RARE DISORDERS (CORD), « Canada's Rare Disease Strategy », mai 2015, en ligne : <[http://new.raredisorders.ca/content/uploads/CORD\\_Canada\\_RD\\_Strategy\\_22May15.pdf](http://new.raredisorders.ca/content/uploads/CORD_Canada_RD_Strategy_22May15.pdf)> (consulté le 22 juin 2017).

76. *Id.*

77. CANADIAN ORGANIZATION OF RARE DISORDERS (CORD), « Consensus Framework for Ethical Collaboration (November 2016) », mai 2015, en ligne : <<https://www.raredisorders.ca/content/uploads/CORD-Consensus-Framework-for-Ethical-Collaboration-FINAL-Nov-2016.pdf>> (consulté le 12 avril 2017).

## B. Au niveau provincial

### 1. *Regroupement québécois des maladies orphelines (RQMO)*

Fondé en 2010, le Regroupement québécois des maladies orphelines (ci-après « RQMO ») a pour mission de sensibiliser le public et le milieu médical aux problématiques des patients atteints de maladies rares, de soutenir et fournir des informations à ces patients ou tout autres intéressés et à faire circuler les informations sur les maladies rares entre différents organismes et chercheurs<sup>78</sup>. Cet organisme offre aussi en ligne différentes ressources sur l'accessibilité des médicaments et sur les différentes avenues que le patient peut emprunter. Son site explique le fonctionnement du marché du médicament au Canada, les différentes options de remboursement des médicaments au Québec (fournis en établissement, par la RAMQ, via le programme de patient d'exception, le programme d'accès spécial, etc.), la définition d'un « médicament orphelin » et le moyen requis pour participer à un essai clinique<sup>79</sup>. En 2013 et 2014, le RQMO a effectué une analyse du critère d'équité de l'accès aux traitements des maladies rares au Québec. Il en est arrivé à la conclusion que les personnes atteintes de maladies plus communes avaient davantage accès à des traitements que ceux atteints de maladies rares, qu'il existe une iniquité en matière d'accès entre les patients atteints de maladies rares (que ce soit différentes maladies rares ou la même) et que plusieurs actions doivent être posées pour mettre fin à cette iniquité<sup>80</sup>. Le schéma suivant, proposé par le RQMO, démontre bien le manque d'accessibilité aux médicaments traitant les maladies orphelines<sup>81</sup> :

---

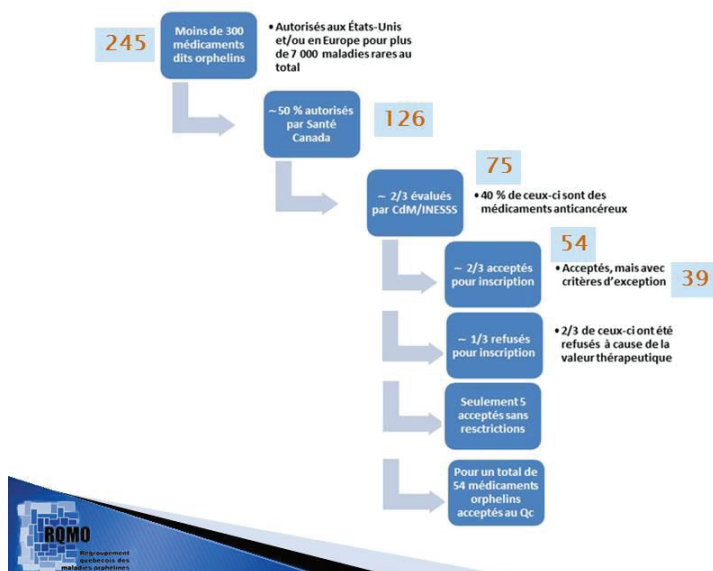
78. REGROUPEMENT QUÉBÉCOIS DES MALADIES ORPHELINES (RQMO), « Mission », en ligne : <<http://rqmo.org/mission/>> (consulté le 23 juin 2017).

79. REGROUPEMENT QUÉBÉCOIS DES MALADIES ORPHELINES (RQMO), « Ressources médicaments », en ligne : <<http://rqmo.org/ressources-medicaments/>> (consulté le 22 juin 2017).

80. REGROUPEMENT QUÉBÉCOIS DES MALADIES ORPHELINES (RQMO), *Pour un meilleur accès aux traitements pour les maladies rares : une question d'équité*, Montréal, novembre 2013, en ligne : <[http://rqmo.org/wp-content/uploads/2015/02/Access-medicaments-maladies-rares\\_RQMO.pdf](http://rqmo.org/wp-content/uploads/2015/02/Access-medicaments-maladies-rares_RQMO.pdf)> (consulté le 22 juin 2017).

81. *Id.*

## Disponibilité des médicaments orphelines



## 2. Médicaments remboursés par la RAMQ et les recommandations de l'INESSS

En 2007, le gouvernement a développé une politique provinciale du médicament, conformément à la *Loi sur l'assurance médicaments*<sup>82</sup>. Dans ce document, il formule plusieurs orientations, dont certaines spécifiques à l'accessibilité aux médicaments (orientations 1 à 10). On y formule le souhait qu'un accès raisonnable et équitable à toutes les thérapies soit offert à tous les citoyens du Québec. La politique prévoit même une orientation en faveur de l'amélioration du traitement des médicaments pour les maladies rares<sup>83</sup>. Cependant, avant d'analyser les mesures mises en place pour ces maladies rares, il faut s'attarder sur le fonctionnement du régime général<sup>84</sup>.

82. *Loi sur l'assurance médicaments*, préc., note 20, art. 51 ; MINISTÈRE DE LA SANTÉ ET SERVICES SOCIAUX, *La politique du médicament*, Gouvernement du Québec, Québec, 2007.

83. MINISTÈRE DE LA SANTÉ ET SERVICES SOCIAUX, préc., note 82, p. 5-6, 30-31 (Orientation # 8).

84. Dans cette analyse, nous ne traiterons pas du régime d'assurance médicaments qui doit fournir une couverture minimale et obligatoire décrite par la Liste des

Le régime général d'assurance médicaments promeut l'accès uniforme à tous, peu importe l'état de santé de ces personnes<sup>85</sup>. Ainsi, cette couverture générale des coûts est évaluée en fonction de la situation économique de chacun et est accessible à tous, sous réserve de la souscription à un régime collectif d'assurances ou d'avantages sociaux<sup>86</sup>. Ce régime de couverture publique est donc offert aux résidents du Québec âgés de 65 ans et plus ou n'ayant pas accès à un régime d'assurance collective privée<sup>87</sup>. Ceux-ci doivent alors s'inscrire à la RAMQ, puisque la couverture ne s'applique pas automatiquement<sup>88</sup>. Enfin, les articles 23 à 33 de la *Loi sur l'assurance médicaments* indiquent les montants que doivent déboursier les personnes assurées par le régime public, soit une prime et une contribution financière (qui comprend la franchise, la coassurance et la contribution maximale)<sup>89</sup>. Également, il existe une liste de médicaments inscrits par la Régie de l'assurance-maladie du Québec (ci-après « RAMQ ») et dressée par le Ministre qui permet de déterminer lesquels sont couverts par le régime général, c'est-à-dire couverts par le régime public et imposant une couverture minimale au régime privé<sup>90</sup>. L'établissement de cette liste se fait suivant consultation de l'*Institut national d'excellence en santé et en services sociaux* (ci-après « INESSS »), qui effectue une analyse de la demande pour ensuite formuler une recommandation quant à l'admissibilité d'un médicament à la liste<sup>91</sup>.

L'INESSS suit l'objectif de contrôle des prix du CEPMB et les buts fixés par le gouvernement fédéral de promouvoir autant l'innovation

---

médicaments du régime général. Malgré le fait qu'une importante partie de la population est couverte par le régime privé, les assureurs privés fournissent une couverture additionnelle discrétionnaire. Il s'agit donc de cas par cas. Une analyse détaillée et distincte pourrait être faite concernant la question suivante : les bénéficiaires du régime privé ont-ils plus de chance d'obtenir une couverture pour un médicament orphelin ?

85. M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 161-162.

86. *Id.* ; *Loi sur l'assurance médicaments*, préc., note 20, art. 1, 2, 7 et 16.

87. *Loi sur l'assurance médicaments*, préc., note 20, art. 5, 15(1) et 16, *a contrario*.

88. *Id.*, art. 19 (1) ; *Règlement sur l'admissibilité et l'inscription des personnes auprès de la Régie de l'assurance maladie du Québec*, c. A-29, r. 1.

89. *Loi sur l'assurance médicament*, préc., note 20.

90. *Id.*, articles 2, 7, 35 et suivants, 60.

91. *Loi sur l'assurance médicament*, préc., note 20, art. 7 et 60 ; *Loi sur l'Institut nationale d'excellence en santé et en services sociaux*, L.R.Q., c. I-13.03 (ci-après « *Loi sur l'INESSS* ») ; M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 162 et 184-187.

que l'accès aux médicaments<sup>92</sup>. L'organisme est mandaté depuis 2011 et possède obligations et responsabilités dans le cadre de ses obligations<sup>93</sup>. Premièrement, l'INESSS doit évaluer la valeur thérapeutique des médicaments selon quatre critères : la justesse du prix, le rapport coût-efficacité du médicament, les différentes conséquences de l'inscription du médicament sur la liste et l'évaluation entre l'objet du régime général d'assurance et l'opportunité de l'inscription du médicament<sup>94</sup>. La demande d'inscription doit suivre plusieurs étapes s'échelonnant sur plusieurs mois. Le médicament doit tout d'abord être approuvé par Santé Canada avant que le fabricant en demande d'inscription à l'INESSS, qui procède alors à en évaluer la recevabilité. Le cas échéant, les groupes ou associations de professionnels ou de citoyens disposent d'un délai d'un mois pour formuler des observations sur le médicament concerné<sup>95</sup>. La demande est ensuite analysée par les professionnels de l'INESSS qui procèdent finalement à la remise d'un rapport de recommandations au Ministre de la Santé<sup>96</sup>. Il est possible néanmoins qu'un médicament fasse l'objet d'une évaluation prioritaire si le régime public dispose de grandes économies et que la demande à son endroit est élevée<sup>97</sup>. En définitive, une liste officielle des médicaments de la RAMQ est préparée et mise à jour<sup>98</sup>.

Pour ce qui est des maladies orphelines, le régime général public d'assurance médicaments usuel ne rembourse presque jamais les médicaments. Il faut donc se tourner vers d'autres options, comme

---

92. *Supra*, section IV.A.1.

93. *Loi sur l'INESSS*, préc., note 91, art. 89-100.

94. *Id.*, art. 7.

95. M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 185-186.

96. *Id.* Les recommandations possibles sont les suivantes : inscription sans restriction, inscription à la section des médicaments d'exception, inscription à la sous-section traditionnelle ou de suivi, refus d'inscription ou dossier maintenu à l'étude.

97. INSTITUT NATIONALE D'EXCELLENCE EN SANTÉ ET EN SERVICES SOCIAUX, « Évaluations prioritaires », en ligne : <<http://www.inesss.qc.ca/activites/evaluation-des-medicaments/processus-et-criteres-devaluation/evaluations-prioritaires.html>> (consulté le 19 juin 2017).

98. *Loi sur l'assurance médicaments*, préc., note 20, art. 60 et 60.3 ; *Règlement concernant la Liste des médicaments couverts par le régime général d'assurance médicaments*, R.R.Q., c. A-29.01, r. 3 ; RAMQ, *Liste des médicaments*, dernière mise à jour 15 juin 2016, voir : <[https://www.prod.ramq.gouv.qc.ca/DPI/PO/Commun/PDF/Liste\\_Med/Liste\\_Med/liste\\_med\\_2016\\_06\\_15\\_fr.pdf](https://www.prod.ramq.gouv.qc.ca/DPI/PO/Commun/PDF/Liste_Med/Liste_Med/liste_med_2016_06_15_fr.pdf)>

les médicaments d'exception (inclus dans le régime général public), le programme « patients d'exception » ou les médicaments remboursés en établissement, c'est-à-dire à l'hôpital.

### 3. Procédure d'accès aux médicaments d'exception

Les médicaments d'exception ne figurent pas sur la liste de médicaments couverts par la RAMQ, sauf dans certains cas particuliers<sup>99</sup>. Il faut tout d'abord qu'un médecin dépose une demande d'autorisation préalable et qu'elle soit acceptée par la RAMQ. Pour que le patient puisse avoir accès à ce médicament d'exception, il doit être utilisé selon les indications thérapeutiques de l'INESSS et utilisé de manière exceptionnelle, donc unique. On ne peut donc pas utiliser ce procédé pour des traitements à répétition<sup>100</sup>. Ainsi, il s'agit d'une mesure rarement utile pour les patients atteints de maladies orphelines, puisque les médicaments nécessaires pour traiter ce genre de maladies sont souvent administrés à multiples reprises dans le cadre de traitements de longues durées.

### 4. Programme de patients d'exception

Un médicament peut toutefois exceptionnellement être remboursé par la RAMQ, malgré qu'il ne soit pas inscrit sur sa liste<sup>101</sup>. Le programme de patients d'exception a été élaboré pour les patients atteints de maladies graves ou chroniques et qui consultent en clinique. Malgré la *Loi sur l'assurance médicaments*, la RAMQ peut rembourser un médicament dans un tel cas si l'individu remplit les conditions

99. *Loi sur l'assurance médicaments*, préc., note 20, art. 8(1) et 60(5) ; *Règlement concernant la Liste des médicaments couverts par le régime général d'assurance médicaments*, préc., note 98. Ces médicaments « d'exception » se trouvent à l'annexe IV de la liste des médicaments publiés par la RAMQ ; M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 166-168.

100. *Règlement concernant la Liste des médicaments couverts par le régime général d'assurance médicaments*, préc., note 98, art. 4.1(1) a) de l'Annexe 1 ; RÉGIE DE L'ASSURANCE MALADIE DU QUÉBEC, *Service en ligne pour Médicament d'exception et Patient d'exception*, en ligne : <<http://www.ramq.gouv.qc.ca/fr/professionnels/medecins-omnipraticiens/medicaments/medicaments-patient-exception/Pages/sel-formulaires.aspx#1>> (consulté le 22 juin 2017). Le formulaire est accessible sur cette même page.

101. G.L. c. *Régie de l'assurance maladie du Québec*, [2006] AZ-50381723 (T.A.Q.) ; M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 168-169.



suivantes : une demande d'autorisation doit être déposée par voie de formulaire<sup>102</sup> et l'INESSS doit appuyer le bien-fondé de la demande, et ce, pour une période maximale d'un an<sup>103</sup>. Il est important de souligner que pour avoir accès à ce programme de patients d'exception, il est nécessaire que le médicament en question ait reçu un avis de conformité de Santé Canada<sup>104</sup>. Ainsi, il est impossible de faire partie de ce programme tout en faisant une demande d'accès spécial (PAS) au fédéral. Les deux programmes visent à répondre à deux situations totalement différentes puisque la demande autorise la vente ou le don d'un médicament non approuvé par Santé Canada<sup>105</sup>, alors que le programme vise à approuver le remboursement par le régime public d'un médicament approuvé.

### 5. Médicaments remboursés en établissement

Enfin, la dernière alternative offerte aux patients atteints de maladies graves et orphelines est de compter sur la compassion d'un établissement. Normalement, ce dernier se limite à fournir les médicaments inscrits sur la liste des médicaments fournis en établissement<sup>106</sup> mais il lui est également possible d'offrir un médicament qui a reçu un avis de conformité du gouvernement fédéral, mais qui n'est pas présent sur cette liste. Il doit pour ce faire obtenir l'autorisation écrite du conseil des médecins, dentistes et pharmaciens de l'hôpital (ci-après « CMDP »)<sup>107</sup>. Dans des cas encore plus rares, l'hôpital peut fournir un traitement à l'aide d'un médicament n'ayant pas reçu avis de conformité ni n'étant inscrit sur la liste. Le CMDP doit ici encore autoriser cette pratique à la suite de la demande du praticien<sup>108</sup>. Néanmoins, il existe une grande iniquité entre les offres des établissements au Québec où chaque CMDP a discrétion d'accorder l'autorisation et d'inclure les

102. *Supra*, note 79.

103. Ces critères sont la chronicité, la gravité de la maladie et le coût du traitement. *Règlement concernant la Liste des médicaments couverts par le régime général d'assurance médicaments*, R.R.Q., c. A-29.01, r. 1.2, art. 6.2.1.1 et 6.2.1.2 de l'annexe 1 « Liste des médicaments » ; M. GAGNÉ et M. BOURASSA-FORCIER, préc., note 31, p. 169.

104. *Règlement sur les aliments et drogues*, préc., note 37, art. C.08.002(2) (3).

105. *Supra*, section IV.1.B.

106. *Loi sur les services de santé et services sociaux*, préc., note 3, art. 116 (1).

107. *Id.*, art. 116(3).

108. *Id.*, art. 116(4).

frais des traitements dans son enveloppe budgétaire annuelle. Il est donc impossible de savoir à l'avance quel hôpital accordera ou non l'usage du médicament orphelin. Il serait de toute manière difficile d'admettre que l'on s'attende à ce que les patients « magasinent » l'établissement auquel ils iront se faire soigner, la plupart des gens se dirigent habituellement vers l'établissement de santé le plus proche<sup>109</sup>.

## V. COMPARAISON AVEC UNE POLITIQUE ÉTRANGÈRE : LES ÉTATS-UNIS

### A. Définitions de maladie orpheline et médicament orphelin

Nous avons vu précédemment que la définition de maladie orpheline et de médicament orphelin varient en fonction des différents pays. Les États-Unis définissent une maladie orpheline comme suit : « rare diseases and disorders are those which affect small patient populations, typically populations smaller than 200,000 individuals in the United States »<sup>110</sup> et un médicament orphelin comme suit :

drugs for these diseases and conditions are commonly referred to as orphan drugs because so few individuals are affected by any one rare disease or condition, a pharmaceutical company which develops an orphan drug may reasonably expect the drug to generate relatively small sales in comparison to the cost of developing the drug and consequently to incur a financial loss.<sup>111</sup>

La *U.S. Food and Drug Administration* (ci-après « FDA ») se base sur ces définitions lors de l'évaluation des demandes de statuts de médicaments orphelins par les compagnies pharmaceutiques.

### B. *Orphan Drug Act* (1983)

Le *National Organization for Rare Disorders* (NORD)<sup>112</sup> a vu le jour dans les années 70 afin de promouvoir les intérêts des patients atteints de

109. REGROUPEMENT QUÉBÉCOIS DES MALADIES ORPHELINES, *Pour un meilleur accès aux traitements pour les maladies rares : une question d'équité*, préc., note 80.

110. *Rare Diseases Act of 2002*, préc., note 6.

111. *Orphan Drug Act*, préc., note 10.

112. NATIONAL ORGANIZATION FOR RARE DISORDERS, en ligne : <<http://rarediseases.org>> (consulté le 23 juin 2017).

maladies rares. Constatant la pénurie de médicaments accessibles pour traiter ces dernières, cet organisme a sensibilisé le public en vue de faire adopter en 1983 le *Orphan Drug Act* avec l'aide de Henry Waxman, ancien membre du Congrès démocratique qui parraina cette législation<sup>113</sup>. Cette loi octroie plusieurs avantages aux compagnies qui souhaitent obtenir le statut de médicament orphelin pour le médicament qu'ils produisent. Ces avantages sont les suivants :

- La désignation par l'O.O.P.D. de la FDA de la drogue comme étant un « médicament orphelin » ;
- Une exclusivité commerciale de sept ans suivant l'attribution de ce statut ;
- L'encouragement à conduire des essais cliniques sur les maladies rares ;
- Des crédits d'impôt de 50 % lors d'essais cliniques ;
- Des contrats de subventions accordés aux compagnies pharmaceutiques par le gouvernement ;
- De l'aide au niveau de leur demande auprès de la FDA (recommandations écrites par la F.D.A. pour aider l'enregistrement et processus accéléré d'enregistrement d'une drogue orpheline)<sup>114</sup>.

Ces avantages ont eu un impact important sur l'expansion de l'industrie pharmaceutique relativement aux médicaments pour les maladies rares. Malgré un certain scepticisme soulevé face aux bienfaits réels de cette législation, nombreux sont ceux qui approuvent totalement cette loi puisque jusqu'à ce jour, la montée des investissements dans la recherche et le développement des maladies rares est exponentielle alors que l'industrie pharmaceu-

---

113. *Orphan Drug Act*, préc. note 10 ; H.R. 5238, 97th Cong. § 97-840 (1983), disponible en ligne : <<https://www.congress.gov/bill/97th-congress/house-bill/5238?q=7B%22search%22%3A%5B%22%5C%22Orphan+drug+act%5C%22%22%2C%22%5C%22Orphan+drug+act%5C%22%22%5D%7D>> (consulté le 23 juin 2017).

114. *Orphan Drug Act*, préc., note 10 ; US FOOD AND DRUG ASSOCIATION, « Office of Orphan Product Development », en ligne : <<http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OfficeofMedicalProductsandTobacco/OfficeofScienceandHealthCoordination/ucm2018190.htm>> (consulté le 21 juin 2017) ; US FOOD AND DRUG ASSOCIATION, « Developing Products for Rare Diseases and Conditions », en ligne : <<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>> (consulté le 21 juin 2017).

tique n’y portait aucun intérêt avant 1983<sup>115</sup>. Enfin, pour un usage compassionnel, il est possible de soumettre une demande pour une *Investigational New Drug (IND) Application*<sup>116</sup>, lorsque le médicament n’a pas eu encore obtenu son autorisation de mise en marché par la FDA, et ce, dans trois situations : lorsqu’un patient le demande pour le traitement d’une maladie grave ou mettant en jeu le pronostic vital, lorsqu’aucun traitement alternatif n’est disponible et finalement lorsque ce médicament est en cours d’essais cliniques et en est à la phase active de demande d’autorisation de commercialisation. Il s’agit de l’équivalent américain du programme d’accès spécial canadien (PAS)<sup>117</sup>.

### C. *Rare Diseases Act* (2002)

Par le *Rare Diseases Act* de 2002, certains ajustements ont été apportés à la politique américaine sur les maladies orphelines, la première étant une définition plus précise des maladies orphelines<sup>118</sup>. Il y a également création d’un organisme uniquement chargé de la problématique des maladies rares, le *Genetic and Rare Diseases Information Center (GARD)*, une branche du *National Institutes of Health (NIH)* qu’il subventionne<sup>119</sup>. Cette législation est la continuation du travail amorcé en 2002 suite au *Orphan Drug Act*. Enfin, un soutien financier important de plusieurs millions de dollars américains est fourni afin de soutenir la recherche et le développement<sup>120</sup>.

### D. Critiques et limitations

Si beaucoup font l’éloge de ces législations américaines, plusieurs leur opposent de nombreuses critiques. La première concerne l’utilisation

---

115. Howard FORMAN, « The Orphan Drug Act’s Successes Outweigh its Failures », *The Wall Street Journal*, 13 avril 2016, en ligne : <<http://blogs.wsj.com/experts/2016/04/13/the-orphan-drug-acts-successes-outweigh-its-failures/>> (consulté le 22 juin 2017)

116. US FOOD AND DRUG ASSOCIATION, « Investigational New Drug (IND) Application », en ligne : <<http://www.fda.gov/drugs/developmentapprovalprocess/howdrugsaredevelopedandapproved/approvalapplications/investigationalnewdrugindapplication/default.htm>> (consulté le 21 juin 2017).

117. *Supra*, section IV.A.2.

118. *Rare Diseases Act of 2002*, préc., note 6, section 2 (a) (1).

119. *Id.*, section 404F.

120. *Id.*

par les compagnies pharmaceutiques du concept de « *repurposing* ». Il s'agit d'une pratique courante dans le milieu par laquelle une compagnie réaffecte de « vieux » médicaments, utilisés depuis plusieurs années pour traiter les symptômes d'une maladie donnée, au traitement des symptômes d'une maladie orpheline<sup>121</sup>. Ainsi, ils peuvent obtenir le statut de médicament orphelin, bénéficier de subventions ou crédits d'impôts, voire même de l'exclusivité commerciale. De plus, dès l'obtention du statut de médicament orphelin, les ventes des médicaments réalisées pour traiter la maladie initiale sont alors incluses dans celles des médicaments orphelins. Ces compagnies ont alors l'opportunité de gagner des millions, parfois des milliards de dollars en profits<sup>122</sup>.

La deuxième critique concerne l'usage *off-label* des médicaments. Il s'agit d'un concept quelque peu différent du *repurposing* car se sont les médecins qui choisissent de prescrire un médicament qui traite normalement une maladie donnée pour traiter d'autres maladies, dont les maladies rares. Ils sont libres de se livrer à cette pratique, sous réserve d'engager leur responsabilité professionnelle. Cependant, le danger est que le médicament ait été approuvé par la F.D.A. pour une utilisation précise et que ces médecins usent de cette autorisation pour utiliser le médicament à d'autres fins. En l'absence d'essais cliniques appropriés, il existe donc un certain danger pour les patients, même si elle peut par ailleurs s'avérer utile lorsqu'elle permet de soigner des gens dont la maladie n'est couverte par aucun médicament. Les compagnies pharmaceutiques ne s'en formalisent pas, malgré les innombrables reproches du gouvernement américain, puisqu'ils ont ainsi l'opportunité de réaliser davantage de ventes alors qu'évidemment les prix restent très élevés<sup>123</sup>. Il faut toutefois préciser que l'acte de prescription est un acte réservé et que le patient doit être davantage informé et puisque les compagnies pharmaceutiques ne peuvent l'empêcher concrètement en raison du secret médical et

---

121. Sabrina TAVERNISE, « Patients Fear Spike in Price of Old Drugs », *The New York Times*, 22 décembre 2015, en ligne : <[http://www.nytimes.com/2015/12/23/health/patients-fear-spike-in-price-of-old-drugs.html?\\_r=0](http://www.nytimes.com/2015/12/23/health/patients-fear-spike-in-price-of-old-drugs.html?_r=0)> (consulté le 23 juin 2017).

122. *Id.*

123. Ken ARMSTRONG et Michael J. BERENS, « Pharma's windfall: The mining of rare diseases », *The Seattle Times*, 11 novembre 2013, en ligne : <<http://health.heraldtribune.com/2013/11/11/pharmas-windfall-the-mining-of-rare-diseases/>> (consulté le 23 juin 2017).

professionnel<sup>124</sup>, quoiqu'elles pourraient à tout le moins s'opposer à la pratique.

La troisième critique porte sur la fragmentation des maladies ou le *salami-slicing*, par lequel les compagnies pharmaceutiques étudient les maladies communes pour ensuite les subdiviser en de plus petites catégories spécifiques. Ces sous-catégories de maladies deviennent tellement spécialisées qu'elles obtiennent le statut de maladie orpheline. Les compagnies pharmaceutiques peuvent ensuite obtenir le statut de médicament orphelin traitant cette maladie particulière pour profiter des mêmes bénéfices financiers (monopole commercial, crédits d'impôt, subventions, etc.)<sup>125</sup>.

Enfin, la dernière critique touche le contrôle des prix aux États-Unis ou plutôt l'absence de son contrôle. Malgré le fait que la plupart des pays développés possèdent une régulation des prix des produits pharmaceutiques (comme le Canada ou le Royaume-Uni), ce n'est pas le cas des États-Unis<sup>126</sup>. Cela permet aux compagnies d'apposer un prix faramineux sur les médicaments destinés au traitement de maladies orphelines. Par exemple, le médicament *Soliris* utilisé pour traiter un type d'anémie rare coûte jusqu'à 440 000 \$ par année<sup>127</sup>. Peu importe le niveau de revenu du citoyen moyen, il est à douter qu'il puisse se le permettre. Cette limitation des législations américaines est importante. Les prix sont ainsi largement dictés par des ententes entre les compagnies pharmaceutiques et les compagnies d'assurances privées, le patient n'est pas pris en considération<sup>128</sup>.

---

124. Marc DOOMS, David CASSIMAN et Steven SIMOENS, « Off-label use of orphan medicianl products: a Belgian qualitative study », n° 11 *Orphanet Journal of Rare Diseases*, (2017), en ligne : <<http://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-016-0507-y>> (consulté le 12 avril 2017).

125. S. TAVERNISE, préc., note 121.

126. OCDE, « Le prix des médicaments sur un marché global : Politiques et enjeux », 7 octobre 2008, p. 183-190, en ligne : <<http://www.oecd-ilibrary.org.ezproxy.usherbrooke.ca/docserver/download/8108042e.pdf?expires=1492032519&id=id&acname=ocid194754&checksum=9BCE19756A5F14B11070C6914324DDFC>> (consulté le 12 avril 2017).

127. K. ARMSTRONG et M. J. BERENS, préc., note 121.

128. *Id.*

## VI. SOLUTIONS ENVISAGEABLES AU CANADA

### A. Recours législatifs et administratifs

Nous avons établi que le Canada présente un retard comparativement aux autres pays industrialisés lorsqu'il est question des politiques nationales portant sur les maladies rares, puisqu'il en est dépourvu. La voie étant donc libre pour toute proposition d'amélioration de l'accès aux médicaments orphelins, quelles solutions peuvent être envisagées pour le Canada ?

Tout d'abord, en respectant le partage des compétences en vigueur<sup>129</sup>, il serait intéressant de créer un document officiel fédéral du gouvernement du Canada ou un projet de loi fédéral contenant une stratégie nationale pour les maladies rares. De plus, un détail des actions qui doivent être prises en ce sens et des montants octroyés en subventions pour soutenir l'implantation de ce plan national, comme cela se fait déjà fait à l'étranger, serait également pertinent<sup>130</sup>. On pourrait par exemple adopter et concrétiser la stratégie développée par le *Canadian Organization of Rare Disorders*, puisqu'elle a été étudiée et créée par des experts en la matière<sup>131</sup>. Ensuite, il faudrait élaborer des projets de loi concrets sur l'accessibilité, comme les politiques de remboursements des médicaments, et que ceux-ci soient adoptés au niveau des provinces. Ainsi, les politiques fédérales de mise en marché<sup>132</sup> de médicaments orphelins et celles, provinciales, visant leur remboursement<sup>133</sup> rendraient l'accessibilité tangible. Enfin, adopter une initiative pancanadienne permettrait d'harmoniser les politiques des provinces et permettrait de meilleures communications entre les différents acteurs au sujet des maladies orphelines. Par exemple, « L'Europolan » de l'Union européenne établit, en ce qui

---

129. *Loi constitutionnelle de 1982*, annexe B de la *Loi de 1982 sur le Canada*, 1982, c. 11 (R.-U.), art. 91-92.

130. *Orphan Drug Act*, préc., note 10 ; Par exemple, voir RÉPUBLIQUE FRANÇAISE, « Plan National des maladies rares 2011-2014 : Qualité de la prise en charge, Recherche, Europe : une ambition renouvelée », Gouvernement de la France, 2011, en ligne : <[http://www.orpha.net/actor/Orphanews/2011/doc/Plan\\_national\\_maladies\\_rares.pdf](http://www.orpha.net/actor/Orphanews/2011/doc/Plan_national_maladies_rares.pdf)> (consulté le 21 juin 2017).

131. *Supra*, section IV.A.3.

132. *Supra*, section IV.A.1.

133. *Supra*, section IV.B.

a trait aux maladies rares, des lignes directrices à suivre dans les différents pays la composant, ce qui permet au surplus de rassembler les données scientifiques<sup>134</sup>. On pourrait s'en inspirer en l'adaptant au système canadien.

Ensuite, dans le cas des médicaments orphelins qui parviennent à obtenir un avis de conformité de Santé Canada<sup>135</sup>, le gouvernement pourrait modifier le *Règlement sur les aliments et drogues*, afin d'ajouter une protection des données additionnelles concernant spécifiquement ces médicaments innovateurs<sup>136</sup>. Par exemple, pour stimuler la recherche sur les populations pédiatriques, le gouvernement a déjà augmenté de six mois la protection de certains médicaments<sup>137</sup>. Puisque la recherche est excessivement longue en matière de maladies orphelines, l'octroi d'un délai additionnel serait indiqué. Dans le même ordre d'idées, le Canada pourrait s'affirmer comme un pays avant-gardiste en la matière en allongeant la durée de 20 ans des brevets<sup>138</sup>, et ce, seulement pour les brevets spécifiques relatifs aux médicaments traitant les maladies orphelines. Il faudrait par ailleurs établir un procédé administratif complet pour Santé Canada prévoyant les obligations des compagnies pharmaceutiques à remplir en contrepartie de l'octroi du statut de « médicament orphelin » (comme décrit dans la section V.B. du texte) et des conditions d'admissibilité très strictes pour le justifier. Ceci permettrait au marché canadien d'être très concurrentiel au niveau du traitement des maladies rares, ce qui constituerait également un bon incitatif pour la recherche et le développement.

Une autre option à considérer est la possibilité d'offrir une exclusivité commerciale aux compagnies pharmaceutiques qui développent des médicaments dits orphelins. Cette exclusivité commerciale s'appliquerait seulement à un médicament précis. Selon le Parlement européen, il a été établi que le meilleur incitatif pour la recherche et l'innovation est la certitude pour les compagnies pharmaceutiques d'en tirer une exclusivité commerciale tangible. Cela a pu être dé-

134. S. ELGER, préc., note 5, p. 10 et ss.

135. *Supra*, note 18.

136. *Supra*, section IV.A.1.

137. *Règlement sur les aliments et drogues*, préc., note 37, art. C.08.004.1 (4) et (1) « population pédiatriques ».

138. *Loi sur les brevets*, préc., note 32, art. 44.



montré dans différents pays tels que les États-Unis, le Japon et en Europe<sup>139</sup>. Cette exclusivité commerciale est de sept ans aux États-Unis, 10 ans au Japon et dans l'Union européenne et de cinq ans en Australie<sup>140</sup>. Il serait intéressant de proposer la même chose au Canada, ou du moins d'étendre la possibilité aux médicaments dits orphelins, puisque l'on touche à l'attrait financier des compagnies pharmaceutiques.

Une option souvent négligée est l'encouragement des communications et la sensibilisation du public. Une très faible partie de la population sachant ce qu'est-ce qu'une maladie orpheline, il importe d'y remédier le plus rapidement possible afin de créer une initiative propice au développement de projets de lois<sup>141</sup>. Plus le public est sensibilisé à cette problématique, plus les compagnies pharmaceutiques investiront dans la recherche et le développement dans le but d'améliorer leur image publique, un enjeu qui leur est primordial. En effet, malgré le fait qu'elles cherchent avant tout à commercialiser leurs produits afin de réaliser d'importants profits, leur image publique est plutôt celle d'une industrie au service des citoyens dans le traitement des maladies. Le devoir des organismes qui font la promotion des intérêts des patients atteints de maladies rares est de promouvoir davantage et d'attirer l'attention du public à ce sujet.

Une autre avenue intéressante serait d'accorder des subventions, du financement ou des crédits d'impôt plus importants aux compagnies pharmaceutiques qui souhaitent dédier des ressources à la recherche fondamentale sur les maladies orphelines, comme expliqué dans la section V.A. du présent texte<sup>142</sup>. Il est prouvé que tout traitement pour une maladie orpheline est composé de financements substantiels pour la recherche et le développement et qu'il est difficile pour ces compagnies d'espérer un retour sur leur investissement par la simple

---

139. S. ELGER, préc., note 6, p. 36 ; *Orphan Drug Act*, préc., note 10, section 527.

140. Joseph TORRENT-FARNELL, « Comparaison des différentes politiques du médicament orphelin à travers le monde », *Orphanet*, mars 2011, en ligne : <[http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education\\_AboutRareDiseases.php?lng=FR&stapage=ST\\_EDUCATION\\_EDUCATION\\_ABOUTORPHANDRUGS\\_COMPARISON](http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutRareDiseases.php?lng=FR&stapage=ST_EDUCATION_EDUCATION_ABOUTORPHANDRUGS_COMPARISON)> (consulté le 23 juin 2017).

141. Comme cela fut le cas dans l'affaire *Auton c. British Columbia (A.G.)*, [2004] 3 S.C.R. 657. *Infra*, section VI.B.

142. *Orphan Drug Act*, préc., note 10, section 4.

commercialisation des médicaments orphelins<sup>143</sup>. Sans subvention gouvernementale ou crédit d'impôt majeur, la simple vente des médicaments demeure insuffisante.

Finalement, l'idée du *Canadian Organization of Rare Disorders* de créer un registre afin de compiler toutes les données pertinentes sur les maladies orphelines au Canada serait pertinente<sup>144</sup>. Cela permettrait de cumuler les données réelles sur les coûts de traitement des maladies orphelines, de comptabiliser quelles sont les maladies orphelines dont les Canadiens sont atteints et par quel programme (public, privé, PAS, etc.) ces patients ont accès aux médicaments pour les traiter. Cela aiderait grandement à développer des projets de loi fondés sur des données probantes et qui représentent bien la réalité canadienne.

## B. Recours judiciaires: Qu'en est-il de la *Charte canadienne des droits et libertés*?

Il est possible de soulever la question des droits fondamentaux lorsqu'il est question d'accessibilité équitable et raisonnable aux traitements pour les patients atteints de maladies orphelines. Comment peut-on justifier qu'un patient d'une maladie commune, comme le cancer, reçoive un médicament gratuitement, alors qu'un patient souffrant de la maladie de Fabry se le voit refuser? Une maladie est-elle plus importante qu'une autre aux yeux du gouvernement lorsqu'il établit ses politiques ministérielles? L'accessibilité aux médicaments n'est pas accordée de la même manière compte tenu du type de maladie, et ce, fréquemment au détriment des médicaments traitant les maladies rares dites orphelines.

Plusieurs recours ont été intentés en vertu de la *Charte canadienne des droits et libertés*<sup>145</sup> afin d'obtenir l'accès à certains traitements<sup>146</sup> ou dans le but que celle-ci soit accordé dans un délai raisonnable<sup>147</sup>. Dans le premier cas, l'approche peut être progressive ou régressive quant

---

143. *Id.*, section 1, « orphan drugs ».

144. CANADIAN ORGANIZATION OF RARE DISORDERS (CORD), préc., note 75.

145. *Charte canadienne des droits et libertés*, partie I de la *Loi constitutionnelle de 1982*, [annexe B de la *Loi de 1982 sur le Canada*, 1982, c. 11 (R.-U.)] (ci-après « *Charte canadienne* »).

146. *R. c. Morgentaler*, [1988] 1 R.C.S. 30.

147. *Cilinger c. Centre hospitalier de Chicoutimi*, [2004] R.J.Q. 2943.

à la distribution des services publics de santé. Elle est progressive lorsqu'on considère autant la capacité de payer d'une personne tout en lui octroyant les soins nécessaires. L'approche régressive consiste quant à elle à mettre un plus grand fardeau financier sur le dos du citoyen afin d'avoir accès à ces mêmes soins nécessaires. Il existe ainsi cinq circonstances éventuelles à la suite d'un recours judiciaire afin d'avoir accès à des soins médicaux<sup>148</sup>.

Le meilleur résultat possible à l'issue d'un recours judiciaire en santé est celui par lequel la cour déclare un service médical, à ce moment-là déficient, obligatoire, et qui enjoint le gouvernement à prendre les mesures adéquates. Par contre, il faut comprendre que la *Charte canadienne* ne considère pas comme un droit fondamental le droit à des services de santé<sup>149</sup>. Ainsi, lorsqu'une personne introduit un recours en vertu de la *Charte canadienne*, elle le fait normalement en vertu de l'article 7 ou 15(1)<sup>150</sup>. Lorsqu'elle invoque l'article 7, c'est au nom du droit à la vie et à la sécurité de sa personne qu'elle dénonce le manque ou l'absence d'accès à des traitements ou des services médicaux. Par exemple, dans la dissidence de l'arrêt *Gosselin c. Québec (Procureur général)*, la juge L'Heureux-Dubé était prête à affirmer que dans certaines circonstances, la protection de l'article 7 s'applique aux droits fondamentaux, mais aussi aux droits économiques. Cependant, cela ne représente pas le courant majoritaire, malgré certaines jurisprudences subséquentes à *Gosselin*, comme l'arrêt *Chaoulli*<sup>151</sup>. En ce qui a trait à l'article 15(1), on fait plutôt valoir que l'absence ou le défaut de traiter les problèmes de santé vis-à-vis une catégorie de population est en soi discriminatoire<sup>152</sup>. Dans le contexte de l'allocation des ressources en santé, il existe ainsi deux situations donnant ouverture à un recours en vertu de l'article 15(1). La première situation est celle

---

148. Colleen M. FLOOD et Y.Y. Brandon CHEN, « Charter Rights & Health Care Funding: A Typology of Canadian Health Rights Litigation », dans Robert P. KOURI et Catherine RÉGIS (dir.), *Les grands défis en droit et politiques de la santé* (Actes de la 5<sup>e</sup> Conférence nationale en droit de la santé – 2009), Cowansville, Édition Yvon Blais, 2010, p. 187, à la page 242.

149. *Charte canadienne*, préc., note 145, *a contrario*.

150. *Id.*, art. 7 et 15(1).

151. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 196-198 ; *Gosselin c. Québec (Procureur général)*, 2002 SCC 84, par. 317 ; *Chaoulli c. Québec (Procureur général)*, 2005 CSC 35.

152. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 196-200.

d'un gouvernement provincial qui rend accessible un type de services médicaux à certains et non à d'autres, alors que ce manque constitue une atteinte à leur dignité<sup>153</sup>. Par exemple, dans le cas des maladies orphelines, il existe une certaine discrimination en fonction de l'endroit où le patient est traité, puisqu'un établissement peut choisir de payer un médicament suivant l'approbation du CMDP, alors qu'un autre ne le fera pas<sup>154</sup>. Malgré l'apparente d'uniformité et égalité de traitement dans le système de santé, la deuxième situation implique que l'article 15(1) est soulevée si, dans les faits, le traitement est inégal compte tenu des circonstances particulières d'un groupe d'individus déterminé<sup>155</sup>. Pour les gens atteints de maladies orphelines, ce sera le cas puisqu'ils ont tous accès au régime général public de santé, mais que l'accès aux médicaments pour traiter leurs conditions est souvent laborieux, voire inabordable.

Un autre résultat possible à l'issue d'un recours judiciaire invoquant un droit de la santé est toutefois que la cour donne raison au demandeur, mais qu'aucune politique gouvernementale ne soit mise en place par la suite. L'arrêt *Eldridge* en est un exemple. Dans cette affaire, la Cour suprême du Canada tranche que les patients souffrant de surdit   n'ont pas autant acc  s aux services de sant   et que « des communications efficaces sont   videmment une partie int  grante de la prestation des services. [De plus], [...] de mauvaises communications peuvent entra  ner un mauvais diagnostic ou l'omission de suivre le traitement recommand   »<sup>156</sup>. Ainsi, le fait de ne pas offrir des services d'interpr  tes    cette minorit  , surtout en prenant en consid  ration qu'ils sont peu on  reux, constitue une atteinte    la dignit   des individus concern  s<sup>157</sup>. Le gouvernement de la Colombie-Britannique instaura par la suite un programme d'acc  s d'urgence    un interpr  te    la fin du d  lai de six mois octroy   par la Cour et un programme plus vaste fut constitu     galement. N  anmoins, cette grande victoire est demeur  e limit  e au point de vu territorial. Ce n'est par exemple

---

153. *Id.*, p. 199.

154. *Loi sur les services de sant   et services sociaux*, pr  c., note 3 art. 116(4).

155. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, pr  c., note 148, p. 199-200 ; *Eldridge c. Colombie-Britannique (Procureur g  n  ral)*, [1997] 3 S.C.R. 624.

156. *Eldridge c. Colombie-Britannique*, pr  c., note 155, par. 69.

157. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, pr  c., note 148, p. 201-206 ; *Charte canadienne*, pr  c., note 145, art. 15(1) ; la Cour a   tabli que les co  ts de services d'interpr  tes seraient approximativement de 150 000 \$.

que trois ans plus tard que la province de l'Ontario emboîta le pas. Ainsi, malgré le fait que ce soit la Cour suprême du Canada qui ait accordé un droit aux malentendants de Colombie-Britannique, ce dernier n'a pas été applicable dans les autres provinces tant et aussi longtemps que leurs gouvernements respectifs n'aient élaboré des politiques à ce sujet ou qu'un autre individu ait fait valoir ses droits devant les tribunaux<sup>158</sup>. La portée de ces jugements est donc parfois limitée en pratique et cela ne serait probablement pas différent avec les maladies orphelines.

Un autre dénouement possible d'un recours judiciaire visant l'accès à des traitements médicaux à travers le système public est le renversement par la cour de la légalité d'une législation contrevenant à l'article 7 de la *Charte canadienne*, c'est-à-dire violant le droit à la vie, à la liberté et à la sécurité de la personne. Cependant, l'atteinte ne doit pas se justifier au regard d'une société libre et démocratique<sup>159</sup>. Il est donc surtout question d'une interdiction gouvernementale qui compromettrait l'accès à certains traitements ou services médicaux, comme ce fut le cas de l'accès à l'avortement dans *Morgentaler*<sup>160</sup>, de l'accès à la marijuana à des fins médicales<sup>161</sup> ou de l'accès aux centres d'injections supervisées<sup>162</sup>. Malgré tout, à la suite du renversement de la loi et des infractions criminelles qui en découlent, le gouvernement n'est pas dans l'obligation d'agir rapidement afin d'assurer l'accessibilité aux traitements en question. Cela n'empêche pas non plus le ministère de rédiger de nouveaux projets de loi qui restreignent davantage et autrement ces droits<sup>163</sup>. En ce qui a trait aux maladies orphelines, le nœud du problème se trouve principalement au niveau monétaire. Le système de santé canadien est basé sur la notion que la couverture des services et médicaments assurés n'est pas fondée sur la capacité de payer du citoyen, mais plutôt sur un accès uniforme. Ses défenseurs craignent par conséquent que tout

---

158. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 201-206 ; *Charte canadienne*, préc., note 145, art. 15(1).

159. *Charte canadienne*, préc., note 145, art. 1 et 7 ; C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 206-216.

160. R. c. *Morgentaler*, préc., note 146.

161. R. c. *Parker* (2000), 49 O.R. (3d) 481 (C.A.).

162. *Canada (Procureur général) c. PHS Community Services Society*, 2011 CSC 44.

163. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 215-216 ; *Charte canadienne*, préc., note 145, art. 1 et 7 ; *Chaoulli c. Québec (Procureur général)*, préc., note 151.

système privé parallèle diminue la qualité des soins et distingue les citoyens en fonction de leur revenu<sup>164</sup> alors que ceux qui sont en faveur d'un régime public-privé estiment que le privé permettra de désengorger le système public et ainsi de réduire les délais d'attente<sup>165</sup>. Dans l'arrêt *Chaoulli*, on a finalement permis aux citoyens d'avoir accès au système privé de santé tout en remboursant les frais payés selon des conditions très spécifiques<sup>166</sup> suivant l'admission à l'effet que des délais d'attente trop longs menaçaient la sécurité des patients. De ce fait, la cour a renversé la prohibition de rembourser des frais médicaux lorsque le patient a recours à des soins privés, sous certaines conditions, et a augmenté l'accès à des soins indépendamment de la capacité de payer. Cependant, la portée de cet arrêt est restée limitée puisque le gouvernement n'a pas à assurer l'accès à des assurances privées abordables lorsque la RAMQ ne rembourse pas un traitement. Or, puisqu'un assureur fixe le coût en fonction du risque que comporte l'assurance d'un malade, il est rare qu'il soit accessible aux personnes âgées ou ceux atteints de maladies graves ou chroniques<sup>167</sup>. Malheureusement, ces personnes vulnérables sont ainsi livrées à elles-mêmes.

Une autre avenue offerte par voie de recours judiciaire en santé est le rejet par la Cour d'une action en justice, mais qui génère une telle campagne publique ou un soutien inattendu du public qu'elle pousse le gouvernement à intervenir même en l'absence d'obligations légales. En effet, il est fréquent que la discrimination subie par le demandeur et son incapacité à se voir donner raison par les tribunaux engendre le mécontentement du public<sup>168</sup>. Par exemple, dans l'affaire *Auton*, des parents ne pouvaient pas payer les traitements d'Intervention Comportementale Intensive (ICI) ou d'Analyse Comportementale Appliquée (ACA) à leurs enfants souffrant d'autisme. La Cour a rejeté les allégations à l'effet que leurs enfants autistes étaient discriminés en raison d'un handicap en vertu de l'article 15(1) de la *Charte canadienne*. La Colombie-Britannique était donc libre de décider de couvrir ou non ces frais dans son budget global en santé, ces traitements n'étant pas

164. *Chaoulli c. Québec (Procureur général)*, préc., note 151, par. 49-50.

165. *Id.*, par. 104-111 et 119.

166. *Id.*

167. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 217-224.

168. *Id.*, p. 224-234.

considérés comme nécessaires<sup>169</sup>. Cependant, à la suite de l'indignation générale, le gouvernement de la Colombie-Britannique a malgré tout mis en place un programme de subvention pour venir en aide aux enfants souffrant d'autisme<sup>170</sup>. On peut aussi penser à l'exemple de Matthew Schreindorfer, domicilié à Laval et atteint d'une leucémie lymphoblastique aiguë (LLA), qui lança une campagne de financement sur le web en 2015 pour récolter le montant de 800 000 \$ lui permettant d'être admis à des essais cliniques de l'Institut du cancer Sloan Kettering aux États-Unis, qui constituaient son seul espoir de guérison. Bien qu'il n'y ait pas eu de recours judiciaire dans son cas, cela démontre l'impact que peuvent avoir l'opinion publique et les élans de générosité du public, en particulier depuis l'émergence des médias sociaux<sup>171</sup>. Il est permis de voir un parallèle avec les maladies orphelines et de se questionner sur les effets potentiels de campagnes de sensibilisation sur l'action gouvernementale et les politiques de santé existantes.

La dernière situation possible est tout simplement un rejet ou un échec des procédures judiciaires suivi d'une perte de la sympathie de la population et du gouvernement. Il ne faut pas croire qu'il n'y aurait aucune conséquence négative suite à un recours intenté en vertu de la *Charte canadienne*. Malgré la nécessité d'un certain *momentum* afin d'obtenir des subventions gouvernementales pour une problématique en santé donnée, il est possible qu'une cause judiciaire reçoive peu d'attention de la part des médias et de la population. De plus, si la Cour ne conclut pas à une obligation ou à une nécessité légale de traiter une maladie donnée, le gouvernement peut totalement se détourner du sujet et l'ignorer pendant plusieurs années, voire des décennies. On assistera alors au recul le plus total de la cause et toute pression faite par le passé deviendra vaine<sup>172</sup>.

169. *Auton c. British Columbia (A.G.)*, préc., note 141.

170. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 226-227.

171. Marie-Michelle SIOU, « Le web vient en aide à un homme atteint d'une leucémie », *La Presse*, mars 2015, en ligne : <<http://www.lapresse.ca/actualites/sante/201503/01/01-4848584-le-web-vient-en-aide-a-un-homme-atteint-dune-leucemie.php>> (consulté le 21 juin 2017).

172. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 234-239 ; *Cameron c. Nouvelle-Écosse (P.G.)*, [1999] 204 N.S.R. (2d) 1 (C.A.).

De nombreux aspects doivent donc être pris en considération lorsqu'on considère intenter un recours en vertu de la *Charte canadienne*. La saisie des tribunaux dans le but d'obliger le gouvernement à distribuer des fonds pour des besoins médicaux spécifiques est incertain. De plus, en faisant valoir des droits individuels, il est possible que les tribunaux perdent de vue la vision globale de la distribution des ressources de notre système de santé en fonction des contraintes budgétaires, il peut donc être plus adéquat de favoriser des avenues comme la sensibilisation, les médias sociaux, les pressions politiques avec l'appui d'organismes, etc.<sup>173</sup> Au Canada, il faudrait considérer les recours judiciaires avec d'autant plus de prudence qu'aucun n'a encore été tenté dans le contexte de l'accès aux médicaments nécessaires au traitement d'une maladie orpheline.



Le Canada en est à ses premiers balbutiements en direction d'une législation et d'un plan national pour les maladies orphelines, grâce au *Canadian Organization for Rare Disorders* (CORD). L'accessibilité aux traitements est encore difficile pour les patients et le Canada gagnerait à s'inspirer de différentes politiques sur les maladies rares à l'étranger, comme aux États-Unis, en Europe et au Japon<sup>174</sup>. La population devrait également être informée davantage quant à l'existence de ces maladies orphelines et des différentes avenues de traitements à emprunter, que ce soit au niveau provincial, fédéral ou international. Plusieurs propositions de solutions ont été explorées dans ce texte, y compris la possibilité d'un recours intenté devant nos tribunaux en vertu de la *Charte canadienne des droits et libertés*. L'avenir seul nous dira si la problématique d'accessibilité en matière de médicaments orphelins évoluera suffisamment pour devenir un sujet actuel au Canada.

---

173. C. M. FLOOD et Y.Y. B. CHEN, préc., note 148, p. 239 à 242.

174. J. TORRENT-FARNELL, préc., note 140.