



CHAMBRE DES COMMUNES
HOUSE OF COMMONS
CANADA

Comité permanent de la santé

HESA



NUMÉRO 118



1^{re} SESSION



42^e LÉGISLATURE

TÉMOIGNAGES

Le jeudi 25 octobre 2018

Président

M. Bill Casey

Comité permanent de la santé

Le jeudi 25 octobre 2018

• (0830)

[Traduction]

Le président (M. Bill Casey (Cumberland—Colchester, Lib.)): Bienvenue à tous à la 118^e séance du Comité permanent de la santé.

Aujourd'hui, nous allons poursuivre notre étude sur les maladies rares et orphelines. Nous accueillons quatre groupes qui présentent des déclarations préliminaires. Nous vous souhaitons la bienvenue.

Aujourd'hui, nous accueillons, à titre personnel, M. Michael Brudno, professeur et directeur scientifique, Centre for Computational Medicine, Hospital for Sick Children, accompagné de M. Ian Stedman, Osgoode Hall Law School, York University. Nous accueillons le Dr Alex MacKenzie, clinicien-chercheur de l'Hôpital pour enfants de l'Est de l'Ontario. Par vidéoconférence, témoignant à titre personnel, nous entendrons M. Joel Lexchin, professeur émérite, School of Health Policy and Management, York University. Nous accueillons Mme Stacey Silverberg, gestionnaire, mobilisation des intervenants, Affaires gouvernementales et accès au marché, et Mme Jacqueline Dobson, gestionnaire, affaires gouvernementales et politiques, Affaires gouvernementales et accès au marché, Janssen Inc., Pharmaceutical Companies of Johnson and Johnson.

Nous amorcerons la séance dans cet ordre et invitons M. Brudno à commencer.

M. Michael Brudno (professeur et directeur scientifique, Centre for Computational Medicine, Hospital for Sick Children, à titre personnel): Bonjour et merci de me donner l'occasion de vous parler aujourd'hui des tests génétiques et de leur rôle dans l'accès aux traitements pour les Canadiens atteints de maladies rares.

Je suis professeur au département d'informatique de l'Université de Toronto et directeur du Centre for Computational Medicine au Hospital for Sick Children. Mon équipe et moi-même travaillons au développement de logiciels et d'algorithmes informatiques destinés à aider les cliniciens spécialistes des maladies rares et les patients atteints de maladies rares. Nous avons participé à de nombreuses initiatives canadiennes et internationales en génomique des maladies rares.

Ian Stedman m'accompagne aujourd'hui. Parent et patient atteint d'une maladie rare, il a vécu une longue odyssée diagnostique de 32 ans en quête d'une réponse pour lui et sa famille. Il parlera du coût lié à l'absence de diagnostic et de la valeur que le diagnostic lui a procurée.

Pour commencer, je voudrais parler de l'importance du diagnostic génétique pour les maladies rares. Notre génome contient 20 000 gènes, et 80 % des maladies rares sont causées par des modifications ou des mutations d'un ou de plusieurs de ces gènes. Nous disposons maintenant d'une technologie capable de déchiffrer le génome entier,

de reconnaître les mutations causant des maladies et de différencier plus de 7 000 maladies pour aussi peu que 1 000 \$.

Comme vous l'a dit Marc LePage, président et chef de la direction de Génome Canada, le 16 octobre, des pays du monde entier adoptent cette technologie. Le gouvernement britannique prévoit de décoder les génomes de cinq millions de patients dans le cadre d'une initiative nationale qui s'appuie sur l'étude réalisée, intitulée « 100,000 Genomes ». Les États-Unis viennent d'annoncer un programme de 1,5 milliard de dollars par l'intermédiaire des NIH, les National Institutes of Health, appelé « All of Us », qui combinera les génomes de un million d'Américains avec des données sur leur santé, leur environnement et leur mode de vie afin de déterminer des traitements optimaux.

Ces programmes existent parce que la médecine de précision donnera lieu à des économies importantes grâce à une intervention et à un traitement précoces. Cela s'avère particulièrement en ce qui a trait aux maladies rares, où les patients vivent une importante odyssée diagnostique. Des études récentes démontrent que le diagnostic précoce de patients atteints de maladies rares au moyen de tests portant sur l'ensemble du génome permet de réaliser des économies pouvant atteindre 8 000 \$ par patient, par année, dans un système de santé très similaire à celui du Canada. Ces économies résultent du fait que les patients non diagnostiqués ne permettent pas au système de santé d'économiser de l'argent en ne recevant pas de traitements. Ils entraînent plutôt un coût pour le système, car ils sont la cause de visites, d'investigations et d'interventions inutiles.

Ian peut illustrer ce propos avec son histoire.

M. Ian Stedman (Osgoode Hall Law School, York University, à titre personnel): Bonjour et merci.

Comme l'a dit M. Brudno, j'ai passé 32 ans sans diagnostic. Tout au long de ma maladie, j'ai eu de l'arthrite, des maux de tête, des éruptions cutanées sur tout le corps, des fièvres et un sentiment d'amour-propre généralement faible, pour être honnête. Je suis allé au cabinet de mon médecin — mon médecin de famille — environ 200 fois avant l'âge de 18 ans. J'ai consulté plus de 30 spécialistes, effectué d'innombrables visites à l'urgence et subi des tonnes de tests. La réponse a toujours été: « Nous ne savons pas. Essayez ces médicaments, et nous verrons si nous pouvons traiter vos symptômes et vous permettre de vivre. »

Tout a changé en 2012, à la naissance de ma fille, car elle est également venue au monde malade. Nous nous sommes retrouvés à SickKids et nous avons subi des tests génétiques. Ils ont révélé que nous étions atteints du syndrome de Muckle-Wells; le risque de contracter la maladie est de un sur un million. Le syndrome est causé par la mutation d'un seul gène.

Ces tests nous ont permis d'avoir accès à des médicaments, et les médicaments, comme un interrupteur, ont fait disparaître tous les symptômes du jour au lendemain. Je n'ai jamais regardé en arrière; 32 années de lutte se sont effacées comme s'il n'y avait jamais rien eu; je peux donc vivre le reste de ma vie sans maladie. Ma fille n'avait qu'un an à l'époque. Elle a six ans maintenant. La seule façon dont elle sait qu'elle est malade, c'est qu'une infirmière vient à la maison toutes les huit semaines et lui fait une piqûre. Sinon, c'est un long fleuve tranquille.

Les diagnostics, la génétique, c'est incroyable: ça change la vie d'une personne. C'est triste de penser que nous sommes ceux qui ont de la chance maintenant. Espérons que ce n'est pas le cas pour l'avenir.

Je vous remercie.

M. Michael Brudno: Ian est un excellent exemple de la raison pour laquelle les tests génétiques sont si importants et pourquoi nous devons permettre l'accès à ces tests.

Depuis qu'il reçoit un traitement, Ian est devenu l'un des chercheurs-boursiers canadiens en droit de l'éthique parlementaire et a publié de nombreux ouvrages sur le sujet. Il est également titulaire d'une bourse de recherche sur l'intelligence artificielle, l'éthique et le droit et étudie la façon de mettre en oeuvre et de régler des solutions d'intelligence artificielle dans notre société. Je soutiens que le coût de ses tests et de son traitement semble dérisoire devant ses contributions à la société canadienne. Lui-même et d'innombrables patients comme lui justifient l'importance des tests génétiques, et c'est pourquoi il est fondamental d'aider à éliminer les difficultés d'accès au traitement.

Le diagnostic génétique peut ouvrir la voie à un traitement, comme il l'a fait pour Ian. Toutefois, le diagnostic doit être opportun, car on peut rater la fenêtre thérapeutique optimale. À titre d'exemple, pour Ian, le risque de mourir de l'amylose avant l'âge de 35 ans était de un sur trois s'il ne recevait pas de traitement.

Dans beaucoup d'autres maladies, la fenêtre thérapeutique est encore plus petite. En conséquence, de nombreux hôpitaux aux États-Unis expérimentent maintenant des tests génomiques rapides, avec un résultat dans les 48 heures pour les patients des unités néonatales de soins intensifs. Il a également été démontré que cela réduisait les coûts totaux en raison d'une diminution de la myriade de tests qui en découlerait autrement.

Je veux maintenant aborder la question des coûts associés à ces tests et à ces médicaments. Le choc à la caisse, savoir le choc des gens devant le prix des tests génétiques et des nombreux traitements contre les maladies rares, est compréhensible, mais il convient de le comparer aux coûts que doit absorber le système de santé pour les patients non diagnostiqués qui ne reçoivent pas de traitement approprié.

Le Dr MacKenzie parlera davantage des coûts de traitement, mais ces coûts n'augmentent pas de manière linéaire avec le nombre de patients. Comme une grande partie du coût d'un médicament correspond à des coûts de recherche irrécupérables, plus le nombre de patients cernés diminue, plus les coûts par patient diminuent, tandis que les avantages s'accroissent proportionnellement.

La solution consiste à repérer et à regrouper des données sur tous les patients atteints de maladies rares. Le Canada est un petit pays sur le plan de la population, et les personnes atteintes d'une maladie rare sont disséminées dans tout le pays. Nos efforts en matière de médecine de précision pour les maladies rares, notamment les tests génétiques précoces, doivent avoir une portée nationale.

En résumé, j'aimerais faire trois recommandations au Comité.

Tout d'abord, lorsque nous examinons les coûts des traitements et des interventions, nous pensons toujours aux coûts totaux ainsi qu'aux avantages globaux sur le plan économique, sociétal et personnel.

Ensuite, toute stratégie visant à éliminer les difficultés d'accès au traitement doit accorder la priorité aux tests génétiques pour les personnes atteintes de maladies rares et/ou non diagnostiquées. Il a été prouvé que ces tests réduisent les coûts d'ensemble et peuvent ouvrir la voie à des traitements, comme cela a été le cas pour Ian.

Enfin, étant donné que très peu de personnes sont atteintes d'une maladie rare et que des nombres plus élevés réduisent les coûts de façon significative, une stratégie visant l'accès à des médicaments pour maladies rares, en particulier, et à la médecine de précision pour les maladies rares, en général, doit avoir une portée nationale.

Je vous remercie. Nous serons heureux de répondre à vos questions.

• (0835)

Le président: Cela a duré six minutes et 54 secondes.

Merci de ce témoignage personnel. C'est très important pour nous. Cela nous aide à comprendre cet enjeu.

La parole est maintenant au Dr Alex MacKenzie.

Dr Alex MacKenzie (clinicien-chercheur, Hôpital pour enfants de l'Est de l'Ontario (HEEO)): C'est un travail formidable, messieurs. Vous avez placé la barre haut.

Je suis clinicien-chercheur au CHEO. Je travaille sur des maladies rares. À ce titre, chapeau bas aux Néerlandais; je vais rester bref et permettre que l'on puisse poser des questions supplémentaires.

J'aimerais donner des chiffres. Ces statistiques ne sont probablement pas nouvelles pour le Comité, mais je vais vous donner un aperçu en chiffres.

Le nombre de maladies rares est de 7 000, comme l'a dit Michael. Ce nombre pourrait bien augmenter avec le temps, mais c'est notre estimation pour le moment. Environ un million de Canadiens sont touchés. On affirme qu'une personne sur 12 serait atteinte. Nous pensons que c'est une surestimation; ce serait plus près de 2 % ou 3 %. Néanmoins, environ un million de Canadiens sont atteints.

Plus de 50 % sont des enfants. Moins de 50 %, soit moins de la moitié, ont reçu un diagnostic maintenant. Lorsque je regarde les patients hospitalisés dans ma section au CHEO, je constate qu'environ un tiers d'entre eux sont atteints de maladies rares. Ces maladies sont responsables d'un tiers des décès au cours de la première année de vie, et un tiers des enfants atteints de maladies rares décéderont avant l'âge de cinq ans. Vous avez là une idée de l'incidence des maladies rares.

La proportion de maladies rares pour lesquelles il n'existe aucune thérapie est de 94 %. Nous n'avons pas de thérapie pour la plupart de ces troubles.

La statistique la plus révélatrice est peut-être que la proportion des années de vie perdues en raison des maladies rares représente environ 4,6 %. Ce sont des années de vie perdues dans la société canadienne. Pour les maladies infectieuses, cette proportion est d'environ 1,4 % à 1,6 %. Pour le diabète, ce n'est que 2,6 %. C'est vraiment dramatique. Je pense que cela est attribuable au fait que ces maladies entraînent des décès tôt dans la vie, et l'incidence est donc disproportionnée.

Comme Michael l'a dit, nous vivons actuellement une révolution avec le séquençage de l'ADN économique. Les premiers éléments à cet égard sont les génomes. Toutes les personnes ici présentes figureront dans notre dossier médical électronique d'ici 10 ans, c'est indéniable. Cela aura une incidence sur la perception individuelle du risque de maladie, la prévention et les options de traitement. Qu'on l'appelle génomique, médecine de précision ou médecine personnalisée, c'est une révolution.

Les enfants atteints de maladies rares sont vraiment les premiers répondants pour cette révolution. Je dirais, entre parenthèses, que de bien faire les choses est bon non pas seulement pour les enfants atteints de maladies rares, mais pour nous tous.

Michael, dont la plateforme Matchmaker Exchange a été adoptée par l'Université Johns Hopkins à Baltimore, l'Université Cambridge et les National Institutes of Health à Washington, est un grand chef de file mondial du diagnostic des maladies rares. Il est trop modeste pour le dire.

Avec Kym Boycott, ma collègue qui dirige Care4Rare à l'hôpital pour enfants, nous avons un consortium pancanadien qui a diagnostiqué des maladies rares à un rythme sans précédent — près de 200 nouveaux gènes de maladies rares ont été découverts. Aucun autre pays industrialisé n'a entrepris un tel parcours intensif du combattant, à l'échelle nationale. Je ne sais pas s'il s'agit de l'égo canadien submersible, de notre désir de travailler en comité, mais nous sommes vraiment le numéro un en ce qui concerne l'étude de ce problème, d'un bout à l'autre du pays.

Comme Ian l'a si bien dit, un diagnostic est vraiment une forme de thérapie, absolument essentielle. Mark LePage vous a parlé de son initiative de Genome Canada d'effectuer le séquençage génomique de 30 000 échantillons de patients atteints de maladies rares; il s'agit là d'un projet phénoménal, qui présente un potentiel immense. C'est un peu comme disait Dickens: le meilleur et le pire de tous les temps. C'est incroyablement passionnant ce qui se passe du côté du diagnostic, mais il faut mentionner le manque de traitements ainsi que le coût des traitements.

Mon laboratoire travaille au repositionnement de médicaments cliniquement approuvés: nous examinons les indications afin de pouvoir traiter des maladies rares. Dans le cadre de nos travaux au cours des cinq dernières années, nous avons cerné cinq traitements possibles pour des affections comme l'épilepsie, l'anévrisme de l'aorte, la neurodégénérescence et la dystrophie musculaire. Ces médicaments coûtent aussi peu qu'un dollar par jour, et parfois moins.

La Dre Vicky Siu, une collègue de London, administre de l'histidine pour un trouble compulsif chez les Amish âgés. Clara van Karnebeek, à l'UBC, a créé une page Web destinée à montrer aux médecins comment utiliser la modulation alimentaire pour le traitement de maladies rares. Il existe des méthodes autres que l'usage de nouveaux médicaments pour le traitement de maladies rares.

Cependant, de nouveaux médicaments seront évidemment nécessaires, et c'est là que réside le problème. Que peut faire le Canada, collectivement, face au problème du coût de ces médicaments?

● (0840)

Mike a très bien exposé l'argument économique en faveur duquel il convient de les examiner peut-être d'une façon différente des autres médicaments.

Je n'ai que quelques petits commentaires à formuler. Je pense que nous devons faire front commun. Actuellement, le Canada est seul au sein de l'OCDE et des pays industrialisés à adopter une approche provinciale fragmentée, comme l'illustre la place que nous occupons au troisième rang, après la Suisse et les États-Unis, pour ce qui est du prix le plus élevé au monde pour ces médicaments. Nous avons l'APP, l'Alliance pancanadienne pharmaceutique, mais nous avons réellement besoin d'un levier stratégique plus fort à cet égard. Nous devons commencer à prescrire davantage de produits biologiques ultérieurs et de génériques. Ceux-ci sont sous-prescrits.

Les États-Unis ont promulgué une loi il y a environ 15 ans visant à accélérer l'utilisation de produits biologiques ultérieurs. Il s'agit de médicaments qui sont les produits biologiques, les anticorps, etc. qui ne sont pas exactement les médicaments approuvés par la FDA, mais sous forme de génériques. Cette législation aux États-Unis a modifié le cours des événements.

Nous devons examiner des éléments comme des programmes de gestion de l'accès, dans le cadre desquels les entreprises génèrent des données au fur et à mesure du traitement afin que l'on puisse déterminer qui doit obtenir ces médicaments, en fonction d'éléments probants tangibles, et qui doit réellement arrêter le traitement. C'est l'une des choses les plus difficiles à affronter: à quel moment cesse-t-on réellement un médicament quand il n'est pas efficace?

Pour ma part, je crois que nous pourrions peut-être repenser notre façon de lutter contre les maladies rares. À l'heure actuelle, ce sont des universitaires comme moi qui travaillent dans des laboratoires, en collaboration avec de grandes sociétés pharmaceutiques et de biotechnologie, mais je crois que nous avons besoin de l'approche quasi industrielle de Thomas Edison ou de Henry Ford pour aborder les maladies rares de manière générale, selon un concept ouvert, comme l'a décrit Aled Edwards. Nous avons besoin d'une « approche d'usine » transparente, où vous développez des vecteurs géniques visant des tissus particuliers dans lesquels vous pouvez intégrer des gènes différents, des manières novatrices d'isoler des protéines de manière industrielle, une approche réellement systémique au repositionnement de médicaments semblable à ce que nous avons fait, l'idée d'une cellule donatrice universelle dans laquelle vous pouvez en fait générer des cellules qui n'induisent pas de réponses immunitaires, comme celles auxquelles Jonathan Pitre, l'enfant papillon, a succombé l'année dernière.

Il est possible de recourir à un certain nombre d'approches systématiques réfléchies pour que l'on puisse s'attaquer à la production de traitements pour les maladies rares.

Le président: Je dois vous demander de conclure vos remarques.

Dr Alex MacKenzie: Oui, et c'est tout. Je veux juste dire que...

Le président: Vous avez fini, c'est parfait.

Dr Alex MacKenzie: ... essentiellement, cela va se régler d'une manière ou d'une autre, mais je pense que nous devons nous attaquer à ce problème.

Le président: Merci beaucoup.

Nous passons maintenant à M. Lexchin, par vidéoconférence.

De plus, je dois souligner qu'une partie se passera sans aucun doute dans l'autre langue, mais nous avons des services d'interprétation. Vous en aurez besoin plus tard.

D'accord.

Dr Joel Lexchin (professeur émérite, School of Health Policy and Management, York University, à titre personnel): Merci beaucoup de me donner la possibilité de comparaître. Je présente cet exposé non pas seulement en mon nom, mais au nom des dix autres personnes qui ont signé le mémoire.

Cet exposé portera sur les médicaments pour traiter les maladies rares, et je vais simplement passer en revue les recommandations que nous formulons.

Premièrement, s'il existe une politique sur le traitement de maladies rares, elle ne devrait pas s'appuyer sur l'hypothèse selon laquelle des médicaments ne peuvent être viables sur le plan commercial simplement en raison d'un nombre restreint de personnes souffrant de la maladie. Pour prouver que les activités de recherche et de développement portant sur des médicaments destinés au traitement de maladies rares ne sont pas commercialement viables, les sociétés devraient divulguer leurs coûts de recherche et de développement et montrer que ces coûts ne sont pas acceptables sur le plan commercial en raison du nombre de personnes au Canada qu'elles prévoient traiter au moyen du médicament, en plus du prix qu'elles comptent exiger.

Deuxièmement, étant donné le nombre de médicaments pour maladies rares qui ont été récemment approuvés aux États-Unis — et récemment, depuis les six dernières années environ, 37 % des médicaments aux États-Unis ont été étiquetés comme médicaments pour maladies rares —, il n'est peut-être pas nécessaire, en fait, que le Canada offre des incitatifs financiers pour la recherche sur les maladies rares. En revanche, il pourrait être utile que Santé Canada établisse un mécanisme de réglementation distinct pour les médicaments destinés au traitement de maladies rares. Au lieu de fournir des incitatifs financiers aux sociétés, le gouvernement canadien devrait envisager d'investir plus de fonds publics dans la recherche sur ces maladies.

Troisièmement, si le taux global de prescription d'un médicament orphelin dépasse le nombre de personnes souffrant de la maladie rare, alors le médicament devra perdre son statut de médicament orphelin.

Quatrièmement, lorsque plusieurs maladies sont causées par le même mécanisme pathophysiologique et, donc, sont susceptibles d'être traitées par le même médicament, chaque maladie ne devrait pas être examinée séparément au moment de décider si un médicament devrait obtenir le statut de médicament orphelin.

Cinquièmement, Santé Canada doit éviter d'accepter des sous-catégories de maladies définies en fonction de biomarqueurs et limiter l'utilisation de la désignation de médicament orphelin aux situations où les maladies sont vraiment distinctes. Ainsi, si le même médicament traite plus d'une anomalie génétique qui cause la même maladie — nous avons donc un médicament contre la fibrose kystique qui est utilisé pour traiter la fibrose kystique causée par deux mutations génétiques différentes —, alors chaque cause de la même maladie ne devrait pas être traitée comme une maladie rare distincte.

Sixièmement, même si la présence d'un petit nombre de personnes souffrant de maladies rares restreint la conception des essais cliniques, Santé Canada doit exiger la plus grande rigueur possible pour ces essais. De plus, des essais cliniques après la mise en marché devraient s'imposer en cas d'ambiguïté de la preuve concernant l'avantage clinique ou l'innocuité, et Santé Canada devrait surveiller la progression de ces essais après la mise en marché et en faire rapport publiquement.

Ensuite — et c'est un point qui a déjà été avancé —, l'hypothèse selon laquelle 1 personne sur 12 souffre d'une maladie rare n'est pas fiable et ne devrait pas être utilisée dans l'élaboration d'une politique canadienne sur les médicaments pour maladies rares. Toute définition de maladie rare devrait tenir compte non seulement de sa fréquence, mais aussi de sa gravité; autrement dit, la maladie devrait survenir peu fréquemment et être gravement débilitante aussi.

En dernier lieu, toute recommandation que le Comité permanent de la Chambre des communes formulera, à la lumière des témoignages de groupes représentant les patients atteints d'une maladie rare, devrait tenir compte des conflits d'intérêts que ces groupes peuvent avoir avec des sociétés qui tireraient parti de toute politique élaborée.

Merci.

● (0845)

Le président: Merci beaucoup. J'apprécie vos commentaires concis.

Nous passons maintenant à Janssen Inc., Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson, pour sept minutes.

Mme Stacey Silverberg (gestionnaire mobilisation des intervenants, Affaires gouvernementales et accès au marché, Janssen Inc. Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson): Merci.

Mesdames et messieurs les députés, je voudrais remercier le Comité de m'avoir invitée aujourd'hui à vous parler au sujet de votre étude sur les difficultés d'accès au traitement et aux médicaments pour les Canadiens atteints de maladies rares et orphelines. Pour commencer, j'aimerais vous expliquer un peu pourquoi j'ai l'occasion privilégiée de prendre la parole devant vous aujourd'hui.

Je travaille pour Janssen, qui fait partie de la famille Johnson & Johnson. Je travaille au sein de l'entreprise depuis quatre ans, mais je comparais aujourd'hui forte de 25 années d'expérience dans l'industrie pharmaceutique innovante. Au cours de ma longue et enrichissante carrière dans ce secteur, j'ai assumé divers rôles, mais je suis extrêmement reconnaissante du temps consacré à rencontrer des patients, à travailler avec eux et à faire partie de leur parcours, en particulier lorsque j'ai pu constater personnellement l'incidence que nous avons eue, et que nous continuerons d'avoir, sur leur survie globale, leur qualité de vie et même, dans certains cas, leur guérison.

Au cours de mon mandat dans cette industrie, j'ai pu observer des patients schizophrènes réintégrer la société et mener des vies plus productives que ce que leurs fournisseurs de soins auraient pu imaginer. J'ai assisté à la mise au point de nouveaux traitements pour des patients cancéreux qui leur a littéralement insufflé une nouvelle vie. En fait, le cancer peut maintenant être considéré, dans certains cas, comme une maladie chronique plutôt qu'une condamnation à mort, encore une fois en raison de l'accès à l'innovation et de cette innovation elle-même. Ce ne sont là que quelques exemples de types de patients avec lesquels j'ai eu le privilège de travailler au cours des dernières années.

Aujourd'hui, je voudrais demander à chacun d'entre vous de veiller à ce que nous ne fassions rien de manière involontaire pour faire obstacle à ces patients, et de chercher vraiment des moyens de faciliter davantage leur capacité d'accéder aux médicaments dans le cadre de leur plan de traitement. Je voudrais également vous demander de prévoir le même type d'accès à l'innovation pour les patients atteints de maladies rares, une population très vulnérable.

Je vais vous présenter un bref aperçu des travaux de Janssen visant à fournir un accès à des médicaments innovants, en particulier pour la population atteinte de maladies rares. J'aborderai la nécessité d'un cadre réglementaire pour les médicaments orphelins, lequel devrait être conçu pour permettre le développement et la disponibilité de médicaments destinés au traitement de maladies rares. Enfin, je donnerai un aperçu des préoccupations que nous avons à l'égard de deux initiatives gouvernementales en cours qui, selon nous, pourraient limiter l'accès à de nouveaux médicaments innovants destinés au traitement de maladies rares.

Au Canada, comme vous le savez peut-être, nous n'avons pas de cadre ni de stratégie officielle pour les maladies rares, mais il importe de souligner la statistique de « un sur 12 » que l'on a fait ressortir aujourd'hui. Ce chiffre provient de la Canadian Organization for Rare Disorders. Un Canadien sur 12 est atteint d'une maladie rare. En tant que Canadiens, il nous incombe d'aider cette population à risque.

En juin 2017, Johnson & Johnson a acquis Actelion, un chef de file novateur dans le domaine de l'hypertension artérielle pulmonaire en tant que maladie rare, ou la population atteinte d'HTAP. L'HTAP est une maladie rare que je vais aborder aujourd'hui. Pour de plus amples détails, compte tenu du temps qui est alloué, veuillez vous reporter à la documentation écrite que nous vous avons soumise précédemment.

L'HTAP est une maladie évolutive qui peut frapper à tout moment, sans discrimination. C'est une maladie difficile à diagnostiquer, et le cas de ces patients traîne souvent en longueur dans le système. Les plus petites tâches de tous les jours que vous et moi considérons comme simplement normales s'apparentent, pour un patient atteint d'HTAP, à l'ascension du mont Everest. Je le répète, il s'agit d'une maladie évolutive qui peut avoir des conséquences fatales. En l'absence de traitement, ces patients vivent en moyenne deux ou trois ans à partir du diagnostic.

Bien qu'il n'existe aucun traitement curatif pour l'HTAP, il y a des options de traitement et, grâce aux médicaments innovants approuvés au Canada, les Canadiens peuvent vivre plus longtemps et en meilleure santé. Grâce à ces traitements, 50 % des patients ont survécu au moins cinq ans après le diagnostic, mais l'accès à ces médicaments est limité, et il faut souvent satisfaire à des critères, et l'approbation suppose des délais. Certains ne sont même pas remboursés par les payeurs publics. Ce sont des médicaments essentiels pour ceux qui en ont besoin, et les délais d'accès peuvent être dévastateurs.

Une stratégie pour les maladies rares contribuerait à résoudre ces problèmes, par une meilleure définition des traitements à mettre à la disposition des patients afin que l'on puisse garantir la disponibilité des fonds pour les payer.

Il existe des obstacles à l'accès en raison des approches inégales et non coordonnées au chapitre de la réglementation et du remboursement de ces médicaments, d'un bout à l'autre du pays. Pour y remédier, Janssen encourage le gouvernement fédéral à mettre en oeuvre un cadre de réglementation des médicaments orphelins qui offrirait un soutien supplémentaire visant à favoriser la mise au point et la disponibilité de médicaments orphelins au Canada. Les efforts récents du gouvernement, y compris l'approche de réglementation des médicaments orphelins, sont très encourageants, mais ce cadre renforcerait davantage l'approche du gouvernement en matière d'accès aux médicaments destinés au traitement de maladies rares.

En outre, compte tenu des approches de financement inégales et inéquitables touchant les médicaments destinés au traitement de

maladies rares au pays, Janssen encourage le gouvernement fédéral à financer un programme de médicaments distinct destiné expressément aux maladies rares. Cela pourrait se faire parallèlement aux travaux en cours sur le régime national d'assurance-médicaments et garantirait la disponibilité des fonds lorsque les Canadiens auront besoin de ces médicaments, nécessaires sur le plan médical.

• (0850)

Dans le même ordre d'idées, deux initiatives actuelles du gouvernement fédéral soulèvent des préoccupations, car elles risquent d'exacerber les difficultés d'accès. Il s'agit des réformes proposées touchant le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés, le CEPMB, et la mise en oeuvre d'un régime national d'assurance-médicaments. Nous recommandons au gouvernement fédéral d'étudier rigoureusement les conséquences potentielles de ces deux initiatives afin d'éviter toute répercussion négative inattendue.

Nous nous craignons que la nouvelle réglementation touchant le CEPMB pourrait, sous sa forme actuelle, restreindre l'accès aux médicaments innovants, y compris les médicaments pour les maladies rares. La nouvelle réglementation pouvait avoir pour conséquence d'empêcher le lancement rapide de médicaments au Canada, ce qui retarderait l'accès aux médicaments innovants dont les Canadiens ont besoin. On a observé qu'un plus petit nombre de médicaments, y compris les médicaments pour les maladies rares, sont lancés dans les pays où les prix se situent à la médiane des prix des nouveaux pays de comparaison proposés.

Nous encourageons le gouvernement fédéral à prendre en considération, pendant l'élaboration de sa politique nationale d'assurance-médicaments, les conséquences potentielles pour les Canadiens atteints de maladies rares. Si nous voulons offrir les meilleurs soins possible aux personnes souffrant de maladies rares, il faut que les médicaments innovants soient couverts, ce qui risque de ne pas être possible dans un régime public à payeur unique. Le facteur temps est crucial pour les patients atteints de maladies rares qui doivent obtenir de nouveaux médicaments. Il est donc vital que le régime mixte public et privé d'assurance-médicaments soit conservé si nous voulons que les Canadiens aient accès aux plus récents médicaments.

En dernier lieu, les deux changements pourraient entraîner une diminution du nombre d'essais cliniques au Canada. Les essais cliniques sont une façon pour les gens atteints de maladies rares, en particulier de maladies mortelles, d'avoir accès le plus tôt possible à des traitements novateurs. Cela leur donne de l'espoir. La santé et la sécurité sont des valeurs canadiennes, alors assurons-nous que les modifications proposées aux politiques ne compromettent pas certaines des valeurs fondamentales qui font de notre merveilleux pays ce qu'il est.

Cette étude, que vous avez eu le courage d'entreprendre, pourrait avoir d'énormes répercussions sur trois millions de Canadiens. J'implore donc les membres du Comité d'examiner attentivement, pendant les délibérations, les préoccupations que d'autres personnes et moi-même avons soulevées par rapport au régime national d'assurance-médicaments et aux réformes touchant le CEPMB. Vous pourrez ainsi veiller à ce que la mise en oeuvre de ces programmes n'entraîne aucune conséquence négative inattendue qui pourrait restreindre l'accès aux médicaments innovants pour les maladies rares.

Je tiens à remercier le Comité d'avoir invité Janssen à témoigner aujourd'hui. C'est un grand honneur.

• (0855)

Le président: Merci beaucoup.

Merci à tous de nous avoir présenté vos exposés.

Nous allons maintenant commencer la période de questions de sept minutes. Monsieur Grewal, vous ouvrez le bal.

M. Raj Grewal (Brampton-Est, Lib.): Merci, monsieur le président.

Merci aux témoins d'être ici aujourd'hui. Je partage mon temps avec mon collègue assis à ma gauche.

Docteur MacKenzie, vous avez dit qu'environ 1 million de Canadiens souffrent de maladies rares, mais tous les témoins, et mes documents, disent qu'il y en aurait en fait autour de 2,8 millions.

Pouvez-vous nous dire comment vous êtes arrivé à 1,8 million?

Dr Alex MacKenzie: C'est environ 2 ou 3 % de plus. Notre estimation est simplement fondée sur ce que nous avons observé personnellement à la clinique de génétique de l'hôpital pour enfants de l'Est de l'Ontario. C'est une extrapolation.

Si vous consultez attentivement les études... Peut-être que Joel aurait un commentaire à ce sujet, parce que nous croyons tous les deux qu'une personne sur 12, c'est peut-être un peu exagéré. Je ne veux d'aucune façon minimiser la gravité des maladies rares, mais je crois simplement que nous devons être aussi prudents que possible en ce qui a trait aux statistiques.

D'autres études sur le sujet ont été menées en Australie, en Belgique et en Italie, et il semble que le pourcentage reste sensiblement le même. Vu la composition ethnique variée du pays, je ne vois aucune raison, d'un point de vue génétique, de croire que la proportion ne devrait pas être de 2 ou de 3 %.

Peut-être qu'il existe quelques données supplémentaires. J'ai essayé de fouiller un peu sur le site Web de la CORD, mais je n'ai pas trouvé de sources relativement au « 1 personne sur 12 ».

Je ne sais pas si Joel...

M. Raj Grewal: Je crois que tous les experts ici présents peuvent au moins s'entendre sur le fait que, si nous voulons réagir à ce problème, la priorité numéro 1 serait de déterminer combien de Canadiens sont atteints d'une maladie rare.

Dr Alex MacKenzie: Je crois que je suis d'accord avec vous, et je pense que le projet de Génome Canada, qui est de séquencer 30 000 échantillons de génomes de patients atteints d'une maladie rare, est un pas dans la bonne direction, tout comme le seraient des projets généraux supplémentaires de séquençage génomique.

M. Raj Grewal: Merci.

Madame Silverberg, merci pour votre témoignage. Vous travaillez pour Johnson & Johnson, une grande entreprise pharmaceutique.

Vous avez mentionné que la santé est une valeur canadienne et que nous voulons nous assurer que les Canadiens soient en santé. Je crois que le devoir de tout gouvernement est de veiller à la réussite de ses citoyens.

Est-ce que cela n'est pas un dilemme pour Johnson & Johnson, étant donné que vous développez des produits pharmaceutiques et que votre objectif principal est de maximiser la valeur pour les actionnaires? La mise au point de médicaments pour aider les gens atteints de maladies rares va à l'encontre de cet objectif, puisque certains de ces médicaments ne seront peut-être pas rentables, même s'ils pouvaient vous valoir l'acceptation sociale.

Pouvez-vous nous parler de ce que Johnson & Johnson fait, à titre d'intervenant clé, pour trouver une solution à ce problème?

Mme Stacey Silverberg: Justement, Johnson & Johnson a un credo auquel nous adhérons tous et qui nous aide énormément dans

toutes les décisions que nous devons prendre. Notre credo se résume ainsi: les patients, mais aussi les médecins, le personnel infirmier, les mères et les pères sont au cœur de tout ce que nous faisons. C'est une ligne de conduite que suit chacune de nos initiatives. Nous avons aussi des comptes à rendre aux actionnaires, au bout du compte, mais il est tout à fait possible de concilier ces deux intérêts, et je crois fermement que nous y parvenons. Nous sommes, bien sûr, une organisation à but lucratif, mais les patients sont notre priorité, d'abord et avant tout.

Dernièrement, j'ai pu assister à quelques réunions où on a reconnu que certains produits ne seront pas viables sur le plan commercial — pour reprendre le vocabulaire utilisé aujourd'hui —, mais nous allons respecter notre credo et faire la bonne chose. Si nous pouvons offrir quelque chose d'innovant aux patients, il est de notre devoir de poursuivre les efforts et de placer les patients au centre de toutes les décisions de l'organisation.

• (0900)

M. Raj Grewal: Merci.

Doug.

M. Doug Eyolfson (Charleswood—St. James—Assiniboia—Headingley, Lib.): Merci beaucoup, et merci à vous tous de nous avoir présenté vos exposés.

Madame Silverberg, le Dr MacKenzie a mentionné quelque chose que nous avons déjà constaté à maintes reprises pendant notre étude sur l'assurance-médicaments, soit que le Canada se classe au troisième rang des pays qui paye le plus cher les médicaments. Vous vous préoccupez de la possibilité que les modifications touchant le CEPMB aient pour effet de restreindre l'accès aux médicaments innovants, mais expliquez-moi pourquoi le reste du monde paye ses médicaments beaucoup moins cher que nous. Comment est-ce que le fait d'harmoniser nos prix avec le reste du monde pourrait avoir comme conséquence de diminuer l'innovation?

Mme Stacey Silverberg: C'est un problème d'une grande complexité. Je dois admettre qu'il m'a fallu énormément de temps pour comprendre, comme tous les gens du milieu qui ne sont pas spécialistes en économie de la santé. Je suis loin d'être une économiste de la santé, même si j'ai manifestement occupé plus d'un poste dans l'industrie pharmaceutique pendant ma carrière.

Voici ce que nous savons: pour l'instant, le Canada est dans une position avantageuse par rapport aux pays de comparaison actuels. Nous avons accès très rapidement aux médicaments en raison du prix et des pays de comparaison utilisés. Avec les nouveaux changements proposés, certains pays où les prix sont moins élevés se retrouveront dans le bassin de nos pays de comparaison, qui ne seront plus les sept pays de comparaison présentement utilisés. Cela veut dire, concrètement, pour les patients et pour les futurs patients au Canada, que le Canada ne sera peut-être plus en mesure d'accéder très tôt aux médicaments, à cause de son régime de prix moins avantageux.

Deuxièmement, cela pourrait créer au Canada un climat qui ne serait pas propice, du point de vue des entreprises internationales, aux essais cliniques. C'est la réalité quand on ne représente que 2 % du monde; peut-être que le Canada ne sera plus un terreau propice à l'innovation et, si l'innovation ne commence pas ici, alors peut-être que des gens comme Ian et sa fille n'auront plus accès à de nouveaux traitements qui pourraient les aider, parce que ces traitements ne seront pas lancés d'abord ici.

Troisièmement...

M. Doug Eyolfson: Je suis désolé de vous interrompre, mais nous n'avons pas beaucoup de temps.

Parlons de maladies plus courantes, comme le diabète. L'insuline existe depuis un siècle, et pourtant son prix n'a littéralement pas diminué depuis des dizaines d'années. Le prix est vraiment gonflé. Les prix de médicaments qui peuvent sauver des vies, comme l'EpiPen, sont en train d'exploser, et ce, même si ce sont essentiellement des médicaments de base.

Êtes-vous en train de dire que nous devons continuer de supporter des coûts artificiellement élevés pour des médicaments d'emploi courant pour éviter de nuire à la mise au point de médicaments pour les maladies rares?

Mme Stacey Silverberg: Je ne crois pas que les prix sont artificiellement élevés.

De deux choses l'une. Premièrement, notre industrie est lourdement réglementée, l'objectif étant d'éviter que les prix soient excessifs. Il y a le CEPMB, bien sûr, qui détermine le prix courant. Nous pouvons aussi négocier. Comme beaucoup d'entre vous le savent, nous avons des conventions d'inscription confidentielles.

Pour en revenir à l'accès et à l'abordabilité...

M. Doug Eyolfson: Excusez-moi de vous interrompre, mais j'ai eu la réponse que je cherchais.

J'ai une dernière question. Comment un régime à payeur unique risque-t-il de réduire l'accès davantage que le régime mixte public et privé d'assurance-médicaments que vous proposez?

Mme Stacey Silverberg: Dans un régime public, les médicaments ne sont pas inscrits aussi rapidement et ils ne sont pas aussi nombreux que les dans régimes privés offerts à certains employés par leur employeur. Un régime mixte assurerait un accès immédiat.

Pour résumer, le prochain régime d'assurance-médicaments ne devrait pas offrir un accès inférieur à ce qui est offert aujourd'hui. Un régime mixte fera en sorte que les médicaments seront toujours couverts, avec un peu de chance, par le gouvernement et le secteur privé. Nous croyons que c'est la meilleure solution pour tous les Canadiens. Nous voulons nous assurer que tout un chacun puisse être assuré, et ce, au plus haut niveau possible pour chaque personne.

M. Doug Eyolfson: Mon temps est écoulé. Merci.

Mme Stacey Silverberg: Merci beaucoup.

Le président: D'accord. La parole va maintenant à M. Kmiec.

M. Tom Kmiec (Calgary Shepard, PCC): Merci, monsieur le président.

Je vais d'abord m'adresser aux représentants de Janssen. Des membres de ma famille sont atteints d'une maladie rare, le syndrome d'Alport. C'est donc un sujet qui me touche de très près. J'imagine que les membres de ma famille ne sont pas les premières personnes à qui vous avez pensé. J'ai toujours cru qu'il n'y avait que les enfants nés d'unions consanguines qui étaient atteints de maladies génétiques. Ma femme vient de Singapour, et je suis d'origine polonaise, alors il est absolument impossible que nos ancêtres aient des liens de parenté.

L'accès aux médicaments semble être l'enjeu le plus important, selon moi, quand on parle de maladies rares. J'entends trop souvent les gens parler du « choc à la caisse » — dont vous avez aussi parlé pendant votre exposé —, qu'ils éprouvent lorsqu'ils voient combien cela va leur coûter, au final, parce qu'ils sont atteints d'une maladie rare. En guise de comparaison, je m'imagine le même genre de choc à la caisse quand je vois une Lexus ou une BMW. Ce qu'on ne voit pas, par rapport aux médicaments, ce sont les conventions

collectives, les installations de fabrication, les investissements monétaires et les chercheurs. Tous ces aspects ont une influence sur le coût. Il y a aussi les essais cliniques.

Votre entreprise mène des essais cliniques. Combien de temps cela prend-il, et quelle incidence ces essais ont-ils sur les coûts? Cet aspect a un énorme impact sur le prix à la caisse, mais vous négociez aussi avec les provinces, avec l'Alliance pancanadienne pharmaceutique et avec des entreprises.

Pouvez-vous nous parler de la structure de coûts?

• (0905)

Mme Stacey Silverberg: J'aurais aimé vous répondre, mais malheureusement, je ne sais pas grand-chose de ce qui entre en ligne de compte dans nos essais cliniques.

Avant tout, j'aimerais dire que j'espère que vos enfants vivent bien, même avec une maladie rare. J'espère que les innovations dans le domaine de la médecine leur permettent d'avoir la qualité de vie qu'ils méritent. En grande partie, ces innovations sont dues aux efforts que l'industrie pharmaceutique déploie pour l'innovation, afin que des gens comme vous, et comme Ian et sa fille, puissent mener des vies bien remplies ici au Canada.

Je peux dire que les coûts de la recherche et du développement sont très élevés, et cela n'inclut pas les coûts associés aux nombreuses molécules non viables qui n'arrivent jamais sur le marché.

M. Tom Kmiec: Saviez-vous quelle est la proportion?

Mme Stacey Silverberg: Je ne sais pas, pour être honnête, mais je me ferai un plaisir de vous faire parvenir l'information plus tard.

M. Tom Kmiec: Pourriez-vous la faire parvenir au Comité?

Mme Stacey Silverberg: Absolument.

M. Tom Kmiec: Merci, et si vous avez d'autres renseignements d'ordre économique qui seraient pertinents, nous vous serions très reconnaissants de nous les faire parvenir.

Monsieur Brudno, c'est vous qui avez parlé du choc à la caisse. L'accès aux médicaments est le principal problème. Ce sont surtout les nombreux groupes de patients qui défendent cela. Mes enfants ont reçu beaucoup de diagnostics erronés avant de recevoir le diagnostic du syndrome d'Alport. Je comprends donc, tout à fait, ce que vous dites par rapport aux diagnostics précoces.

J'ai fait la connaissance de mon médecin par accident, dans le cadre d'une conférence médicale pour les patients à Minneapolis. Il était juste derrière moi quand j'ai demandé s'il y avait un Canadien dans la salle. Il se trouve qu'il était le directeur du service de néphrologie infantile de l'Hôpital pour enfants de l'Alberta. Je crois qu'il est déjà venu témoigner devant le Comité. Notre rencontre a été le fruit du hasard. Si je n'avais pas été là, mes enfants auraient continué de recevoir d'autres diagnostics erronés.

Je suis sûr que vous avez vécu quelque chose de très similaire, monsieur Stedman.

À un moment donné, le gouvernement fédéral avait effectivement mis en place un cadre pour les maladies rares, afin de faciliter l'accès aux médicaments pour traiter les maladies rares, mais il a ensuite été éliminé. Les tribunaux ont dit que c'était le baiser de la mort; on s'en est débarrassé. Le gouvernement fédéral a choisi de ne pas continuer, après 2015. Le travail n'avait pas été facile, et tout est effacé aujourd'hui.

Selon vous, qu'est-ce qui devrait faire partie, précisément, d'un cadre pour les maladies rares qui serait mis en place par le gouvernement? Le Secrétariat américain aux produits alimentaires et pharmaceutiques a un certain processus accéléré pour l'approbation des médicaments. Il y a quand même le processus d'approbation des médicaments, d'accès aux médicaments et de remboursement. J'ai rencontré dans ma circonscription bien des gens qui sont atteints de maladies rares dont j'ignorais même l'existence. Les médicaments qu'ils prennent sont approuvés au Canada, mais ils ne peuvent pas être remboursés. Ils doivent payer le coût élevé de ces médicaments de leurs poches, parce que leur assureur public refuse de couvrir le prix du médicament.

Pourrais-je avoir votre opinion à ce sujet?

M. Michael Brudno: De façon générale, je crois qu'il est important, quand on examine... Le fait est que tous ces éléments sont importants: l'accès, l'approbation du médicament au Canada, grâce aux efforts déployés par les sociétés pharmaceutiques qui mènent des essais cliniques, puis il faut que le médicament soit remboursable, dans la mesure du possible, par le système de santé publique.

Le coût de ces médicaments peut être extrêmement élevé pour les gens qui doivent les payer eux-mêmes, et ils ne peuvent pas tous le faire. Mais une société est en mesure de les assumer si les coûts sont partagés entre un très grand nombre de personnes. Il faut aussi, dans cette société, que le plus grand nombre de patients possible sachent qu'ils peuvent demander la couverture de leurs médicaments, ce qui devrait entraîner une baisse du prix de ces médicaments.

Je ne crois pas être en mesure de vous donner une recette détaillée: il faut faire ceci, il faut faire cela. Évidemment, en économie de la santé, tout est une question d'équilibre. Vous devez atteindre un équilibre entre le coût du système de santé et les avantages que peuvent en tirer toutes les personnes atteintes d'une maladie et la société en général.

M. Tom Kmiec: Puis-je vous interrompre?

Je voulais seulement mentionner le rôle des patients en ce qui concerne les coûts pharmacoéconomiques. Don Bell a été un député néodémocrate fantastique. Je tenais à le dire. J'espère que M. Davies est à l'écoute.

Dr Alex MacKenzie: Ce sera dans le compte-rendu.

M. Tom Kmiec: Le petit-fils de Don Bell avait 3 ans quand il a reçu le diagnostic d'hypertension pulmonaire, une maladie terminale dans son cas. Don a décidé qu'il devait faire quelque chose. Il y a eu un débat à la Chambre. Une motion a été déposée, mais pour lui, c'était l'affaire d'un patient. Trop souvent, je trouve que nous élaborons des politiques nationales en matière de recherche — des projets grandioses —, mais au bout du compte, ce sont les patients qui s'en occupent, ce sont eux qui sont vraiment motivés.

Ce sont des gens comme Erin Little, des gens comme Roy Vinke dans ma circonscription et des gens qui se préoccupent vraiment de l'amyotrophie spinale qui créent toutes ces petites fondations et qui poussent les entreprises pharmaceutiques à effectuer de la recherche. Ils trouvent une entreprise de diagnostics. L'entreprise de diagnostics pour le syndrome d'Alport se trouve aux États-Unis. Il n'y a aucun laboratoire au Canada où on peut faire le test.

J'ai l'impression qu'on oublie le rôle du patient, ici, et dans les soins axés sur le patient, lorsqu'il est question d'un grand régime national d'assurance-médicaments à payeur unique, parce qu'il va y avoir du rationnement. Quand on a un médicament coûteux, la seule solution pour réduire les coûts est le rationnement.

Avez-vous quelque chose à dire par rapport à cela?

M. Michael Brudno: Le patient joue un rôle majeur. Je peux vous donner l'exemple d'un homme aux États-Unis dont l'enfant a été le tout premier patient à recevoir le diagnostic d'une maladie extrêmement rare — littéralement le tout premier patient au monde —, et cet homme a créé un groupe de patients qui compte aujourd'hui 50 patients de partout dans le monde. Tout cela, en l'espace de cinq ans; il est même devenu professeur de médecine pendant la même période. C'était un professeur d'informatique — un collègue, donc —, et en l'espace de cinq ans, je crois, il a littéralement commencé à élaborer des traitements pour la maladie de son fils.

La capacité des patients de provoquer des changements est formidable. Bien sûr, il faut un équilibre entre les deux. Les patients ne peuvent pas tout faire. Ils doivent travailler avec les entreprises pharmaceutiques. Ils vont devoir travailler... La clé, selon moi, est d'identifier très tôt le plus grand nombre de patients possible, pour éviter qu'ils ne tombent entre les mailles du filet et pour qu'ils arrivent à la fin de leur odyssée diagnostique le plus rapidement possible. Ainsi, ils passent plus vite au traitement.

• (0910)

Le président: Monsieur Davies.

M. Don Davies (Vancouver Kingsway, NPD): Merci, monsieur le président.

Merci à tous les témoins.

Docteur Lexchin, je veux m'adresser à vous en premier. Dans l'article que vous avez rédigé pour le magazine *Maclean's* en mars 2018, vous disiez ceci:

Si certains médicaments ne sont pas vendus au Canada, c'est à cause de la taille relativement restreinte du marché canadien, non pas des prix.

La vérité est que seuls les États-Unis et la Suisse dépensent plus que le Canada, par habitant, pour les médicaments d'ordonnance, sur les 31 pays industrialisés de l'Organisation de coopération et de développement économiques.

Présentement, dans les pays où le prix des médicaments est moins élevé qu'au Canada, par exemple, en France ou au Royaume-Uni, l'accès aux nouveaux médicaments et vaccins vitaux est-il plus lent ou plus restreint?

Dr Joel Lexchin: Non, pas du tout. Avant toute chose, soyons clairs: selon des études objectives, seulement un dixième des nouveaux médicaments qui arrivent sur le marché annuellement ont un effet notable dans le cadre des traitements. Plus de la moitié des médicaments mis sur le marché chaque année sont en fait des succédanés. En d'autres mots, ce sont des médicaments qui permettent d'occuper une place sur le marché, mais qui n'offrent aucun bienfait supplémentaire.

En ce qui concerne la rapidité de l'accès aux médicaments, cela dépend largement de la taille du marché. Le Canada, comme la représentante de Janssen l'a dit, compte pour 2 % du marché mondial, et les États-Unis, 40 %. Certains pays d'Europe représentent 10 % du marché. Les entreprises vont vers ces marchés en premier, parce que cela leur permet de réaliser des profits plus rapidement. Elles s'intéressent au marché canadien ensuite. À dire vrai, les entreprises attendent environ six mois de plus, par rapport aux États-Unis, avant de présenter une demande d'approbation au Canada.

M. Don Davies: J'aimerais aborder maintenant un sujet délicat dont personne ne veut jamais parler, en ce qui concerne les maladies rares et les médicaments d'ordonnance: le prix. Dans votre article, vous dites aussi: « il y a maintenant sur le marché canadien 19 médicaments qui coûtent 50 000 \$ ou plus par année. Il y a une dizaine d'années, il n'y en avait que six. »

Vous avez utilisé l'exemple d'un médicament d'importance vitale pour le traitement de la cystinose, une maladie rare qui touche probablement une centaine de personnes au Canada. Vous avez dit que le prix du médicament allait « bientôt passer de 10 000 \$ par année à plus de 300 000 \$ annuellement ». Vous avez aussi dit que la nouvelle forme posologique du produit médicamenteux « contenait les mêmes ingrédients actifs que l'ancienne forme », et que « la seule différence tenait à l'enrobage qui faisait en sorte que les produits chimiques étaient libérés plus lentement dans l'organisme ». Vous avez souligné que « les activités de recherche et de développement de base... avaient été financées non pas par les entreprises pharmaceutiques, mais par des groupes de patients », et que « Horizon Pharma n'a jamais justifié publiquement le changement de prix annoncé ».

Pouvez-vous parler au Comité de notre besoin et de notre volonté, à titre de décideurs, de veiller à ce que les Canadiens atteints d'une maladie rare aient accès aux innovations importantes? Comment pouvons-nous mesurer ces coûts énormes par rapport à l'efficacité?

Dr Joel Lexchin: Vous avez mis le doigt sur un problème que les gens ont cerné il y a très longtemps: le fait que les entreprises pharmaceutiques refusent d'ouvrir leurs livres et de révéler les coûts de R-D associés aux nouveaux médicaments. Il y a un montant de 2,6 milliards de dollars qui est sorti dont ne sait trop où et que serait le coût de la mise en marché d'un nouveau médicament. Ce montant a été tiré de données confidentielles qui n'ont jamais été publiées. Si les entreprises pharmaceutiques veulent prouver qu'elles ont besoin de fixer des prix aussi élevés pour leurs nouveaux médicaments, alors elles devraient prouver aux Canadiens et aux assureurs que cela est justifié, dans les faits. Mais jusqu'ici, elles n'ont rien fait de tel.

Dans d'autres pays... Par exemple, vous avez dit que le Canada se classe juste après les États-Unis et la Suisse. Le Danemark dépense 240 \$ par habitant par année en médicaments, par rapport à 700 \$ par personne par année au Canada, et les rues ne sont pas pour autant jonchées de cadavres, parce qu'il y a une pénurie de médicaments.

• (0915)

M. Don Davies: Mais qu'en est-il de l'efficacité? Comment pouvons-nous décider qu'il vaut la peine pour l'État de financer un médicament s'il n'a que peu d'effet, disons? Que doit-on prendre en considération pour prendre ce genre de décision difficile?

Dr Joel Lexchin: Les décisions de ce genre ne sont jamais faciles. Souvent, à dire vrai, lorsque les médicaments pour des maladies rares arrivent sur le marché, nous n'avons pas vraiment suffisamment d'information sur ces produits pour prendre des décisions éclairées, parce que les personnes atteintes sont peu nombreuses. C'est pour cette raison que nous devons poursuivre les études après que les médicaments sont arrivés sur le marché.

Comme le Dr MacKenzie l'a souligné, je crois, si les études que l'on poursuit montrent que ces médicaments ne sont généralement pas utiles pour les personnes, alors nous devons être prêts à arrêter de les payer. S'ils ont des effets bénéfiques, alors, bien sûr, nous devrions continuer à les payer.

M. Don Davies: Docteur MacKenzie, vous avez dit — et pardonnez-moi si j'ai mal compris — qu'il y avait un projet de séquençage de 30 000 échantillons de génomes de patients atteints de maladies rares.

Dr Alex Mackenzie: Oui.

M. Don Davies: Qu'est-ce que le gouvernement fédéral peut faire pour le soutenir?

Dr Alex MacKenzie: Qu'est-ce que le gouvernement peut faire? Marc LePage est ici à titre d'observateur, alors peut-être pourrait-il vous en parler plus tard.

Fondamentalement — et je vais essayer d'éviter le jargon technique —, c'est prévu dans le budget que nous demandons cette année, c'est une partie du financement général que demande Génome Canada. C'est comme cela que le projet sera financé, et je crois qu'il est grand temps que cela se fasse. Comme Michael l'a dit, il y a un projet de séquençage de 5 millions d'échantillons au Royaume-Uni. D'un autre côté, nous visons 30 000. Nous sommes des chefs de file internationaux dans le domaine, et je crois que le rendement du capital investi sera phénoménal.

Vous m'excuserez, je crois avoir été un peu subjectif.

M. Don Davies: Merci.

Madame Silverberg, j'ai une dernière question pour vous. Si j'ai bien compris votre témoignage, vous laissez entendre qu'il y a un lien entre le lancement précoce d'un médicament et le prix. Je crois que vous avez dit qu'une réduction des prix pourrait mettre en péril l'accès précoce des Canadiens aux médicaments. J'ai noté mot pour mot votre témoignage, et vous avez dit qu'un « régime de prix moins avantageux » pourrait restreindre l'accès des Canadiens aux médicaments.

Mais si votre entreprise pharmaceutique veut vraiment accorder la priorité aux patients, comment cela est-il possible?

Mme Stacey Silverberg: Les patients sont véritablement notre priorité. Nous ferons tout en notre pouvoir pour que les médicaments soient accessibles, et ils le seront. Il demeure que nous sommes une entreprise internationale et que cela influence peut-être le moment où les décisions sont prises; les patients de certains pays auront peut-être la chance, encore une fois, d'avoir accès plus tôt aux médicaments.

Nous nous soucions des patients canadiens. Ils auront éventuellement accès aux médicaments, dans la plupart des cas, espérons-le, mais le risque demeure que certains médicaments ne soient pas mis sur le marché ici, parce que, au bout du compte, les décisions doivent être prises en fonction de ce qui est le mieux pour les patients d'autres pays. Nous ne voulons jamais exposer des patients à un risque.

La réalité est que, dans les pays où les prix sont inférieurs à la médiane de l'OCDE... De fait, le CEPMB publie ses propres rapports, alors les données existent. De nouveaux pays, comme les Pays-Bas, seront intégrés au bassin des pays de comparaison. La Nouvelle-Zélande ne fait pas partie des pays de comparaison, mais seulement 16 % des médicaments y sont lancés, parce que la structure de prix n'est pas avantageuse. En Espagne, 21 % des médicaments sont mis sur le marché.

Présentement, dans ce contexte, 50 % des médicaments sur le marché canadien ont été lancés au Canada parce que les prix permettent de...

M. Don Davies: J'ai l'impression que les prix sont votre priorité.

Le président: Je suis désolé, mais votre temps est écoulé.

La parole va à Mme Sidhu.

Mme Sonia Sidhu (Brampton-Sud, Lib.): Merci, monsieur le président.

Merci à vous tous d'être parmi nous.

J'ai des questions pour le Dr MacKenzie et le M. Brudno.

Au sujet des tests néonataux, vous avez dit que 50 % des enfants mouraient avant l'âge de cinq ans. Comment allons-nous trouver une solution pour les tests génétiques néonataux?

Dr Alex MacKenzie: Michael, je vais répondre en premier.

En résumé, je crois que le séquençage de l'ADN en clinique permettra d'identifier les personnes atteintes d'une maladie avant que les symptômes ne se manifestent. C'est la réponse la plus simple. Notre établissement effectue des tests de dépistage sur 150 000 bébés par année. Pour l'Ontario, les tests visent 40 maladies. Grâce au séquençage de l'exome, une nouvelle technique, nous entrons dans un nouveau monde de possibilités où il sera possible de dépister des centaines et des milliers de troubles avant que les symptômes apparaissent.

• (0920)

M. Michael Brudno: À ce chapitre, je suis quelque peu en désaccord avec mon collègue. Je ne crois pas que les tests génétiques visant à dépister des maladies au stade présymptomatique soient pour tout de suite. Malgré tout, la capacité d'effectuer un test très rapidement dès l'apparition des symptômes peut améliorer énormément le pronostic.

Aux États-Unis, la nouvelle norme qui est en train de s'implanter dans les unités de soins intensifs néonataux, c'est un test génétique en 48 heures. Quand arrive un bébé extrêmement malade, on procède à une analyse du génome. On fait un test. On essaie de déterminer le traitement adéquat dans les 48 heures, au lieu d'essayer une option, une autre option, puis une troisième option, et tout cela, pendant que l'état du bébé continue de se détériorer, ce qui peut entraîner des lésions irréversibles, même une fois qu'on aura cerné le bon traitement. Certains troubles épileptiques font pour ainsi dire cuire le cerveau du bébé avant que les médicaments aient pu faire effet. Vous devez trouver le bon médicament, et le trouver rapidement.

Les régimes de dépistage très rapide qu'on essaie de mettre en place, par exemple dans le cadre de la Precision Medicine Initiative, constituent une bonne approche.

Mme Sonia Sidhu: Merci.

L'intelligence artificielle semble très prometteuse pour ce qui est d'aider les gens atteints de maladies rares et orphelines.

Quels sont les principaux avantages de l'intelligence artificielle? Pouvez-vous nous les expliquer? Ian, pouvez-vous aussi nous donner votre opinion sur le sujet?

M. Michael Brudno: L'« intelligence artificielle » est synonyme d'« informatique très avancée ».

Il existe des outils informatiques de pointe qui peuvent aider les gens à toutes les étapes de leur vie. Grâce à Siri ou à l'Assistant Google, une simple commande vocale vous permet de faire des choses beaucoup plus rapidement que si vous aviez dû écrire ou saisir une commande sur votre téléphone.

C'est la même chose pour les maladies rares. L'intelligence artificielle peut aider les patients sous traitement qui ont besoin d'aide pour accomplir des tâches du quotidien; l'intelligence artificielle peut les faire à leur place.

En même temps, l'intelligence artificielle est aussi au coeur de nos méthodes d'analyse génétique. Comme nous disposons d'un grand nombre de génomes, nous sommes capables d'en tirer de l'information, de repérer des modifications génétiques et de les associer à des résultats cliniques et de comprendre pourquoi la même mutation génétique chez deux personnes différentes n'aura pas les

mêmes effets; l'une va peut-être jouer au soccer, tandis que l'autre sera branchée à un respirateur et sera incapable de marcher.

Aux fins des solutions de l'intelligence artificielle, nous avons absolument besoin d'un nombre croissant de patients et d'un nombre croissant de données. Cela nous permet de comprendre en quoi deux patients sont différents et de prédire, dans le cas des nouveaux patients, le pronostic le plus probable et l'intervention la plus appropriée.

Dr Alex MacKenzie: Pour les maladies rares, cela sert aussi à la configuration thérapeutique. Nous cernons des possibilités de traitement sans avoir à retourner aux tables et aux tubes d'essai. Nous procédons simplement à une analyse informatique.

Mme Sonia Sidhu: Merci.

Madame Silverberg, l'hypertension pulmonaire est-elle considérée comme une maladie rare?

Mme Stacey Silverberg: Oui, c'est effectivement défini comme étant une maladie rare.

Mme Jacqueline Dobson (gestionnaire, affaires gouvernementales et politiques, Affaires gouvernementales et accès au marché, Janssen Inc. Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson): Aux fins du compte rendu, le nom complet est hypertension artérielle pulmonaire, ou HTAP pour faire court.

Mme Stacey Silverberg: C'est la forme la plus rare de...

Mme Sonia Sidhu: Lorsque les gens participent à des essais cliniques, croyez-vous que les essais sont plus efficaces quand les échantillons sont plus nombreux?

Il arrive qu'une population entière ne puisse pas participer aux essais cliniques. Comment mesurez-vous l'efficacité des essais?

Mme Stacey Silverberg: Ce n'est pas mon domaine d'expertise, mais je me ferai un plaisir de vous faire parvenir la réponse plus tard.

Mme Sonia Sidhu: Quelqu'un d'autre?

Dr Alex MacKenzie: Les grands essais sont impossibles. Parfois, il n'y a qu'un seul essai, parce que c'est une maladie très rare. Vous devez alors être extrêmement rigoureux en ce qui concerne les marqueurs biologiques et vous assurer qu'il est possible de trouver une réponse aux questions que vous posez.

C'est une nouvelle façon de faire les essais cliniques, c'est certain.

Mme Jacqueline Dobson: Les essais cliniques ne représentent que l'une des trois phases.

Comme vous pouvez certainement l'imaginer, la difficulté s'accroît à chaque phase du processus, même avant d'en arriver à la réglementation des prix et à nos groupes de commercialisation qui se chargent de communiquer avec les provinces pour l'inscription à la liste.

Mme Sonia Sidhu: Merci.

Selon le Dr Craig Campbell, médecin au département de pédiatrie et de neurologie du centre des sciences de la santé de l'Hôpital pour enfants de London, qui a témoigné devant le Comité, les registres sont essentiels à la collecte de données sur les avantages et les risques des nouveaux médicaments pour traiter les maladies rares.

Pouvez-vous nous dire quelles mesures supplémentaires Santé Canada pourrait prendre afin de soutenir la surveillance de l'efficacité et de l'innocuité d'un médicament? Comment assurer une plus grande efficacité?

Docteur MacKenzie.

•(0925)

Dr Alex MacKenzie: Craig Campbell, un collègue distingué, a constitué un registre canadien des maladies neuromusculaires à partir de Calgary. Son registre de maladies est très impressionnant. Il permet de recueillir des données sur l'innocuité et de faire les essais cliniques. C'est un modèle idéal de la façon dont les choses devraient être faites dans un monde idéal.

Je crois que, à mesure que les entreprises mettent au point de nouveaux médicaments, il sera important d'établir ce genre de réseaux et de recueillir des données pour s'assurer de l'efficacité et de l'innocuité des médicaments. Je sais qu'il y a eu des échanges entre le Registre canadien des maladies neuromusculaires et Biogen relativement à l'amyotrophie spinale, par exemple.

Je crois que c'est quelque chose d'extrêmement important et que nous devons constituer un registre. Au bout du compte, le but n'est pas de poursuivre le projet de Génome Canada, mais de créer des registres de ce genre. L'ajout des génomes liés à des maladies rares offrira pour cela une bonne plateforme.

Mme Sonia Sidhu: Existe-t-il une base de données centrales, relativement à ce registre?

Dr Alex MacKenzie: C'est quelque chose de complexe. Mike y consacre beaucoup de temps.

En ce qui touche au séquençage génétique, oui... Pour ce qui est de la description proprement dite de la maladie, il y a ce qu'on appelle l'ontologie des phénotypes humains. C'est le vocabulaire associé aux phénotypes humains que Mike utilise.

Voulez-vous ajouter quelque chose?

M. Michael Brudno: Je veux seulement mentionner que la plupart des registres sont maintenus soit par les chercheurs, soit par les cliniciens qui détiennent de l'information.

Il faut faire davantage d'effort afin d'obtenir plus d'information directement des patients. L'information qui vient directement des patients sera, dans certains cas, évidemment moins fiable, mais les cliniciens ne voient jamais certains aspects des maladies, les choses qui ne se produisent que la nuit ou les choses importantes que le patient vit, mais dont il ne discute pas avec le clinicien.

M. Ian Stedman: Oui. Par exemple, ma maladie se traduit chez moi par sept symptômes différents, mais je ne les ai jamais regroupés. Quand j'étais jeune et que j'allais voir mon médecin, je ne mentionnais qu'un symptôme à la fois, celui qui me causait des problèmes cette journée-là ou cette semaine-là.

Si je pouvais faire le suivi de ce qui m'arrive au quotidien, si l'information était inscrite quelque part, dans un registre, par exemple, avec celle des personnes présentant des symptômes similaires, alors, qui sait...

Mme Sonia Sidhu: Cela pourrait être aussi utile pour les autres patients.

Merci.

Le président: Nous sommes à court de temps, et c'est bien dommage, parce que j'ai l'impression que nous avons à peine effleuré la surface de tout ce que vous aviez à nous apprendre sur le sujet.

Dr Alex MacKenzie: C'est ce que nous voulons de tout coeur.

Le président: Docteur MacKenzie, vous vouliez faire un commentaire sur une des questions de M. Kmiec, mais je suis passé à côté. Vous m'avez fait signe que vous vouliez faire un

commentaire. Je ne me rappelle plus de quelle question il s'agissait, mais si vous vous en souvenez, je vous invite à faire votre commentaire.

Dr Alex MacKenzie: Ce devait être un spasme musculaire, qui sait.

Des voix: Ha! Ha!

Dr Alex MacKenzie: Je veux souligner que j'ai été très impressionné par la qualité des questions posées. Vous avez vraiment réfléchi au sujet.

Le président: Avec un comité si compétent, mon travail est vraiment très facile, sans parler de la qualité de nos témoins. Les membres du Comité font leur travail. Je crois que nous sommes le plus productif des comités, et que nous avons les meilleurs témoins.

Mme Marilyn Gladu (Sarnia—Lambton, PCC): Bravo!

Le président: J'ai deux ou trois questions à poser à M. Stedman. Votre fille a reçu son diagnostic à la naissance.

M. Ian Stedman: Cela a pris presque deux ans.

Le président: Mais elle était probablement atteinte de cette maladie à la naissance.

M. Ian Stedman: Oui.

Le président: Vous aussi, probablement.

M. Ian Stedman: Toute ma vie.

Le président: Et vos parents?

M. Ian Stedman: Ma mère a aussi reçu le diagnostic, mais je l'ai laissée en dehors de tout ça.

Le président: Votre mère a reçu le sien après vous.

M. Ian Stedman: Oui, elle était dans la soixantaine.

Le président: Quelle est la cause?

M. Ian Stedman: C'est génétique. Nous ne savons pas. Nous ne pouvons pas remonter plus loin. Sa mère était déjà mourante. Nous ne pouvons pas remonter plus loin pour savoir d'où vient la maladie. Depuis, nous avons appris que deux membres de sa fratrie ainsi que certains de ses neveux et nièces sont atteints.

Le président: Je vois. Mais d'où vient le syndrome de Muckle-Wells?

M. Ian Stedman: Quand nous avons reçu notre diagnostic, nous étions les 11^e, 12^e et 13^e au Canada. Cependant, il s'agit d'une sous-variante dans un certain groupe de maladies. À l'époque, on croyait qu'une quarantaine de personnes au Canada étaient atteintes. Aujourd'hui, nous savons qu'il y en a des centaines; énormément de personnes reçoivent le diagnostic. J'espère que nous pourrions faire la lumière sur la situation, mais pour l'instant, nous sommes dans l'ombre... La maladie a été identifiée et il existe un traitement, mais nous ne savons rien du côté étiologique.

Dr Alex MacKenzie: Souvent, un médecin qui découvre une nouvelle maladie, décide, en toute générosité, de lui donner son nom. Nous sommes altruistes de nature.

Des voix: Ha! Ha!

Le président: Merci beaucoup, tout le monde.

Je remercie chaleureusement les membres du Comité ainsi que nos analystes et notre greffière de leur bon travail.

La séance est levée.

Publié en conformité de l'autorité
du Président de la Chambre des communes

PERMISSION DU PRÉSIDENT

Les délibérations de la Chambre des communes et de ses comités sont mises à la disposition du public pour mieux le renseigner. La Chambre conserve néanmoins son privilège parlementaire de contrôler la publication et la diffusion des délibérations et elle possède tous les droits d'auteur sur celles-ci.

Il est permis de reproduire les délibérations de la Chambre et de ses comités, en tout ou en partie, sur n'importe quel support, pourvu que la reproduction soit exacte et qu'elle ne soit pas présentée comme version officielle. Il n'est toutefois pas permis de reproduire, de distribuer ou d'utiliser les délibérations à des fins commerciales visant la réalisation d'un profit financier. Toute reproduction ou utilisation non permise ou non formellement autorisée peut être considérée comme une violation du droit d'auteur aux termes de la *Loi sur le droit d'auteur*. Une autorisation formelle peut être obtenue sur présentation d'une demande écrite au Bureau du Président de la Chambre.

La reproduction conforme à la présente permission ne constitue pas une publication sous l'autorité de la Chambre. Le privilège absolu qui s'applique aux délibérations de la Chambre ne s'étend pas aux reproductions permises. Lorsqu'une reproduction comprend des mémoires présentés à un comité de la Chambre, il peut être nécessaire d'obtenir de leurs auteurs l'autorisation de les reproduire, conformément à la *Loi sur le droit d'auteur*.

La présente permission ne porte pas atteinte aux privilèges, pouvoirs, immunités et droits de la Chambre et de ses comités. Il est entendu que cette permission ne touche pas l'interdiction de contester ou de mettre en cause les délibérations de la Chambre devant les tribunaux ou autrement. La Chambre conserve le droit et le privilège de déclarer l'utilisateur coupable d'outrage au Parlement lorsque la reproduction ou l'utilisation n'est pas conforme à la présente permission.

Aussi disponible sur le site Web de la Chambre des communes à l'adresse suivante : <http://www.noscommunes.ca>

Published under the authority of the Speaker of
the House of Commons

SPEAKER'S PERMISSION

The proceedings of the House of Commons and its Committees are hereby made available to provide greater public access. The parliamentary privilege of the House of Commons to control the publication and broadcast of the proceedings of the House of Commons and its Committees is nonetheless reserved. All copyrights therein are also reserved.

Reproduction of the proceedings of the House of Commons and its Committees, in whole or in part and in any medium, is hereby permitted provided that the reproduction is accurate and is not presented as official. This permission does not extend to reproduction, distribution or use for commercial purpose of financial gain. Reproduction or use outside this permission or without authorization may be treated as copyright infringement in accordance with the *Copyright Act*. Authorization may be obtained on written application to the Office of the Speaker of the House of Commons.

Reproduction in accordance with this permission does not constitute publication under the authority of the House of Commons. The absolute privilege that applies to the proceedings of the House of Commons does not extend to these permitted reproductions. Where a reproduction includes briefs to a Committee of the House of Commons, authorization for reproduction may be required from the authors in accordance with the *Copyright Act*.

Nothing in this permission abrogates or derogates from the privileges, powers, immunities and rights of the House of Commons and its Committees. For greater certainty, this permission does not affect the prohibition against impeaching or questioning the proceedings of the House of Commons in courts or otherwise. The House of Commons retains the right and privilege to find users in contempt of Parliament if a reproduction or use is not in accordance with this permission.

Also available on the House of Commons website at the following address: <http://www.ourcommons.ca>