

De la recherche à la réalité

Le Comité d'experts sur l'approbation et l'utilisation des thérapies géniques somatiques au Canada



L'utilisation des thérapies géniques est en cours d'approbation au Canada, mais pourrait exercer d'importantes pressions sur les budgets de santé publique et exacerber les inégalités existantes en matière de traitement au pays. Selon un nouveau rapport d'un comité d'experts du Conseil des académies canadiennes (CAC), il existe toutefois des possibilités de contrôler les dépenses, de simplifier les processus d'approbation et de favoriser un accès équitable grâce à l'innovation, à la coordination et à la collaboration.

Le rapport *De la recherche à la réalité* décrit les étapes d'approbation et d'utilisation des thérapies géniques au Canada, examine les défis associés à la supervision réglementaire, à la fabrication, à l'accès et à l'abordabilité. Il recense également les solutions émergentes qui peuvent s'appuyer sur les atouts existants du Canada dans la recherche, la fabrication et l'accessibilité aux soins de santé.



La diversité des thérapies géniques exige une approche flexible et personnalisée pour faire face aux difficultés d'accès et d'abordabilité

Les thérapies géniques sont très différentes les unes des autres. Ces différences sont liées aux types de maladies traitées, à la manière dont le matériel génétique est modifié, à la manière dont elles sont administrées et à la façon dont le matériel génétique est introduit dans les cellules. Chaque thérapie génique possède son propre profil relativement à ces quatre dimensions, avec des répercussions sur la sécurité, l'efficacité, les coûts et la complexité en matière de fabrication et de fourniture. La disponibilité de traitements substituts, la taille de la population étudiée et les éventuelles complications augmentent encore davantage la complexité des thérapies géniques.

Cette diversité exige une approche flexible de la prise de décision lors du passage des thérapies géniques par les étapes d'approbation réglementaire, de décision de financement, de fabrication et finalement d'utilisation dans les cliniques. La conception des essais cliniques peut être difficile, l'accès à ceux-ci peut être compliqué par des exigences poussées concernant la fabrication et la fourniture, et la valeur des thérapies peut être améliorée quand elles peuvent être utilisées pour traiter plusieurs maladies pour lesquelles il n'existe pas de traitements substituts. Quand les approches de réglementation, de fourniture et de remboursement sont flexibles, les décideurs peuvent s'adapter à ces défis potentiels et améliorer l'abordabilité et l'accès. Cette flexibilité croissante peut être observée dans la nouvelle approche de Santé Canada concernant l'examen des produits thérapeutiques de pointe, l'apparition de registres collaboratifs sur les patients et les ajustements des processus d'évaluation des technologies de la santé (ETS).



Des accords d'achat basés sur les risques et la surveillance post-commercialisation pourraient atténuer le caractère significatif des incertitudes cliniques et économiques liées aux thérapies géniques approuvées

La sécurité et la durabilité à long terme des thérapies géniques sont incertaines du fait de leur lancement récent sur le marché et de la courte période d'essais cliniques relatifs aux répercussions anticipées à long terme des thérapies. Cette incertitude pose des problèmes aux autorités de réglementation, aux organismes d'ETS et aux régimes d'assurance-médicaments publics qui doivent prendre des décisions en dépit du peu d'informations. Des accords basés sur le rendement pourraient être conclus entre les payeurs et les fabricants pour partager les risques liés au financement des thérapies géniques. De plus, la surveillance continue de la performance des thérapies approuvées pourrait aider à diminuer cette incertitude au fil du temps. La surveillance post-commercialisation pourrait être utilisée pour guider les réévaluations réglementaires et économiques des thérapies géniques approuvées au fur et à mesure que le corpus de données probantes s'agrandit.



Les prix élevés, la complexité de la fourniture et la nature des maladies traitées par les thérapies géniques amplifient les inégalités existantes dans l'accès aux soins

Jusqu'à ce jour, les coûts des thérapies géniques approuvées étaient de l'ordre de centaines de milliers de dollars, et ces prix n'incluent pas les coûts supplémentaires éventuels liés aux soins hospitaliers. Cela exige un examen minutieux de la valeur et de l'abordabilité des thérapies géniques par les régimes d'assurance-médicaments publics. Les autorités administratives peuvent prendre des décisions de financement différentes en fonction de leurs propres évaluations, ce qui conduit à un accès inégal d'une région à une autre. Pour compliquer encore les défis d'accès, les thérapies géniques complexes seront probablement offertes seulement dans les grands hôpitaux des régions urbaines qui possèdent une infrastructure avancée et le personnel requis pour les administrer et en gérer les effets indésirables. Les patients atteints de maladies rares peuvent être confrontés à des difficultés supplémentaires quand il s'agit de recevoir des diagnostics exacts et d'avoir accès aux traitements à coût élevé dans les systèmes publics de soins de santé.



Différentes conceptions de la valeur peuvent créer des désaccords sur les mérites du financement public des thérapies géniques individuelles

Inévitablement, les payeurs publics sont appelés à faire des compromis. D'un côté, ils souhaitent maximiser les gains de santé à l'échelle de la population en finançant les médicaments qui offrent la meilleure amélioration de l'espérance de vie et de la qualité de vie à moindre coût. De l'autre, ils envisagent aussi de financer des médicaments plus chers en fonction d'autres valeurs comme la gravité, la rareté et la nouveauté de la maladie, ainsi que du manque de traitements substituts. Ces compromis font depuis longtemps l'objet de débats, où des arguments éthiques bien établis viennent conforter les différentes conceptions de valeur. Selon la recherche existante au Canada et en Europe, la société semble être largement en faveur du financement des médicaments qui offrent les meilleures améliorations à moindre coût, mais favorise le financement des médicaments relativement chers dans les seuls cas où la maladie est sévère et où il y a un manque de traitements substituts. Une meilleure transparence des évaluations des valeurs pourrait améliorer l'uniformité des décisions et faciliter la gestion des attentes des patients et des commanditaires.



Une coordination pancanadienne pourrait permettre de contrôler les dépenses et d'améliorer l'accès aux thérapies géniques

Des efforts coordonnés pour gérer les prix des médicaments sont déjà bien en place. L'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) mène des négociations sur les prix des médicaments au nom d'un grand nombre de régimes d'assurance-médicaments publics, pour aider à limiter et à égaliser les coûts, tandis que le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) exerce une surveillance fédérale sur les prix des médicaments brevetés, pour s'assurer qu'ils ne sont pas excessifs. La coordination pourrait être améliorée grâce à un programme national d'assurance-médicaments, qui fournirait une approche commune aux examens réglementaires, aux ETS et aux négociations sur le prix, ce qui pourrait réduire la durée globale de l'examen et égaliser l'accès dans l'ensemble du pays. Même en l'absence d'un programme national, les provinces, les territoires et le gouvernement fédéral pourraient collaborer pour établir des approches et des principes communs concernant l'accès aux thérapies à coût élevé. Les autres domaines de collaboration comprennent le développement et la gestion de registres, la formation de personnel hautement qualifié et la capacité de fabrication.



Une bonne gestion des investissements publics dans la recherche sur les thérapies géniques pourrait atténuer les défis liés à la commercialisation et aux coûts élevés des médicaments

Malgré des investissements publics rapides dans la recherche, les technologies sont souvent transférées vers le secteur privé au fur et à mesure que les thérapies géniques approchent de la commercialisation. Dans ce processus, le secteur public perd ses droits de propriété intellectuelle sur les produits qu'il a aidé à développer. La cession de brevets a été proposée comme un mécanisme d'amélioration de la valeur des investissements publics dans la recherche. Si les brevets sont vendus au secteur privé, il pourrait également être possible d'y inclure des clauses de fixation des prix des médicaments au bénéfice du public. La fabrication et la commercialisation publiques des thérapies géniques offrent des options supplémentaires pour la protection des investissements publics. Grâce à ces contrôles, le public pourrait potentiellement exercer une plus grande influence sur les prix et l'accessibilité de ces nouvelles thérapies géniques.