

27 mars 2010

Helen Stevenson  
Sous-ministre adjointe et administratrice en chef  
Programmes publics des médicaments de l'Ontario  
Ministère de la Santé et des Soins de longue durée  
Édifice Hepburn  
80, rue Grosvenor, 11<sup>e</sup> étage  
Toronto (Ontario) M7A 1E9

Madame Stevenson,

Je vous écris au nom du Conseil des citoyens de l'Ontario pour vous présenter nos recommandations concernant la question sur laquelle on nous a demandé de nous pencher lors de notre rencontre de janvier 2010 : « ***Dans quelles situations ou conditions le gouvernement de l'Ontario (c.-à-d. les contribuables) devrait-il payer les médicaments servant à traiter les maladies rares?*** »

Les membres du Conseil des citoyens se sentent privilégiés d'avoir été choisis pour cette importante tâche consistant à prodiguer des conseils en matière de médicaments servant à traiter les maladies rares pour les programmes publics des médicaments de l'Ontario, un des programmes administrés par le ministère de la Santé et des Soins de longue durée.

Cette analyse centrée sur l'Ontario s'est déroulée dans l'ombre du débat omniprésent sur les soins de santé qui fait rage aux États-Unis. Cet aspect a donné à réfléchir au ton houleux que peuvent prendre les discussions sur les soins de santé. Heureusement, le climat dans lequel les délibérations du Conseil des citoyens de l'Ontario se sont déroulées fut respectueux et productif. Nos délibérations ont mené aux recommandations contenues dans le présent rapport.

Les conférenciers de la collectivité médicale et des soins de santé ont insisté sur le fait que les délibérations du Conseil étaient cruciales, étant donné le nombre de maladies rares portées à leur connaissance, les défis que comportent une prise de décision juste et transparente en matière de financement des médicaments permettant de les traiter, ainsi que les pressions et motivations des compagnies pharmaceutiques pour concevoir et mettre en marché des médicaments servant à traiter les maladies rares.

L'impact d'ajouter à la liste des médicaments disponibles constitue bien sûr un avantage pour les patients, en même temps qu'il crée une contrainte financière pour le système de

soins de santé. Cette réalité est si évidente que le Conseil des citoyens a senti le besoin de recommander que le Ministère mette sur pied un plan pour retirer du Formulaire les médicaments qui ne sont plus efficaces. Nous savons que cette recommandation sort du cadre de la question posée au Conseil. Cependant, elle pourrait permettre de réserver des fonds à l'ajout de nouveaux médicaments au besoin.

Le Conseil accepte que les médicaments servant à traiter les maladies rares ne peuvent satisfaire les critères habituels pour en mesurer l'efficacité. Nous soutenons le modèle proposé pour le financement des médicaments servant à traiter les maladies rares et qui tient compte de la difficulté inhérente à l'approbation de médicaments servant à traiter des maladies à faible prépondérance. Cependant, il reste un problème auquel il n'existe pas de solution simple, c'est-à-dire évaluer la qualité de vie éventuelle d'un patient ou son espérance de vie possible, avec ou sans le médicament. Enfin, nous croyons qu'il faut procéder à une évaluation compatissante sur les effets de la maladie et de son traitement, non seulement sur le patient, mais sur les membres de sa famille immédiate.

Le Conseil considère que le registre du Ministère en matière d'élaboration, d'acquisition et de distribution publique des médicaments servant à traiter les maladies rares a été bien pensé. Au même moment, le Conseil, à la demande du Ministère, a répondu à une série de questions critiques dont on doit tenir compte dans la prise de décision en matière de financement des médicaments servant à traiter les maladies rares. Les réponses à ces questions se trouvent à la fin du rapport.

À moins que le ministère de la Santé et des Soins de longue durée fournisse les médicaments à toutes les personnes atteintes d'une maladie rare, lui et ses administrateurs seront toujours dans la position inconfortable d'expliquer à une personne malade et à ses proches qu'un « service bureaucratique gouvernemental » a refusé le traitement. Cela ne suffira pas à rappeler à un patient que la « valise budgétaire » du Ministère ne peut contenir qu'un maximum sans obliger le gouvernement à sabrer d'autres services. Les raisons invoquées peuvent être parfaitement logiques, défendables d'un point de vue bureaucratique et même valables d'un point de vue scientifique, mais elles ne seront probablement pas facilement acceptées au niveau où se trouvent la plupart des gens dans cette situation : au niveau de leurs émotions.

Afin d'offrir une certaine aide aux professionnels de la santé pour faire face à cette situation très chargée, le Conseil presse le Ministère de faire connaître ses politiques et procédures en matière d'approbation de médicaments et de retrait de vieux médicaments. Ces explications doivent s'adresser non seulement à ceux souffrant de maladies rares, mais aussi au public en général.

Nous vous remercions de cette occasion de prendre part à ce débat intéressant et important.

Veillez agréer l'expression de mes sentiments les meilleurs

Gerri Gershon  
Conseil des citoyens de l'Ontario

## **MEMBRES**

Mme Benita Baker

M. Nigel Berrisford

Mme Shelley Blidner

M. Jeff Bondett

Mme Louise Bourgault

Mme Beverley Browne

Mme Donna Edwards

Mme Jane Ewing

M. Prem Lachhman

M. Mike Malesivich

Mme Sherry Marshall

Mme Debbie Marson

Mme Dorothy Modritsch

M. Robert Moore

Mme Josephine Quercia

M. Bruce Raymond

M. Marc Scott

M. Abe Schwartz

Mme Andrea Segal

Mme Sharon Smith

Mme Theresa Tasse

M. Gary Wasserman

M. Larry Westlake

Mme Carol Ann Wilson

M. L. Craig Wolverton

**RAPPORT DU CONSEIL DES CITOYENS DE L'ONTARIO**

**POINTS À EXAMINER CONCERNANT LE FINANCEMENT DES  
MÉDICAMENTS SERVANT À TRAITER LES MALADIES RARES**

Présenté à :

Helen Stevenson  
Sous-ministre adjointe et administratrice en chef  
Programmes publics des médicaments de l'Ontario  
Ministère de la Santé et des Soins de longue durée  
Édifice Hepburn  
80, rue Grosvenor, 11<sup>e</sup> étage  
Toronto (Ontario) M7A 1E9

31 mars 2010

Présenté par :

Gerri Gershon  
Présidente  
Conseil des citoyens de l'Ontario

## TABLE DES MATIÈRES

<b>RÉSUMÉ</b> .....	6
<b>1.0 LA QUESTION</b> .....	9
<b>2.0 PRÉPARATION AUX DÉLIBÉRATIONS</b> .....	9
<b>3.0 POINT À EXAMINER POUR LES MÉDICAMENTS SERVANT À TRAITER LES MALADIES RARES</b> .....	11
3.1 <i>Qu'est-ce qu'une maladie rare?</i> .....	11
3.2 <i>Comment se traitent les maladies rares?</i> .....	11
3.3 <i>Vivre avec une maladie rare</i> .....	11
3.4 <i>Financement des médicaments servant à traiter les maladies rares</i> .....	11
<b>4.0 DE QUELLE MANIÈRE A PROCÉDÉ LE CONSEIL</b> .....	12
4.1 <i>Quatre façons de réfléchir au financement des médicaments servant à traiter les maladies rares</i> .....	13
4.2 <i>Faits saillants de chaque approche</i> .....	14
<b>5.0 OPINIONS DU CONSEIL SUR LES VALEURS SOCIÉTALES PERTINENTES ET RECOMMANDATIONS CONNEXES</b> .....	15
5.1 <i>Compassion</i> .....	15
5.2 <i>Équité et justice</i> .....	15
5.3 <i>Équilibre entre l'intérêt commun et les besoins de certaines personnes</i> .....	15
5.4 <i>Responsabilité financière</i> .....	15
5.5 <i>Imputabilité envers les contribuables</i> .....	15
5.6 <i>Progression des connaissances médicales</i> .....	16
5.7 <i>Décisions fondées sur les données probantes</i> .....	16
5.8 <i>Responsabilité partagée</i> .....	16
5.9 <i>Importance de la qualité de vie et de la longévité</i> .....	16
5.10 <i>Autres sujets de préoccupation</i> .....	17
<b>6.0 MODÈLE PROPOSÉ DE FINANCEMENT DES MÉDICAMENTS SERVANT À TRAITER LES MALADIES RARES</b> .....	18
<b>7.0 RÉPONSES DU CONSEIL AU MODÈLE ET AUX QUESTIONS DE L'ADMINISTRATRICE EN CHEF</b> .....	19
7.1 <i>Conditions rendant un financement possible</i> .....	19
7.2 <i>Collecte de données et suivi obligatoires</i> .....	20

7.3	<i>Critères permettant de commencer le financement d'un médicament pour un patient.....</i>	20
7.4	<i>Critères pour cesser le financement pour un patient.....</i>	20
<b>8.0</b>	<b>CONCLUSION.....</b>	<b>21</b>

## ANNEXES

<b>Annexe 1 : Conseil des citoyens de l'Ontario .....</b>	<b>22</b>
<b>Annexe 2 : Ordre du jour .....</b>	<b>24</b>
<b>Annexe 3 : Vivre avec une maladie rare : présentateurs.....</b>	<b>29</b>
<b>Annexe 4 : Directives pour le dialogue.....</b>	<b>30</b>

## SITES WEB PERTINENTS

Pour obtenir des renseignements sur le Conseil des citoyens, y compris son mandat, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugs/councils/citizens\\_council.aspx](http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugs/councils/citizens_council.aspx)

Pour obtenir des renseignements sur la façon dont les médicaments sont approuvés en Ontario, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/how\\_drugs\\_approv/how\\_drugs\\_approv.html](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/how_drugs_approv/how_drugs_approv.html) (en anglais seulement)

Pour des renseignements sur les maladies rares, [cliquez ici](#) ou visitez le site Web de la Canadian Organization for Rare Disorders (CORD) [www.raredisorders.ca/links.html](http://www.raredisorders.ca/links.html) (en anglais seulement)

Pour un glossaire des termes reliés aux programmes publics des médicaments de l'Ontario, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/dr\\_glossary/opdp\\_glossary.pdf](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/dr_glossary/opdp_glossary.pdf) (en anglais seulement)

Pour obtenir des renseignements sur le Programme de médicaments de l'Ontario, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse <http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugs/default.aspx>

Pour obtenir des renseignements sur le Programme d'accès exceptionnel du ministère, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugreforms/bill\\_102/patientaccess/exceptional\\_access.aspx](http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugreforms/bill_102/patientaccess/exceptional_access.aspx)

Pour obtenir des renseignements sur la politique de financement pour raisons humanitaires, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/pdf/compassionate\\_review\\_policy.pdf](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/pdf/compassionate_review_policy.pdf) (en anglais seulement)

Pour obtenir des renseignements sur le Comité d'évaluation des médicaments, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/how\\_drugs\\_approv/funding\\_ced.html](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/how_drugs_approv/funding_ced.html)  
(en anglais seulement)

Pour connaître les présentations faites au Conseil des citoyens concernant les maladies rares, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugs/councils/citizens\\_council.aspx](http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugs/councils/citizens_council.aspx)

## RÉSUMÉ

Le Conseil des citoyens de l'Ontario est formé de vingt-cinq Ontariens de toutes les couches de la société et nommés par le ministre de la Santé et des Soins de longue durée afin qu'ils expriment leur point de vue concernant les valeurs représentatives des besoins, de la culture et de l'attitude des citoyens de l'Ontario à l'égard de la politique du gouvernement provincial en matière de médicaments. Le Conseil se rapporte à l'administratrice en chef des programmes publics des médicaments de l'Ontario et au ministre.

Lors de sa première rencontre de fond en janvier 2010, le Conseil a reçu le mandat de donner son point de vue sur les valeurs qui devraient influencer les décisions de financement de médicaments servant à traiter les maladies rares.

À l'aide de présentations faites par des experts et des patients atteints d'une maladie rare et au moyen de discussions animées, les membres du Conseil ont défini plusieurs valeurs sociétales importantes et fait des recommandations pour chacune d'elles. Ils ont également étudié un modèle proposé d'évaluation des médicaments servant à traiter les maladies rares à la lumière de ces valeurs et principes. Les membres se sont entendus pour dire que l'utilisation du modèle proposé pour évaluer des médicaments dans le contexte particulier des maladies rares permettrait d'en arriver à des mécanismes de financement qui respectent les valeurs recommandées.

L'administratrice en chef avait demandé aux membres du Conseil de lui donner leur point de vue sur certains aspects du financement des médicaments servant à traiter les maladies rares. Ce point de vue a été élaboré en fonction des valeurs et principes recommandés.

Le Conseil a apporté les recommandations suivantes :

1. Les médicaments servant à traiter les maladies rares devraient posséder leur propre ensemble de critères de financement.
2. L'approbation des médicaments servant à traiter les maladies rares doit se faire en fonction de normes différentes.
3. L'intérêt commun de la majorité de la population doit tenir compte des besoins de la minorité de citoyens atteints d'une maladie rare.
4. Les besoins concurrentiels en financement destiné aux soins de santé signifient qu'il faut adopter une attitude favorisant une gestion budgétaire prudente des fonds alloués aux médicaments servant à traiter les maladies rares.
5. Les décisions portant sur le financement destiné aux maladies rares doivent être transparentes, tout comme leur justification.
6. La collectivité médicale doit documenter la progression de la maladie lorsqu'un médicament est administré aux personnes atteintes d'une maladie rare. Le partage

des résultats de recherches nationales et internationales est essentiel, en particulier dans le cas des maladies rares.

7. Il revient aux experts d'évaluer les données probantes démontrant l'efficacité des médicaments servant à traiter les maladies rares. Cette évaluation ne doit pas être régie par des facteurs politiques ou économiques.
8. Les bénéficiaires de médicaments pour traiter les maladies rares, les membres de leur famille et leurs prodigueurs de soins et professionnels de la santé partagent la responsabilité de faire un usage adéquat de ces médicaments, de les contrôler et de faire état de leur efficacité.
9. La qualité de vie et la durée de vie possible doivent étayer toute étude de financement des médicaments servant à traiter les maladies rares.
10. Le Ministère doit faire connaître ses politiques et procédures pour l'approbation et l'ajout de nouveaux médicaments au Formulaire des médicaments et le retrait d'anciens médicaments; ces explications ne doivent pas seulement être axées sur les personnes atteintes d'une maladie rare, mais aussi sur le public en général.
11. Les experts doivent en arriver à une définition de ce qu'est une maladie rare et la rendre publique. Une norme nationale serait souhaitable.
12. Le traitement doit faire l'objet d'un suivi pendant toute sa durée afin d'évaluer son efficacité continue et d'ajouter aux connaissances médicales. Les patients doivent souscrire au schéma posologique prescrit.
13. Il incombe au patient, à ses prodigueurs de soins et aux professionnels de la santé de rendre possible la collecte de données. Le patient doit accepter – dans le cadre d'une entente contractuelle — de participer à des études de suivi.
14. Le financement pour un patient en particulier peut commencer si le patient a reçu un diagnostic, qu'il est susceptible de retirer des avantages du traitement et qu'il accepte de se conformer aux conditions établies par les experts du Ministère, même si le processus pour l'ajout au Formulaire d'un médicament approuvé dont on a absolument besoin n'est peut-être pas encore terminé.
15. Le financement d'un patient en particulier doit cesser si le médicament ne fait plus effet ou si, même avec le soutien adéquat, le patient ne respecte pas les modalités de l'entente à l'égard du suivi ou du schéma posologique.
16. Le Ministère doit élaborer un plan transparent pour retirer du Formulaire des médicaments qui ne sont plus efficaces.

Le Conseil des citoyens de l'Ontario est le premier du genre au Canada et cette expérience pourrait aider d'autres juridictions. C'est pourquoi le présent rapport inclut une

description du processus utilisé pour aider les membres à formuler des conclusions productives.

## 1. LA QUESTION

En 2007, le ministère de la Santé et des Soins de longue durée a reconnu qu'il fallait adopter une nouvelle façon de faire en matière de financement des médicaments servant à traiter les maladies rares. L'administratrice en chef a convoqué un groupe de travail pour qu'il recommande un nouveau modèle pour l'étude des médicaments servant à traiter les maladies rares, un modèle qui assurerait un processus de décision impartial et systématique. Sur la recommandation du groupe de travail, l'administratrice en chef a demandé au Conseil des citoyens de l'Ontario de faire rapport sur les conditions en vertu desquelles les contribuables devraient financer les médicaments servant à traiter les maladies rares, en insistant sur les valeurs sociétales.

La première séance de fond du Conseil des citoyens de l'Ontario a porté sur l'enjeu « Médicaments servant à traiter les maladies rares » et s'est déroulée la fin de semaine du 29 au 31 janvier 2010. On avait demandé au Conseil des citoyens d'étudier la question suivante :

*Dans quelles situations ou conditions le gouvernement de l'Ontario (c.-à-d. les contribuables) devrait-il payer les médicaments servant à traiter les maladies rares?*

Voir l'Annexe 1 pour plus d'information sur le Conseil des citoyens.

La discussion était structurée autour des points à examiner suivants :

- Donner des conseils sur les conditions en vertu desquelles le financement devrait se faire (ainsi que les valeurs devant appuyer les décisions de financement).
- Faire des recommandations visant à établir le caractère obligatoire ou non de la collecte de données ou du suivi de l'état d'un patient alors qu'il prend un tel médicament.
- Donner des conseils sur l'emploi de critères pour commencer ou cesser le financement public pour l'usage d'un médicament.
- Définir la responsabilité du patient à l'égard des suivis médicaux de routine pour atteindre l'objectif de sécurité et d'un suivi efficace, ainsi que la collecte de données sur une longue période pour le traitement.
- Définir des valeurs sociétales qui pourront faire partie du cadre de financement des médicaments servant à traiter les maladies rares.

## 2. PRÉPARATION AUX DÉLIBÉRATIONS

Afin de préparer le Conseil des citoyens à délibérer, ses membres ont assisté à des présentations faites par des professionnels du monde médical, des économistes, le porte-parole d'une compagnie pharmaceutique et des patients atteints d'une maladie rare. Ces présentations portaient sur des sujets pertinents, dont :

- Médicaments servant à traiter les maladies rares : pour quelle raison demander conseil
- Définition d'une maladie rare
- Vivre avec une maladie rare
- Mise au point de médicaments servant à traiter les maladies rares
- Financement des médicaments servant à traiter les maladies rares : les raisons d'un tel défi

Voir l'Annexe 2 pour consulter l'ordre du jour de la rencontre, incluant la liste des présentateurs. Pour les présentations faites au Conseil des citoyens, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugs/councils/citizens\\_council.aspx](http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugs/councils/citizens_council.aspx)

Pour un glossaire des termes pertinents, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse

[www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/dr\\_glossary/opdp\\_glossary.pdf](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/dr_glossary/opdp_glossary.pdf)  
(en anglais seulement)

Les membres du conseil ont particulièrement retenu les éléments suivants :

- A. Le nombre limité de données probantes disponibles pour les médicaments servant à traiter les maladies rares. En raison du nombre peu élevé de cas pour chaque maladie rare, ces médicaments ne répondent pas aux points de références traditionnels du Comité d'évaluation des médicaments, y compris les études et essais cliniques rigoureux.
- B. Le concept d'année de vie pondérée par la qualité (AVAQ). Ce concept standard sert à évaluer l'efficacité des médicaments et à comparer les résultats pour la santé; il attribue à chaque année de vie un poids allant de 1 (parfaite santé) à 0 (considéré comme l'équivalent d'un décès) selon la qualité de vie associée à l'état de santé d'une personne pendant l'année. Un résultat total des années multipliées par le poids peut ensuite être comparé en fonction de différentes interventions.
- C. L'image convaincante d'une valise à capacité limitée comme métaphore expliquant la limite du budget accordé au financement des médicaments — comment décider avec soin de ce que l'on apporte et de ce qu'on laisse derrière. On a chargé le Conseil de définir les valeurs qui détermineraient ce que doit contenir la valise.

Des questions et des discussions ont suivi les présentations, qui visaient à répondre à la demande du Ministère visant à établir les valeurs de grande importance dans la prise de décisions en matière de financement.

Plusieurs membres du public ont assisté à cette séance en qualité d'observateurs.

### **3. POINT À EXAMINER POUR LES MÉDICAMENTS SERVANT À TRAITER LES MALADIES RARES**

#### **3.1 Qu'est-ce qu'une maladie rare?**

L'expression « maladie rare » s'applique aux maladies à très faible prévalence dans la population générale. Au Canada, aucune norme nationale n'existe pour définir ce qu'est une maladie rare, même si certains pays ont adopté des définitions claires. Souvent, ces définitions ont été guidées par des incitatifs d'exclusivité du marché pour la fabrication de médicaments servant à traiter les maladies rares. Dans de plus petits pays, y compris l'Australie et le Canada, les médicaments servant à traiter les maladies rares sont souvent fabriqués dans d'autres pays. En Ontario, une définition ad hoc d'un cas par 100 000 est actuellement utilisée.

Pour obtenir de l'information sur les maladies rares, [cliquez ici](#) ou visitez le site Web de la Canadian Organization for Rare Disorders (CORD) [www.raredisorders.ca/links.html](http://www.raredisorders.ca/links.html) (en anglais seulement).

Voici certains exemples de maladies rares :

- Maladie de Tay-Sach
- Maladie de Hurler
- Syndrome de DiGeorge
- Syndrome de Hunter
- Lèpre (au Canada)

#### **3.2 Comment se traitent les maladies rares?**

- Le traitement principal nécessite souvent une enzymothérapie substitutive. Dans certains cas, il faut élaborer une formule extrêmement précise.
- Les thérapies sont lourdes parce qu'elles doivent souvent être administrées sous forme d'injection et nécessitent habituellement de fréquentes visites à l'hôpital ou à la clinique.
- Elles sont onéreuses en raison du coût des médicaments comme tels et aussi en raison du fardeau financier personnel et non médical pour les personnes atteintes et les membres de leur famille.
- Il existe un nombre trop peu élevé de patients répartis partout dans le monde pour pouvoir effectuer des essais cliniques standards.
- Il est difficile de déterminer l'efficacité d'un nouveau traitement parce que les progrès sont lents et les améliorations notables peuvent mettre beaucoup de temps à devenir évidentes.

#### **3.3 Vivre avec une maladie rare**

Au cours des présentations, les membres du Conseil ont rencontré trois personnes souffrant d'une maladie rare ou dont un proche souffre d'une maladie rare — maladie inflammatoire multisystémique à début néonatal (NOMID), maladie de Pompe et hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN). Toutes ces personnes participent actuellement aux programmes de médicaments financés par l'État. Elles ont discuté du diagnostic original, de leur expérience personnelle et de leur volonté à participer au processus de collecte de données afin d'améliorer la vie d'autres personnes qui pourraient souffrir de la même maladie dans l'avenir. Chacune d'entre elles a exprimé sa gratitude envers les traitements offerts et croient que le traitement améliore non seulement leur qualité de vie, mais également leur espérance de vie. Voir l'Annexe 3 pour connaître le nom des présentateurs de cette séance.

### **3.4 Financement des médicaments servant à traiter les maladies rares**

Les lois de l'Ontario stipulent que les décisions en matière de financement de médicaments doivent se baser sur les meilleures données probantes cliniques et économiques disponibles et doivent faire en sorte de dépenser l'argent des contribuables de façon avisée. Pour être financé, un médicament doit être inscrit au Formulaire des médicaments. Pour obtenir des renseignements sur le Programme de médicaments de l'Ontario, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse <http://www.health.gov.on.ca/fr/public/programs/drugs/default.aspx>

Les médicaments qui ne sont pas inscrits au Formulaire des médicaments de l'Ontario sont également prises en compte pour la couverture au moyen de la politique de financement du Ministère pour des raisons humanitaires au cas par cas. [Cliquez ici](#) ou allez à l'adresse [www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/odbf/odbf\\_except\\_access.html](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/odbf/odbf_except_access.html) (en anglais seulement)

Les critères de la politique de financement pour raisons humanitaires sont aussi pertinents. [Cliquez ici](#) ou allez à l'adresse [http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/pdf/compassionate\\_review\\_policy.pdf](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/pdf/compassionate_review_policy.pdf) (en anglais seulement)

Afin d'aider l'administratrice en chef, le Comité d'évaluation des médicaments (CEM) passe en revue les médicaments présentés par les fabricants pour recevoir un financement public. Ce comité d'experts-conseils étudie les données probantes scientifiques et cliniques présentées par le fabricant ainsi que l'impact sur les services de santé en comparaison avec les traitements existants. Il évalue si le médicament offrira une bonne valeur clinique et permettra une utilisation à bon escient des ressources limitées en santé s'il fait l'objet d'un financement. Le Comité d'évaluation des médicaments fait des recommandations à l'administratrice en chef, qui prend une décision en matière de financement à l'intérieur des paramètres de la loi. Pour plus d'information sur le Comité d'évaluation des médicaments, [cliquez ici](#) ou allez à l'adresse [http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/how\\_drugs\\_approved\\_funding\\_ced.html](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/drugs/how_drugs_approved_funding_ced.html) (en anglais seulement).

Dans de nombreux cas, les médicaments servant à traiter les maladies rares ne peuvent répondre aux points de références traditionnels définis pour être ajoutés au Formulaire.

Par définition, peu de gens sont atteints de la maladie et, par conséquent, il existe peu d'information à long terme à la disposition des évaluateurs. Il n'y a pas suffisamment de patients pour mener des essais cliniques formels qui permettraient d'offrir une preuve évidente de l'efficacité en se servant de méthodes statistiques. Le coût de ces médicaments est habituellement très élevé en raison du petit marché dans lequel les fabricants peuvent récupérer les coûts élevés de conception. Il est difficile de faire la preuve que l'usage de ces médicaments sera rentable. Par conséquent, de nombreux médicaments pour traiter les maladies rares ne peuvent être approuvés en vertu du modèle de financement actuel. **Il faut élaborer un modèle propre au financement des médicaments servant à traiter les maladies rares.**

#### **4. DE QUELLE MANIÈRE A PROCÉDÉ LE CONSEIL**

À la suite des séances d'information, le Conseil des citoyens s'est concentré sur la question sur laquelle on lui avait demandé de se pencher :

*Dans quelles situations ou conditions le gouvernement de l'Ontario (c.-à-d. les contribuables) devrait-il payer les médicaments servant à traiter les maladies rares?*

À la suite des présentations, le Conseil s'est scindé en deux groupes. Il s'agissait de délibérations à huis clos, lors desquelles seuls les membres du Conseil et les facilitateurs étaient présents. L'objectif était d'avoir des discussions réfléchies sur le sujet et de commencer à établir un terrain d'entente ainsi que des zones de différences sur des sujets et pour lesquels on pourrait ensuite faire rapport au Ministère. Il faut noter que même si les membres du Conseil ont exprimé librement leur opinion, les membres n'étaient pas tous d'accord avec chaque opinion partagée. Cependant, le but était de mettre en relief les compréhensions généralement reconnues et également de noter les passages où les opinions des membres divergeaient.

Avec l'aide des facilitateurs, le Conseil s'est engagé dans un dialogue délibératif. Il s'agit d'une méthode structurée de discussion qui présente un certain nombre d'approches comme outils de dialogue. Chacune des approches insiste sur différents principes et priorités et est conçue pour promouvoir un dialogue réfléchi sur un enjeu courant et compliqué. Les approches ne sont pas mutuellement exclusives et ne sont pas des propositions de politique. Elles n'offrent pas non plus de « bonnes » ou de « mauvaises » réponses. Dans un dialogue délibératif, chaque personne peut étudier un enjeu en partageant son opinion et en écoutant et en apprenant avec les autres. Voir l'Annexe 4 pour un bref aperçu du dialogue délibératif.

##### **4.1 Quatre façons de réfléchir au financement des médicaments servant à traiter les maladies rares**

Dans le cadre du dialogue délibératif, le Conseil a étudié quatre approches pour aborder le financement des médicaments servant à traiter les maladies rares.

- Avantage le plus de gens
- Remplit l'obligation de la société de prendre soin des plus vulnérables
- Axé sur les progrès des connaissances médicales dans des conditions sécuritaires
- Utilise les ressources là où elles peuvent être le plus efficaces

Chaque approche a été étudiée à tour de rôle. Ces approches devaient servir de base à des discussions portant sur les avantages et inconvénients de chacune, sur ce que les membres du Conseil aimaient ou reconnaissaient ainsi que sur ce qui les préoccupait. L'objectif était d'en arriver à des valeurs et principes que les gens ordinaires, tout comme les membres du Conseil des citoyens de l'Ontario, voudraient voir prises en compte par les gouvernements lorsqu'ils prennent des décisions sur le financement de médicaments servant à traiter les maladies rares.

Même si aucune des approches n'englobait entièrement les valeurs chères à la plupart des membres, une fois réunies elles ont aidé les membres du Conseil à établir les conditions qu'ils souhaitaient voir prises en compte par les décideurs en matière de financement des médicaments servant à traiter les maladies rares. Par exemple, même si tous s'entendaient pour dire que le financement des médicaments devrait profiter au plus grand nombre possible de personnes, on a dénoté une certaine tension quant au rôle que la compassion devrait jouer dans l'élaboration d'une politique sur les médicaments pouvant s'adresser à un petit groupe de personnes seulement. Bien que les ressources du gouvernement doivent être dépensées là où elles seront le plus efficaces, la société doit également s'acquitter de sa responsabilité de prendre soin des plus vulnérables.

## **4.2 Faits saillants de chaque approche**

### ***Approche 1 : Avantage le plus de gens***

De par leur nature même, les médicaments pour traiter les maladies rares ne s'adressent pas à un grand bassin de population. Au cours des dialogues délibératifs, les membres en sont arrivés à un consensus établissant que la compassion constituait une raison sociale acceptable pour trouver une façon de financer des médicaments servant à traiter les maladies rares, même si un tel financement ne profite qu'à un petit groupe de personnes en comparaison avec d'autres possibilités d'utilisation des ressources. Cependant, les membres ont aussi senti qu'il fallait tempérer la compassion avec la réalité que le budget consacré aux médicaments est limité, qu'il existe de nombreuses autres causes qui méritent d'être financées et que l'efficacité du médicament doit jouer un rôle primordial dans la prise de décision. Il doit encore y avoir un certain degré de preuve que les médicaments seront utiles pour gérer la maladie pour laquelle ils sont conçus.

### ***Approche 2 : Remplit l'obligation de la société de prendre soin des plus vulnérables***

Tous étaient d'accord pour dire qu'égalité et équité ne signifient pas la même chose. À titre de comparaison, les notions de justice et d'équité envers tous les patients, incluant ceux atteints d'une maladie rare, étaient très importantes. Les membres ont beaucoup discuté de l'idée que la société ne peut prendre la responsabilité de *chaque* besoin. Certaines personnes sentaient le

besoin de fixer une limite financière au montant pouvant être octroyé au financement des médicaments servant à traiter les maladies rares. Cependant, tout en reconnaissant que ces médicaments étaient très onéreux, d'autres croyaient qu'imposer une limite était injuste envers les patients atteints d'une maladie rare, particulièrement puisque le nombre total de patients à l'heure actuelle est relativement peu élevé. À mesure que les connaissances s'améliorent, le nombre total de patients dans cette catégorie est susceptible d'augmenter.

### ***Approche 3 : Axé sur les progrès des connaissances médicales dans des conditions sécuritaires***

Étant donné le coût élevé des médicaments servant à traiter les maladies rares, les membres du Conseil étaient d'accord pour dire qu'une entente contractuelle devrait exister entre le médecin ou l'équipe médicale et le patient. Pendant le traitement, l'information sur la maladie rare serait recueillie auprès du patient afin d'en faire profiter d'autres patients atteints de la maladie, la profession médicale et la société en général. Cette collecte de renseignements constituerait une façon importante de faire progresser les connaissances médicales. Les membres considéraient cet aspect comme crucial, puisqu'il reste tant de choses à apprendre sur les maladies rares. Naturellement, il faudrait s'assurer de la collaboration du patient pour recueillir cette information. Le manque de collaboration à toute étape du processus pourrait constituer une raison suffisante pour que le gouvernement cesse de payer pour le médicament de ce patient. Un membre a insisté sur l'importance de voir l'équipe médicale s'assurer que les patients vulnérables aient une aide adéquate des membres de leur famille, si possible, ou de services communautaires, pour augmenter les chances que le patient puisse remplir sa part de l'entente.

### ***Approche 4 : Utilise les ressources là où elles peuvent être le plus efficaces***

Les membres avaient le sentiment que la qualité de vie et la prévention d'une mort prématurée causée par la maladie rare constituaient des éléments essentiels à considérer dans la décision de financer ou non un médicament.

Tous étaient d'accord pour dire que les professionnels du monde médical doivent tenir compte de ces facteurs lorsqu'ils prennent des décisions concernant l'efficacité d'un médicament.

## **5. OPINIONS DU CONSEIL SUR LES VALEURS SOCIÉTALES PERTINENTES ET RECOMMANDATIONS CONNEXES**

Au cours du dernier avant-midi, les participants se sont concentrés sur la comparaison des valeurs et des conclusions des délibérations en petits groupes de la journée précédente. Ils ont travaillé à éliminer et à approfondir certains points communs aux deux groupes.

Pendant la discussion, les membres ont établi un consensus sur le besoin de compassion, de justice et d'équité ainsi que sur la responsabilité financière et l'imputabilité envers les contribuables. Les membres du Conseil savent qu'il existe des tensions complexes entre les droits individuels et les droits de la société. Le gouvernement doit s'efforcer d'atteindre un juste équilibre entre les deux. Les personnes ont le droit de recevoir de l'aide du gouvernement, peu importe leur maladie; en même temps, les fonds publics sont limités et doivent profiter à tous les citoyens.

Le Conseil des citoyens s'est entendu sur les valeurs et principes ci-dessous qui doivent guider la prise de décision en matière de financement des médicaments servant à traiter les maladies rares. Le Conseil a recommandé une approche basée sur ces valeurs et principes et a appuyé les recommandations associées à chacune :

### 5.1 Compassion

La société doit prendre soin de ses membres les plus vulnérables. Il faut mettre en place des mécanismes pour permettre le financement de leur traitement. Le Ministère a déjà une politique de politique de financement pour raisons humanitaires en matière d'accès exceptionnel à des médicaments.

**RECOMMANDATION 1 :** *Les médicaments servant à traiter les maladies rares doivent posséder leur propre ensemble de critères de financement.*

### 5.2 Équité et justice

Les notions d'équité et de justice n'englobent pas la notion d'égalité. Les ressources doivent profiter à une grande partie de la population tout en prenant des dispositions pour les personnes atteintes d'une maladie rare.

**RECOMMANDATION 2 :** *L'approbation des médicaments servant à traiter les maladies rares doit se faire en fonction de normes différentes.*

### 5.3 Équilibre entre l'intérêt commun et les besoins de certaines personnes

Le gouvernement a le mandat de servir tous ses citoyens, y compris ceux ayant des besoins particuliers. Il doit cependant faire une gestion prudente des ressources disponibles pour le bien de tous.

**RECOMMANDATION 3 :** *L'intérêt commun de la majorité de la population doit tenir compte des besoins de la minorité de citoyens atteints d'une maladie rare.*

### 5.4 Responsabilité financière

Les décisions doivent se prendre de manière responsable. La loi oblige une saine gestion des dépenses.

**RECOMMANDATION 4 :** *Les besoins concurrentiels en financement destiné aux soins de santé signifient qu'il faut adopter une attitude favorisant une gestion budgétaire prudente des fonds alloués aux médicaments servant à traiter les maladies rares.*

### 5.5 Imputabilité envers les contribuables

Le programme de médicaments du gouvernement utilise les fonds publics et les contribuables ont le droit de savoir de quelle façon ces fonds sont utilisés.

**RECOMMANDATION 5 :** *Les décisions portant sur le financement destiné aux maladies rares doivent être transparentes, tout comme leur justification.*

## 5.6 Progression des connaissances médicales

Toutes les observations faites sur l'usage d'un médicament doivent être compilées dans la banque de connaissances permettant de soutenir l'amélioration continue des traitements pour tous les citoyens ayant besoin du médicament.

**RECOMMANDATION 6 :** *La collectivité médicale doit documenter la progression de la maladie lorsqu'un médicament est administré aux personnes atteintes d'une maladie rare. Le partage des résultats de recherches nationales et internationales est essentiel, en particulier dans le cas des maladies rares.*

## 5.7 Décisions fondées sur les données probantes

Les décisions portant sur les médicaments servant à traiter les maladies rares doivent se fonder sur des données probantes acceptables pour la catégorie du médicament.

**RECOMMANDATION 7 :** *Il revient aux experts d'évaluer les données probantes démontrant l'efficacité des médicaments servant à traiter les maladies rares. Cette évaluation ne doit pas être régie par des facteurs politiques ou économiques.*

## 5.8 Responsabilité partagée

Toutes les parties doivent collaborer afin d'assurer une utilisation responsable des fonds.

**RECOMMANDATION 8 :** *Les bénéficiaires de médicaments servant à traiter les maladies rares, les membres de leur famille et leurs prodigueurs de soins et professionnels de la santé partagent la responsabilité de faire un usage adéquat de ces médicaments, de les contrôler et de faire état de leur efficacité.*

## 5.9 Importance de la qualité de vie et de la longévité

Il s'agit d'une façon importante d'évaluer l'efficacité d'un médicament au moment de décider s'il mérite d'être financé. Le concept d'année de vie pondérée par la qualité est un concept largement utilisé pour débattre de l'efficacité des médicaments.

Un membre était en désaccord sur le fait d'inclure la durée de vie au moment d'envisager le financement.

**RECOMMANDATION 9 :** *La qualité de vie et la durée de la vie d'une personne doivent étayer toute considération de financement des médicaments servant à traiter les maladies rares.*

## 5.10 Autres sujets de préoccupation

Au cours des discussions, les membres ont exploré plusieurs zones qui doivent aussi être prises en compte au moment de prendre des décisions en matière de financement de médicaments servant à traiter les maladies rares.

**PLAFONNEMENT DES DÉPENSES :** Les membres ont exprimé diverses opinions sur le besoin de « plafonner » les dépenses consacrées aux médicaments servant à traiter les maladies rares. Certains croient que tous ceux ayant besoin de médicaments servant à traiter les maladies rares devraient y avoir droit. D'autres font observer que la rareté des ressources doit être gérée et contrôlée de façon prudente afin que l'attribution des ressources ne se fasse pas au détriment des patients atteints de maladies plus « communes ».

**AUGMENTATION DES FONDS DISPONIBLES :** Ce point a mené le groupe à suggérer diverses façons d'augmenter le budget disponible pour de tels médicaments, par exemple en ayant recours à des sources autres que gouvernementales, en taxant certains modes de vie, en procédant à des examens systématiques, en radiant certains médicaments au besoin et en procédant à des achats en masse à l'échelle nationale ou même internationale.

**PARTAGE DES COÛTS :** Les membres ont également suggéré que le Ministère explore l'avenue du partage des coûts entre les intervenants, y compris les patients, les commanditaires, les compagnies pharmaceutiques et le gouvernement.

**CRITÈRES EN CAS D'APPROVISIONNEMENT LIMITÉ :** Advenant le cas où un médicament serait disponible en quantité limitée, les membres du Conseil ont proposé que des critères soient établis pour décider qui, parmi les bénéficiaires qualifiés, pourraient recevoir le médicament.

Les membres ont conclu que même si ces questions allaient au-delà du mandat du Conseil, elles devaient être mentionnées pour que le Ministère puisse en tenir compte.

Les membres du Conseil ont fait part de leurs préoccupations concernant le décalage pouvant se produire entre la fin d'une période d'essai et la disponibilité du médicament dans le Formulaire. Ils désiraient s'assurer que les patients qui profitent des essais ne soient pas privés du médicament par la suite. Cependant, les autorités ont assuré les

membres qu'il ne s'agissait pas d'un problème, en particulier dans le cas des maladies rares.

Les membres du Conseil tenaient à souligner l'importance de diffuser l'information au public concernant les maladies rares et d'expliquer de quelle façon l'Ontario prend des décisions concernant les médicaments servant à les traiter, et ont fait les recommandations suivantes :

**RECOMMANDATION 10 :** *Le Ministère doit faire connaître ses politiques et procédures en matière d'approbation et d'ajout de nouveaux médicaments au Formulaire et retirer ceux qui ne sont plus efficaces; ces explications doivent s'adresser non seulement à ceux atteints d'une maladie rare, mais aussi au public en général.*

Les membres du Conseil ont reconnu que la définition d'une maladie rare est interprétée différemment par divers groupes et personnes, et ont fait la recommandation suivante :

**RECOMMANDATION 11 :** *Les experts doivent en arriver à une définition de ce qu'est une maladie rare et la rendre publique. Une norme nationale serait souhaitable.*

## **6. MODÈLE PROPOSÉ DE FINANCEMENT DES MÉDICAMENTS SERVANT À TRAITER LES MALADIES RARES**

Au cours des deux dernières années, le Groupe de travail sur les médicaments servant à traiter les maladies rares a élaboré une nouvelle approche en matière de médicaments servant à traiter les maladies rares.

Leur modèle se fonde sur « les meilleures données probantes réalisables » pour prédire la progression d'une maladie et les avantages ou manques d'avantages possibles d'un traitement à l'aide d'un médicament en ce qui a trait au ralentissement de la progression de la maladie chez des groupes précis de patients.

Le modèle se sert de la définition de maladie rare « 1 cas sur 100 000 dans la population ». Il utilise une approche fondée sur les données probantes pour étudier l'histoire naturelle de la maladie. Le modèle inclut une évaluation de l'impact budgétaire total et des coûts, non seulement en termes de rentabilité (puisque les médicaments servant à traiter les maladies rares ne seront jamais rentables), mais en termes d'avantages sur la qualité de vie et la durée de vie. Le caractère abordable du médicament demeure un facteur, cependant, puisque l'impact budgétaire total sera influencé par des facteurs tels que l'incidence ou la prévalence de la maladie, des modifications aux tests de dépistage menant à un dépistage accru des cas, la dose et la posologie, en particulier si elle est en fonction du poids.

Enfin, le modèle prévoit l'établissement de données de suivi supplémentaires, selon le médicament et la maladie. Le modèle se sert de données médicales probantes disponibles

ainsi que de l'apport des patients (et des soignants). Jusqu'à présent, deux maladies ont été évaluées en fonction de ce modèle et une autre est en cours d'évaluation.

Certains éléments du modèle, en particulier le caractère abordable et le besoin en données de suivi supplémentaires, mènent à des décisions devant également être encadrées par les valeurs de la société. On a demandé au Conseil des citoyens de l'Ontario de se prononcer sur ces valeurs sociétales.

## **7. RÉPONSES DU CONSEIL AU MODÈLE ET AUX QUESTIONS DE L'ADMINISTRATRICE EN CHEF**

À la suite de la présentation du modèle, les membres du Conseil ont révisé leurs délibérations pour déterminer de quelle manière leurs valeurs et recommandations correspondaient au modèle. Les membres étaient d'accord pour dire que le modèle s'harmonise aux valeurs établies par le Conseil.

Le modèle reconnaît que les données probantes disponibles ne peuvent être aussi solides que celles découlant d'essais cliniques formels et est construit de manière à être représentatif des meilleures données probantes réalisables. Lorsqu'elle applique le modèle aux décisions de financement, l'administratrice en chef doit tenir compte des cas individuels et décider pour chacun :

- des conditions jugées appropriées pour financer le médicament pour un patient en particulier;
- si on s'attend à ce que le patient accepte de se soumettre à un contrôle systématique et de faire l'objet de rapports;
- des conditions nécessaires pour commencer à financer un traitement;
- s'il est acceptable — et dans quelles circonstances — de cesser le financement d'un médicament pour un patient en particulier.

En résumé, les points ci-dessous expriment les réponses aux questions posées, en fonction des valeurs du Conseil.

### **7.1 Conditions rendant un financement possible**

En gardant en tête les valeurs de compassion, de justice, d'imputabilité, de responsabilité financière, de responsabilité partagée et de qualité de vie, les membres du Conseil ont fait les recommandations qui suivent :

**RECOMMANDATION 12 :** *Le traitement doit faire l'objet d'un suivi pendant toute sa durée afin d'évaluer son efficacité continue et d'ajouter aux connaissances médicales. Le patient doit respecter le schéma posologique.*

## 7.2 Collecte de données et suivi obligatoires

En gardant en tête les valeurs d'équilibre entre les besoins de l'intérêt commun, la connaissance médicale fondée sur des données probantes et la responsabilité partagée, les membres du Conseil ont fait la recommandation suivante :

**RECOMMANDATION 13 :** *Il incombe au patient, à ses prodigueurs de soins et aux professionnels de la santé de rendre possible la collecte de données. Le patient doit accepter – dans le cadre d'une entente contractuelle – de participer à des études de suivi.*

## 7.3 Critères permettant de commencer le financement d'un médicament pour un patient

En gardant en tête les valeurs de compassion, d'équité et le besoin d'équilibre entre l'intérêt commun et le besoin de personnes en particulier, les membres du Conseil ont fait la recommandation suivante :

**RECOMMANDATION 14 :** *Le financement pour un patient en particulier peut commencer si le patient a reçu un diagnostic, qu'il est susceptible de retirer des avantages du traitement et qu'il accepte de se conformer aux conditions établies par les experts du Ministère, même si le processus pour l'ajout au Formulaire d'un médicament approuvé dont on a absolument besoin n'est peut-être pas encore terminé.*

Les membres ont fait observer que la question de sélection parmi un groupe de patients qualifiés si le médicament est disponible en quantité limitée nécessitait d'être débattue de façon plus approfondie.

## 7.4 Critères pour cesser le financement pour un patient

En gardant en tête les valeurs de responsabilité financière, d'équité, d'imputabilité, de responsabilité partagée et de qualité de vie, les membres du Conseil ont fait la recommandation suivante :

**RECOMMANDATION 15 :** *Le financement d'un patient en particulier doit cesser si le médicament ne fait plus effet ou si, même avec le soutien adéquat, le patient ne respecte pas les modalités de l'entente à l'égard du suivi ou du schéma posologique.*

Les membres du Conseil considéraient également important d'établir un plan pour retirer des médicaments du Formulaire.

En gardant en tête les valeurs de responsabilité financière, d'imputabilité, d'équité, d'équilibre entre les besoins de l'intérêt commun et ceux de groupes particuliers, et afin de

réserver des fonds à de nouveaux médicaments plus efficaces, les membres du Conseil ont fait la recommandation suivante :

**RECOMMANDATION 16 :** *Le Ministère doit mettre sur pied une révision périodique transparente et systématique afin de retirer du Formulaire des médicaments n'étant plus efficaces.*

## 8. CONCLUSION

Le Conseil des citoyens de l'Ontario a relevé le défi de répondre à la question « ***Dans quelles situations ou conditions le gouvernement de l'Ontario (c.-à-d. les contribuables) devrait-il payer les médicaments servant à traiter les maladies rares?*** » Le Conseil a établi les valeurs devant être prises en compte lorsque le Ministère décide de ce qui entre dans le financement des médicaments servant à traiter les maladies rares et a préparé les seize recommandations pertinentes mentionnées plus haut.

Les discussions du Conseil ont été riches et significatives. Les membres prévoient que les recommandations puissent servir de base pour aider le Ministère à prendre des décisions normatives concernant le financement de médicaments servant à traiter les maladies rares.

## ANNEXE 1

### CONSEIL DES CITOYENS DE L'ONTARIO

#### 1. CRÉATION

Le Conseil des citoyens de l'Ontario est né avec l'adoption de la « *Loi de 2006 sur un régime de médicaments transparent pour les patients* », qui a reçu la sanction royale le 20 juin 2006. Cette loi comprend les modifications législatives, à la réglementation et aux politiques visant à renforcer l'imputabilité, à promouvoir un usage adéquat des médicaments, à améliorer l'accès des patients aux médicaments, à assurer une meilleure optimisation des ressources et à investir dans des recherches novatrices pour le système de santé.

Ces engagements incluaient la création du Conseil des citoyens de l'Ontario :

*« Le ministre crée un Conseil des citoyens qui est chargé de veiller à ce que les patients participent à l'élaboration de la politique relative aux produits pharmaceutiques et à la santé. »*

La création du Conseil vise à démontrer l'engagement du gouvernement à faire participer les citoyens ordinaires de façon significative dans des discussions sur des questions de politique précises en lien avec les programmes publics de médicaments du gouvernement. Il vise également à instaurer une légitimité, une équité et une transparence dans le processus d'établissement des priorités et, en bout de ligne, dans les décisions portant sur les médicaments financés avec l'argent des contribuables.

Le Conseil des citoyens est le premier du genre au Canada et est basé sur le modèle du Citizens' Council of the National Institute for Clinical Excellence (NICE) du Royaume-Uni.

#### 2. SÉLECTION

En juin 2008, le ministère de la Santé et des Soins de longue durée a publié des annonces dans la plupart des grands journaux de l'Ontario et sur son site Web pour inviter les Ontariens de toutes les couches de la société à participer au Conseil des citoyens.

Tous les citoyens intéressés pouvaient poser leur candidature. Une liste restreinte de 200 candidats a été établie à partir de 800 candidatures. À la suite d'un processus de sélection rigoureux, vingt-cinq membres plus un président ont été sélectionnés et nommés par le ministre et sont devenus les membres fondateurs du Conseil des citoyens de l'Ontario.

#### 3. MANDAT DU CONSEIL DES CITOYENS

Le rôle du Conseil est de conseiller l'administratrice en chef des programmes publics des médicaments de l'Ontario. L'administratrice en chef et le Ministère tiendront compte de ces conseils ainsi que d'autres données dans leurs décisions. On s'attend à ce que les membres expriment leurs opinions en tant que membres de la société et non pas qu'ils fassent part des points de vue d'un groupe d'intérêts ou d'un organisme en particulier. Le Conseil ne constitue pas une

instance décisionnelle et n'est pas tenu d'en arriver à un consensus général de la part de ses membres concernant les enjeux.

Il doit expliquer son point de vue dans un rapport exprimant les valeurs, la culture et l'attitude des citoyens de l'Ontario. Le Conseil doit remettre son rapport à l'administratrice en chef dans les 60 jours suivant une rencontre. En retour, l'administratrice en chef est tenue de répondre au Conseil et d'expliquer de quelle manière le gouvernement appliquera ses conseils dans l'élaboration de politiques et programmes en matière de financement des médicaments pour un système de médicaments efficace et durable pour tous les Ontariens.

Lors de la première rencontre du Conseil en octobre 2009, ses membres ont été initiés à des sujets comme :

- Le mandat du Conseil
- Les programmes publics des médicaments de l'Ontario
- L'accès au financement des médicaments en Ontario
- Le processus d'approbation pour le financement des médicaments en Ontario
- Le dialogue délibératif

Cette séance d'orientation a permis aux membres du Conseil d'être informés sur les programmes publics des médicaments de l'Ontario, sur leur fonctionnement et leurs processus courants de prise de décision. Elle les a également aidés à s'orienter et à se préparer à leur rôle de conseiller sur d'importantes questions de principe.

## ANNEXE 2

### ORDRE DU JOUR MÉDICAMENTS SERVANT À TRAITER LES MALADIES RARES

Hôtel Intercontinental Toronto Yorkville  
220, rue Bloor Ouest Toronto (Ontario) M5S 1T8

Les 29,30 et 31 janvier 2010

HEURE	ACTIVITÉ	PRÉSENTATEUR
<b>LE VENDREDI 29 JANVIER</b>		
17 h 30	Inscription et souper léger	
18 h 30	Mot de bienvenue - Options possibles pour le rapport final du Conseil	Gerri Gershon, présidente
<b>OUVERTURE DE LA SÉANCE</b>		
19 h	Médicaments servant à traiter les maladies rares : pour quelle raison demander conseil	Helen Stevenson
19 h 15	<b>Qu'est-ce qu'une maladie rare?</b> Le but de cette présentation est de donner de l'information sur les maladies rares, y compris : <ul style="list-style-type: none"><li>▪ Qu'est-ce qu'une maladie rare?</li><li>▪ Qu'est-ce qui la rend rare?</li><li>▪ Exemples de maladies rares</li><li>▪ Ce que nous savons (et ignorons) à leur sujet et l'impact de ces connaissances sur le traitement de ces maladies</li><li>▪ Quelle comparaison peut-on faire entre elles et les « terribles maladies communes »</li></ul>	Joe Clark, MD
20 h	Questions et réponses	Tous
20 h 30	Projet de recherche	Janet Parsons, PhD
21 h	Ajournement	
<b>FIN DE LA SÉANCE DE VENDREDI</b>		
Veuillez noter que les membres peuvent rester plus longtemps s'ils ont d'autres questions concernant les travaux du weekend.		



<b>LE SAMEDI 30 JANVIER</b>		
<b>8 h Petit déjeuner</b>		
<b>8 h 30</b>	<b>Enregistrement du matin et révision de l'ordre du jour</b> Autres questions et réponses en lien avec les renseignements communiqués la veille.	Gerri Gershon, présidente
<b>OUVERTURE DE LA SÉANCE</b>		
<b>9 h</b>	<b>Vivre avec une maladie rare : discussion en groupe</b> Le but de cette présentation est d'aborder des questions telles que : <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Quels sont les défis auxquels sont confrontées les personnes atteintes d'une maladie rare?</li> <li>▪ Qu'est-ce que ces maladies font aux gens?</li> <li>▪ De quelle façon ces maladies rendent-elles ces personnes malades?</li> <li>▪ À quoi ressemble leur vie?</li> <li>▪ Comment se sentent-ils face à leur état?</li> <li>▪ Quels sont leurs symptômes?</li> <li>▪ Peuvent-ils en mourir?</li> <li>▪ Quelle est la nature du traitement?</li> <li>▪ Quels sont les défis posés par le traitement?</li> </ul>	Michael Geraghty, MD  Audrey Segal  Jocelyn Gardner  Ian Macpherson
<b>9 h 30</b>	<b>Questions et réponses</b>	Tous
<b>9 h 45</b>	<b>Mise au point de médicaments servant à traiter les maladies rares</b> Le point de vue des fabricants	
<b>10 h 10 Pause</b>		
<b>10 h 30</b>	<b>Financement des médicaments servant à traiter les maladies rares : les raisons d'un tel défi</b> Le but de cette présentation est d'aborder des questions telles que : <ol style="list-style-type: none"> <li>1) <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ De quelle manière se font les recommandations à l'heure actuellement du point de vue du Comité d'évaluation des médicaments</li> <li>▪ Raison pour laquelle cette procédure ne fonctionne pas dans le cas des maladies rares</li> </ul> </li> <li>2)</li> </ol>	Helen Stevenson Gerald Evans, MD Jeff Hoch, PhD

	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Coût de renonciation</li> <li>▪ Coût pour le système de santé</li> </ul>	
<b>11 h 30</b>	<b>Questions et réponses</b>	Tous
<b>FIN DE LA SÉANCE POUR LE WEEKEND</b>		
<b>11 h 45 Dîner</b>		
<b>12 h 30</b>	<b>Initiation au dialogue délibératif portant sur les médicaments servant à traiter les maladies rares</b>	Miriam Wyman et Jacquie Dale
	<b>Connaître l'enjeu : expériences personnelles</b>	
<b>12 h 45</b>	<b>Dialogue délibératif : quatre approches</b> Pause incluse au moment souhaité	
<b>16 h</b>	<b>Établissement d'un terrain d'entente et zones de divergences</b>	
<b>16 h 30</b>	<b>Où en sommes-nous?</b>	Gerri Gershon, présidente
<b>16 h 45</b>	<b>Récapitulation</b>	Gerri Gershon, présidente
<b>17 h</b>	<b>Ajournement</b>	Gerri Gershon, présidente

<b>LE DIMANCHE 31 JANVIER</b>		
<b>8 h Petit déjeuner</b>		
<b>8 h 30</b>	<b>Enregistrement du matin et révision de l'ordre du jour</b>	Gerri Gershon, présidente
<b>8 h 45</b>	<b>Notre cheminement : partage de notre base commune</b>	Miriam Wyman et Jacquie Dale
<b>9 h</b>	<b>Mise à l'épreuve de notre base commune</b>	Miriam Wyman et Jacquie Dale
<b>10 h 15 Pause</b>		
<b>10 h 30</b>	<b>Nouveau modèle de financement des médicaments servant à traiter les maladies rares</b> Questions et réponses	Gerald Evans, MD
<b>11 h 15</b>	<b>Le nouveau modèle et notre base commune : y a-t-il compatibilité?</b>	Miriam Wyman et Jacquie Dale
<b>12 h Dîner</b>		
<b>12 h 45</b>	<b>Précision sur les conseils prodigués à Helen par le Conseil</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Conseil sur le modèle</li> </ul>	Gerri Gershon, présidente

	▪ Conseil sur l'enjeu	
<b>13 h 45</b>	<b>Préparation du rapport du Conseil : comment procéder?</b>	
<b>14 h 30</b>	<b>Récapitulation et évaluation</b>	
<b>15 h</b>	<b>Ajournement</b>	

## ANNEXE 3

### Vivre avec une maladie rare : présentateurs

**Audrey Segal** a fait une présentation sur son expérience personnelle de vie avec l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN).

**Jocelyn Gardner** a fait une présentation sur l'expérience personnelle de vie de son petit-fils de 6 ans (Mikey) avec la maladie inflammatoire multisystémique à début néonatal (NOMID).

**Ian Macpherson** a fait une présentation sur son expérience personnelle de vie avec la maladie de Pompe.

## ANNEXE 4

### DIRECTIVES POUR LE DIALOGUE

#### RÈGLES DE BASE POUR LE DIALOGUE

Les règles de base qui suivent peuvent nous aider à entamer un bon dialogue.

1. Le but du dialogue est de comprendre et d'apprendre de chacun d'entre nous (on ne « gagne » pas un dialogue).
2. Tous les participants au dialogue parlent en leur nom et ne représentent pas les intérêts d'autres personnes.
3. Dans un dialogue, tout le monde est au même niveau : laissez vos statuts et stéréotypes à l'extérieur de la salle.
4. Soyez ouverts et écoutez ce que les autres ont à dire, en particulier si vous n'êtes pas d'accord avec eux. Gardez-vous de porter un jugement.
5. Établissez et testez les opinions (même les vôtres).
6. Écoutez de façon attentive et respectueuse l'opinion des autres : indiquez que vous avez écouté les autres, particulièrement si vous êtes en désaccord avec eux.
7. Cherchez un terrain d'entente.
8. Exprimez votre désaccord avec des idées, et non avec des traits de personnalité ou des motifs (exprimez votre désaccord sans être désagréable).
9. Respectez toutes les opinions.

#### DÉBAT PAR OPPOSITION À DIALOGUE

DÉBAT	DIALOGUE
<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Suppose qu'il n'y a qu'une bonne réponse (et qu'elle la détient)</li><li>▪ Essaie de montrer que l'autre a tort</li><li>▪ A pour objectif de gagner</li><li>▪ Écoute dans le but de déceler les failles</li><li>▪ Défend ses opinions personnelles</li><li>▪ Critique le point de vue de l'autre</li><li>▪ Défend l'opinion d'une personne contre les autres</li><li>▪ Cherche les faiblesses et les failles dans la prise de position des autres</li><li>▪ Cherche à obtenir un résultat en accord</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Suppose que les autres détiennent une partie de la réponse</li><li>▪ Essaie de trouver un terrain d'entente</li><li>▪ A pour objectif de trouver un terrain d'entente</li><li>▪ Écoute dans le but de comprendre</li><li>▪ Explore et met à l'essai ses opinions personnelles</li><li>▪ Étudie tous les points de vue</li><li>▪ Admet que la réflexion des autres peut améliorer la sienne</li><li>▪ Cherche les forces et la valeur de la prise</li></ul>

avec son opinion	de position des autres <ul style="list-style-type: none"><li>▪ Cherche à obtenir un résultat visant à créer un terrain d'entente</li></ul>
------------------	---