



Patented
Medicine Prices
Review Board

Conseil d'examen
du prix des médicaments
brevetés

Modernisation des lignes directrices Études de cas

13 décembre 2018

Sommaire des cas

| | Coût du traitement (annuel ou selon le régime posologique) | Population potentiellement visée par le traitement (annuellement) | Recettes annuelles potentielles | Profil | Secteur potentiel de maladie |
|----------|--|---|---------------------------------|--|--|
| Cas n° 1 | 1 k\$ | 500 000 | 500 M\$ | Traitement d'un état chronique Une seule indication approuvée Il y a des comparateurs Population très importante visée par le traitement | Diabète, Troubles de santé mentale |
| Cas n° 2 | 7 k\$ | 100 000 | 700 M\$ | Traitement d'un état chronique Une seule indication approuvée Avantage thérapeutique substantiel, aucun comparateur approuvé Population importante visée chaque année par le traitement | Dégénérescence maculaire liée à l'âge |
| Cas n° 3 | 20 k\$ | 103 000 | 2 G\$ | Avantage thérapeutique substantiel pour une maladie chronique moins courante touchant une population restreinte Avantage thérapeutique modéré pour une maladie chronique plus courante touchant une population importante | Antirhumatismaux modifiant l'évolution de la maladie |
| Cas n° 4 | 50 k\$ | 3 000 | 150 M\$ | Une indication approuvée pour un traitement de deuxième ligne du cancer Il existe plusieurs solutions thérapeutiques Population restreinte visée par le traitement | Oncologie |
| Cas n° 5 | 50 k\$ | 200 000 (31 000) | 1,5 G\$ | Fournit un traitement curatif pour une maladie grave Population importante visée par le traitement Si aucun rationnement, tous les patients peuvent être traités en sept ans | Hépatite C |
| Cas n° 6 | 300 k\$ | 1 000 | 300 M\$ | Médicament pour le traitement d'une maladie rare avec une seule indication Importance clinique limitée Population restreinte visée par le traitement, sévérité élevée de la maladie, besoin non comblé | Maladie rare au traitement coûteux |

Acronymes

CPIPE – Comparaison avec le prix international le plus élevé

CMPI – Comparaison avec la médiane des prix internationaux

CPIPB – Comparaison avec le prix international le plus bas

CCT – Comparaison selon la catégorie thérapeutique

PCM – Prix courant maximum

PMMP – Prix moyen maximal potentiel

PRM – Prix réduit maximum

PMNE – Prix moyen non excessif

ETS – Évaluation de la technologie de la santé

AVAQ – année de vie ajustée en fonction de la qualité

RCED – Rapport coût-efficacité différentiel

VP – Valeur pharmacoéconomique

\$/AVAQ – coût par année de vie ajustée en fonction de la qualité

DC – Données concrètes

Cas n° 1 – Population importante, comparateurs thérapeutiques

- Traitement d'une maladie chronique
- Il y a des comparateurs thérapeutiques
- Une seule indication approuvée par Santé Canada
- Population potentiellement visée par le traitement très importante
 - Indications possibles : diabète, troubles de santé mentale, etc.
- Coût annuel du traitement (prix courant) : 1 000 \$*
- Population touchée par la maladie : 500 000
- Recettes annuelles potentielles en fonction du nombre total de personnes visées par le traitement : 500 M\$
- Catégorie 1 en raison de la taille du marché

* L'hypothèse s'appuie sur une dose annuelle pour faciliter les calculs.

Cas n° 1 – Application des lignes directrices proposées

| Facteur | Période d'introduction | Fin de l'année 1 | Fin de l'année 2 | Fin de l'année 3* | Fin de l'année 4 | Fin de l'année 5 | Fin de l'année 6 |
|---------------------------------------|------------------------|------------------|------------------|-------------------|------------------|------------------|------------------|
| PCM (établi par la CMPI) | 800 \$ | 785 \$ | 780 \$ | 750 \$ | 750 \$ | 750 \$ | 750 \$ |
| Prix selon le seuil VP** | S. O. | 640 \$ | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. |
| Recettes au prix VP | S. O. | 33 M\$ | 50 M\$ | 68 M\$ | 75 M\$ | 81 M\$ | 91 M\$ |
| Rajustement de la taille du marché*** | S. O. | S. O. | 10 % | 30 % | S. O. | S. O. | S. O. |
| PRM | S. O. | 640 \$ | 627 \$ | 581 \$ | 581 \$ | 581 \$ | 581 \$ |
| Recettes totales au PRM | S. O. | 33 M\$ | 49 M\$ | 61 M\$ | 68 M\$ | 74 M\$ | 82 M\$ |

*PCM/PRM gelé.

**L'ACMTS a estimé le RCED à 100 k\$. Le seuil VP utilisé est de 60 000 \$/AVAQ.

***Un rabais de volume s'applique au coût total annuel des médicaments (recettes) au prix rentable, et chaque tranche successive de 10 M\$ au-delà de 40 M\$ fait l'objet d'un rabais supplémentaire de 10 % jusqu'à concurrence de 50 %. Le seuil de la taille du marché à 40 M\$ a été utilisé à des fins de démonstration seulement.

Cas n° 1 – Lignes directrices actuelles par rapport aux nouvelles lignes directrices proposées

| Prix départ-usine original | 1 000 \$ | |
|---|--|---|
| | <i>Lignes directrices actuelles</i> | <i>Lignes directrices proposées</i> |
| Prix plafond | 1900 \$ (hypothèse selon laquelle la CCT maximale > CMPI) | Prix plafond départ-usine (PCM) : 750 \$ Prix plafond après rabais (PRM) : (Gelé à l'année 3) : 581 \$ |
| Tests utilisés pour établir les prix plafonds | À mi-chemin de la CCT maximale et de la CMPI (amélioration modeste) | PCM : CMPI PRM : Rajustement de 30 % du prix VP |
| Réduction en pourcentage du prix plafond par rapport au prix original | Aucune | PCM : 25 % PRM : 42 % |
| Évaluation de conformité par rapport au | PTM (prix après rabais y compris les marchandises gratuites, mais non les ententes relatives à l'inscription des médicaments [ERIM]) | PCM : Prix départ-usine PRM : Prix de transaction moyen (PTM) où les rabais comprennent les ERIM |

Cas n° 2 – Population importante, aucune autre solution thérapeutique

- Traitement d'une maladie chronique
- Une seule indication clinique importante approuvée
- Aucune autre solution thérapeutique
- Population visée par le traitement
 - Secteurs potentiels de maladie : dégénérescence maculaire liée à l'âge
- Coût annuel du traitement (prix courant) : 7 k\$
- Population touchée par la maladie : 100 000 dans une année
- Recettes annuelles potentielles en fonction du nombre total de personnes visées par le traitement : 700 M\$
- Catégorie 1 en fonction de la taille projetée du marché, aucune autre solution thérapeutique

Cas n° 2 – Application des lignes directrices proposées

| Facteur | Période d'introduction | Fin de l'année 1 | Fin de l'année 2 | Fin de l'année 3* | Fin de l'année 4 | Fin de l'année 5 |
|------------------------------------|------------------------|------------------|------------------|-------------------|------------------|------------------|
| PCM (établi par CMPI) | 6,7 k\$ | 6,3 k\$ | 6,0 k\$ | 6,0 k\$ | 6,0 k\$ | 6,0 k\$ |
| Prix selon le seuil de VP** | S. O. | 3 490 \$ | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. |
| Recettes au prix VP | S. O. | 67 M\$ | 97 M\$ | 125 M\$ | 80 M\$ | 97 M\$ |
| Rajustement de la taille du marché | S. O. | 30% | 50% | S. O. | S. O. | S. O. |
| PRM | S. O. | 3 050 \$ | 2 525 \$ | 2 525 \$ | 2 525 \$ | 2 525 \$ |
| Recettes totales au PRM | S. O. | 62 M\$ | 79 M\$ | 92 M\$ | 70 M\$ | 79 M\$ |

*PCM/PRM gelé à l'année 3.

**L'ACMTS a estimé le RCED à 100 k\$. Le seuil VP utilisé est de 60 000 \$/AVAQ.

Cas n° 2 – Lignes directrices actuelles par rapport aux nouvelles lignes directrices proposées

| Prix départ-usine original | 7 000 \$ | |
|---|--|---|
| | <i>Lignes directrices actuelles</i> | <i>Lignes directrices proposées</i> |
| Prix plafond | 6 000 \$ | Prix plafond départ-usine (PCM) : 6 000 \$ Prix plafond après rabais (PRM) : 2 525 \$ |
| Tests utilisés pour établir les prix plafonds | CMPI | PCM : CMPI PRM : Rendement des coûts rajusté pour la taille du marché |
| Réduction en pourcentage du prix plafond par rapport au prix original | 14 % | PCM : 14 % PRM : 64 % |
| Évaluation de conformité par rapport au | Prix de transaction moyen (PTM) (prix après rabais, rabais comprend des marchandises gratuites, mais pas d'ERIM) | PCM : Prix départ-usine PRM : Prix de transaction moyen (PTM) où les rabais comprennent les ERIM |

Cas n° 3 – Deux indications comportant différents avantages thérapeutiques et différents taux de prévalence

- Traitement de deux maladies chroniques
 - Maladie 1 (première indication) : on estime que 3 000 personnes sont touchées au Canada, premier de sa catégorie, comporte des améliorations thérapeutiques importantes par rapport au traitement standard
 - Maladie 2 (indication subséquente) : on estime que 100 000 personnes sont touchées au Canada, solutions thérapeutiques disponibles, peu ou pas d'amélioration sur le plan du traitement
- Aucune autre solution thérapeutique pour la maladie 1, solutions thérapeutiques autres pour la maladie 2
- Coût annuel du traitement : 20 k\$
- Recettes annuelles potentielles en fonction du nombre total de personnes visées par le traitement : 2 G\$
- Catégorie 1 en fonction de la taille projetée du marché

Cas n° 3 – Application des lignes directrices proposées (première indication)

| Facteur | Période d'introduction | Fin de l'année 1 | Fin de l'année 2* | Fin de l'année 3** | Fin de l'année 4 | Fin de l'année 5 | Fin de l'année 6 |
|------------------------------------|------------------------|------------------|-------------------|--------------------|------------------|------------------|------------------|
| PCM (établi par CMPI) | 19 k\$ | 18 k\$ | 17 k\$ | 17 k\$ | 17 k\$ | 17 k\$ | 17 k\$ |
| Prix selon le seuil VP*** | S. O. | 9 975 \$ | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. |
| Recettes au prix VP | S. O. | 99 M\$ | 143 M\$ | 195 M\$ | 249 M\$ | 304 M\$ | 362 M\$ |
| Rajustement de la taille du marché | S. O. | 40% | 50% | 50% | S. O. | S. O. | S. O. |
| PRM | S. O. | 7 580 \$ | 6 329 \$ | 5 835 \$ | 5 835 \$ | 5 835 \$ | 5 835 \$ |
| Recettes au PRM | S. O. | 80 M\$ | 102 M\$ | 128 M\$ | 163 M\$ | 199 M\$ | 237 M\$ |

*PCM gelé selon les données recueillies auprès de sept pays.

**PRM gelé au bout de trois ans.

***Le seuil de RCED est de 60 k\$/AVAQ.

Cas n° 3 – Application des lignes directrices proposées (deuxième indication)

Plusieurs indications thérapeutiques ayant pour résultat une médiane CCT de 6 000 \$; CPIPB = 14 k\$

| Facteur | Période d'introduction | Fin de l'année 1 | Fin de l'année 2* | Fin de l'année 3** | Fin de l'année 4 | Fin de l'année 5 | Fin de l'année 6 |
|--|------------------------|------------------|-------------------|--------------------|------------------|------------------|------------------|
| CMPI | 19 k\$ | 18 k\$ | 17 k\$ | 17 k\$ | 17 k\$ | 17 k\$ | 17 k\$ |
| Prix selon le seuil VP*** | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. |
| PCM = supérieur à la CPIPB et à la médiane CCT | 14 K \$ | 13 \$ | 12,5 \$ | 12,5 \$ | 12,5 \$ | 12,5 \$ | 12,5 \$ |
| Recettes au PCM | 72 M\$ | 137 M\$ | 201 M\$ | 237 M\$ | 348 M\$ | 426 M\$ | 507 M\$ |
| Rajustement de la taille du marché | S. O. | 20 % | 30 % | 40 % | S. O. | S. O. | S. O. |
| PRM | 6 000 \$ | 5 627 \$ | 4 680 \$ | 3 712 \$ | 3 712 \$ | 3 712 \$ | 3 712 \$ |
| Recettes au PRM | 31 M\$ | 59 M\$ | 75 M\$ | 81 M\$ | 103 M\$ | 126 M\$ | 151 M\$ |

Cas n° 3 – Lignes directrices actuelles par rapport aux nouvelles lignes directrices proposées

| Prix départ-usine original | 20 000 \$ | |
|---|--|--|
| | <i>Lignes directrices actuelles</i> | <i>Lignes directrices proposées</i> |
| Prix plafond Indication 1 | 19 000 \$ | Prix plafond départ-usine (PCM) : 17 000 \$ Prix plafond après rabais (PRM) : 7 580 \$ |
| Prix plafond Indication 2 | 19 000 \$ | Prix plafond départ-usine (PCM) : 14 000 \$ Prix plafond après rabais (PRM) : 5 627 \$ |
| Tests utilisés pour établir les prix plafonds | CMPI | PCM : CMPI pour la maladie 1 CMPI pour la maladie 2 PRM : Inférieur au PCM ou médiane CCT rajusté pour la taille du marché pour la maladie 2 |
| Réduction en pourcentage du prix plafond par rapport au prix original | Aucune | PCM : 10 %; 26 % PRM : 60 %; 70 % |
| Évaluation de conformité par rapport au | Prix de transaction moyen (PTM) (prix après rabais, rabais comprend des marchandises gratuites, mais pas d'ERIM) | PCM : Prix départ-usine PRM : Prix de transaction moyen (PTM) où les rabais comprennent les ERIM |

Cas n° 4 – Médicaments oncologiques de deuxième ligne

- Une seule indication clinique importante approuvée
- Il existe plusieurs solutions thérapeutiques
- Taux de survie faible à cinq ans
- Population restreinte visée par le traitement : 3 000
- Coût annuel du traitement : 50 000 \$
- Recettes annuelles potentielles en fonction du nombre total de personnes visées par le traitement : 150 M\$
- Catégorie 1 en fonction de la taille projetée du marché, coût annuel du traitement supérieur au PIB par habitant

Cas n° 4 – Application des lignes directrices proposées

| Facteur | Période d'introduction | Fin de l'année 1 | Fin de l'année 2 | Fin de l'année 3* | Fin de l'année 4 | Fin de l'année 5 | Fin de l'année 6 |
|---------------------------------------|------------------------|------------------|------------------|-------------------|------------------|------------------|------------------|
| PCM (établi par la CMPI) | 47,5 k\$ | 45 k\$ | 42,5 k\$ | 40 k\$ | 40 k\$ | 40 k\$ | 40 k\$ |
| Prix selon le seuil VP** | S. O. | 25 k\$ | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. |
| Recettes au prix VP | S. O. | 10 M\$ | 15 M\$ | 19 M\$ | 25 M\$ | 30 M\$ | 36 M\$ |
| Rajustement de la taille du marché*** | S. O. | CMPI | CMPI | CMPI | CMPI | CMPI | CMPI |
| PRM | S. O. | 45 k\$ | 42,5 k\$ | 40 k\$ | 40 k\$ | 40 k\$ | 40 k\$ |
| Recettes au PRM | S. O. | 14 M\$ | 20 M\$ | 26 M\$ | 33 M\$ | 40 M\$ | 47 M\$ |

*PCM/PRM gelé.

**L'ACMTS a estimé que le RCED était de 250 k\$. Le seuil VP utilisé est de 60 000 \$/AVAQ.

***Rajustement positif de la taille du marché en raison de sa faible envergure – inférieure à la CMPI, 2 x prix selon le seuil VP.

Cas n° 4 – Lignes directrices actuelles par rapport aux lignes directrices proposées

| Prix départ-usine original | 50 000 \$ | |
|---|---|---|
| | <i>Lignes directrices actuelles</i> | <i>Lignes directrices proposées</i> |
| Prix plafond | 45 k\$ (hypothèse selon laquelle la CCT < CMPI) | Prix plafond départ-usine (PCM) : 40 k\$ Prix plafond après rabais (PRM) : (Gelé à l'année 3) : 40 k\$ |
| Tests utilisés pour établir les prix plafonds | À mi-chemin de la CCT maximale et de la CMPI (amélioration modeste) | PCM : CMPI PRM : Inférieur à la CMPI, 2 x prix selon le seuil VP |
| Réduction en pourcentage du prix plafond par rapport au prix original | 10% | PCM : 20 % PRM : 20 % |
| Évaluation de conformité par rapport au | PTM (prix après rabais y compris les marchandises gratuites, mais non les ERIM) | PCM : Prix départ-usine PRM : Prix de transaction moyen (PTM) où les rabais comprennent les ERIM |

Cas n° 5 – Maladie guérissable, population importante visée par le traitement

- Fournit un traitement curatif pour une maladie grave et courante
- Population importante visée par le traitement; on estime à 200 000 le nombre de Canadiens touchés par la maladie
 - Tous pourraient obtenir le traitement en sept ans s'il n'y a pas de rationnement.
- Comme en 2018, le coût du système de santé associé à la maladie a été évalué à 10 milliards par an
- Coût annuel du traitement de 50 k\$ (selon le prix courant suggéré par le fabricant)
- Recettes annuelles potentielles en fonction du nombre total de personnes visées par le traitement : 1,5 G\$
- Catégorie 1 en fonction de la taille projetée du marché, coût annuel du traitement supérieur au PIB par habitant

Cas n° 5 – Application des lignes directrices proposées

| Facteur | Période d'introduction | Fin de l'année 1 | Fin de l'année 2* | Fin de l'année 3** | Fin de l'année 4 | Fin de l'année 5 | Fin de l'année 6 |
|--|------------------------|------------------|-------------------|--------------------|------------------|------------------|------------------|
| PCM (établi par la CMPI) | 48 k\$ | 45 k\$ | 43 k\$ | 43 k\$ | 43 k\$ | 43 k\$ | 43 k\$ |
| Prix selon le seuil VP*** | S. O. | 50 k\$ | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. |
| Recettes au prix VP | S. O. | 1,5 G\$ | 1,5 G\$ | 1,5 G\$ | 1,5 G\$ | 1,5 G\$ | 1,5 G\$ |
| Rajustement de la taille du marché**** | S. O. | 50 % | 50 % | 50 % | 50 % | 50 % | 50 % |
| PRM | S. O. | 25 k\$ | 24 k\$ | 23 k\$ | 23 k\$ | 23 k\$ | 23 k\$ |
| Recettes totales au PRM | S. O. | 770 M\$ | 740 M\$ | 708 M\$ | 708 M\$ | 708 M\$ | 708 M\$ |

*PCM gelé selon les données recueillies auprès de sept pays.

**PRM gelé.

***L'ACMITS a estimé que le RCED était de 50 k\$, inférieur au seuil du VP CEPMB.

****Rajustement maximal de la taille du marché de 50 %. Hypothèse – entrée sur la scène des concurrents à l'année 6.

Cas n° 5 – Lignes directrices actuelles par rapport aux nouvelles lignes directrices proposées

| Prix départ-usine original | 50 000 \$ | |
|---|---|---|
| | <i>Lignes directrices actuelles</i> | <i>Lignes directrices proposées</i> |
| Prix plafond | 48 k\$ (hypothèse selon laquelle la CCT < CMPI) | Prix plafond départ-usine (PCM) : 43 k\$ Prix plafond après rabais (PRM) : (Gelé à l'année 3) : 25 k\$ |
| Tests utilisés pour établir les prix plafonds | Au sommet de la CCT maximale et de la CMPI (amélioration substantielle) | PCM : CMPI PRM : Rajustement de 50% du prix VP |
| Réduction en pourcentage du prix plafond par rapport au prix original | 4 % | PCM : 14% PRM : 50% |
| Évaluation de conformité par rapport au | PTM (prix après rabais y compris les marchandises gratuites, mais non les ERIM) | PCM : Prix départ-usine PRM : Prix de transaction moyen (PTM) où les rabais comprennent les ERIM |

Cas n° 6 – Médicament pour le traitement de maladies rares

- Médicament pour le traitement d'une maladie rare avec une seule indication
- Importance clinique limitée (amélioration modeste par rapport à un placebo), mais offre de l'espoir pour la première fois d'un traitement d'une maladie grave assortie d'un fardeau de maladie élevé et de grands besoins non comblés
- Population restreinte visée par le traitement : la maladie est diagnostiquée chez 1 000, 2 % d'augmentation par année
 - Un enfant sur 4 000 est touché par cette maladie.
- Coût annuel du traitement : 300 000 \$
- Recettes annuelles potentielles en fonction du nombre total de personnes visées par le traitement : 300 M\$
- Catégorie 1 en fonction de la taille projetée du marché, coût annuel du traitement supérieur au PIB par habitant

Cas n° 6 – Application des lignes directrices proposées

| Facteur | Période d'introduction | Fin de l'année 1 | Fin de l'année 2 | Fin de l'année 3* | Fin de l'année 4 | Fin de l'année 5 | Fin de l'année 6 |
|---------------------------------------|------------------------|------------------|------------------|-------------------|------------------|------------------|------------------|
| PCM (établi par la CMPI) | 240 k\$ | 240 k\$ | 240 k\$ | 240 k\$ | 240 k\$ | 240 k\$ | 240 k\$ |
| Prix selon le seuil VP** | S. O. | 60 k\$ | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. | S. O. |
| Recettes au prix VP | S. O. | 3,0 M\$ | 6,1 M\$ | 9,4 M\$ | 12,7 M\$ | 19,9 M\$ | 23,6 M\$ |
| Rajustement de la taille du marché*** | S. O. | 2 x VP | 2 x VP | 2 x VP | 2 x VP | 2 x VP | 2 x VP |
| PRM | S. O. | 120 k\$ | 120 k\$ | 120 k\$ | 120 k\$ | 120 k\$ | 120 k\$ |
| Recettes totales au PRM | S. O. | 6,0 M\$ | 12,2 M\$ | 18,7 M\$ | 25,4 M\$ | 39,8 M\$ | 47,2 M\$ |

*PCM/PRM gelé.

**L'ACMTS a estimé que le RCED était de 300 k\$ à 700 k\$, selon le groupe touché et la gravité. On présume qu'une réduction de prix de 80 % est nécessaire pour atteindre le seuil VP du CEPMB de 60 k\$/AVAQ.

***Rajustement positif de la taille du marché en raison de sa faible envergure – inférieure à la CMPI, 2 x prix selon le seuil VP.

Cas n° 6 – Lignes directrices actuelles par rapport aux nouvelles lignes directrices proposées

| Prix départ-usine original | 300 000 \$ | |
|---|--|--|
| | <i>Lignes directrices actuelles</i> | <i>Lignes directrices proposées</i> |
| Prix plafond | 240 k\$ | Prix plafond départ-usine (PCM) : 240 k\$ Prix plafond après rabais (PRM) : (Gelé à l'année 3) : 120 \$ |
| Tests utilisés pour établir les prix plafonds | À mi-chemin de la CCT maximale et de la CMPI (amélioration modeste, aucun comparateur) | PCM : CMPI PRM : 2 x prix VP |
| Réduction en pourcentage du prix plafond par rapport au prix original | 20 % | PCM : 20 % PRM : 60 % |
| Évaluation de conformité par rapport au | PTM (prix après rabais y compris les marchandises gratuites, mais non les ERIM) | PCM : Prix départ-usine PRM : Prix de transaction moyen (PTM) où les rabais comprennent les ERIM |