

Groupe de travail chargé d'éclairer le  
comité directeur sur les Lignes  
directrices visant la modernisation du  
processus d'examen du prix du Conseil  
d'examen du prix des médicaments  
brevetés (CEPMB)

## **Rapport final**

Mars 2019

# Table des matières

<b>Objectif</b>	<b>6</b>
<b>Introduction</b>	<b>6</b>
Membres	7
Mandat	8
Objections	9
Intention de la politique	11
Processus et procédure	12
<b>1 : Critères de classification des médicaments dans la « catégorie 1 »</b>	<b>14</b>
1.1 Mandat	14
1.2 Intention de la politique	15
1.3 Sommaire des délibérations	16
1.3.1 Aucun autre critère pris en compte	16
1.3.2 « Amélioration importante par rapport aux options existantes »	16
1.3.3 Critère « coût de renonciation »	17
1.3.4 « Coût de traitement annuel moyen élevé »	18
1.3.5 Indicateurs à considérer	20
1.3.6 Détermination d'un seuil pour chaque critère	20
1.3.7 Spécification précise du seuil pour chaque critère	23
1.3.8 Autres facteurs	23
<b>2 : Seuils de rentabilité du côté de l'offre</b>	<b>24</b>
2.1 Mandat	24
2.2 Intention de la politique	24
2.3 Sommaire des délibérations	26
2.3.1 Pertinence de l'utilisation d'un seuil du côté de l'offre	26
2.3.2 Incertitude dans la base de données empiriques	27
2.3.3 Orientation et ampleur du biais dans l'estimation de 30 000 \$ par AVAQ	30
2.3.4 Différences parmi les provinces et territoires	30
2.3.5 Médicaments ayant une incidence budgétaire nette élevée	32
2.3.6 Pondération de l'équité	33
2.3.7 Spécification précise du seuil du côté de l'offre	34

2.3.8 Recherche empirique plus approfondie	35
2.3.9 Établissement d'un seuil « provisoire »	37
Seuils de politique actuels au Canada	37
Seuils du côté de l'offre d'autres administrations	38
<b>3 : Médicaments à plusieurs indications</b>	<b>39</b>
3.1 Mandat	39
3.2 Intention de la politique	39
3.3 Sommaire des délibérations	40
3.3.1 Détermination d'un plafond de prix unique pour toutes les indications	41
<b>4 : Prise en compte de l'incertitude</b>	<b>43</b>
4.1 Mandat	43
4.2 Intention de la politique	43
4.3 Sommaire des délibérations	44
4.3.1 Utilisation des analyses de scénarios de référence de l'ACMTS et (ou) de l'INESSS	44
4.3.1 Garantie de l'impartialité des estimations	45
4.3.2 Prise en compte de l'incertitude dans l'estimation ponctuelle	46
4.3.3 Analyse de la valeur de l'information	48
<b>5 : Perspectives</b>	<b>49</b>
5.1 Mandat	49
5.2 Intention de la politique	49
5.3 Sommaire des délibérations	50
5.3.1 Confirmation de l'intention de la politique	50
5.3.2 Facteurs à prendre en considération quant au choix de la perspective	50
Différence entre les perspectives	50
Assureurs privés et payeurs personnels	51
Problèmes liés à une perspective sociétale	51
<b>6 : Facteur de la taille du marché</b>	<b>52</b>
6.1 Mandat	52
6.2 Intention de la politique	52
6.3 Sommaire des délibérations	55
6.3.1 Répercussions sur le surplus du consommateur et celui du producteur	55
6.3.2 Facteurs incitatifs et dissuasifs possibles	57
6.3.3 PIB et PIB par habitant	58
Approche américaine « ICER »	58
Approche du Royaume-Uni	58
Utilisation du PIB pour actualiser les seuils	58

6.3.4 Facteurs à prendre en considération au-delà de la « valeur pharmacoéconomique »	59
<b>Annexe 1 : Cadre conceptuel</b>	<b>60</b>
A1.1 Avant-propos	60
A1.1.1 Intention de la politique	60
A1.1.2 Délibérations du Groupe de travail	61
A1.2 Principes économiques	63
A1.2.1 Modèles standard	63
A1.2.2 Courbe de la demande pour un médicament	64
A1.2.3 Courbe de l'offre pour un médicament	69
A1.2.4 Surplus économique	71
A1.2.5 Définition du surplus du consommateur et du producteur	73
A1.2.6 Répartition d'un surplus économique positif	73
A1.2.7 Répartition d'un surplus économique négatif	75
A1.3 Établissement des prix parmi les provinces et territoires	76
A1.3.1 Variations de la valeur « k » parmi les provinces et les territoires	76
A1.3.2 Répercussions sur le coût de renonciation des nouveaux médicaments	76
A1.3.3 Répercussions sur la courbe de la demande	77
A1.3.4 Approches permettant d'établir un plafond de prix unique	77
Approche 1 : Établir un plafond de prix en fonction de la valeur « k » la plus élevée	80
Approche 2 : Établir un plafond de prix en fonction de la valeur « k » la moins élevée	80
Approche 3 : Établir un plafond de prix en fonction d'une moyenne pondérée de la valeur « k »	80
A1.3.5 Répercussions d'une courbe de l'offre supérieure à la courbe de la demande	81
A1.3.6 Répercussions sur la politique	82
Objectif de la politique possible 1	82
Objectif de la politique possible 2	82
Objectif de la politique possible 3	83
A1.4 Prix en fonction des indications	85
A1.4.1 Approches permettant d'établir un plafond de prix unique pour toutes les indications	85
Approche 1 : Établir un plafond de prix en fonction de l'indication la plus rentable	87
Approche 2 : Établir un plafond de prix en fonction de l'indication la moins rentable	87
Approche 3 : Établir un plafond de prix en fonction d'une « moyenne pondérée » de toutes les indications	87
Approche 4 : Établir un plafond de prix en fonction de la première indication prise en compte	88
A1.4.2 Similitudes concernant l'établissement des prix entre les différentes provinces et les différents territoires	89

A1.4.3 Possibilité de comportement stratégique de la part des fabricants	89
A1.4.4 Répercussions sur la politique	92
Objectif de la politique possible 1	92
Objectif de la politique possible 2	92
Objectif de la politique possible 3	93
A1.5 Incertitude	93
A1.5.1 Répercussions sur la courbe de la demande	94
A1.5.2 Perte de surplus économique prévue	95
A1.6 Taille du marché	100
A1.6.1 Répercussions d'un ajustement en fonction de la taille du marché	100
Répercussion 1 : Augmentation du surplus du consommateur pour les médicaments dont le marché est important	100
Répercussion 2 : Réduction du surplus du consommateur pour les médicaments dont le marché est limité	101
Répercussion 3 : Rentabilité accrue pour les médicaments dont le marché est limité	101
<b>Annexe 2 : Documents présentés pendant les réunions du Groupe de travail</b>	<b>102</b>
Annexe 2.1 : Diapositives du 26 juillet 2018 (Dr Mike Paulden)	103
Annexe 2.2 : Remarques sur l'incertitude (Christopher McCabe)	114
Annexe 2.3 : Diapositives du 12 octobre 2018 (Dr Mike Paulden)	123
Annexe 2.4 : Diapositives du 12 octobre 2018 (Christopher McCabe)	135
Annexe 2.5 : Diapositives du 5 février 2019 (Dr Mike Paulden)	146
<b>Annexe 3 : Commentaires « officiels »</b>	<b>184</b>
Annexe 3.1 : Courriel de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang (1/4)	185
Annexe 3.2 : Courriel de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang (2/4)	188
Annexe 3.3 : Courriel de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang (3/4)	191
Annexe 3.4 : Courriel de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang (4/4)	198
Annexe 3.5 : Résumé des commentaires de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang	202
Annexe 3.6 : Résumé des commentaires de Maureen Smith	205
<b>Annexe 4 : Mandat</b>	<b>207</b>
<b>Annexe 5 : Intention de la politique</b>	<b>214</b>
Annexe 5.1 : Règlement modifiant le Règlement sur les médicaments brevetés	215
Annexe 5.2 : Document d'orientation sur les Lignes directrices du CEPMB	216
Annexe 5.3 : Présentation sur la modernisation du cadre du CEPMB	228
Annexe 5.4 : Notions élémentaires du CEPMB	229
<b>Annexe 6 : Études de cas</b>	<b>234</b>
<b>Annexe 7 : Avis de non-responsabilité</b>	<b>235</b>

Annexe 7.1 : Avis de non-responsabilité du CEPMB	235
Annexe 7.2 : Avis de non-responsabilité de Médicaments novateurs Canada	235
<b>Annexe 8 : Examen externe du rapport provisoire</b>	<b>236</b>
Observations générales	236
Observations particulières	239
<b>Références</b>	<b>244</b>

# Objectif

Le présent rapport a pour but de résumer les délibérations et les recommandations du Groupe de travail chargé d'éclairer le comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB).

# Introduction

En juin 2018, le CEPMB a mis sur pied le *comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix* (ci-après le « comité directeur »). Son mandat consistait à aider le CEPMB à synthétiser les opinions des intervenants concernant les principales modalités opérationnelles et techniques des nouvelles lignes directrices provisoires du CEPMB.

En juillet 2018, le CEPMB a mis sur pied le *Groupe de travail chargé d'éclairer le comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés* (CEPMB), (ci-après le « Groupe de travail »). Son mandat était d'éclairer le comité directeur de certains enjeux qui, selon le comité directeur, profiteraient de l'examen d'experts en évaluation des technologies de la santé et autres domaines scientifiques et économiques.

Le présent rapport fournit un résumé des délibérations et des recommandations du Groupe de travail.

## Membres

Le président du Groupe de travail était le D<sup>r</sup> Mike Paulden (Université de l'Alberta).

Douze personnes ont siégé comme membres du Groupe de travail (par ordre alphabétique) :

1. Sylvie Bouchard (INESSS)<sup>1</sup> [représentée par Patrick Dufort et Marie-Claude Aubin];
2. Chris Cameron (Université Dalhousie et Cornerstone Research Group);
3. Doug Coyle (Université d'Ottawa);
4. Don Husereau (Université d'Ottawa);
5. D<sup>r</sup> Peter Jamieson (Université de Calgary);
6. Frédéric Lavoie (Pfizer Canada), (*Représentant de l'industrie*);
7. Karen Lee (Université d'Ottawa et ACMTS)<sup>2</sup>;
8. Christopher McCabe (Université de l'Alberta et Institut de l'économie de la santé);
9. Stuart Peacock (Université Simon Fraser et BC Cancer Agency);
10. Maureen Smith (*Représentante des patients*);
11. Geoff Sprang (Agmen), (*Représentant de l'industrie*);
12. Tania Stafinski (Université de l'Alberta).

Deux personnes ont siégé à titre d'observateurs du Groupe de travail :

1. Edward Burrows (Innovation, Sciences et Développement économique Canada);
2. Nelson Millar (Santé Canada).

Une personne a agi en tant qu'examineur externe du rapport provisoire du Groupe de travail :

1. D<sup>r</sup> Mark Sculpher (Université York).

Une autre personne de l'ACMTS, M<sup>me</sup> Tammy Clifford, a accepté de siéger à titre de membre du Groupe de travail, mais n'a pas participé aux délibérations de celui-ci.

Elle n'a pas non plus contribué à la formulation de recommandations du Groupe de travail ni voté sur celles-ci.

---

<sup>1</sup> INESSS : Institut national d'excellence en santé et services sociaux

<sup>2</sup> ACMTS : Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé



# Mandat

Le mandat (annexe 4) exigeait que le Groupe de travail examine les considérations et les questions dans les six « domaines d'intérêt » suivants et formule des recommandations à cet égard :

## **1. Options permettant de déterminer quels médicaments entrent dans la « catégorie 1 »**

- *Un médicament de catégorie 1 est un médicament dont l'examen préliminaire de l'impact clinique, pharmacoéconomique et sur le marché, du coût de traitement et d'autres données pertinentes suggérerait un risque élevé d'avoir un prix excessif.*
- *Les critères suivants ont été définis comme justifiant une classification de catégorie 1 :*
  - A. *Le médicament est « premier de sa catégorie » ou constitue une amélioration « importante » par rapport aux options existantes.*
  - B. *Le coût de renonciation du médicament est supérieur à l'amélioration prévue de la santé.*
  - C. *Le médicament devrait avoir un grand impact sur le marché.*
  - D. *Le coût de traitement annuel moyen du médicament est élevé.*
- *Faudrait-il tenir compte d'autres critères? Quels sont les indicateurs à considérer lors de la sélection de médicaments qui répondent aux critères définis, et quelles sont les options d'utilisation de ces indicateurs?*

## **2. Application de seuils de rentabilité du côté de l'offre pour établir les plafonds de prix des médicaments de la catégorie 1**

- *Approches potentielles permettant d'établir un plafond de prix en fonction du coût de renonciation d'un médicament.*
- *Approches potentielles permettant d'obtenir des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains types de médicaments (p. ex. pédiatrique, rare, oncologique, etc.).*

## **3. Médicaments à plusieurs indications**

- *Options pour traiter les médicaments à plusieurs indications (p. ex. plusieurs plafonds de prix ou un seul plafond correspondant à une indication particulière).*

## **4. Prise en compte de l'incertitude**

- *Options pour utiliser les analyses d'un scénario de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS pour établir un plafond de prix.*

- *Options pour tenir compte de l'incertitude de l'estimation ponctuelle de chaque plafond de prix basé sur la valeur.*

## **5. Perspectives**

- *Options pour tenir compte de la considération d'un système de santé public par rapport à une perspective sociétale, incluant l'option d'appliquer un plafond de prix basé sur la valeur plus élevée où la différence entre les plafonds de prix de chaque perspective est « importante ».*
- *Comment définir une différence « importante » entre les plafonds de prix de chaque perspective?*

## **6. Application du facteur de la taille du marché dans l'établissement des prix plafonds**

- *Approches permettant de calculer un ajustement approprié du prix plafond d'un médicament en fonction de l'application des facteurs du PIB et de la taille du marché (p. ex. en fonction de l'approche américaine ICER [Institute for Clinical and Economic Review]).*

Dans le cadre de son mandat, le comité directeur avait l'occasion de déterminer d'autres domaines d'intérêt pour le Groupe de travail. Le comité directeur n'a déterminé aucun autre domaine d'intérêt pouvant être examiné par le Groupe de travail.

## **Objections**

Les membres de l'industrie (Frédéric Lavoie et Geoff Sprang) ont soulevé à de nombreuses reprises des objections par rapport à ce qu'ils considèrent comme étant les « *limites très étroites* » établies par le mandat.

Parmi ces objections figurait le fait que le Groupe de travail n'était pas autorisé à examiner si le CEPMB *devait* tenir compte des facteurs économiques dans le cadre des réformes proposées ni des questions logistiques ou opérationnelles liées à la mise en œuvre des réformes proposées.

Les membres de l'industrie ont également déclaré qu'en tant que représentants de BIOTECanada et de Médicaments novateurs Canada (MNC), ils « *ne sont pas en faveur de l'inclusion des facteurs économiques proposés dans une méthodologie réglementaire de plafonnement des prix quasi judiciaires étant donné l'incertitude que ces facteurs pourraient introduire, leurs défis pratiques et la complexité de la mise en œuvre* », faisant valoir que « *les objectifs réglementaires du gouvernement peuvent être atteints de façons beaucoup plus simples, transparentes et prévisibles qui assurent l'accès aux médicaments sur ordonnance nécessaires tout en respectant les "lignes claires" réglementaires que le CEPMB reconnaît comme étant un facteur déterminant* ».

Les membres de l'industrie ont soumis un certain nombre de commentaires « officiels » au président sur ces questions et sur d'autres également, qui sont tous reproduits *intégralement* aux annexes 3.1 à 3.5.

La représentante des patients (Maureen Smith) a aussi soumis des commentaires « officiels » sur ces questions et sur d'autres également, qui sont reproduits *intégralement* à l'annexe 3.6.

## Intention de la politique

Le CEPMB a remis au Groupe de travail un exemplaire du *Règlement modifiant le Règlement sur les médicaments brevetés*, comme publié dans la partie I du volume 151 de la *Gazette du Canada* (2017). Le présent document comprend un *Résumé de l'étude d'impact de la réglementation*, ainsi que le *projet de règlement*, et est reproduit à l'annexe 5.1.

**Le CEPMB a demandé au Groupe de travail de déterminer les facteurs à prendre en considération et de formuler ses recommandations en supposant que le *Règlement modifiant le Règlement sur les médicaments brevetés* demeurera inchangé dans sa publication finale.**

Le Groupe de travail a donc considéré que le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation et le projet de règlement constituaient un énoncé définitif de l'intention de la politique à l'égard du règlement proposé.

De plus, le CEPMB a fourni trois documents à l'appui pour aider le Groupe de travail à comprendre l'intention de la politique :

1. Document d'orientation sur les Lignes directrices du CEPMB (annexe 5.2);
2. Présentation sur la modernisation du cadre du CEPMB (annexe 5.3);
3. Notions élémentaires du CEPMB (annexe 5.4).

Le président a demandé des éclaircissements au CEPMB dans les cas où le Groupe de travail ne comprenait pas l'un des aspects de l'intention de la politique.

## Processus et procédure

Le Groupe de travail, qui a été formé en juillet 2018, s'est réuni trois fois en personne et plusieurs fois par téléconférence entre juillet 2018 et février 2019 :

1. le 26 juillet 2018 (réunion en personne, toute la journée);
2. les 22 et 24 août 2018 (réunion par téléconférence d'une heure pour chacun des six domaines d'intérêt);
3. le 24 août 2018 (réunion par téléconférence de deux heures);
4. le 25 septembre 2018 (réunion par téléconférence de deux heures);
5. le 12 octobre 2018 (réunion en personne, toute la journée);
6. le 28 novembre 2018 (réunion par téléconférence de deux heures);
7. le 5 février 2019 (réunion en personne, toute la journée).

Au départ, le Groupe de travail devait présenter son rapport en octobre 2018, mais ce délai a été reporté en mars 2019.

Les membres du CEPMB ont pris des notes détaillées des réunions, puis les ont envoyées par courriel au président après chaque réunion. Une esquisse d'un résumé de ces notes a été distribuée aux membres du Groupe de travail. Afin d'encourager une discussion franche et ouverte, le président s'est engagé à ne pas identifier dans le rapport du Groupe de travail le membre qui avait formulé le commentaire, à moins que celui-ci ne l'ait demandé. Les membres pouvaient fournir des commentaires « officiels » au sujet de toute question préoccupante.

Une semaine avant la dernière réunion en personne du 5 février 2019, le président a remis un projet de « cadre conceptuel » à tous les membres. Une version révisée de celui-ci est reproduite à l'annexe 1.

Ce « cadre conceptuel » visait à aider les membres à formuler des recommandations cohérentes concernant les six domaines d'intérêt, tout en respectant l'intention de la politique et l'éventail d'opinions exprimées par les membres du Groupe de travail au cours des délibérations.

Le 7 février 2019, le président a distribué un ensemble de « recommandations possibles provisoires ». Les membres étaient invités à soumettre leurs commentaires ou à suggérer des modifications jusqu'au 15 février 2019.

Le 18 février 2019, le président a distribué à tous les membres et à l'examineur externe un rapport provisoire sur les délibérations du Groupe de travail, y compris un ensemble définitif des « recommandations ».

En vertu du mandat, les recommandations ont été déterminées en fonction d'un vote des membres. En cas d'égalité, la voix du président était prépondérante. On avait demandé aux membres de voter sur les recommandations possibles à l'aide d'un formulaire en ligne, et les

résultats du vote étaient communiqués à tous les membres. Le président s'est engagé à ne pas identifier dans le rapport final du Groupe de travail les membres qui ont voté « en faveur » ou « contre » chaque recommandation possible.

Les commentaires sur le rapport provisoire, ainsi que les votes sur les recommandations possibles, étaient acceptés jusqu'au 1<sup>er</sup> mars 2019. Le rapport final a été présenté au CEPMB le 6 mars 2019.

# 1 : Critères de classification des médicaments dans la « catégorie 1 »

## 1.1 Mandat

Dans ce domaine d'intérêt, le mandat exigeait que le Groupe de travail examine les considérations et les questions suivantes et formule des recommandations à cet égard :

*Un médicament de catégorie 1 est un médicament dont l'examen préliminaire de l'impact clinique, pharmacoéconomique et sur le marché, du coût de traitement et d'autres données pertinentes suggérerait un risque élevé d'avoir un prix excessif.*

*Les critères suivants ont été définis comme justifiant une classification de catégorie 1 :*

- A. Le médicament est « premier de sa catégorie » ou constitue une amélioration « importante » par rapport aux options existantes.*
- B. Le coût de renonciation du médicament est supérieur à l'amélioration prévue de la santé.*
- C. Le médicament devrait avoir un grand impact sur le marché.*
- D. Le coût de traitement annuel moyen du médicament est élevé.*

*Faudrait-il tenir compte d'autres critères? Quels sont les indicateurs à considérer lors de la sélection de médicaments qui répondent aux critères définis, et quelles sont les options d'utilisation de ces indicateurs?*

Le président a demandé des éclaircissements auprès du CEPMB pour savoir si le mandat permettait au Groupe de travail d'évaluer si certains de ces critères devaient être *omis*. Le CEPMB a confirmé que cette question relevait de la compétence du Groupe de travail.

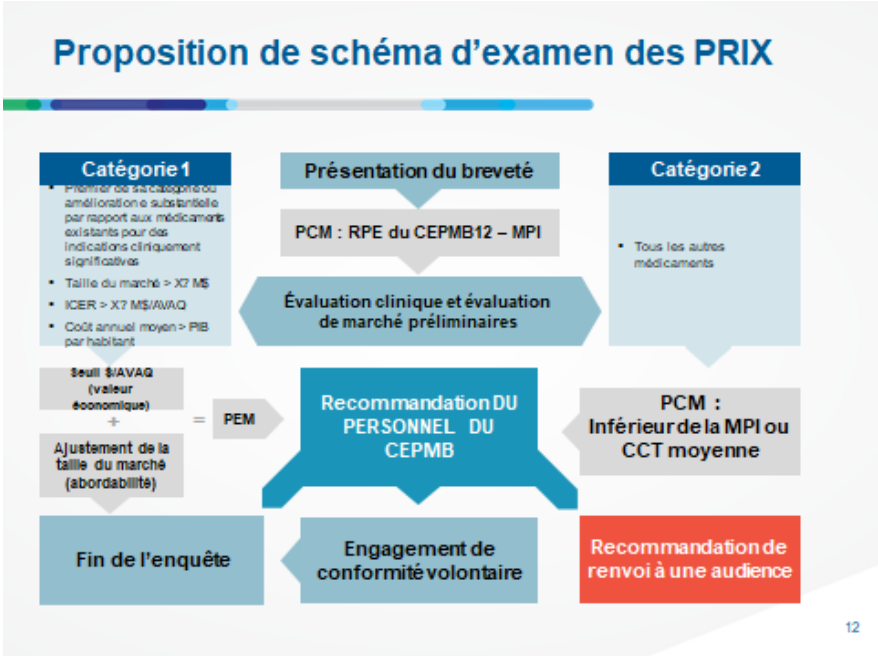
## 1.2 Intention de la politique

Le Document d'orientation sur les Lignes directrices du CEPMB comprend l'énoncé suivant, qui présente le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

« La deuxième partie du cadre est une étape de présélection qui permettrait de **classer les nouveaux médicaments brevetés dans les catégories de haute ou de faible priorité** en fonction de leur incidence prévue sur les consommateurs canadiens, notamment les patients individuels et les payeurs institutionnels (p. ex. les régimes publics et privés d'assurance-médicaments). À cette étape du processus, le CEPMB devrait déterminer si le médicament est le **premier de sa catégorie**, s'il a **quelques substituts thérapeutiques ou aucun**, s'il constitue une **amélioration considérable du traitement par rapport aux options de traitement existantes**, s'il est **indiqué pour un problème à forte prévalence au Canada**, s'il s'agit d'un **médicament onéreux** (c.-à-d. un coût moyen annuel supérieur à un seuil fondé sur le produit intérieur brut) ou s'il est **classé parmi les médicaments hautement prioritaires par d'autres agences ou organismes de réglementation dans le système de santé** (comme l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé [ACMTS] ou Santé Canada) en raison d'un **besoin médical non satisfait**. Les médicaments qui semblent **hautement prioritaires** selon ces facteurs de présélection seraient soumis à une **enquête automatique et à un examen exhaustif** pour déterminer si leur prix est **potentiellement excessif**. »

(p. 6, caractères gras ajoutés)

La présentation sur la modernisation du cadre du CEPMB comprend la diapositive suivante, qui présente le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :





## 1.3 Sommaire des délibérations

Les membres du Groupe de travail se sont généralement entendus sur le fait que l'étendue de l'examen n'était pas la même pour tous les médicaments et qu'une approche « fondée sur les risques » est souhaitable.

Toutefois, le Groupe de travail a débattu des critères que le CEPMB devrait utiliser pour déterminer les médicaments qui présentent un risque élevé d'avoir un prix excessif (« catégorie 1 »).

### 1.3.1 Aucun autre critère pris en compte

Dans le cadre de son mandat, le Groupe de travail devait évaluer s'il fallait que le CEPMB tienne compte d'« autres critères » et formuler des recommandations à cet égard.

Aucun membre du Groupe de travail n'a proposé que l'on tienne compte d'autres critères que ceux précisés dans le mandat.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**1.1 : Le Groupe de travail ne recommande pas d'autres critères que ceux précisés dans le mandat.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 1.3.2 « Amélioration importante par rapport aux options existantes »

Un certain nombre de membres se sont dits préoccupés par le libellé du critère A (« *Le médicament est "premier de sa catégorie" ou constitue une amélioration "importante" par rapport aux options existantes* »).

Bien que les membres étaient généralement d'accord que les médicaments « premiers de leur catégorie » devraient être classés dans la « catégorie 1 », plusieurs d'entre eux se demandent pourquoi les médicaments qui offrent « *une amélioration "importante" par rapport aux options existantes* » devraient être classés dans la « catégorie 1 » si aucun des autres critères n'est rempli.

Certains membres craignent que l'inclusion de ce terme ne pénalise les fabricants qui produisent des médicaments offrant une « amélioration importante », ce qui nuirait à leur mise au point. Certains membres se demandent si cela n'irait pas, par la suite, à l'encontre de l'intention de la politique.

Le président a demandé au CEPMB de clarifier l'intention de la politique qui sous-tend l'inclusion de ce terme. Le CEPMB a répondu que les médicaments qui offrent une amélioration « importante » par rapport aux options existantes sont plus susceptibles de dominer leur marché respectif, ce qui augmente le risque qu'ils aient un « prix excessif ».

Certains membres ont fait valoir que, même si un médicament domine son marché, s'il n'a pas un « grand » impact sur le marché ni un coût de traitement annuel moyen « élevé », le nombre de patients touchés sera relativement faible. Dans le cadre d'une approche de classification des médicaments « fondée sur les risques », cela pourrait justifier le fait d'exclure le terme « amélioration importante » du libellé du critère A. Un membre s'est opposé à ce point, soutenant que le CEPMB a le mandat de protéger les consommateurs contre les « prix excessifs », même si le nombre de patients touchés est faible.

Les membres du Groupe de travail n'ont pas été en mesure de relever des exemples de médicaments offrant une amélioration « importante » par rapport aux options existantes, mais qui ne seraient pas considérés comme étant « premiers de leur catégorie » et n'auraient pas un « grand » impact sur le marché ni un coût de traitement annuel moyen « élevé ». Même si l'inclusion du terme « amélioration importante » est conforme à l'objectif de la politique, on peut se demander si son inclusion est redondante, compte tenu de la présence de ces autres critères.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**1.2 : Le Groupe de travail recommande que le CEPMB examine si le libellé « amélioration importante par rapport aux options existantes » utilisé dans le critère A est redondant ou incompatible avec l'intention de la politique et, le cas échéant, que cet élément ne soit pas en pris en compte.**

**Onze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et **un**

membre a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en tant que

recommandation officielle du Groupe de travail.

### 1.3.3 Critère « coût de renonciation »

De l'avis général, le critère B (« *Le coût de renonciation du médicament est supérieur à l'amélioration prévue de la santé* ») ne devrait pas être pris en compte dans la classification des médicaments dans la « catégorie 1 ».

Certains membres ont mentionné la difficulté logistique d'établir des estimations coût-utilité pour tous les médicaments nouvellement lancés, plutôt que seulement pour ceux classés dans la catégorie 1. Toutefois, étant donné que les questions logistiques n'entraient pas dans le cadre du mandat, elles n'ont pas été examinées par le Groupe de travail.

Les membres de l'industrie ont fait valoir que le seuil de 30 000 \$ par année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) proposé par le CEPMB est suffisamment bas pour couvrir plus de 90 % de tous les nouveaux médicaments, de sorte que le fait de classer un médicament dans la « catégorie 1 » ne constituerait pas un processus de sélection utile. Une réponse possible à cette préoccupation précise serait d'augmenter suffisamment le seuil utilisé pour la sélection afin qu'un nombre gérable de nouveaux médicaments soient classés dans la « catégorie 1 ».

Une autre raison d'exclure le critère B, donnée par certains membres et conforme au cadre conceptuel, est que ce critère est peut-être redondant en présence des autres critères. Si un médicament ne satisfait à *aucun des* autres critères (c'est-à-dire qu'il n'a pas un coût annuel moyen « élevé », qu'il n'a pas un « grand » impact sur le marché, qu'il n'est pas « premier de sa catégorie » et qu'il n'offre pas une « amélioration importante » par rapport aux options de traitement existantes), la perte potentielle du surplus du consommateur qui pourrait découler de son adoption est limitée, indépendamment du rapport coût-efficacité différentiel (RCED). Dans le cadre d'une approche fondée sur les risques, il peut donc être préférable de concentrer les ressources disponibles pour évaluer les médicaments de la « catégorie 1 » dont le coût de traitement annuel moyen est « élevé », qui ont un « grand » impact sur le marché et (ou) qui ont le potentiel de dominer leur marché respectif.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**1.3 : Le Groupe de travail recommande que le critère B ne soit pas pris en compte.**

**Onze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et un membre a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

#### 1.3.4 « Coût de traitement annuel moyen élevé »

Le Groupe de travail n'était pas d'accord sur le critère D (« *Le coût de traitement annuel moyen du médicament est élevé* »), en particulier sur la question de savoir si le « coût de traitement annuel moyen élevé » devrait être pris en compte en termes absolus ou comme un *ajout* au traitement existant.

Il a été noté qu'un nouveau médicament pourrait avoir un « coût de traitement annuel moyen élevé », mais pourrait remplacer un traitement existant qui a *également* un « coût de traitement annuel moyen élevé », de sorte que le coût de traitement annuel moyen *différentiel* ne soit pas « élevé ».

Certains membres ont mentionné que si le coût annuel moyen d'un traitement *existant* est « élevé », cela augmente le risque que le coût du traitement existant soit lui-même considéré comme étant « excessif ». Dans de tels cas, le nouveau médicament peut également être considéré comme étant offert à « un prix excessif », même si le coût de traitement annuel moyen *différentiel* n'est pas « élevé ».

Comme l'indique le cadre conceptuel, le coût de renonciation lié à l'adoption d'un nouveau médicament dépend de son coût *différentiel* par rapport au traitement existant. Toutes choses égales par ailleurs, le risque que le fait d'adopter un nouveau médicament entraîne un surplus du consommateur négatif serait donc plus élevé pour un médicament dont le coût de traitement annuel moyen *différentiel* est élevé, comparativement à un médicament dont le coût de traitement annuel moyen *absolu* est élevé, mais dont le coût de traitement annuel moyen *différentiel* est faible. Pour cette raison, le CEPMB pourrait considérer le « coût de traitement annuel moyen » selon le critère D comme un *ajout* au traitement existant.

Plusieurs facteurs doivent être pris en compte lors du calcul de ce coût différentiel. Il faudrait déterminer le médicament de comparaison pertinent et en estimer le coût du traitement au cours de l'horizon temporel pertinent. Si le médicament de comparaison est breveté, il faudra également tenir compte de toute réduction prévue de son coût si d'autres médicaments génériques que le médicament de comparaison deviennent disponibles pendant la durée du brevet du nouveau médicament.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**1.4 : Le Groupe de travail recommande que le « coût de traitement annuel moyen » selon le critère D soit considéré comme un ajout au traitement existant.**

**Onze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et **un** membre a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 1.3.5 Indicateurs à considérer

Le mandat exigeait que le Groupe de travail examine les « *indicateurs à considérer lors de la sélection de médicaments qui répondent aux critères définis* » et formule des recommandations s'y rapportant. Le président a interprété cela comme une référence aux mesures et aux définitions utilisées pour chaque critère. Par exemple, si les termes « amélioration importante » sont retenus dans le critère A, comment mesurera-t-on l'« amélioration » et comment définira-t-on une « amélioration importante »?

De l'avis général, les indicateurs les plus appropriés pour chaque critère seraient ceux qui sont déjà utilisés dans la pratique canadienne. Par exemple, si le CEPMB tient compte des termes « amélioration importante » dans le critère A, la définition d'« amélioration importante » pourrait être fondée sur la définition déjà adoptée par le CEPMB. Parmi les autres sources potentielles de définitions suggérées par les membres, mentionnons l'évaluation des technologies de la santé (ETS) et les organismes de réglementation au Canada.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**1.5 : Le Groupe de travail recommande que les indicateurs et les définitions utilisés pour chaque critère reflètent la pratique actuelle au Canada.**

**Dix** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et **deux** membres ont voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 1.3.6 Détermination d'un seuil pour chaque critère

En plus de déterminer les « indicateurs à considérer », le Groupe de travail devait, dans le cadre du mandat, examiner les « options » d'utilisation de ces indicateurs et formuler des recommandations s'y rapportant.

Les membres ont également discuté de la façon de déterminer un « seuil » approprié à adopter pour chaque critère, en s'appuyant sur certains seuils possibles proposés par le CEPMB.

Lors de la première réunion du Groupe de travail, le CEPMB a proposé que, dans l'examen du critère B (« *Le coût de renonciation du médicament est supérieur à l'amélioration prévue de la santé* »), le RCED puisse être comparé à un seuil de 30 000 \$ par année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ). Cette proposition était fondée sur une estimation réalisée par Ochalek *et coll.* (2018) du coût de renonciation du financement de nouveaux médicaments dans les systèmes de santé publics du Canada (examiné plus loin dans le sujet 2)<sup>1</sup>. Certains membres craignent qu'un seuil de 30 000 \$ par AVAQ soit suffisamment bas pour couvrir une proportion importante de tous les nouveaux médicaments examinés par le CEPMB, de sorte que la classification d'un médicament dans la « catégorie 1 » ne puisse servir de processus de « sélection » utile. Toutefois, étant donné que les membres du Groupe de travail se sont généralement entendus sur le fait que le critère B ne devrait pas être examiné par le CEPMB, ils n'ont pas discuté davantage à propos de ce seuil.

Le CEPMB a également proposé un seuil possible d'« impact sur le marché » de 20 ou 40 millions de dollars et proposé qu'un médicament puisse être considéré comme ayant un « grand impact sur le marché » s'il atteint ce seuil au cours de l'une des trois ou des cinq premières années suivant son lancement. Le CEPMB a fourni au Groupe de travail des estimations de la proportion de tous les médicaments qui seraient classés dans la « catégorie 1 » pour chaque combinaison de ces seuils possibles (en se basant uniquement sur le critère C) :

- marché d'une valeur de 20 millions de dollars au cours de l'une des trois premières années : 22 % de tous les médicaments
- marché d'une valeur de 20 millions de dollars au cours de l'une des cinq premières années : 27 % de tous les médicaments
- marché d'une valeur de 40 millions de dollars au cours de l'une des trois premières années : 17 % de tous les médicaments
- marché d'une valeur de 40 millions de dollars au cours de l'une des cinq premières années : 20 % de tous les médicaments

Enfin, le CEPMB a proposé un seuil possible du « coût de traitement annuel moyen » de 50 000 \$. Le CEPMB a estimé qu'avec ce seuil, 4 % de tous les médicaments seraient classés dans la « catégorie 1 » (en se basant uniquement sur le critère D).

Le Groupe de travail a constaté que la nature sensible de chaque critère en tant qu'« examen de présélection » dépendait du seuil adopté. Le Groupe de travail ne disposait pas des données nécessaires pour calculer combien de médicaments seraient classés dans la

« catégorie 1 » selon différentes combinaisons de seuils parmi les critères. De plus, il a été noté que le nombre « idéal » de médicaments à classer dans la catégorie « à risque élevé » dépendait de la capacité du CEPMB d'évaluer les médicaments de la « catégorie 1 » (ce qu'ignorait le Groupe de travail), tandis que les types de médicaments « idéaux » à classer dans la catégorie « à risque élevé » dépendaient de l'intention de la politique.

Le Groupe de travail n'a donc pas été en mesure de formuler des recommandations précises concernant le seuil à adopter pour chaque critère. Le président a plutôt proposé que le CEPMB détermine le seuil pour chaque critère en tenant compte de sa capacité d'évaluer les médicaments de « catégorie 1 », des facteurs techniques du Groupe de travail ainsi que de l'intention de la politique.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

***1.6 : Le Groupe de travail recommande que le CEPMB établisse un seuil pour chaque critère en tenant compte de sa capacité d'évaluer les médicaments de « catégorie 1 », des facteurs techniques du Groupe de travail ainsi que de l'intention de la politique.***

**Dix** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**deux** membres ont voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 1.3.7 Spécification précise du seuil pour chaque critère

Les deux membres de l'industrie du Groupe de travail ont souligné l'importance que le CEPMB précise clairement le seuil à utiliser pour chaque critère, afin de fournir une « ligne claire » aux fabricants.

Une justification technique de cette demande est que le fait de préciser clairement le seuil pour chaque critère permet de réduire l'incertitude. Le cadre conceptuel décrit comment l'incertitude dans la valeur pharmacoéconomique d'un médicament peut entraîner une perte de surplus économique prévue, de sorte qu'il peut être utile de réduire cette incertitude. De même, l'incertitude quant à savoir si un médicament peut être classé dans la « catégorie 1 » peut provoquer une perte prévue pour les fabricants et les autres intervenants.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**1.7 : Le Groupe de travail recommande que le seuil pour chaque critère soit clairement précisé, afin de réduire l'incertitude pour les intervenants.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 1.3.8 Autres facteurs

Il a également été question de savoir si le critère « grand impact sur le marché » ne devrait pas être considéré comme un *ajout* au traitement existant (comme dans le cas d'un « coût de traitement annuel moyen élevé » à la section 1.3.4). Certains membres ont fait valoir qu'un médicament dont le marché est important peut remplacer un traitement existant dont le marché est également important, de sorte que l'impact *net* sur le marché est relativement faible.

Toutefois, le Document d'orientation sur les Lignes directrices du CEPMB, ainsi que l'« ajustement en fonction de la taille du marché » proposé (section 6), laissait entrevoir que les médicaments ayant un impact élevé *absolu* sur le marché suscitaient des préoccupations au chapitre de la politique. Le CEPMB a confirmé au président que c'était le cas. Compte tenu de la présente intention de politique, le Groupe de travail n'a pas examiné de recommandation possible visant à modifier le libellé du critère « grand impact sur le marché » afin qu'il s'ajoute au traitement existant.



## 2 : Seuils de rentabilité du côté de l'offre

### 2.1 Mandat

Dans ce domaine d'intérêt, le mandat exigeait que le Groupe de travail examine les considérations et les questions suivantes et formule des recommandations à cet égard :

*Approches potentielles permettant d'établir un plafond de prix en fonction du coût de renonciation d'un médicament.*

*Approches potentielles permettant d'obtenir des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains types de médicaments (p. ex. pédiatrique, rare, oncologique, etc.).*

### 2.2 Intention de la politique

Le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation comprend les énoncés suivants, qui fournissent le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

*« Renseignements sur la valeur pharmacoéconomique : Les titulaires de brevets seraient tenus de transmettre au CEPMB toutes les **analyses coût-utilité** publiées qui utilisent la valeur du point de vue du **coût par année de vie pondérée par la qualité (QALY)**. Les analyses coût-utilité sont perçues par les experts comme étant l'approche **de référence** pour examiner la **valeur économique** de nouveaux médicaments. »*

*(p. 10, caractères gras ajoutés)*

*« Si les modifications proposées ne sont pas apportées, on estime que les **systèmes de santé publics de partout au Canada** dépenseront 3,9 milliards de dollars (VA) de plus pour la même quantité de médicaments brevetés. Il s'agit d'un **coût d'option intéressant pour le système public de santé au Canada** puisque ces sommes pourraient être affectées à **d'autres secteurs du système de santé pour mieux répondre aux besoins des Canadiens en matière de santé.** »*

*(p. 16, caractères gras ajoutés)*

Le Document d'orientation sur les Lignes directrices du CEPMB comprend l'énoncé suivant, qui présente le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

« *La première partie de l'analyse évaluerait le coût supplémentaire par année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) du médicament, tel qu'il a été déterminé par le processus d'évaluation des technologies de la santé de l'ACMTS par rapport à un seuil explicite de rentabilité. Ce seuil serait fondé sur le coût de renonciation associé au déplacement de la technologie de santé la moins coûteuse du système de santé canadien, autrement compris comme le coût marginal d'une AVAQ, tel qu'il est calculé par les économistes experts en santé et révisé périodiquement pour refléter l'évolution des conditions du marché. Les médicaments qui prolongent la vie ou procurent des gains importants en AVAQ pourraient être assujettis à un seuil plus généreux, car les payeurs canadiens ont démontré une plus grande volonté de payer pour ce type de médicaments.* »

(p. 6, caractères gras ajoutés)

La présentation sur la modernisation du cadre du CEPMB comprend la diapositive suivante, qui présente le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

### Partie III : PEM pour les médicaments de catégorie 1

- 1<sup>ère</sup> étape : application des facteurs pharmacoéconomiques
  - La recherche empirique entreprise par Karl Claxton de l'Université de York suggère un seuil du coût de renonciation de 30 000 \$/AVAQ pour le Canada.
  - Le CEPMB utilisera cette estimation dans le cadre de la présélection pour déterminer si un médicament entre dans la catégorie 1 ou dans la catégorie 2.
  - Les médicaments de catégorie 1 seront ensuite assujettis à un prix plafond de référence fondé sur la valeur de 60 000 \$/AVAQ, par pragmatisme et par souci d'efficacité.
  - Les médicaments qui répondent à certaines caractéristiques cliniques (p. ex. charge de morbidité élevée, gain absolu important dans l'AVAQ) peuvent faire l'objet d'un plafond \$/AVAQ plus élevé.

17

## 2.3 Sommaire des délibérations

Les délibérations du Groupe de travail à ce sujet ont été éclairées par deux documents commandés par le CEPMB avant la création du Groupe de travail :

1. Un livre blanc préparé par l'Institut de l'économie de la santé intitulé « *Theoretical models of the cost-effectiveness threshold, value assessment, and health care system sustainability* », ci-après appelé le « rapport de l'Institut de l'économie de la santé »<sup>2</sup>.
2. Un rapport préparé par Jessica Ochalek et ses collègues de l'Université de York intitulé « *Assessing health opportunity costs for the Canadian health care systems* », ci-après appelé « *Ochalek et coll. (2018)* »<sup>1</sup>.

### 2.3.1 Pertinence de l'utilisation d'un seuil du côté de l'offre

Comme l'indique le rapport de l'Institut de l'économie de la santé, il est possible d'utiliser un seuil du côté de l'offre pour estimer le « coût de renonciation pour la santé » qu'engendrerait l'adoption d'un nouveau médicament dans un système de santé public. Ce coût de renonciation pour la santé est mesuré en unités d'avantages pour la santé (généralement les AVAQ) et reflète l'estimation de la santé à laquelle les autres patients du système de santé « renoncent » si des ressources limitées sont utilisées pour adopter le nouveau médicament.

Par exemple, Ochalek *et coll.* (2018) ont estimé un seuil du côté de l'offre à 30 000 \$ par AVAQ pour l'ensemble du Canada, avec certaines variations entre les provinces et les territoires (examiné plus en détail à la section 2.3.4). Cette estimation sous-entend que chaque montant supplémentaire de 30 000 \$ dépensé pour un nouveau médicament entraîne une AVAQ à laquelle les autres patients dans les systèmes de santé publics au Canada renoncent. Une estimation d'un seuil du côté de l'offre plus élevé indiquerait que moins d'AVAQ sont déplacées à un coût différentiel donné associé à un nouveau médicament et, inversement, un seuil du côté de l'offre inférieur laisserait entendre que plus d'AVAQ sont déplacées pour un coût différentiel donné.

D'autres explications et exemples sont fournis dans le cadre conceptuel.

Les membres du Groupe de travail ont débattu pour déterminer si un seuil du côté de l'offre correspondait toujours au moyen le plus approprié pour estimer le coût de renonciation des nouveaux médicaments.

Plus précisément, ils se sont demandé si un « seuil du côté de la demande » pouvait être plus approprié qu'un seuil du côté de l'offre dans certains cas.

Comme l'indique le rapport de l'Institut de l'économie de la santé, un seuil du côté de la demande reflète la « volonté de payer » des Canadiens en matière d'avantages pour la santé. Certains membres ont fait valoir qu'un seuil du côté de la demande pourrait donc être plus

approprié pour les assureurs privés et les patients qui paient eux-mêmes.

Néanmoins, le CEPMB ayant précisé que l'intention de la politique est d'adopter la perspective du système de santé public canadien (section 5.2), les délibérations du Groupe de travail ont porté sur une approche du côté de l'offre pour estimer le seuil.

Étant donné que l'intention de la politique est d'adopter la perspective des systèmes de santé publics du Canada et que le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation considère l'AVAQ, telle qu'elle est utilisée dans l'analyse coût-utilité, comme l'approche « de référence » pour examiner la valeur économique des nouveaux médicaments, il s'ensuit que la mesure la plus pertinente du coût de renonciation d'un nouveau médicament, selon la présente intention de politique, correspond à une estimation des AVAQ auxquelles les patients des systèmes publics de soins de santé canadiens renoncent. Comme l'indique le cadre conceptuel, cette valeur peut être évaluée à l'aide d'une estimation du coût différentiel du nouveau médicament et d'une estimation du seuil de rentabilité du côté de l'offre, exprimée en termes de coût par AVAQ.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**2.1 : Le Groupe de travail considère que l'utilisation d'un seuil de rentabilité du côté de l'offre, comme moyen d'estimer le coût de renonciation lié à l'adoption de nouveaux médicaments dans les systèmes de santé publics du Canada, est compatible avec l'intention de la politique.**

Dix membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**deux** membres ont voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 2.3.2 Incertitude dans la base de données empiriques

Le Groupe de travail a considéré de façon unanime que la base de données empiriques relative aux estimations canadiennes des seuils du côté de l'offre était incertaine.

La seule estimation existante d'un seuil du côté de l'offre pour le Canada est celle fournie par Ochalek *et coll.* (2018). Ces travaux ont fait état des estimations des seuils du côté de l'offre pour chaque province et chaque territoire quant aux coûts par année de vie ajustée en fonction de l'incapacité (AVAI) perdue. En se fondant sur ces estimations, les auteurs soutiennent « *qu'un seuil de coût par AVAI est susceptible d'être inférieur à 50 000 \$ pour l'ensemble du Canada* ». Les auteurs soutiennent en outre « *qu'un seuil de coût par AVAQ est susceptible*

*d'être semblable ou inférieur à un seuil de coût par AVAI perdue », concluant « qu'un seuil de coût par AVAQ de 30 000 \$ serait une évaluation raisonnable des effets sur la santé qu'engendreraient les changements dans les dépenses de santé pour l'ensemble du Canada et serait probablement semblable dans la plupart des provinces ».*

Les auteurs ont reconnu que cette recherche n'était pas fondée principalement sur des données canadiennes, notant que « *d'autres recherches visant à fournir des estimations de l'élasticité propres au Canada et (ou) aux provinces à l'aide de données nationales et provinciales devraient être considérées comme une priorité* ».

Certains membres du Groupe de travail se sont dits préoccupés par les variables instrumentales (VI) utilisées par Ochalek *et coll.* (2018).

Un membre a fait remarquer que les auteurs ont utilisé deux VI particulières qui pourraient poser problème :

1. les dépenses militaires par habitant des pays voisins;
2. une mesure de la qualité institutionnelle, saisie à l'aide de ce qui suit :
  - a. le niveau de l'infrastructure (représenté par les « routes revêtues au kilomètre carré »);
  - b. la brusque variation dans le « financement des donateurs » (écart absolu par rapport à la moyenne historique).

Ce membre considère que le bien-fondé de ces VI est discutable dans le contexte canadien. Les voisins du Canada sont les États-Unis, ce qui en fait une valeur aberrante sur le plan des dépenses militaires par habitant dans l'échantillon de pays utilisé dans l'étude d'Ochalek *et coll.* (2018). Le Canada est également une valeur aberrante parce qu'il se classe 90<sup>e</sup> sur 125 pays<sup>3</sup> sur le plan des « routes revêtues par kilomètre carré ». Étant donné que relativement peu de pays à revenu élevé reçoivent du « financement de donateurs », ce membre a fait remarquer que les « routes revêtues par kilomètre carré » correspondent effectivement à la seule VI pour la qualité des infrastructures.

Ces VI potentiellement « faibles » soulèvent des préoccupations au sujet des estimations des paramètres du modèle de régression des auteurs. Plus précisément, si les VI ne sont faiblement corrélées qu'avec les variables explicatives endogènes, il se peut que les estimations des paramètres soient biaisées, les estimations soient incohérentes, la taille des tests de signification soit incorrecte et les intervalles de confiance soient faux<sup>4-6</sup>.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**2.2 : Le Groupe de travail considère la base de données probantes actuelles sur les estimations canadiennes des seuils de rentabilité du côté de l'offre, y compris la recherche empirique effectuée par Ochalek et coll. (2018), comme étant incertaine.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 2.3.3 Orientation et ampleur du biais dans l'estimation de 30 000 \$ par AVAQ

Étant donné les préoccupations du Groupe de travail au sujet des VI utilisées dans l'étude d'Ochalek *et coll.* (2018), les membres ont examiné l'orientation et l'ampleur possibles du biais dans l'estimation de 30 000 \$ par AVAQ.

Lors d'un séminaire public, le président a demandé à l'auteur correspondant de l'étude d'Ochalek *et coll.* (2018), le D<sup>r</sup> Karl Claxton, de donner son point de vue sur les répercussions de toute faiblesse dans les VI<sup>7</sup>. Le D<sup>r</sup> Claxton a répondu que toute faiblesse dans les VI devrait affaiblir la relation entre les dépenses de santé et les résultats en matière de santé, ce qui entraînerait alors une surestimation du seuil de rentabilité.

Les remarques du D<sup>r</sup> Claxton sous-entendent qu'une réestimation du seuil du côté de l'offre avec des VI plus pertinentes devrait être inférieure à 30 000 \$ par AVAQ. Toutefois, le membre du Groupe de travail qui s'est d'abord interrogé sur la pertinence des VI dans l'étude d'Ochalek *et coll.* (2018) n'était pas d'accord, soutenant que l'orientation du biais découlant d'une VI faible est inconnue.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**2.3 : Le Groupe de travail considère que l'orientation et l'ampleur de tout biais dans l'estimation de 30 000 \$ par AVAQ établie par Ochalek et coll. (2018) sont inconnues.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 2.3.4 Différences parmi les provinces et territoires

Plusieurs membres ont fait remarquer que le seuil du côté de l'offre pour chaque système de santé public canadien devrait être différent.

Théoriquement, le seuil du côté de l'offre est influencé, entre autres, par le budget du système de santé en question<sup>8</sup>. Puisque chaque système de santé provincial et territorial a son propre budget, on s'attend à ce que le seuil du côté de l'offre soit différent pour chacun.

Cela concorde avec les résultats des travaux d'Ochalek *et coll.* (2018), qui ont révélé un seuil du côté de l'offre différent (sur le plan des coûts par AVAI perdue) dans chaque province et territoire<sup>1</sup>.

Le Groupe de travail a examiné plusieurs approches possibles qui permettraient d'établir un plafond de prix unique dans l'ensemble des provinces et des territoires, notamment :

1. un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable dans la province ou le territoire ayant le seuil du côté de l'offre le plus élevé;
2. un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable dans la province ou le territoire ayant le seuil du côté de l'offre le plus bas;
3. un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable partout au Canada.

Les répercussions de chaque approche sont prises en compte dans le cadre conceptuel. En résumé, chaque approche donne lieu à une répartition différente du « surplus économique » total entre les « consommateurs » (patients) et les « producteurs » (fabricants). La première approche se traduit par un surplus du consommateur global négatif et la deuxième, par un surplus du consommateur global positif, tandis que la troisième approche se traduit par un surplus du consommateur global nul.

Étant donné que la répartition privilégiée du surplus économique relève des décideurs, le Groupe de travail ne préconise aucune approche particulière. Le Groupe de travail recommande plutôt que tout seuil unique utilisé aux fins de l'établissement d'un plafond de prix soit conforme à l'intention de la politique, compte tenu des facteurs techniques décrits par le Groupe de travail.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

***2.4 : Le Groupe de travail reconnaît que chaque système de santé public provincial et territorial a son propre seuil de rentabilité du côté de l'offre et recommande que tout seuil unique utilisé pour établir un plafond de prix soit conforme à l'intention de la politique.***

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.



### 2.3.5 Médicaments ayant une incidence budgétaire nette élevée

En théorie, l'adoption de médicaments ayant une incidence budgétaire nette élevée dans un système de santé public soumis à des contraintes budgétaires devrait entraîner un coût de renonciation largement disproportionné<sup>8,9</sup>. (Il est à noter que « l'incidence budgétaire nette » est distincte du facteur « taille du marché » à la section 6.)

Une approche pour remédier à la situation consiste à utiliser un seuil du côté de l'offre qui diminue progressivement pour les médicaments dont l'incidence budgétaire nette augmente progressivement. Un membre a cité le travail empirique de James Lomas, qui a estimé que le seuil du côté de l'offre pour le service national de santé (NHS) du Royaume-Uni diminuerait à mesure que l'incidence budgétaire nette d'une nouvelle technologie de santé augmente<sup>9</sup>. Pour les nouveaux traitements contre l'hépatite C, qui ont eu une incidence budgétaire nette estimée à 772 millions £ la première année, M. Lomas a constaté que ce seuil du côté de l'offre devrait être rajusté à la baisse de 12 936 £ par AVAQ (seuil du côté de l'offre pour les changements marginaux dans les dépenses de santé) à 12 452 £ par AVAQ<sup>9,10</sup>.

Le Groupe de travail n'a pas eu connaissance d'autres tentatives à l'échelle internationale pour estimer les seuils du côté de l'offre associés aux changements non marginaux dans les dépenses de santé. Comme il n'y a pas d'estimation empirique équivalente pour le Canada, il n'existe actuellement aucune donnée permettant d'éclairer un tel rajustement à la baisse du seuil du côté de l'offre au Canada.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

***2.5 : Le Groupe de travail reconnaît qu'en principe, un rajustement à la baisse devrait être appliqué au seuil de rentabilité du côté de l'offre pour les médicaments ayant une incidence budgétaire nette élevée, mais constate qu'il n'existe à l'heure actuelle aucune donnée empirique au Canada permettant de déterminer l'ampleur d'un tel rajustement.***

Dix membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**deux** membres ont voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 2.3.6 Pondération de l'équité

Dans le cadre du mandat, le Groupe de travail était tenu de prendre en considération des « *approches potentielles permettant d'obtenir des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains types de médicaments (p. ex. pédiatriques, rares, oncologiques, etc.)* ».

Le Groupe de travail a noté que, selon les exigences du « scénario de référence » de l'ACMTS, la valeur attribuée aux AVAQ est égale. Cette position est justifiée dans les « Lignes directrices de l'évaluation économique des technologies de la santé au Canada » de l'ACMTS (4<sup>e</sup> édition; p. 59-60)<sup>11</sup>. Le scénario de référence de l'ACMTS reflète donc une participation pour laquelle une « pondération » de 1 est appliquée à toutes les AVAQ, quelles que soient les caractéristiques des patients, de la maladie ou de la technologie en question.

Il est important de noter que l'application d'une pondération de 1 à toutes les AVAQ ne permet pas de fixer un plafond de prix « *supérieur au coût de renonciation* » pour « *certain types de médicaments* », mais pas tous. Le Groupe de travail a donc examiné la possibilité d'appliquer des pondérations différentes à certaines AVAQ et, par conséquent, de s'écarter de l'hypothèse du scénario de référence de l'ACMTS selon laquelle la valeur de toutes les AVAQ est égale.

Il existe une documentation de plus en plus volumineuse sur les types de caractéristiques auxquelles la société peut accorder une pondération plus ou moins importante au moment de l'évaluation des améliorations de la santé<sup>12-18</sup>. Un membre a fourni au Groupe de travail un résumé de cette documentation. Les caractéristiques souvent jugées importantes dans les études empiriques comprennent la gravité de la maladie (en particulier la présence ou non d'une maladie potentiellement mortelle ou d'une maladie débilissante chronique), la disponibilité d'autres traitements actifs, la morbidité prévalente, le type d'amélioration sur la santé (comme la réduction de la douleur) et l'importance de l'amélioration sur la santé. Ces facteurs interagissent souvent entre eux et ne devraient donc pas être considérés indépendamment les uns des autres. De l'avis de ce membre, un travail empirique plus approfondi est nécessaire pour bien comprendre ces interactions et les « pondérations » qui seraient attribuées à chaque caractéristique.

Les membres ont également discuté de questions théoriques liées à l'application de pondérations à certaines AVAQ, mais pas toutes. Un membre s'est dit préoccupé par le fait que certains problèmes conceptuels importants n'ont pas encore été abordés dans la documentation. Par exemple, est-ce qu'une pondération plus élevée pour le « cancer » serait appliquée à toutes les AVAQ gagnées par un patient atteint de cancer (y compris celles gagnées grâce au traitement d'autres maladies) ou seulement aux AVAQ gagnées grâce au traitement du cancer (de sorte que la pondération des autres AVAQ gagnées pour le même patient pour d'autres maladies serait différente)? Il y a également un débat en cours et non résolu sur la question de savoir si les pondérations devraient être appliquées directement aux AVAQ ou au seuil de rentabilité. Cette dernière approche a été utilisée par le National Institute for Health and Care Excellence au Royaume-Uni, mais elle a été critiquée pour avoir entraîné des « incohérences » dans la prise en considération de la valeur sociale<sup>19</sup>.

En raison de ces limites dans la documentation empirique et théorique, l'opinion prédominante des membres était que les pondérations de l'équité autres que 1 ne devraient pas être appliquées à l'heure actuelle.

Le Groupe de travail a discuté des répercussions possibles de cette recommandation pour les médicaments contre les maladies rares. Comme l'indique le cadre conceptuel, on peut s'attendre à ce que la courbe de l'offre pour les médicaments dont le marché est limité soit plus élevée (selon la quantité respective) que celle pour les médicaments dont le marché est important. Lorsqu'ils sont assortis d'un plafond de prix donné, ces médicaments peuvent donc être moins rentables que ceux dont le marché est plus important. Cette question est abordée plus en détail à la section 6.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**2.6 : Le Groupe de travail ne recommande pas l'application de « pondérations de l'équité » autres que 1, ce qui serait nécessaire pour pouvoir fixer des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains médicaments, mais pas tous, en raison des limites que présente la base de données théoriques et empiriques actuelles.**

**Neuf** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et **trois** membres ont voté **contre**.

Cette recommandation a donc été **adoptée** en tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 2.3.7 Spécification précise du seuil du côté de l'offre

À l'instar de la demande portant sur le fait de préciser clairement les seuils utilisés pour classer les médicaments dans la « catégorie 1 » (section 1.3.7), les deux membres de l'industrie ont insisté sur la nécessité de préciser clairement les seuils du côté de l'offre utilisés aux fins de l'établissement d'un plafond de prix.

Comme l'indique le cadre conceptuel, le seuil du côté de l'offre est un facteur déterminant de l'emplacement de la « courbe de la demande » pour un nouveau médicament. Une justification technique pour demander que le seuil du côté de l'offre soit clairement précisé est que cela réduit l'incertitude pour les fabricants quant à l'emplacement de cette courbe de la demande, et donc le surplus du producteur si le plafond de prix est établi à l'aide de celle-ci.

Le Groupe de travail s'est entendu quant à la nécessité de préciser le seuil du côté de l'offre et,

par conséquent, d'indiquer plus clairement aux fabricants et aux autres intervenants l'emplacement de la courbe de la demande.

Néanmoins, comme l'indique le cadre conceptuel, il existe également une incertitude considérable quant à l'emplacement de la « courbe de l'offre » du fabricant. Cette situation accroît l'incertitude quant à l'ensemble des plafonds de prix possibles auxquels les surplus du consommateur et du producteur sont tous deux positifs, ce qui pourrait entraîner une perte de surplus économique pour eux. Afin de réduire au minimum cette incertitude, il faudrait déployer des efforts pour mieux comprendre l'emplacement de la courbe de l'offre pour les nouveaux médicaments, ce qui compléterait les efforts visant à fournir une plus grande certitude quant à l'emplacement de la courbe de la demande en précisant clairement le seuil du côté de l'offre.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**2.7 : Le Groupe de travail recommande que toute estimation du seuil du côté de l'offre adopté par le CEPMB aux fins de l'établissement d'un plafond de prix soit clairement précisée afin de réduire l'incertitude des intervenants.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 2.3.8 Recherche empirique plus approfondie

Compte tenu de l'incertitude entourant la base de données empiriques existantes quant aux seuils de rentabilité du côté de l'offre au Canada (sections 2.3.2 et 2.3.3), les membres du Groupe de travail se sont montrés largement en faveur de la réalisation d'une recherche empirique plus poussée.

Étant donné que les différences dans les seuils du côté de l'offre entre les provinces et les territoires sont prévues par des travaux théoriques et qu'elles ont été observées par Ochalek et coll. (2018), (section 2.3.4), il a également été convenu que toute étude empirique canadienne future devrait tenir compte des variations possibles dans les estimations des seuils de rentabilité du côté de l'offre entre les administrations au Canada.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

***2.8 : Le Groupe de travail recommande que le CEPMB appuie la réalisation d'autres recherches empiriques afin d'estimer un seuil de rentabilité du côté de l'offre pour le Canada. Ces recherches devraient tenir compte de la variation des estimations des seuils de rentabilité du côté de l'offre entre les administrations au Canada, et en rendre compte.***

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 2.3.9 Établissement d'un seuil « provisoire »

Étant donné que les données empiriques existantes sur les seuils du côté de l'offre au Canada ont été jugées incertaines et qu'il faudra du temps pour effectuer d'autres recherches empiriques et en faire rapport, les membres ont discuté de la façon dont le CEPMB pourrait préciser un seuil en attendant.

#### Seuils de politique actuels au Canada

Le Groupe de travail a envisagé une approche provisoire possible qui consisterait à ce que le CEPMB précise un seuil conforme aux « seuils de politique » actuels utilisés par les organismes d'ETS canadiens.

Le Groupe de travail a observé qu'actuellement, aucun organisme d'ETS canadien ne précise explicitement un seuil de politique relatif aux coûts par AVAQ. Toutefois, un membre a fait remarquer que l'INESSS utilise un seuil de politique informel de 50 000 \$ à 100 000 \$ par AVAQ, et les autres membres ont fourni des preuves anecdotiques que d'autres organismes d'ETS au Canada utilisent des seuils de politique semblables de façon informelle (dans certains cas, des seuils de politique plus élevés sont utilisés, comme pour le cancer).

Un autre membre a suggéré qu'il pourrait être utile de comprendre quel seuil de politique l'Alliance pharmaceutique pancanadienne utilise de façon informelle dans ses négociations.

Un membre cite un article paru en 2016 dans le Hamilton Spectator, selon lequel « *le Programme pancanadien d'évaluation des médicaments oncologiques a fixé un seuil non officiel de 100 000 \$ par année de vie ajustée en fonction de la qualité pour les nouveaux médicaments contre le cancer* », ainsi qu'une lettre du sous-ministre de la Santé et des Soins de longue durée de l'Ontario parue en 2009, qui soulignait que le Comité d'évaluation des médicaments « *considère généralement une fourchette de 40 000 \$ à 60 000 \$ [par] AVAQ comme étant acceptable<sup>20,21</sup>* ».

Dans l'ensemble, ces données indiquent que les seuils de politique informels utilisés par les organismes d'ETS au Canada se situent entre 50 000 \$ et 100 000 \$ par AVAQ, les médicaments oncologiques étant évalués dans le haut de cette fourchette et les autres médicaments évalués relativement plus bas dans celle-ci.

Il convient de noter qu'aucun de ces seuils de politique n'est fondé sur une évaluation empirique du coût de renonciation lié à l'adoption de nouveaux médicaments dans les systèmes de santé publics du Canada, comme il serait nécessaire pour préciser un seuil « du côté de l'offre ».

## Seuils du côté de l'offre d'autres administrations

Une autre approche provisoire possible consiste à examiner des estimations empiriques de seuils du côté de l'offre pour d'autres administrations dont les caractéristiques liées à la richesse et au marché des médicaments sont semblables à celles du Canada.

Le rapport de l'Institut de l'économie de la santé résume trois estimations actuelles de seuils du côté de l'offre publiées pour d'autres administrations<sup>2</sup> :

1. Les travaux de Claxton *et coll.* (2015), qui présentaient une estimation d'un seuil du côté de l'offre de 12 936 £ par AVAQ pour le système de santé public au Royaume-Uni<sup>10</sup>.
2. Les travaux de Vallejo-Torres *et coll.* (2017), qui présentaient une estimation d'un seuil du côté de l'offre se situant entre 21 000 et 25 000 € par AVAQ pour le système de santé public en Espagne<sup>22</sup>.
3. Les travaux d'Edney *et coll.* (2017), qui présentaient une estimation d'un seuil du côté de l'offre de 28 033 AUD par AVAQ pour le système de santé public en Australie<sup>23</sup>.

Le président a fait remarquer que l'estimation de 30 000 \$ par AVAQ établie par Ochalek *et coll.* (2018) est généralement conforme à ces estimations et que ces trois pays figurent sur la liste proposée de pays membres du CEPMB12 qui présentent une « *richesse économique raisonnablement comparable* » et des « *caractéristiques liées à la taille du marché des médicaments semblables* » à celles du Canada. En l'absence de raisons pour lesquelles le Canada serait considéré comme une « valeur aberrante » parmi les pays membres du CEPMB12, on pourrait donc raisonnablement s'attendre à ce que l'estimation future relative au seuil du côté de l'offre au Canada soit semblable aux estimations présentées dans ces pays. Néanmoins, étant donné les différents déterminants du seuil du côté de l'offre, on peut s'attendre à des variations dans les estimations d'un pays à l'autre<sup>8</sup>.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

***2.9 : Le Groupe de travail recommande que tout seuil « provisoire » précisé par le CEPMB avant l'achèvement d'autres travaux empiriques canadiens soit établi à l'aide d'un examen exhaustif des seuils existants utilisés par les organismes canadiens d'ETS ainsi que d'estimations empiriques des seuils du côté de l'offre provenant d'autres administrations pertinentes.***

Dix membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**deux** membres ont voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.



## 3 : Médicaments à plusieurs indications

### 3.1 Mandat

Dans ce domaine d'intérêt, le mandat exigeait que le Groupe de travail examine les considérations et les questions suivantes et formule des recommandations à cet égard :

*Options pour traiter les médicaments à plusieurs indications (p. ex. plusieurs plafonds de prix ou un seul plafond correspondant à une indication particulière).*

### 3.2 Intention de la politique

Le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation comprend les énoncés suivants, qui fournissent le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

*« Le **prix payé** pour un médicament doit tenir compte de la **valeur qu'il produit**. »*

*(p. 8, caractères gras ajoutés)*

Le Document d'orientation sur les Lignes directrices du CEPMB comprend l'énoncé suivant, qui présente le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

*« La cinquième et dernière partie du nouveau cadre porterait sur la **“révision du prix de référence” périodique des médicaments** afin de garantir que les déterminations antérieures de prix excessifs potentiels et/ou de prix plafonds demeurent pertinentes, compte tenu des **nouvelles indications** (découlant d'un changement dans la taille du marché) ou des changements dans les conditions du marché. Selon la nature du changement, le **processus de révision du prix de référence pourrait entraîner une diminution ou une augmentation du prix plafond**. »*

*(p. 7, caractères gras ajoutés)*

### 3.3 Sommaire des délibérations

Le Groupe de travail a examiné deux approches générales : l'établissement d'un plafond de prix distinct pour chaque indication (« établissement de prix par indication ») ou d'un plafond de prix unique pour toutes les indications.

De l'avis général, l'approche la plus intéressante en principe consiste à établir le prix par indication. Comme l'indique le cadre conceptuel, l'efficacité progressive d'un médicament diffère généralement selon les indications. L'établissement de prix par indication permettrait que le plafond de prix du médicament reflète cette valeur différente pour chaque indication. Cette mesure semble correspondre étroitement à l'intention de la politique, telle qu'elle est énoncée dans le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation, c'est-à-dire que « *le prix payé pour un médicament doit tenir compte de la valeur qu'il produit.* »

Toutefois, bien qu'un membre jugeait qu'il était possible d'établir un prix pour plusieurs indications pour certains médicaments de la « catégorie 1 », plusieurs membres ont exprimé des préoccupations au sujet du fait qu'il n'est pas possible d'établir un prix par indication au Canada, compte tenu des limites actuelles en matière de saisie de données et de production de rapports.

Il a été noté que l'établissement de prix par indication nécessite une infrastructure informatique pour la collecte de données sur le volume par indication. Un examen informel mené par un membre a permis de déterminer un certain nombre d'approches différentes à l'échelle internationale<sup>24,25</sup>. La France, l'Allemagne et l'Australie ont tous recours à l'établissement du prix par indication, en fonction du nombre prévu de patients pour chaque indication. L'Italie établit des ententes de partage du risque en utilisant des registres de patients par indication. Aux États-Unis, Express Scripts utilise des prix par indication pour les médicaments anticancéreux, et le Royaume-Uni a testé la faisabilité de cette approche à l'aide de l'ensemble de données Systemic Anti-Cancer Therapy (SACT). La Belgique et l'Espagne ont également utilisé l'établissement de prix par indication pour les médicaments coûteux et les médicaments à usage hospitalier, respectivement.

Étant donné que les questions d'ordre logistique et relatives à la mise en œuvre ne faisaient pas partie du mandat, les membres du Groupe de travail n'ont pas examiné en détail la faisabilité d'adopter un modèle d'établissement de prix par indication au Canada. Les délibérations du Groupe de travail ont plutôt porté exclusivement sur les options permettant de fixer un plafond de prix unique pour plusieurs indications.

### 3.3.1 Détermination d'un plafond de prix unique pour toutes les indications

Le Groupe de travail a examiné différentes approches possibles qui permettraient d'établir un plafond de prix pour les médicaments à plusieurs indications, notamment :

1. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour son indication offrant le meilleur rapport coût-efficacité;
2. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour son indication offrant le pire rapport coût-efficacité;
3. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour toutes les indications;
4. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour la première indication étudiée par le CEPMB.

Les répercussions de chaque approche sont prises en compte dans le cadre conceptuel.

Tout comme les différentes approches possibles permettant d'établir un plafond de prix entre les provinces et les territoires (section 2.3.4), chaque approche donne lieu à une répartition différente du surplus économique total entre les consommateurs et les producteurs. Les première, deuxième et troisième approches se traduisent respectivement par un surplus du consommateur global négatif, par un surplus du consommateur global positif et par un surplus du consommateur global nul, tandis que la quatrième approche se traduit par un surplus du consommateur prévu nul si les fabricants n'agissent pas de façon stratégique lors du lancement de médicaments, ou par un surplus du consommateur prévu négatif si les fabricants agissent de façon stratégique.

Lors de la dernière réunion en personne, le CEPMB a demandé au président d'envisager une cinquième approche possible permettant d'établir un plafond de prix unique pour les médicaments à plusieurs indications :

5. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour une indication « clé » précise déterminée par le CEPMB.

Cette approche présente des similitudes avec la quatrième approche examinée ci-dessus, dans la mesure où le plafond de prix serait fondé sur le rapport coût-efficacité du nouveau médicament pour une seule indication. Elle présenterait également l'avantage qu'offre la quatrième approche par rapport aux trois premières, dans la mesure où le plafond de prix n'aurait pas besoin d'être rajusté à mesure que de nouvelles indications sont lancées (à moins que l'indication « clé » ne soit modifiée).

Les répercussions de cette cinquième approche sur la répartition du surplus économique total dépendent du fait que l'indication « clé » est plus ou moins rentable que les autres indications. Si cette indication « clé » est la plus rentable, les répercussions sont les mêmes que celles de la première approche, avec un surplus du consommateur global négatif. Par ailleurs, si l'indication

« clé » est la moins rentable, les répercussions sont les mêmes que celles de la deuxième approche, avec un surplus du consommateur global positif. Dans les deux cas, le surplus du consommateur dans l'indication « clé » est nul.

Comme dans le cas de l'examen des différentes approches possibles permettant d'établir un plafond de prix entre les provinces et les territoires (section 2.3.4), le Groupe de travail ne préconise aucune approche particulière puisque la répartition privilégiée du surplus économique relève des décideurs. Le Groupe de travail recommande plutôt que tout seuil unique utilisé aux fins de l'établissement d'un plafond de prix soit conforme à l'intention de la politique, compte tenu des facteurs techniques décrits par le Groupe de travail.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**3.1 : Le Groupe de travail recommande que le CEPMB fixe un plafond de prix unique pour chaque médicament, pour toutes les indications, et qui est conforme à l'intention de la politique.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

## 4 : Prise en compte de l'incertitude

### 4.1 Mandat

Dans ce domaine d'intérêt, le mandat exigeait que le Groupe de travail examine les considérations et les questions suivantes et formule des recommandations à cet égard :

*Options pour utiliser les analyses d'un scénario de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS pour établir un plafond de prix.*

*Options pour tenir compte de l'incertitude de l'estimation ponctuelle de chaque plafond de prix basé sur la valeur.*

### 4.2 Intention de la politique

Le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation comprend les énoncés suivants, qui fournissent le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

*« En raison de la grande expertise que peuvent nécessiter la préparation et la validation de telles analyses, **cette exigence se limiterait aux analyses préparées par une organisation publique canadienne, comme l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) ou l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)**. Ces organisations possèdent une expertise spécialisée et réalisent habituellement des analyses pharmacoéconomiques dans le cas de médicaments pour lesquels une demande de remboursement par les assureurs publics a été présentée. **Le CEPMB pourrait utiliser ces analyses dans le cadre de son évaluation du caractère excessif des prix. Il ne répéterait pas le travail effectué par l'ACMTS et l'INESSS dans le cadre des processus de remboursement.** »*

*(p. 10 et 11, caractères gras ajoutés)*

Aucun des documents fournis au Groupe de travail par le CEPMB ne contenait d'énoncé concernant l'intention de la politique à l'égard des « *options pour tenir compte de l'incertitude de l'estimation ponctuelle de chaque plafond de prix fondé sur la valeur* ».

## 4.3 Sommaire des délibérations

### 4.3.1 Utilisation des analyses de scénarios de référence de l'ACMTS et (ou) de l'INESSS

Dans le cadre du mandat, le Groupe de travail devait examiner les « *options pour utiliser les analyses d'un scénario de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS pour établir un plafond de prix* ».

Les membres ont discuté de la façon dont les résultats des analyses pharmacoéconomiques d'un médicament déclarés par l'ACMTS, l'INESSS et d'autres organismes canadiens d'ETS diffèrent généralement de ceux déclarés par le fabricant, ainsi que les uns des autres. Les membres de l'industrie ont fait valoir que les estimations coût-utilité de l'ACMTS et de l'INESSS « *présentent souvent des différences dans leurs estimations concernant des hypothèses et des opinions d'experts hétérogènes* », et que cette variabilité est « *fonction de l'analyste qui produit l'évaluation et des pairs examinateurs qui remettent en question les analyses* ».

Les membres ont également discuté de la possibilité que le CEPMB puisse se servir des hypothèses qu'ont adoptées l'ACMTS et l'INESSS dans leurs analyses d'un « scénario de référence » lorsqu'il établit les plafonds de prix. Certains membres ont suggéré que le CEPMB établisse son propre « scénario de référence », en précisant clairement les exigences et les hypothèses nécessaires aux analyses pharmacoéconomiques utilisées pour établir les plafonds de prix. Bien que l'intention de la politique ne « *répéterait pas le travail effectué par l'ACMTS et l'INESSS* », les écarts possibles des hypothèses actuelles liées au scénario de référence de l'ACMTS et de l'INESSS indiquent clairement un seuil de rentabilité du côté de l'offre et un écart potentiel par rapport à l'hypothèse de neutralité à l'égard du risque (voir section 4.3.3).

Étant donné que les questions relatives au processus ne faisaient pas partie du mandat, le Groupe de travail n'a pas examiné les processus précis que le CEPMB pourrait établir pour arriver à un ensemble unique de résultats pharmacoéconomiques à partir desquels il pourrait fixer un plafond de prix. Néanmoins, les membres du Groupe de travail étaient généralement d'avis qu'il fallait clarifier les processus établis par le CEPMB, quels qu'ils soient.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

***4.1 : Le Groupe de travail reconnaît que les résultats des analyses pharmacoéconomiques déclarés par l'ACMTS et l'INESSS varient et recommande que le CEPMB mette en œuvre des processus clairs pour déterminer comment ces analyses seront utilisées pour établir un plafond de prix.***

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 4.3.1 Garantie de l'impartialité des estimations

Le Groupe de travail a noté que l'édition la plus récente des « Lignes directrices de l'évaluation économique des technologies de la santé au Canada » de l'ACMTS (4<sup>e</sup> édition) comprend des recommandations précises sur la façon d'aborder l'incertitude dans les analyses pharmacoéconomiques<sup>11</sup>. Celles-ci comprennent une évaluation de l'incertitude des paramètres (par l'analyse probabiliste), de l'incertitude structurelle (par l'analyse de scénarios) et de l'incertitude méthodologique (par une comparaison des analyses de « scénario de référence » et de « scénario autre que de référence ». L'INESSS a des exigences semblables pour tenir compte de l'incertitude<sup>26</sup>.

Certains membres se sont dits préoccupés par le fait qu'actuellement, les analyses pharmacoéconomiques ne satisfont pas toutes à ces lignes directrices récentes de l'ACMTS, et qu'une meilleure application de ces lignes directrices est nécessaire pour s'assurer que l'incertitude est bien prise en compte dans toutes les analyses pharmacoéconomiques examinées par le CEPMB au moment d'établir les plafonds de prix.

Les membres ont également noté que les processus actuels d'ETS de l'ACMTS et de l'INESSS visent à aider les payeurs publics à prendre des décisions concernant le financement et à orienter les négociations sur les prix, plutôt qu'à orienter les plafonds de prix établis par le CEPMB. Les membres se sont généralement entendus pour dire que le CEPMB devrait collaborer avec l'ACMTS, l'INESSS et tout autre intervenant pertinent au sujet des modifications qu'il pourrait être nécessaire d'apporter à ces processus, étant donné le changement proposé dans le contexte de leur utilisation.

Bien que l'examen des processus particuliers adoptés par l'ACMTS et l'INESSS dépasse la portée du Groupe de travail, le principe *technique* fondamental est que toutes les analyses pharmacoéconomiques devraient satisfaire aux mêmes exigences de base, y compris une évaluation complète et impartiale de l'incertitude liée aux paramètres, de l'incertitude structurelle et de l'incertitude méthodologique.



La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**4.2 : Le Groupe de travail recommande que toutes les analyses pharmacoéconomiques utilisées dans le but d'établir un plafond de prix soient conformes aux exigences de la plus récente édition des « Lignes directrices pour l'évaluation économique des technologies de la santé au Canada » de l'ACMTS, y compris une évaluation impartiale de l'incertitude des paramètres, de l'incertitude structurelle et de l'incertitude méthodologique.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 4.3.2 Prise en compte de l'incertitude dans l'estimation ponctuelle

Le mandat exigeait également que le Groupe de travail examine des « *options pour tenir compte de l'incertitude de l'estimation ponctuelle de chaque plafond de prix fondé sur la valeur* ».

Il a été entendu qu'il existe un certain nombre de sources d'incertitude dans toute analyse pharmacoéconomique. Un membre a fait remarquer que l'incertitude clinique est habituellement la principale source d'incertitude lorsque l'ACMTS examine de nouveaux médicaments, en particulier pour des maladies rares. Il y a également des incertitudes quant aux coûts différentiels associés aux nouveaux médicaments.

En outre, étant donné que le seuil du côté de l'offre nécessite une estimation empirique, il sera inévitablement incertain. Par exemple, l'étude menée au Royaume-Uni qui portait sur l'estimation d'un seuil du côté de l'offre a rapporté une distribution des probabilités en plus d'une estimation ponctuelle<sup>10</sup>.

Comme l'indique le cadre conceptuel, toute incertitude quant aux coûts différentiels et aux avantages supplémentaires entraîne une incertitude dans le RCED. Le prix auquel le RCED est égal au seuil du côté de l'offre est également incertain, ce qui soulève de l'incertitude quant à l'emplacement réel de la courbe de la demande. Cette situation entraîne, en retour, de l'incertitude quant au plafond de prix qui est compatible avec l'objectif de la politique concernant la répartition du surplus économique entre les consommateurs et les producteurs.

Certains membres ont fait remarquer que l'ACMTS ne déclare pas toujours une estimation ponctuelle pour le RCED, mais qu'une estimation ponctuelle serait nécessaire afin d'établir un plafond de prix.

Les membres ont discuté de la façon dont un plafond de prix pourrait être établi en cas d'incertitude au sujet du RCED. L'approche standard pour tenir compte de l'incertitude dans les évaluations économiques consiste à utiliser les valeurs prévues des coûts différentiels et des avantages supplémentaires afin de calculer un RCED. Il s'agit de l'approche adoptée dans les « Lignes directrices pour l'évaluation économique des technologies de la santé au Canada » de l'ACMTS (4<sup>e</sup> édition)<sup>11</sup>. Cette approche suppose implicitement la « neutralité à l'égard du risque », qui est généralement fondée sur le principe Arrow-Lind<sup>27</sup>.

Les membres ont également débattu l'aide de la limite supérieure de l'intervalle crédible autour du RCED. On craint que cette approche ne dissuade les fabricants de mener des recherches qui permettraient de réduire l'incertitude entourant le RCED, car une incertitude supplémentaire entraînerait un plafond de prix plus élevé. Il en découlerait également un surplus du consommateur prévu négatif.

Comme il est indiqué dans le cadre conceptuel, si l'on adopte l'approche standard et qu'on spécifie un plafond de prix auquel le RCED (calculé en divisant les coûts différentiels prévus

par les AVAQ supplémentaires prévues) est égal à la valeur prévue du seuil de rentabilité du côté de l'offre, alors le surplus du consommateur prévu serait nul. (Il est à noter que le surplus *réel* du consommateur peut être positif ou négatif, mais que le surplus *prévu* du consommateur serait nul).

Si l'intention de la politique est de s'assurer que le surplus prévu du consommateur n'est pas négatif, et si une position neutre à l'égard des risques est adoptée, il s'agirait alors du plafond de prix le plus élevé conforme à cet objectif de politique. Par ailleurs, si une position réfractaire au risque est adoptée, un plafond de prix plus élevé ou plus bas est nécessaire pour atténuer ce risque. La hausse du plafond de prix peut réduire le risque qu'un médicament ne soit pas lancé, tandis que la baisse du plafond de prix peut réduire le risque qu'un médicament entraîne un surplus du consommateur négatif.

Étant donné que l'attitude du CEPMB à l'égard du risque est inconnue, le Groupe de travail ne peut préciser l'option la plus appropriée pour établir un plafond de prix. Le Groupe de travail recommande plutôt que le CEPMB adopte une approche permettant de tenir compte de l'incertitude qui est conforme à son attitude à l'égard du risque. Si le CEPMB est « neutre à l'égard du risque », cela signifie que le plafond de prix doit être établi à l'aide des valeurs prévues des coûts différentiels et des AVAQ pour le médicament, ainsi que de la valeur prévue du seuil de rentabilité du côté de l'offre. Si le CEPMB n'est pas « neutre à l'égard du risque », il faudrait alors envisager d'établir un plafond de prix supérieur ou inférieur à celui établi en cas de neutralité à l'égard du risque, compte tenu de l'intention de la politique.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**4.3 : Le Groupe de travail recommande que le CEPMB adopte une approche permettant de tenir compte de l'incertitude qui est conforme à son attitude à l'égard du risque. Si le CEPMB est « neutre à l'égard du risque », cela signifie que le plafond de prix doit être établi à l'aide des valeurs prévues des coûts différentiels et des AVAQ pour le médicament, ainsi que de la valeur prévue du seuil de rentabilité du côté de l'offre. Si le CEPMB n'est pas « neutre à l'égard du risque », il faudrait alors envisager d'établir un plafond de prix supérieur ou inférieur à celui établi en cas de neutralité à l'égard du risque, compte tenu de l'intention de la politique.**

Dix membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**deux** membres ont voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 4.3.3 Analyse de la valeur de l'information

En pharmacoeconomie conventionnelle, la perte prévue du surplus du consommateur découlant de l'incertitude est estimée à l'aide de l'analyse de la « valeur de l'information » (VDI).

Étant donné que l'analyse pharmacoeconomique conventionnelle vise à prendre une décision sur l'adoption ou non d'un nouveau médicament, l'analyse de la VDI conventionnelle estime la perte prévue associée à la prise de la « mauvaise » décision (p. ex. approuver un médicament qui aurait autrement été rejeté, ou *vice versa*).

Dans le contexte où le CEPMB utilise la « valeur pharmacoeconomique » comme facteur lorsqu'il évalue le plafond de prix d'un nouveau médicament, la perte prévue découlant de l'incertitude n'est pas causée par la prise de la « mauvaise » décision (adoption ou non), mais par l'établissement du « mauvais » plafond de prix. Un membre du Groupe de travail (Christopher McCabe) a distribué une note technique (annexe 2.2) et fait une présentation (annexe 2.4) expliquant comment l'incertitude peut être prise en compte dans ce contexte. Le cadre conceptuel s'appuie sur quelques-unes des idées présentées par le D<sup>r</sup> McCabe.

Comme l'indique le cadre conceptuel, dans de nombreux cas, l'incidence prévue sur le surplus du consommateur en établissant un « mauvais » plafond de prix en raison de l'incertitude est nulle. C'est le cas si le médicament est quand même lancé à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *prévue*, ou si le médicament *n'avait pas* été lancé même à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *réelle*. Toutefois, dans les cas où le médicament *aurait été* lancé à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *réelle*, mais *n'est pas* lancé à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *prévue*, l'incertitude entraîne une perte prévue de surplus économique.

En principe, le CEPMB pourrait utiliser l'analyse de la VDI pour estimer cette perte prévue de surplus économique et, par conséquent, la valeur associée à l'obtention de données d'échantillonnage supplémentaires pour un ou plusieurs paramètres incertains. Les résultats de ces analyses pourraient ensuite être utilisés pour réduire le plafond de prix du médicament afin de refléter la diminution de la valeur pharmacoeconomique prévue en raison de l'incertitude.

Pour effectuer de telles analyses de la VDI, il est essentiel de comprendre l'emplacement de la courbe de l'offre, car cette information est nécessaire pour estimer la perte prévue de surplus économique. Comme l'indique le cadre conceptuel, en pratique, l'emplacement de la courbe de l'offre est inconnu. Bien que la courbe de l'offre puisse être modélisée avec une distribution de probabilités afin de permettre l'analyse de la VDI, les méthodes d'estimation des paramètres d'une telle distribution ne sont pas encore au point.

En raison de ces défis non résolus, le Groupe de travail ne formule pas de recommandation quant au fait d'utiliser l'analyse de la VDI à l'heure actuelle.

## 5 : Perspectives

### 5.1 Mandat

Dans ce domaine d'intérêt, le mandat exigeait que le Groupe de travail examine les considérations et les questions suivantes et formule des recommandations à cet égard :

*Options pour tenir compte de la considération d'un système de santé public par rapport à une perspective sociétale, incluant l'option d'appliquer un plafond de prix basé sur la valeur plus élevée où la différence entre les plafonds de prix de chaque perspective est « importante ».*

*Comment définir une différence « importante » entre les plafonds de prix de chaque perspective.*

### 5.2 Intention de la politique

Deux mois après le début des délibérations du Groupe de travail, le CEPMB a informé le Groupe de travail qu'une perspective du **système de santé public** « doit être utilisée pour atteindre l'objectif de politique du [Résumé de l'étude d'impact de la réglementation] ».

## 5.3 Sommaire des délibérations

### 5.3.1 Confirmation de l'intention de la politique

Deux mois après le début des délibérations du Groupe de travail, le CEPMB a informé le Groupe de travail qu'il avait été évoqué qu'une perspective du système de santé public « *doit être utilisée pour atteindre l'objectif de politique du [Résumé de l'étude d'impact de la réglementation]* ».

Le CEPMB a fait remarquer qu'il avait profité des discussions du Groupe de travail à ce sujet pour en arriver à ce point de vue.

**Compte tenu de cette intervention du CEPMB, le Groupe de travail n'a pas voté sur les recommandations potentielles à l'égard de ce domaine d'intérêt en particulier. Le Groupe de travail reconnaît plutôt que l'intention de la politique est d'adopter la perspective des systèmes de santé publics du Canada.**

### 5.3.2 Facteurs à prendre en considération quant au choix de la perspective

Avant l'intervention du CEPMB visant à clarifier l'intention de la politique, le Groupe de travail a discuté de certaines des différences entre la perspective du « système de santé public » et la perspective « sociétale », ainsi que de certaines des répercussions possibles de ces différences dans l'établissement des plafonds de prix.

#### Différence entre les perspectives

Comme l'indiquent les « Lignes directrices pour l'évaluation économique des technologies de la santé au Canada » de l'ACMTS (4<sup>e</sup> édition, p. 29 à 31), il y a des différences entre les coûts et les résultats évalués dans le cadre d'une perspective d'un « système de santé public » et ceux évalués dans le cadre d'une perspective « sociétale »<sup>11</sup>.

Une perspective d'un « système de santé public » ne tient compte que des coûts assumés par le payeur des soins de santé publics, et les seuls résultats pris en compte sont les effets sur la santé des patients et des soignants.

Une perspective « sociétale » considère également les coûts qui incombent aux assureurs privés (p. ex. les médicaments qui ne sont pas couverts par le payeur public), aux autres secteurs gouvernementaux (p. ex. les services sociaux et le logement abordable) et aux patients ou aux soignants (p. ex. les dépenses et frais de déplacement personnels). En outre, une perspective sociétale tient compte des coûts de productivité (p. ex. en raison d'une capacité de travail réduite ou d'une absence du travail) et élargit les résultats pris en compte pour inclure les effets non liés à la santé pertinents pour les patients et les soignants (p. ex. un niveau d'instruction supérieur).

## Assureurs privés et payeurs personnels

Les membres de l'industrie faisant partie du Groupe de travail se sont dits préoccupés par le fait que, dans le cadre de la perspective du système de santé, les coûts assumés par les assureurs privés et les payeurs personnels ne seraient pas pris en compte. Ces membres ont également fait valoir que la volonté de payer de certains payeurs privés est plus grande que celle des payeurs publics, ce qui ne serait pas pris en compte dans l'établissement d'un seuil de rentabilité du côté de l'offre. Ils ont également soutenu que les particuliers ou les employeurs ne pourraient peut-être pas profiter des économies que les payeurs privés réalisent grâce à un plafond de prix moins élevé.

À l'appui de cette position, certains membres ont fait remarquer que des estimations d'un seuil de rentabilité du « côté de la demande » plutôt que du « côté de l'offre » pourraient mieux refléter la volonté de payer des payeurs privés. Comme le souligne le rapport de l'Institut de l'économie de la santé, on peut à juste titre s'attendre à ce qu'un seuil de rentabilité du côté de la demande soit plus élevé qu'un seuil du côté de l'offre.

En réponse, un membre a fait valoir que le fait de considérer la volonté de payer des payeurs privés indépendamment de celle des payeurs publics n'est pas représentatif, sous prétexte que le marché des payeurs privés ne pourrait exister dans son état actuel sans un système de santé public viable. Selon ce membre, il est donc raisonnable que le CEPMB fixe un plafond de prix qui assure la viabilité du système de santé public, même s'il est inférieur à un plafond de prix fondé sur la volonté de payer des payeurs privés.

Un membre s'est prononcé en faveur d'une perspective sociétale, estimant que le CEPMB devrait prendre en considération « *les nombreux patients atteints de maladies rares qui comptent sur des solutions de rechange au système de santé public* ».

## Problèmes liés à une perspective sociétale

Un certain nombre de membres ont discuté de problèmes liés à la prise en compte d'une perspective sociétale.

Un membre a suggéré que l'adoption d'une perspective sociétale, plutôt que d'une perspective de système de santé public, entraîne « *une incertitude accrue sans impact réel* ». Un autre membre a fait valoir que l'adoption d'une perspective sociétale sous-entend que les décideurs sont disposés à échanger les avantages pour la santé contre d'autres avantages sociétaux, ce qui n'est peut-être pas le cas.

Plusieurs membres se sont dits préoccupés par la prise en compte des coûts de productivité qui seraient engendrés en adoptant une perspective sociétale. Certains ont mentionné la difficulté technique d'estimer les coûts de productivité et l'incertitude supplémentaire qui en découle. D'autres ont souligné des préoccupations d'ordre éthique, y compris la possibilité que la productivité soit évaluée à la baisse pour les personnes à faible revenu, y compris les femmes et les retraités, ce qui peut être considéré comme discriminatoire.

## 6 : Facteur de la taille du marché

### 6.1 Mandat

Dans ce domaine d'intérêt, le mandat exigeait que le Groupe de travail examine les considérations et les questions suivantes et formule des recommandations à cet égard :

*Approches permettant de calculer un ajustement approprié du plafond de prix d'un médicament en fonction de l'application des facteurs du PIB et de la taille du marché (p. ex. en fonction de l'approche américaine ICER).*

### 6.2 Intention de la politique

Le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation comprend les énoncés suivants, qui fournissent le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

« L'ajout de ce facteur [**relatif à la taille du marché**] au Règlement pourrait permettre au CEPMB d'élaborer des **analyses des répercussions sur le marché** pour des médicaments qui risquent de représenter un **défi [sur le plan de l'abordabilité]** pour les assureurs en raison de la **taille du marché** du médicament. La **conséquence de l'établissement d'un prix excessif** dépend à la fois du **prix** et du **volume**; plus le **marché du médicament est grand** au Canada, plus la **conséquence sur son prix est importante** ».

(p. 8, caractères gras ajoutés)

« En ajoutant le facteur de fixation du prix **PIB au Canada** et **PIB par habitant au Canada**, le CEPMB disposerait de mesures de la **capacité de payer des médicaments à l'échelle nationale et individuelle**. L'ajout de ce facteur permettrait au CEPMB d'évaluer l'**incidence du prix d'un médicament sur les finances des consommateurs et des assureurs**. Il pourrait également permettre au CEPMB d'élaborer des **analyses de répercussions sur le marché** pour des médicaments qui risquent de représenter un **défi sur le plan de l'abordabilité** pour les assureurs en raison de la taille du marché du médicament ».

(p. 9, caractères gras ajoutés)



Le projet de règlement comprend ce qui suit :

« 4.4 Pour l'application de l'alinéa 85(1)e) de la Loi, les autres facteurs dont le Conseil doit tenir en compte pour décider si le prix d'un médicament vendu après le 31 décembre 2018 sur un marché canadien est excessif sont les suivants :

- A. la **valeur pharmacoéconomique** du médicament au Canada et celle d'autres médicaments de la même catégorie thérapeutique;
- B. la **taille du marché** de ce médicament au Canada et dans d'autres pays que le Canada;
- C. le **produit intérieur brut au Canada** et le **produit intérieur brut par habitant au Canada** ».

(p. 24, caractères gras ajoutés)

Le Document d'orientation sur les Lignes directrices du CEPMB comprend l'énoncé suivant, qui présente le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

« La deuxième partie de l'essai évaluerait si le prix d'un médicament qui atteint le seuil de rentabilité devrait être **ajusté davantage** en raison de son **incidence escomptée sur les payeurs dans les trois à cinq premières années suivant le lancement** (en supposant une utilisation clinique appropriée et aucun rationnement des soins). Cet essai tiendrait compte de la **taille prévue du marché du nouveau médicament par rapport à la croissance du produit intérieur brut (PIB)**, ce dernier servant de valeur approximative pour **déterminer combien les consommateurs canadiens peuvent se permettre de payer pour les nouveaux médicaments brevetés qui font leur entrée le marché chaque année**. L'essai pourrait également être utilisé pour permettre un **rajustement de prix à la hausse** dans les cas où un médicament afficherait un **coût de renonciation très élevé, mais une très faible incidence sur le marché en raison de la rareté extrême de l'affection qu'il doit traiter** ».

(p. 6, caractères gras ajoutés)

« La cinquième et dernière partie du nouveau cadre porterait sur la **“révision du prix de référence” périodique des médicaments** afin de garantir que les déterminations antérieures de prix excessifs potentiels et/ou de prix plafonds demeurent pertinentes, compte tenu des **nouvelles indications** (découlant d'un changement dans la taille du marché) ou des changements dans les conditions du marché. Selon la nature du changement, **le processus de révision du prix de référence pourrait entraîner une diminution ou une augmentation du prix plafond.** »

(p. 7, caractères gras ajoutés)

La présentation sur la modernisation du cadre du CEPMB comprend les énoncés suivants, qui présentent le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

« Les médicaments dont on s'attend à ce qu'ils aient une **taille de marché importante et un impact sur le système de soins de santé** peuvent nécessiter un **prix maximum inférieur** pour éviter le rationnement ».

(p. 7, caractères gras ajoutés)

La présentation sur la modernisation du cadre du CEPMB comprend les diapositives suivantes, qui présentent le contexte de l'intention de la politique à l'égard de ce domaine d'intérêt :

### Partie III : PEM pour les médicaments de catégorie 1 (suite)

- 2<sup>e</sup> étape : application des facteurs de la taille du marché et du PIB
  - Un médicament de catégorie 1 qui rencontre le plafond \$/AVAQ applicable peut tout de même être assujéti à un rajustement du prix si l'application des facteurs de la taille du marché et du PIB soulève des questions quant à l'abordabilité.
  - En se fondant sur la contribution économique des nouveaux médicaments au PIB et à la croissance du PIB au cours des cinq dernières années, le CEPMB estime un seuil de X M\$ par nouveau médicament.
  - Le prix de tout nouveau médicament de catégorie 1 dont la taille estimée du marché dépasse ce seuil dans toute année au cours des 5 premières années de vente devra être rajusté davantage.
  - Le rajustement ferait baisser d'un certain pourcentage le PEM, lequel augmenterait en fonction de l'augmentation attendue de la taille du marché (voir la prochaine diapositive).
  - Le seuil de taille du marché augmenterait aussi annuellement en fonction de la croissance du PIB et (ou) de l'IPC.

18

### Application des nouveaux facteurs aux médicaments de catégorie 1 – seuils éventuels

Type d'examen	Cible de \$/AVAQ pour l'établissement du PEM	Ajustement de l'impact sur le marché
Nouveau médicament de référence (taille du marché jusqu'à 20 M\$)	80 000 \$	S.O.
Nouveau médicament « haut de gamme » (p. ex. fardeau élevé, MOMR, gain absolu significatif en matière d'AVAQ)	90 000 \$ à 150 000 \$	S.O.
Nouveau médicament à fort impact (taille du marché de plus de 20 M\$)	80 000 \$	Réduction de 10 % sur le PEM pour chaque tranche supplémentaire de 10 M\$ (jusqu'à concurrence de 50 %)

19

## 6.3 Sommaire des délibérations

Le Groupe de travail a noté que le *projet de règlement* tient compte séparément des facteurs de la valeur pharmacoéconomique, de la taille du marché et du PIB. L'« ajustement » que le Groupe de travail a été chargé d'examiner serait donc appliqué séparément de la « valeur pharmacoéconomique » prise en compte.

### 6.3.1 Répercussions sur le surplus du consommateur et celui du producteur

L'ajustement proposé en fonction de la taille du marché comprend un éventuel ajustement à la hausse du plafond de prix pour les médicaments ayant un petit marché et, indépendamment, un éventuel ajustement à la baisse du plafond de prix pour les médicaments dont le marché est important.

Comme le montre le cadre conceptuel, le premier de ces ajustements aurait pour effet d'augmenter le surplus du producteur, au détriment du surplus du consommateur, pour les médicaments dont le marché est limité. Le deuxième de ces ajustements augmenterait le surplus du consommateur, au détriment du surplus du producteur, pour les médicaments dont le marché est important.

Une autre conséquence du premier ajustement est qu'en augmentant la rentabilité des médicaments dont le marché est limité, il pourrait en résulter un meilleur accès à de tels médicaments. La figure 13B du cadre conceptuel montre le potentiel de cet ajustement. Cet ajustement pourrait donc permettre d'atténuer les préoccupations exprimées par un membre concernant l'incidence potentielle qu'engendrerait un plafond de prix plus bas sur l'accès aux médicaments orphelins (voir section 2.3.7).

Étant donné que la répartition souhaitée du surplus économique entre les consommateurs et les producteurs relève des décideurs, le Groupe de travail ne prend pas position au sujet de l'ampleur des ajustements proposés en fonction de la taille du marché qui serait appropriée. Le Groupe de travail recommande plutôt que le CEPMB examine les répercussions qu'engendreraient les ajustements proposés en fonction de la taille du marché sur la répartition du surplus économique et vérifie leur conformité à l'intention de la politique.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**6.1 : Le Groupe de travail recommande que le CEPMB examine les répercussions qu'engendreraient les ajustements en fonction de la taille du marché sur la répartition du surplus des consommateurs et celui des producteurs et vérifie leur conformité à l'intention de la politique.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 6.3.2 Facteurs incitatifs et dissuasifs possibles

Le Groupe de travail a examiné plusieurs facteurs incitatifs et dissuasifs possibles liés à la mise en œuvre d'un ajustement en fonction de la taille du marché.

Il a été noté que la taille estimée du marché d'un médicament lorsqu'il est lancé est incertaine. Un ajustement en fonction de la taille du marché fondé sur la taille *estimée* du marché d'un médicament pourrait donc entraîner un ajustement à la baisse du plafond de prix pour un médicament dont le marché ne deviendrait pas important au bout du compte. Inversement, il se pourrait qu'*aucun* ajustement à la baisse ne soit appliqué à un médicament dont le marché atteint de façon inattendue une taille importante. Afin d'atténuer tout facteur dissuasif en découlant, l'ajustement en fonction de la taille du marché devrait idéalement être appliqué à la taille *réelle* du marché plutôt qu'à la taille prévue de celui-ci.

Dans le cas d'une grande réduction du plafond de prix pour les médicaments dont le marché est important, les fabricants peuvent être incités à réduire la quantité fournie afin d'éviter que le plafond de prix baisse. Comme le démontre le cadre conceptuel, ce risque peut être particulièrement élevé si le médicament en question a plusieurs indications et si le prix pour toutes les indications est fondé sur l'indication ayant le pire rapport coût-efficacité. En effet, cette approche d'établissement de prix pourrait déjà inciter les fabricants à éviter de lancer une ou plusieurs indications, et l'ajout d'un ajustement en fonction de la taille du marché pourrait exacerber ce risque.

En fixant un plafond de prix plus élevé pour les médicaments dont la taille du marché est limitée, l'application d'un ajustement en fonction de la taille du marché encouragerait aussi la mise au point de ces médicaments. Au fil du temps, une réduction du nombre de médicaments dont le marché est important et une augmentation du nombre de médicaments dont le marché est limité pourraient se traduire par des gains de plus en plus faibles et des pertes de plus en plus importantes au chapitre du surplus du consommateur.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**6.2 : Le Groupe de travail recommande que le CEPMB tienne compte des facteurs incitatifs et dissuasifs potentiels découlant de l'application d'ajustements en fonction de la taille du marché.**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

### 6.3.3 PIB et PIB par habitant

#### Approche américaine « ICER »

Le mandat a indiqué que l'Institute for Clinical and Economic Review (ICER) avait fourni une approche possible pour établir un « ajustement ».

Un membre a communiqué avec le D<sup>r</sup> Dan Ollendorf, ancien directeur scientifique de l'ICER, qui a fourni un exemplaire de sa présentation à Santé Canada pendant la période de consultation sur les modifications proposées. Au nom de l'ICER, le D<sup>r</sup> Ollendorf a fait remarquer que « *nous appuyons les efforts déployés par le CEPMB pour mieux harmoniser l'établissement du prix des produits pharmaceutiques avec leur valeur* » et que « *nous félicitons le CEPMB d'envisager d'effectuer des modifications qui visent à accorder une attention particulière à l'établissement du prix des médicaments novateurs selon la valeur qu'ils apportent aux patients, aux familles et au système de santé dans l'ensemble* ». Le D<sup>r</sup> Ollendorf a toutefois exprimé une mise en garde sur les critères « d'abordabilité » proposés, soulevant « *plusieurs difficultés techniques liées à la prise en compte du facteur de la taille du marché pour établir les prix à l'ICER* ». Parmi celles-ci, mentionnons les suivantes : « *il a été difficile d'établir un lien explicite entre les résultats de l'incidence budgétaire et un prix* », « *il s'est avéré difficile pour les décideurs individuels de donner un sens à un seuil budgétaire national* », et « *tout lien explicite entre un seuil et l'établissement d'un prix a exigé que l'ICER évalue ce à quoi ressemblerait l'adoption "non gérée", ce qui s'est avéré extrêmement difficile* ».

#### Approche du Royaume-Uni

Au cours des délibérations du Groupe de travail, il a été annoncé que le nouveau « Voluntary Pricing and Access Scheme » (Régime d'accès et de tarification volontaire) pour les médicaments de marque sur cinq ans du Royaume-Uni, qui est entré en vigueur le 1<sup>er</sup> janvier 2019, prévoit un plafond de 2 % à la croissance annuelle nominale de la facture totale des médicaments.

#### Utilisation du PIB pour actualiser les seuils

Le Groupe de travail a discuté de la façon dont les seuils précisés pour les critères utilisés visant à classer les médicaments dans la « catégorie 1 », ainsi que les seuils du côté de l'offre précisés par le CEPMB, pourraient devoir être révisés périodiquement afin de tenir compte des variations du PIB et du PIB par habitant au fil du temps.

Il a été noté que le seuil du côté de l'offre pour une province ou un territoire donné dépend du budget du système de soins de santé respectif, ainsi que de quelques autres facteurs<sup>8</sup>. Il faudrait donc s'attendre à ce qu'une variation du PIB ou du PIB par habitant au fil du temps ait une incidence indirecte sur le seuil du côté de l'offre en modifiant la taille du budget des soins de santé. Par conséquent, le seuil du côté de l'offre ne devrait pas être ajusté directement pour tenir compte des variations du PIB ou du PIB par habitant; il devrait plutôt être recalculé périodiquement afin de tenir compte de la variation de la taille des budgets provinciaux et



territoriaux des soins de santé et de la productivité marginale des services de soins de santé qui doivent être déplacés en adoptant de nouveaux médicaments.

La recommandation *possible* suivante a été soumise au vote du Groupe de travail :

**6.3 : Le Groupe de travail recommande que le CEPMB réexamine périodiquement les seuils précisés en réponse aux variations du PIB et du PIB par habitant au fil du temps, y compris le seuil de rentabilité du côté de l'offre et les seuils des critères utilisés pour classer les médicaments dans la « catégorie 1 ».**

**Douze** membres ont voté **en faveur** de cette recommandation possible et

**aucun** membre n'a voté **contre**. Cette recommandation a donc été **adoptée** en

tant que recommandation officielle du Groupe de travail.

#### 6.3.4 Facteurs à prendre en considération au-delà de la « valeur pharmacoéconomique »

Le président a noté que l'application des facteurs de la « taille du marché » et du « produit intérieur brut » exige des considérations allant au-delà de celles faites dans les évaluations de la « valeur pharmacoéconomique ».

Étant donné que le Groupe de travail était principalement composé d'experts en pharmacoéconomie, il pourrait y avoir d'importants facteurs techniques à prendre en considération qui dépassent les compétences du Groupe de travail pour appliquer ces deux facteurs.

# Annexe 1 : Cadre conceptuel

## A1.1 Avant-propos

Le présent cadre conceptuel a été rédigé par le président avant la dernière réunion du Groupe de travail. Ce cadre visait à aider le Groupe de travail à formuler des recommandations cohérentes pour les six domaines d'intérêt tout en respectant l'intention de la politique et l'éventail d'opinions exprimées par les membres du Groupe de travail au cours des délibérations.

### A1.1.1 Intention de la politique

Ce cadre comprend les éléments suivants de l'intention de la politique :

Au cours des délibérations du Groupe de travail, le CEPMB a déclaré que la meilleure perspective à adopter en tenant compte du facteur lié à la « valeur pharmacoéconomique » décrit à la modification 4.4(a) du *Règlement modifiant le Règlement sur les médicaments brevetés* est celle des *systèmes publics de soins de santé du Canada*.

Le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation (annexe 5.1) indique que l'*année de vie pondérée par la qualité (QALY)*, ou année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ), telle qu'on l'utilise dans l'analyse coût-utilité, est perçue par les experts comme étant l'« approche de référence » pour examiner la valeur économique de nouveaux médicaments.

Dans un document préparé pour le Groupe de travail en juillet 2018 (annexe 5.4), le CEPMB a précisé que son objectif est de veiller à ce que les titulaires de brevets ne facturent pas de prix excessifs *au cours de la période de monopole de droit*.

Le CEPMB a précisé au Groupe de travail que son mandat est de *protéger les consommateurs contre les prix excessifs* et *non* de veiller à ce que les produits soient lancés sur le marché.

### A1.1.2 Délibérations du groupe de travail

Le présent cadre reflète les facteurs suivants à prendre en considération tirés des délibérations du Groupe de travail :

Le mandat exigeait que le Groupe de travail examine des approches possibles qui permettraient de fixer des plafonds de prix plus élevés pour certains médicaments en fonction de caractéristiques données. Pour ce faire, il faudrait s'écarter de la position selon laquelle toutes les AVAQ ont une valeur égale, ce qui permettrait d'appliquer des « pondérations de l'équité » (autres que 1) à certaines AVAQ, mais pas toutes. Bien qu'il existe de nouvelles preuves empiriques, le Groupe de travail a convenu que les méthodes d'application des pondérations de l'équité (autres que 1) ne sont pas encore au point à l'heure actuelle. Aux fins du présent cadre conceptuel, les AVAQ ont donc une valeur égale.

Le Groupe de travail a examiné plusieurs approches qui permettraient d'établir un plafond de prix unique pour l'ensemble des provinces et des territoires, notamment les suivantes :

1. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable dans la province ou le territoire ayant la valeur de  $k$  la plus élevée (de telle sorte que le RCED soit égal à cette valeur la plus élevée de  $k$ );
2. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable dans la province ou le territoire ayant la valeur de  $k$  la moins élevée (de telle sorte que le RCED soit égal à cette valeur la moins élevée de  $k$ );
3. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable partout au Canada (de telle sorte que le RCED soit égal à une valeur « moyenne pondérée » de  $k$  partout au Canada).

Bien que le Groupe de travail ait convenu qu'un plafond de prix différent devrait être précisé pour chaque indication *en principe*, des préoccupations ont été soulevées quant à la faisabilité de le faire au Canada à l'heure actuelle. Le Groupe de travail a donc examiné diverses approches permettant de fixer un plafond de prix unique pour plusieurs indications, notamment les suivantes :

1. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour son indication offrant le meilleur rapport coût-efficacité (de telle sorte que le RCED soit égal à  $k$  pour cette indication);
2. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour son indication offrant le pire rapport coût-efficacité;
3. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour toutes les indications (de telle sorte qu'une « moyenne pondérée » du RCED pour toutes les indications soit égale à  $k$ );
4. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour la première indication étudiée par le CEPMB (de telle sorte que le RCED soit égal à  $k$  pour cette indication).

## A1.2 Principes économiques

Lorsqu'on examine comment le prix d'un bien doit être déterminé, il est utile de tenir compte de certains principes économiques fondamentaux.

Quel que soit le prix, le « surplus économique » d'un bien correspond à la somme de deux éléments :

- Le « surplus du consommateur », soit l'avantage obtenu par les consommateurs parce qu'ils peuvent acheter le bien à un prix inférieur à leur « volonté de payer »;
- Le « surplus du producteur », soit l'avantage obtenu par les producteurs parce qu'ils peuvent vendre le bien à un prix supérieur à celui qu'ils sont « prêts à accepter ».

### A1.2.1 Modèles standard

L'économie dispose d'un certain nombre de modèles standard qui décrivent la façon dont les consommateurs et les producteurs agissent dans des conditions de marché différentes, ainsi que les répercussions qui en découlent sur la répartition du surplus économique entre les consommateurs et les producteurs. Parmi les nombreux modèles possibles, les suivants revêtent une importance particulière pour les délibérations du Groupe de travail :

1. Dans un marché parfaitement concurrentiel, il se crée un prix d'équilibre auquel il y a un surplus du consommateur positif et un surplus du producteur positif. En effet, la plupart des consommateurs paient un prix inférieur au prix maximal qu'ils sont disposés à payer (comme le représente la courbe de la demande en pente descendante), tandis que la plupart des producteurs paient un prix supérieur au prix minimal qu'ils sont prêts à accepter (comme le représente la courbe de l'offre en pente montante). Le surplus économique global est positif et réparti entre les consommateurs et les producteurs.
2. Dans un marché monopolistique avec un prix unique, le producteur unique réduit sa production et augmente son prix afin de maximiser le surplus du producteur. Le surplus du consommateur diminue, mais demeure positif, puisque certains consommateurs paient encore un prix inférieur à celui qu'ils sont disposés à payer. Toutefois, le surplus économique global diminue parce que le fait de réduire la production entraîne une « perte de poids mort » : certains consommateurs sont disposés à payer un prix supérieur à la courbe de l'offre du producteur, mais le producteur préférerait ne pas vendre ses biens à ces consommateurs, car il réalise des bénéfices plus importants en les vendant à moins de consommateurs à un prix supérieur.
3. Dans un marché monopolistique où la discrimination par les prix est parfaite, le producteur demande un prix différent à chaque consommateur afin de tirer la totalité du surplus économique. Le surplus du consommateur est donc nul, puisque tous les consommateurs paient un prix équivalent à leur volonté de payer. Le producteur conserve la totalité du surplus économique global.

Afin de tenir compte des surplus du consommateur et du producteur que pourrait générer l'établissement par le CEPMB d'un plafond de prix pour un nouveau médicament, nous devons d'abord préciser les courbes de la demande et de l'offre.

### A1.2.2 Courbe de la demande pour un médicament

La courbe de la demande reflète la volonté de payer de la société pour le médicament en question.

Il appartient au CEPMB, plutôt qu'aux membres du Groupe de travail, de définir les composantes de cette courbe de la demande. Lorsqu'il examine les composantes pertinentes de la courbe de la demande, le Groupe de travail se réfère donc à l'intention de la politique.

Au cours des délibérations du Groupe de travail, le CEPMB a déclaré que la meilleure perspective à adopter en tenant compte du facteur lié à la « valeur pharmacoéconomique » décrit à la modification 4.4(a) du *Règlement modifiant le Règlement sur les médicaments brevetés* est celle des *systemes publics de soins de santé du Canada*.

Le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation (annexe 5.1) indique que l'*année de vie pondérée par la qualité (QALY)*, ou année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ), telle qu'on l'utilise dans l'analyse coût-utilité, est perçue par les experts comme étant l'« approche de référence » pour examiner la valeur économique de nouveaux médicaments.

Dans un document préparé pour le Groupe de travail en juillet 2018 (annexe 5.4), le CEPMB a précisé que son objectif est de veiller à ce que les titulaires de brevets ne facturent pas de prix excessifs *au cours de la période de monopole de droit*.

À la lumière de l'intention de la politique, une définition raisonnable de la courbe de la demande pour un nouveau médicament est fonction des répercussions nettes sur la santé des patients à long terme associées à l'adoption du médicament par les systèmes publics de soins de santé du Canada pour la durée de la période du monopole de droit, où la santé est mesurée en AVAQ et calculée par rapport à la valeur actuelle.

Les répercussions nettes d'un nouveau médicament sur la santé des patients dépendent de deux éléments :

1. Le gain de santé des patients qui reçoivent le nouveau médicament;
2. La perte de santé des autres patients dont les soins de santé reçoivent ainsi un

financement inférieur à celui dont ils auraient bénéficié en l'absence du nouveau médicament.

Le mandat exigeait que le Groupe de travail examine des approches possibles qui permettraient de fixer des plafonds de prix plus élevés pour certains médicaments en fonction de caractéristiques données. Pour ce faire, il faudrait s'écarter de la position selon laquelle toutes les AVAQ ont une valeur égale, ce qui permettrait d'appliquer des « pondérations de l'équité » (autres que 1) à certaines AVAQ, mais pas toutes. Bien qu'il existe de nouvelles preuves empiriques, le Groupe de travail a convenu que les méthodes d'application des pondérations de l'équité (autres que 1) ne sont pas encore au point à l'heure actuelle. Aux fins du présent cadre conceptuel, les AVAQ ont donc une valeur égale.

L'ACMTS et l'INESSS calculent couramment le gain de santé des patients qui reçoivent le médicament dans le cadre de leurs méthodes actuelles d'évaluation économique, et est généralement désigné par le symbole  $\Delta H$  (où le delta fait référence à « supplémentaire » et la lettre  $H$  fait référence à « avantage pour la santé »).

La perte de santé des autres patients est communément appelée le « coût de renonciation » du financement du nouveau médicament, bien que l'on ait fait valoir que le coût de renonciation réel est plus élevé que la « santé déplacée » seulement<sup>28,29</sup>.

Étant donné que les patients victimes d'une perte de santé ne sont généralement pas identifiables, l'approche standard pour estimer l'ampleur de cette perte de santé consiste à diviser les coûts différentiels du nouveau médicament, communément désignés par  $\Delta C$ , par un paramètre reflétant le « prix fictif » de la contrainte budgétaire liée aux soins de santé pertinente, généralement désigné par la lettre  $k$ . Ce dernier paramètre est aussi appelé communément le « seuil de rentabilité du côté de l'offre ».

Par exemple, dans les études de cas fournies au Groupe de travail par le CEPMB, il a été présumé que  $k$  équivaut à 60 000 \$ par AVAQ (les données empiriques qui permettent de préciser la valeur  $k$  sont prises en compte ailleurs dans le présent rapport). Cela signifie que chaque coût supplémentaire de 60 000 \$ imposé aux systèmes de santé publics du Canada en raison d'un nouveau médicament entraîne une perte de santé de 1 AVAQ.

En supposant qu'il n'y a qu'une seule indication pour le nouveau médicament, et qu'une seule valeur de  $k$  s'applique quelle que soit la quantité de médicaments fournis (hypothèses reconsidérées ultérieurement), la courbe de la demande pour le nouveau médicament est une ligne horizontale parfaitement élastique qui trace le plafond de prix auquel le gain de santé découlant du médicament est compensé exactement par la perte de santé, de sorte que l'avantage net pour la santé est nul.

En d'autres termes, la courbe de la demande détermine le plafond de prix auquel

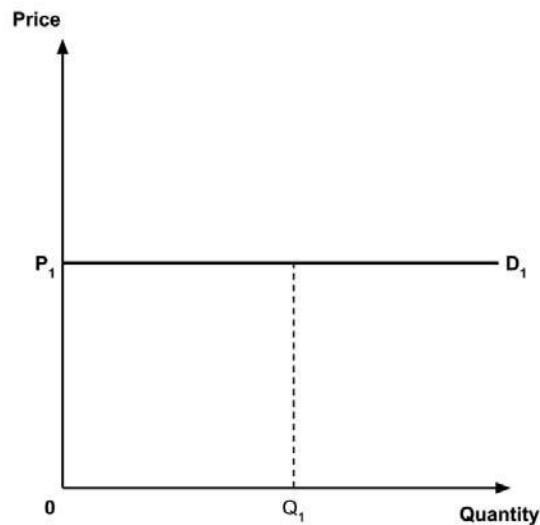
$$\Delta H = \Delta C/k \quad (1).$$

En réorganisant l'équation (1), il s'ensuit que la courbe de la demande détermine le plafond de prix auquel le rapport coût-efficacité différentiel (RCED) du nouveau médicament est égal à  $k$  :

$$\Delta C/\Delta H = k \quad (2).$$

Pour le médicament hypothétique de la figure 1, le RCED est égal à  $k$  à un plafond de prix de  $P_1$ , de sorte que la courbe de la demande est également tracée à ce plafond de prix.



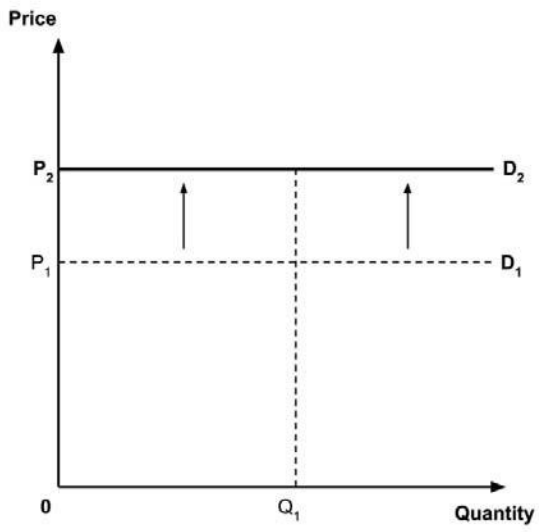


**Figure 1 : Courbe de la demande pour un médicament hypothétique (D<sub>1</sub>)**

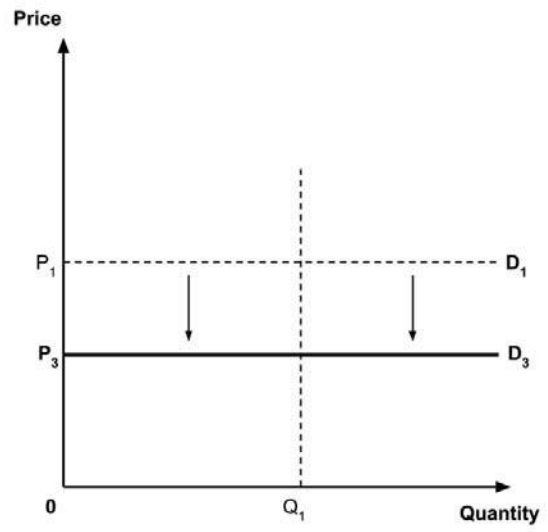
Le CEPMB a fourni au Groupe de travail un certain nombre d'études de cas (annexe 6). Pour chacune de ces études de cas, le « prix de seuil de la VA » indiqué est le plafond de prix auquel le médicament a un RCED de 60 000 \$ par AVAQ. Étant donné que le montant de 60 000 \$ par AVAQ correspond à la valeur  $k$  présumée par le CEPMB, il s'ensuit que chaque montant supplémentaire de 60 000 \$ dépensé pour chaque nouveau médicament assorti du « prix de seuil de la VA » fournirait une AVAQ supplémentaire, mais on suppose qu'il déplacerait une AVAQ supplémentaire chez d'autres patients, de sorte que l'avantage net pour la santé serait nul. Par conséquent, la courbe de la demande pour le nouveau médicament pris en compte dans chaque étude de cas serait tracée au « prix de seuil de la VA ».

Étant donné que le plafond de prix auquel le RCED est égal à  $k$  varie d'un médicament à l'autre, la courbe de la demande de chaque médicament est différente. Plus un médicament est rentable et, par conséquent, plus le nombre d'AVAQ générées à un plafond de prix donné est élevé, plus le plafond de prix auquel le RCED est égal à  $k$  est élevé, et plus la courbe de la demande est élevée (figure 2A). Inversement, moins un médicament est rentable, plus la courbe de la demande est basse (figure 2B).

Les entreprises assurant la mise au point des médicaments futurs peuvent donc avoir recours à deux mécanismes pour augmenter la courbe de la demande pour leur médicament dès son lancement : améliorer l'efficacité du médicament (et le gain de santé qui en découle) ou réduire le prix (et la perte de santé qui en découle).



**Figure 2A : Courbe de la demande pour un médicament plus rentable ( $D_2$ )**



**Figure 2B : Courbe de la demande pour un médicament moins rentable ( $D_3$ )**

### A1.2.3 Courbe de l'offre pour un médicament

La courbe de l'offre détermine le prix le plus bas qu'un fabricant serait prêt à accepter pour un médicament. C'est ce que l'on appelle parfois le prix « de réserve » (ou « minimum ») du médicament.

La courbe de l'offre est fonction d'un certain nombre de facteurs possibles, y compris les coûts initiaux associés à la mise au point du médicament, les coûts marginaux de production et les répercussions possibles de l'établissement d'un « prix de référence » sur les prix dans d'autres régions.

Il est important de noter que la courbe de l'offre dans une région donnée ne reflète pas nécessairement que les coûts marginaux de production ou le rendement du capital investi requis pour le fabricant. En raison des répercussions possibles de l'établissement d'un prix de référence, il se peut qu'un fabricant ne soit pas disposé à accepter un prix dans un territoire de compétence en particulier, même si le prix en question couvre les coûts marginaux de production et fournit un rendement du capital investi suffisant dans ce territoire, si ce prix établi est inférieur dans une ou plusieurs autres régions. L'un des moyens d'atténuer ces répercussions possibles est de recourir à des ententes confidentielles sur l'établissement des prix, de sorte que le prix effectivement payé dans un territoire donné soit inférieur au « prix courant » utilisé par d'autres territoires pour établir le prix de référence. On peut donc s'attendre à ce que les ententes confidentielles sur l'établissement des prix réduisent la courbe de l'offre, puisque les répercussions sur l'établissement du prix de référence dans d'autres régions ne sont plus un facteur pertinent.

Peu importe si l'établissement du prix de référence est un facteur pertinent, les composantes de la courbe de l'offre sont complexes. En outre, par rapport aux composantes de la courbe de la demande (telles que  $k$ ), relativement peu de recherches empiriques ont été menées sur les composantes de la courbe de l'offre, les recherches existantes étant axées principalement sur l'estimation des coûts associés à la recherche et au développement (plutôt que sur le prix de réserve prévu). En raison de cette asymétrie, la courbe de l'offre pour chaque nouveau médicament est très incertaine. Aux fins du présent cadre, la courbe de l'offre pour un médicament sera donc considérée comme étant inconnue (et tracée en pointillés).

Bien qu'elle soit inconnue, on peut raisonnablement s'attendre à ce que la courbe de l'offre pour un médicament présente les propriétés de base suivantes :

1. Un point d'interception relativement élevé sur l'axe vertical, reflétant les coûts initiaux importants associés à la recherche et à la mise au point du médicament;
2. Une pente descendante, reflétant une baisse du coût par patient pour offrir le médicament à mesure que la quantité fournie augmente. Cette baisse du coût par patient s'explique par la possibilité de répartir les coûts initiaux de recherche et de mise au point sur un plus grand nombre de patients, ainsi que par les économies

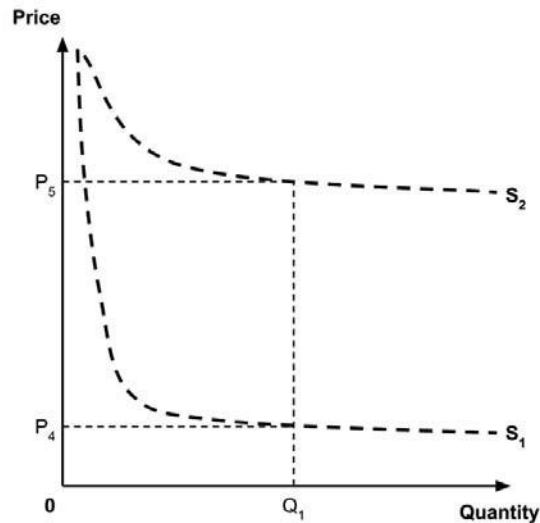
d'échelle potentielles dans la production du médicament.

Étant donné que les coûts initiaux de recherche et de mise au point et les coûts de production varient d'un médicament à l'autre, on peut s'attendre à ce que la courbe de l'offre pour chaque médicament soit différente.

Par exemple, des travaux empiriques récents ont montré que les coûts initiaux de mise au point d'un médicament orphelin (associé à une population de patients limitée, ce qui se traduit par une quantité relativement faible de médicaments offerts) s'élèvent à 291 millions de dollars américains (coût clinique moyen en capital), contre 412 millions de dollars américains pour un médicament non orphelin<sup>30</sup>.

D'autres travaux récents ont révélé que les coûts de recherche et de mise au point associés à un nouveau médicament orphelin sont inférieurs à ceux d'un médicament non orphelin. Toutefois, étant donné que leur population de patients est limitée, les médicaments orphelins doivent être assortis d'un prix par patient plus élevé afin qu'ils puissent maintenir un rendement du capital investi semblable à celui des médicaments non orphelins<sup>31</sup>.

La figure 3 illustre les courbes de l'offre possibles pour deux médicaments hypothétiques. Bien que les coûts de mise au point des deux médicaments sont censés être élevés, le premier médicament (représenté par la courbe de l'offre  $S_1$ ) sera offert à un prix inférieur, pour une quantité donnée, à celui du second médicament (représenté par la courbe de l'offre  $S_2$ ). Par exemple, pour une quantité donnée,  $Q_1$ , le fabricant du premier médicament est prêt à accepter un prix de  $P_4$ , alors que le fabricant du deuxième médicament exige un prix plus élevé de  $P_5$ . Parmi toutes les raisons possibles, cela pourrait s'expliquer par le fait que les coûts marginaux de production du premier médicament sont relativement plus bas.



**Figure 3 : Courbes de l'offre pour deux médicaments hypothétiques, dont les coûts marginaux de production sont relativement faibles ( $S_1$ ) et élevés ( $S_2$ )**

#### A1.2.4 Surplus économique

On peut utiliser les courbes de l'offre et de la demande pour examiner le « surplus économique » découlant de l'adoption d'un nouveau médicament et, à un plafond de prix donné, la répartition de ce surplus économique entre les consommateurs (patients) et les producteurs (les fabricants de nouveaux médicaments).

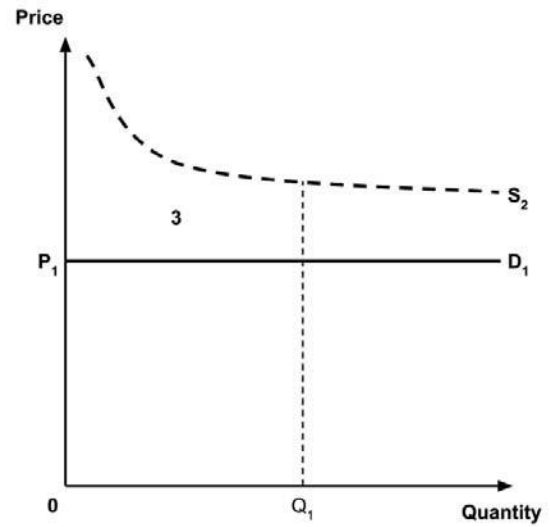
Lorsque les courbes de l'offre et de la demande sont tracées sur le même graphique, le surplus économique est illustré par la région située sous la courbe de la demande et au-dessus de la courbe de l'offre, moins toute zone située au-dessus de la courbe de la demande, mais sous la courbe de l'offre, et comprise entre l'axe vertical et la quantité de médicaments adoptée.

Par exemple, la figure 4A illustre les courbes de la demande ( $D_1$ ) et de l'offre ( $S_1$ ) pour un médicament dont la courbe de l'offre est relativement faible. À une quantité de  $Q_1$ , le surplus économique est positif et illustré par la superficie de la zone 2 moins celle de la zone 1.

La figure 4B, en revanche, illustre les courbes de la demande ( $D_1$ ) et de l'offre ( $S_2$ ) pour un médicament dont la courbe de l'offre est relativement élevée. Étant donné que la courbe de l'offre se situe entièrement au-dessus de la courbe de la demande, l'adoption de ce médicament à une quantité de  $Q_1$  entraînerait un surplus économique négatif, comme l'illustre la superficie de la zone 3.



**Figure 4A : Courbes de l'offre et de la demande pour un médicament dont la courbe de l'offre est relativement faible, ce qui se traduit par un surplus économique total positif**



**Figure 4B : Courbes de l'offre et de la demande pour un médicament dont la courbe de l'offre est relativement élevée, ce qui se traduit par un surplus économique total négatif**

### A1.2.5 Définition du surplus du consommateur et du producteur

Compte tenu de l'intention de la politique, le « surplus du consommateur » découlant de l'adoption d'un nouveau médicament reflète l'avantage net pour la santé (en AVAQ) des patients dans les systèmes de soins de santé publics du Canada.

Le « surplus du producteur », quant à lui, reflète les profits réalisés par les fabricants de nouveaux médicaments.

### A1.2.6 Répartition d'un surplus économique positif

La manière dont le surplus économique pourrait être réparti entre les « consommateurs » (patients) et les « producteurs » (fabricants) dépend du fait que le surplus économique global est positif ou négatif.

Dans le cas d'un surplus économique positif, comme le montre la figure 5A, il y a plusieurs plafonds de prix possibles pour lesquels le surplus du consommateur et celui du producteur sont tous deux positifs, de sorte que l'adoption du nouveau médicament procurerait un avantage net aux patients et au fabricant.

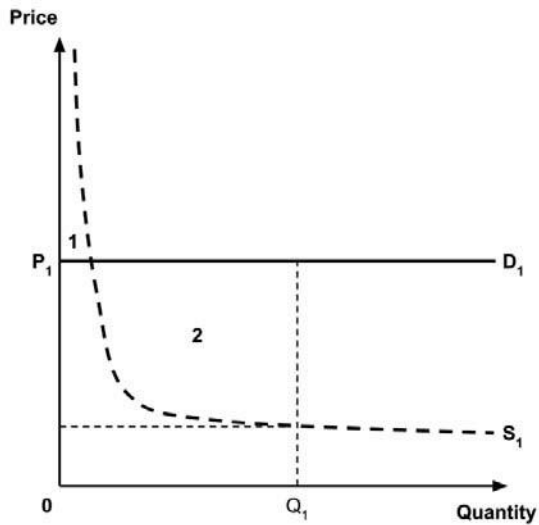
La limite supérieure de cette fourchette est un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande ( $P_1$  de la figure 5A), à laquelle le RCED équivaut à  $k$ . À ce plafond de prix, la totalité du surplus économique (illustré par la superficie de zone 2 moins celle de la zone 1) est attribuée au producteur, de sorte que le surplus du consommateur est nul. Cela s'apparente à la méthode de répartition du surplus du consommateur et du producteur utilisée dans un modèle conventionnel de monopole où la discrimination par les prix est parfaite (dans lequel le producteur tire la totalité du surplus économique).

La limite inférieure de cette fourchette correspond à un plafond de prix auquel le surplus du producteur est nul ( $P_6$  dans la figure 5B). À ce plafond de prix, le RCED est inférieur à  $k$  et le surplus du consommateur est positif, comme l'illustre la superficie combinée des zones 4 et 5. Le surplus du producteur est nul, comme l'illustre la superficie de la zone 6 moins la superficie combinée des zones 1 et 4. Il est à noter que le surplus économique global demeure le même que celui de la figure 5A et équivaut à la superficie combinée des zones 1, 5 et 6 seulement (puisque la zone 4 constitue à la fois un avantage pour les consommateurs et une perte pour les producteurs).

Un plafond de prix supérieur à  $P_1$  (le RCED est donc supérieur à  $k$ ) entraînerait un surplus du consommateur négatif (de sorte que le nouveau médicament diminuerait la santé de la population), et un plafond de prix inférieur à  $P_6$  entraînerait un surplus du producteur négatif (de sorte que le nouveau médicament ne serait pas rentable).

Par conséquent, seul un plafond de prix entre  $P_1$  et  $P_6$  dans la figure 5B entraînerait à la fois un surplus du consommateur positif et un surplus du producteur positif. À n'importe quel plafond de prix compris dans cette fourchette, le RCED du nouveau médicament est inférieur à  $k$ . Par rapport à la répartition du surplus du consommateur et du producteur lorsque le plafond de prix

correspond à la courbe de la demande (de sorte que le RCED équivaut exactement à  $k$ ), cette méthode de répartition s'apparente davantage à celle utilisée dans un modèle conventionnel de marché concurrentiel (dans lequel le surplus du consommateur et celui du producteur sont tous deux positifs).



**Figure 5A :** Au prix de  $P_1$ , la totalité du surplus économique est allouée au producteur (zone 2 moins zone 1)

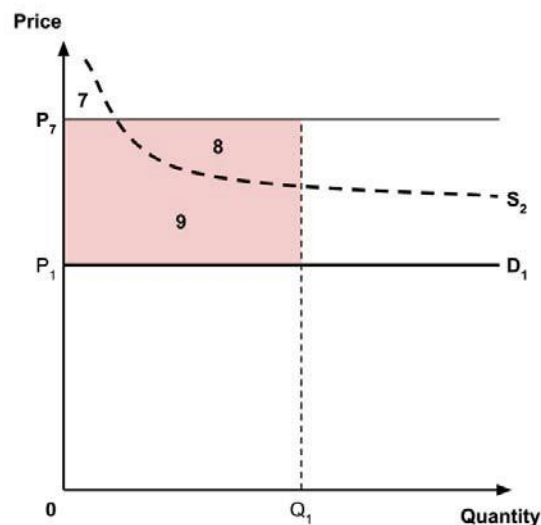


**Figure 5B :** Au prix de  $P_6$ , la totalité du surplus économique est allouée au consommateur (zones 4 et 5)



### A1.2.7 Répartition d'un surplus économique négatif

Dans le cas d'un surplus économique négatif, comme le montre la figure 4B, il n'y a aucun plafond de prix possible auquel le surplus du consommateur et celui du producteur sont tous deux positifs.



**Figure 6 : Lorsque la courbe de l'offre est supérieure à la courbe de la demande, le surplus du producteur ne peut être positif que si le surplus du consommateur est négatif**

Même s'il est possible de demander un plafond de prix plus élevé pour le médicament auquel le surplus du producteur serait positif, le surplus du consommateur serait négatif. La conséquence d'un surplus du consommateur négatif est que les autres patients subiront une plus grande perte de santé que les patients qui recevront le nouveau médicament, ce qui aura pour effet de diminuer la santé de la population.

Par exemple, dans la figure 6, un plafond de prix de  $P_7$  se traduit par un surplus du producteur positif, comme l'illustre la superficie de la zone 8 moins celle de la zone 7. Le surplus du consommateur est toutefois négatif, comme l'illustre la superficie combinée des zones 8 et 9. Les tentatives visant à éviter ce surplus du consommateur négatif en diminuant le plafond de prix aboutiront également à un surplus du producteur négatif.

La possibilité que la courbe de l'offre se situe au-dessus de la courbe de la demande est un facteur particulièrement important à prendre en considération pour les médicaments qui sont offerts à relativement peu de patients, comme les médicaments orphelins, pour lesquels la courbe de l'offre est plus susceptible d'être supérieure à celle de la demande pour la quantité pertinente.

## A1.3 Établissement des prix parmi les provinces et territoires

Le rapport de l'Institut de l'économie de la santé a tenu compte des divers déterminants de  $k^2$ .

L'un des principaux déterminants est la taille du budget en soins de santé pertinent, où les budgets en soins de santé par habitant sont plus gros, ce qui se traduit par des valeurs de  $k$  plus élevées (toutes choses égales par ailleurs).

D'autres déterminants comprennent la productivité marginale des activités de soins de santé existantes qui pourraient subir une réduction du financement ou être déplacées si un nouveau médicament est adopté<sup>8</sup>.

### A1.3.1 Variations de la valeur « $k$ » parmi les provinces et les territoires

Étant donné que les provinces et les territoires canadiens jouissent d'une certaine autonomie dans l'établissement des budgets en soins de santé et des priorités en matière de dépenses, on peut s'attendre à ce que  $k$  varie d'une province et d'un territoire à l'autre.

Ceci est corroboré par les travaux empiriques d'Ochalek *et coll.* (2018), qui ont fait état de diverses estimations des « coûts marginaux par AVAI perdue » d'une province et d'un territoire à l'autre<sup>1</sup>. S'appuyant sur les données fournies par Claxton *et coll.* (2017), ce rapport révèle des estimations plus élevées dans les territoires (allant de 30 633 \$ par AVAI perdue au Yukon à 52 191 \$ par AVAI perdue dans les Territoires du Nord-Ouest), ainsi que des estimations plus faibles dans les provinces (allant d'un minimum de 16 425 \$ par AVAI perdue à l'Île-du-Prince-Édouard à un maximum de 26 060 \$ par AVAI perdue en Alberta).

Il convient de noter que, bien que ces estimations aient été exprimées en termes de « coûts marginaux par AVAI perdue », on pourrait s'attendre à une variation semblable des estimations si elles étaient exprimées en termes de « coûts marginaux par AVAQ gagnée », ce qui correspond à la façon dont  $k$  devrait être précisée compte tenu de l'intention de la politique.

### A1.3.2 Répercussions sur le coût de renonciation des nouveaux médicaments

Une répercussion importante de cette variation de la valeur  $k$  est que le coût de renonciation lié à l'adoption d'un nouveau médicament devrait différer d'une province et d'un territoire à l'autre. Plus la valeur  $k$  est faible dans une province ou un territoire, plus le coût de renonciation prévu associé à l'adoption d'un nouveau médicament est élevé (en termes de santé à laquelle les autres patients renoncent).

Par exemple, d'après le rapport d'Ochalek *et coll.* (2018), chaque montant supplémentaire de un million de dollars dépensé pour de nouveaux médicaments à l'Île-du-Prince-Édouard aurait un coût de renonciation d'environ 60 AVAI, mais chaque montant supplémentaire de un million

de dollars dépensé pour de nouveaux médicaments en Alberta aurait un coût d'opportunité inférieur, soit d'environ 40 AVAI. Toutes choses étant égales par ailleurs, on s'attendrait donc à ce que les avantages nets pour la santé liés à l'adoption d'un nouveau médicament soient moindres à l'Île-du-Prince-Édouard qu'en Alberta.

### A1.3.3.3 Répercussions sur la courbe de la demande

Puisque la courbe de la demande détermine le plafond de prix auquel le rapport coût-efficacité différentiel (RCED) du nouveau médicament est égal à  $k$  (équation 2), il s'ensuit que la courbe de la demande sera plus élevée dans les provinces et les territoires où les estimations de  $k$  sont plus élevées.

Par exemple, d'après les travaux empiriques d'Ochalek *et coll.* (2018), on peut s'attendre à ce que la courbe de la demande la plus faible soit celle de l'Île-du-Prince-Édouard, la plus élevée pour une province soit celle de l'Alberta et la plus élevée globale soit celle des Territoires du Nord-Ouest.

La largeur de chaque courbe de la demande (la quantité demandée) devrait également varier d'une province et d'un territoire à l'autre, puisque le nombre de patients recevant chaque nouveau médicament variera en fonction des différences relatives à la taille de la population et aux données démographiques.

### A1.3.4 Approches permettant d'établir un plafond de prix unique

Le Groupe de travail a examiné plusieurs approches qui permettraient d'établir un plafond de prix unique pour l'ensemble des provinces et des territoires, notamment les suivantes :

1. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable dans la province ou le territoire ayant la valeur de  $k$  la plus élevée (de telle sorte que le RCED soit égal à cette valeur la plus élevée de  $k$ );
2. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable dans la province ou le territoire ayant la valeur de  $k$  la moins élevée (de telle sorte que le RCED soit égal à cette valeur la moins élevée de  $k$ );
3. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable partout au Canada (de telle sorte que le RCED soit égal à une valeur « moyenne pondérée » de  $k$  partout au Canada).

Les figures 7A à 7D illustrent les répercussions de chacune de ces approches à l'aide d'un modèle simplifié portant sur un nouveau médicament offert aux patients dans deux provinces. Dans ce modèle, la valeur  $k$  de la « province A » est plus élevée que celle de la « province B », de sorte que le plafond de prix auquel le RCED du médicament équivaut à  $k$  dans la « province

A » est  $P_8$ . Compte tenu de sa taille et de ses données démographiques, la « province A » exige une quantité de médicaments  $Q_2$ . La « province B » demande une quantité plus faible,  $Q_3 - Q_2$ , et a une valeur  $k$  inférieure à celle de la « province A », de sorte que le RCED serait égal à  $k$  pour cette province, à un plafond de prix de  $P_9$ .

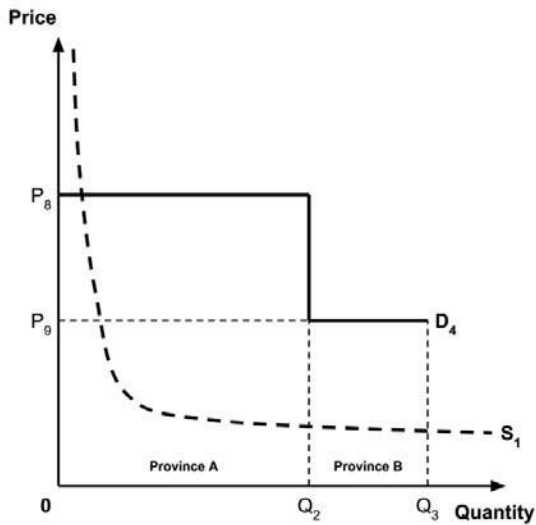


Figure 7A : La courbe de la demande pour un médicament dans deux provinces

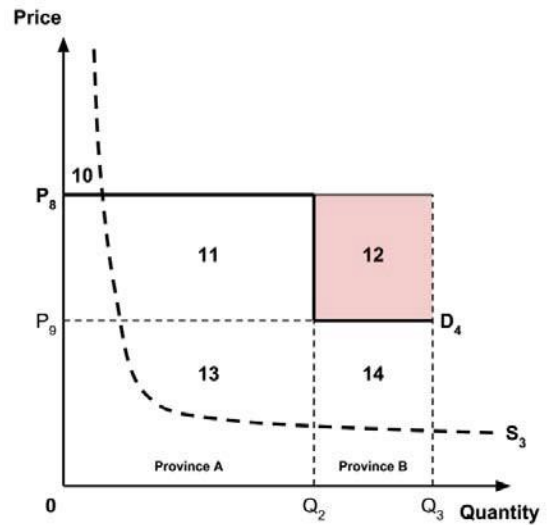


Figure 7B : Dans le cadre de la première approche (plafond de prix  $P_8$ ), le surplus du consommateur est négatif dans la « province B » et nul dans la « province A », donc négatif dans l'ensemble

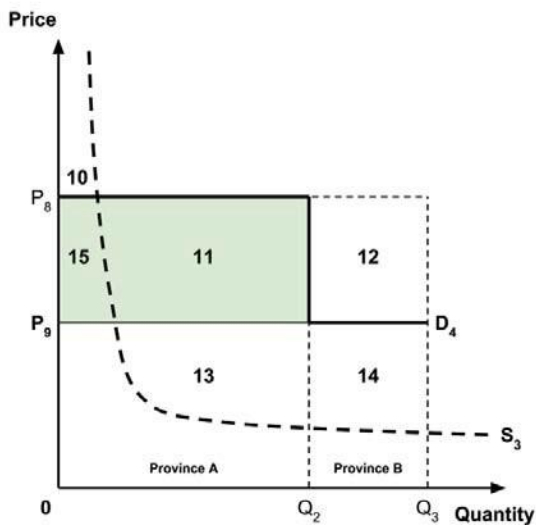


Figure 7C : Dans le cadre de la deuxième approche (plafond de prix  $P_9$ ), le surplus du consommateur est positif dans la « province A » et nul dans la « province B », donc positif dans l'ensemble

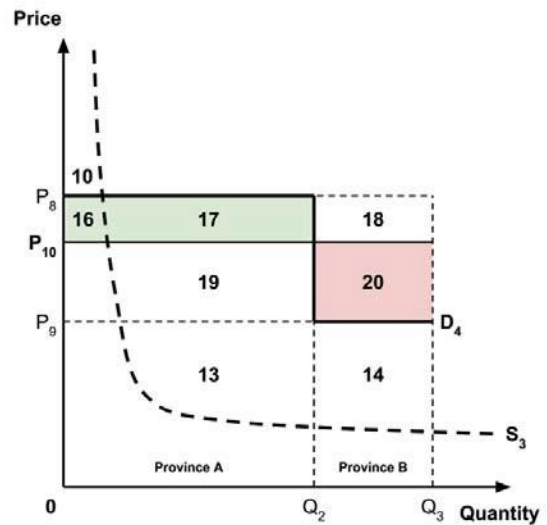


Figure 7D : Dans le cadre de la troisième approche (plafond de prix  $P_{10}$ ), le surplus du consommateur est positif dans la « province A » et négatif dans la « province B », donc nul dans l'ensemble

Approche 1 : Établir un plafond de prix en fonction de la valeur « k » la plus élevée

Selon la première approche évaluée par le Groupe de travail, le plafond de prix du nouveau médicament serait fixé à  $P_8$  dans les deux provinces (figure 7B).

Il n'en résulterait donc aucun surplus du consommateur dans la « province A » (puisque le plafond de prix correspond exactement à la courbe de la demande), mais un surplus du consommateur négatif serait généré dans la « province B » (comme l'illustre la superficie de la zone 12), puisque le plafond de prix est supérieur à la courbe de la demande. Par conséquent, le surplus total du consommateur (dans les deux provinces) serait négatif, ce qui entraînerait une diminution de la santé de la population.

À ce plafond de prix, le surplus du producteur est illustré par la superficie combinée des zones 11, 12, 13 et 14, moins la superficie de la zone 10.

Approche 2 : Établir un plafond de prix en fonction de la valeur « k » la moins élevée

Selon la deuxième approche, le plafond de prix serait fixé à  $P_9$  dans les deux provinces (figure 7C).

Il en résulterait un surplus du consommateur positif dans la « province A » (la superficie combinée des zones 11 et 15), mais aucun surplus du consommateur ne serait généré dans la « province B » (puisque le plafond de prix correspond exactement à la courbe de la demande), de sorte que le surplus total du consommateur est positif.

Le surplus du producteur serait inférieur à celui généré dans la première approche, comme l'illustre la superficie combinée des zones 13 et 14, moins la superficie combinée des zones 10 et 15.

Approche 3 : Établir un plafond de prix en fonction d'une moyenne pondérée de la valeur « k »

Selon la troisième approche, le plafond de prix serait fixé entre  $P_8$  et  $P_9$ , de sorte que le surplus total du consommateur (dans les deux provinces) serait nul. Dans cet exemple, il faut établir un plafond de prix de  $P_{10}$  (figure 7D).

À un plafond de prix de  $P_{10}$ , le surplus positif du consommateur dans la « province A » (superficie combinée des zones 16 et 17) est exactement compensé par le surplus négatif du consommateur dans la « province B » (superficie de la zone 20).

Le surplus du producteur est inférieur à celui généré dans la première approche, mais supérieur à celui généré dans la deuxième approche, comme l'illustre la superficie combinée des zones 13, 14, 19 et 20, moins la superficie combinée des zones 10 et 16.

### A1.3.5 Répercussions d'une courbe de l'offre supérieure à la courbe de la demande

Dans les figures 7A à 7D, la courbe de l'offre pour le nouveau médicament a été tracée de telle sorte que le surplus du producteur est positif à tous les plafonds de prix entre  $P_8$  et  $P_9$ .

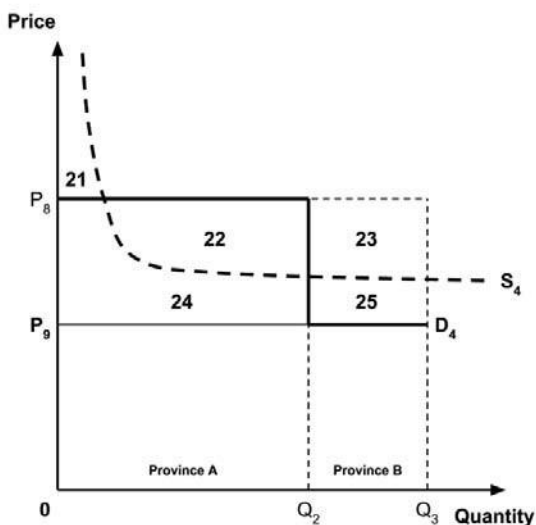
Toutefois, pour les médicaments dont la courbe de l'offre est plus élevée, il est possible qu'un surplus négatif du producteur soit généré à certains plafonds de prix dans cette fourchette.

Par exemple, la figure 8A illustre une courbe de l'offre ( $S_4$ ) qui se situe entièrement au-dessus de  $P_9$ . Selon la première approche examinée ci-dessus (établissement du prix à  $P_8$ ), le surplus du producteur serait positif (la superficie combinée des zones 22 et 23, moins la superficie de la zone 21), mais le surplus du consommateur serait négatif (comme l'illustre la figure 7B).

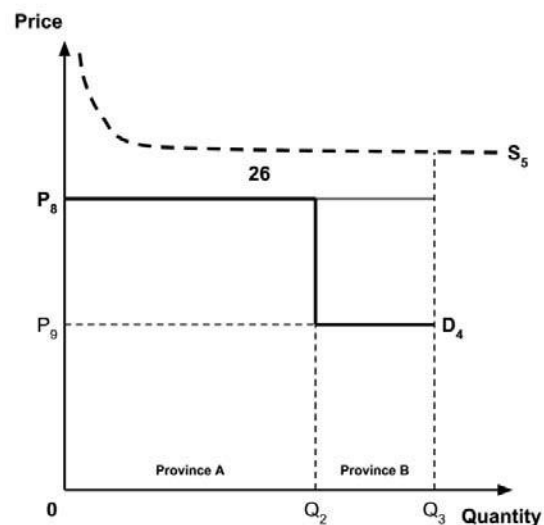
Toutefois, selon la deuxième approche (établissement du prix à  $P_9$ ), le médicament générerait un surplus du producteur négatif (la superficie combinée des zones 21, 24 et 25).

Pour les médicaments dont la courbe de l'offre est particulièrement élevée, il est possible qu'un surplus négatif du producteur soit généré à *tous* les plafonds de prix entre  $P_8$  et  $P_9$ .

Par exemple, la figure 8B illustre une courbe de l'offre ( $S_5$ ) qui se situe entièrement au-dessus de  $P_8$ . Il s'ensuit que le médicament générerait un surplus négatif du producteur selon toutes les approches examinées ci-dessus, y compris selon la première approche avec un plafond de prix de  $P_8$  (où le surplus négatif du producteur est illustré par la superficie de la zone 26). En l'occurrence, aucun plafond de prix ne génère un surplus positif du consommateur et du producteur, comme ce serait le cas dans un marché concurrentiel.



**Figure 8A : Avec une courbe de l'offre plus élevée ( $S_4$ ), le médicament est rentable au prix  $P_8$ , mais non rentable au prix  $P_9$**



**Figure 8B : Avec une courbe de l'offre encore plus élevée ( $S_5$ ), le médicament n'est pas rentable, même au prix  $P_8$**

### A1.3.6 Répercussions sur la politique

L'approche la plus souhaitable pour fixer un plafond de prix unique à l'échelle du Canada dépend de l'intention de la politique.

*Il est à noter que le rôle du Groupe de travail n'est pas de préciser l'intention de la politique. Bien que les répercussions de certains objectifs potentiels de la politique soient examinées ci-dessous, cette analyse ne doit pas être interprétée comme une approbation par le Groupe de travail d'objectifs de la politique en particulier. Il convient également de noter que cette analyse n'est pas exhaustive : il existe d'autres objectifs de politique et approches possibles afin de fixer un plafond de prix pour toutes les provinces et tous les territoires.*

#### Objectif de la politique possible 1

Si le décideur souhaite que les nouveaux médicaments *ne nuisent pas à la santé de la population canadienne dans son ensemble*, de sorte que le surplus global du consommateur soit au moins nul, la première approche envisagée ci-dessus n'est pas compatible avec cet objectif de politique. Cela s'explique par le fait que cette approche entraîne une détérioration de la santé de la population (surplus négatif du consommateur) dans toutes les provinces et tous les territoires, à l'exception de la province ou du territoire où la valeur de  $k$  est la plus élevée (où le surplus du consommateur est nul), ce qui entraînerait une diminution de la santé de la population (surplus du consommateur négatif) dans son ensemble.

La deuxième approche répond aisément à cet objectif de la politique (puisqu'elle se traduit par un surplus du consommateur global positif), tandis que la troisième approche répond tout juste à cet objectif de la politique (puisqu'elle se traduit par un surplus du consommateur global nul).

Il s'ensuit que le plafond de prix qui découle de la troisième approche ( $P_{10}$  dans la figure 7D) est le plafond de prix maximal qui serait conforme à cet objectif de politique. À ce plafond de prix, le surplus global du consommateur est nul, analogue au surplus du consommateur généré dans un modèle standard de monopole où la discrimination par les prix est parfaite.

#### Objectif de la politique possible 2

Si le décideur souhaite plutôt que les nouveaux médicaments *ne nuisent pas à la santé de la population d'une province ou d'un territoire*, la première et la troisième approches sont incompatibles avec cet objectif de la politique, parce que les deux approches entraînent une diminution de la santé de la population (surplus négatif du consommateur) dans au moins une province ou un territoire.

La deuxième approche répondrait tout juste à cet objectif de la politique, puisque le surplus du consommateur est nul dans la province ou le territoire ayant la valeur de  $k$  la moins élevée.



Il s'ensuit que le plafond de prix qui découle de la deuxième approche ( $P_9$  dans la figure 7C) est le plafond de prix maximal qui serait compatible avec cet objectif de politique. À condition que le surplus du producteur soit positif, de telle sorte que le nouveau médicament est lancé, le surplus global du consommateur est également positif.

Il est à noter que si le surplus du producteur est négatif à  $P_9$ , il n'est pas possible d'établir un plafond de prix qui répond à cet objectif de la politique et génère un surplus positif du producteur.

### Objectif de la politique possible 3

Si le décideur souhaite établir des plafonds de prix pour les nouveaux médicaments afin de *maximiser la santé de la population dans l'ensemble du Canada*, il faut alors tenir compte de l'emplacement de la courbe de l'offre. Dans la pratique, cela pose problème étant donné que l'emplacement de la courbe de l'offre est incertain.

L'une des hypothèses clés de l'analyse ci-dessous est qu'un médicament ne sera pas lancé si le surplus du producteur est négatif. Si un médicament n'est pas lancé, la valeur pharmacoéconomique est nulle puisqu'il n'en résulte aucune amélioration nette de l'AVAQ. Pour que la valeur pharmacoéconomique soit positive, le médicament doit être lancé à un plafond de prix qui entraîne un surplus du consommateur positif.

Le CEPMB a précisé au Groupe de travail que son mandat est de *protéger les consommateurs contre les prix excessifs* et *non* de veiller à ce que les produits soient lancés sur le marché.

Si l'on considère que la courbe de l'offre est suffisamment élevée pour que le médicament ne soit pas rentable au plafond de prix calculé selon la troisième approche ( $P_{10}$  dans la figure 7D), il n'est alors pas possible de préciser un plafond de prix auquel le médicament est rentable et améliore la santé de la population.

Par ailleurs, si le médicament est rentable au plafond de prix calculé selon la troisième approche ( $P_{10}$  dans la figure 7D), mais ne l'est pas au plafond de prix calculé selon la deuxième approche ( $P_9$  dans la figure 7C), la maximisation de la santé de la population exige de fixer un plafond de prix entre  $P_9$  et  $P_{10}$ , de façon à maximiser le surplus du consommateur, sous réserve que le surplus du producteur soit non négatif.

Enfin, si l'on considère que la courbe de l'offre est suffisamment basse pour que le médicament soit rentable au plafond de prix calculé selon la deuxième approche ( $P_9$  dans la figure 7C), la maximisation de la santé de la population exige de fixer un plafond de prix *inférieur* à  $P_9$ , sous réserve que le surplus du producteur soit non négatif. Toutefois, étant donné que l'emplacement réel de la courbe de l'offre est incertain, toute réduction du plafond de prix comporte un risque que le surplus du producteur devienne négatif, de sorte que le médicament ne serait pas lancé du tout. Dans de telles circonstances, le surplus du

consommateur serait nul, alors qu'à un plafond de prix plus élevé de  $P_9$ , le nouveau médicament aurait été lancé et le surplus du consommateur aurait été positif.

## A1.4 Prix en fonction des indications

Le fait d'offrir un médicament pour plusieurs indications a des répercussions sur la définition de la courbe de la demande d'un nouveau médicament.

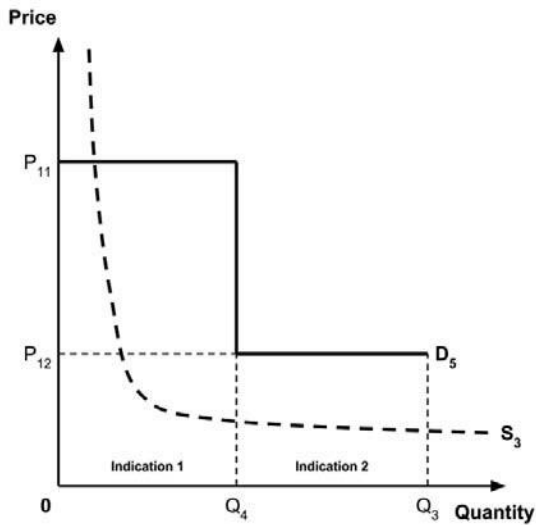
Si le nouveau médicament entraîne une amélioration de la santé par patient différente pour chaque indication, alors le plafond de prix auquel le RCED est égal à  $k$  varie également selon les indications.

Il s'ensuit que, de manière générale, la courbe de la demande sera différente pour chaque indication, avec un plafond de prix relativement plus élevé correspondant à un RCED de  $k$  pour les indications pour lesquelles le médicament offre une amélioration de la santé par patient relativement plus élevée.

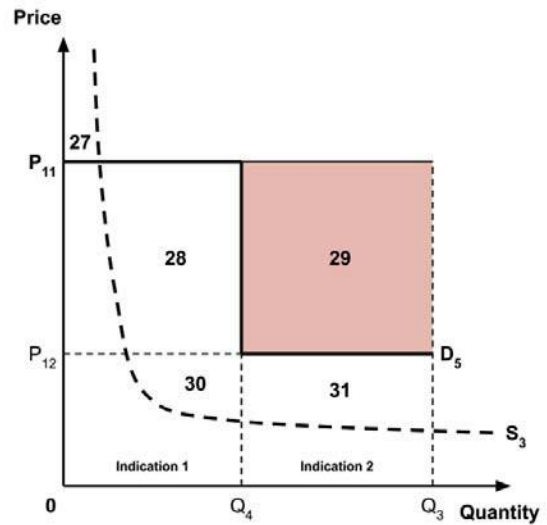
### A1.4.1 Approches permettant d'établir un plafond de prix unique pour toutes les indications

Bien que le Groupe de travail ait convenu qu'un plafond de prix différent devrait être précisé pour chaque indication *en principe*, des préoccupations ont été soulevées quant à la faisabilité de le faire au Canada à l'heure actuelle. Le Groupe de travail a donc examiné diverses approches permettant de fixer un plafond de prix unique pour plusieurs indications, notamment les suivantes :

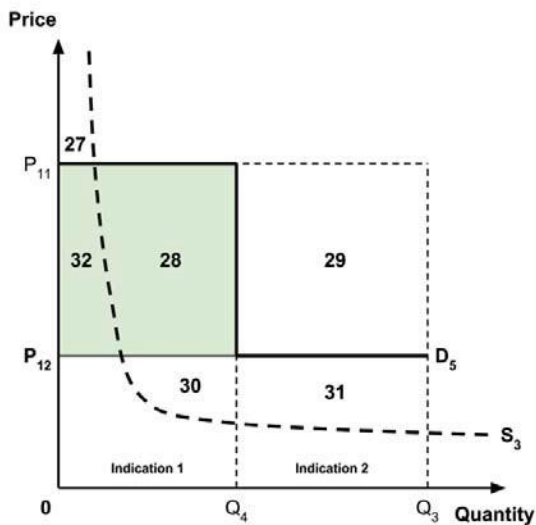
1. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour son indication offrant le meilleur rapport coût-efficacité (de telle sorte que le RCED soit égal à  $k$  pour cette indication);
2. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour son indication offrant le pire rapport coût-efficacité;
3. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour toutes les indications (de telle sorte qu'une « moyenne pondérée » du RCED pour toutes les indications soit égale à  $k$ );
4. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour la première indication étudiée par le CEPMB (de telle sorte que le RCED soit égal à  $k$  pour cette indication).



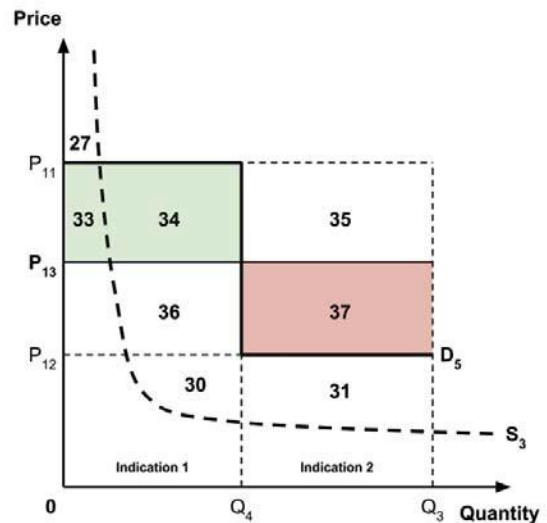
**Figure 9A : La courbe de la demande pour un médicament, pour deux indications**



**Figure 9B : Dans le cadre de la première approche (plafond de prix  $P_{11}$ ), le surplus du consommateur est négatif dans l'« indication 2 » et nul dans l'« indication 1 », donc négatif dans l'ensemble**



**Figure 9C : Dans le cadre de la deuxième approche (plafond de prix  $P_{12}$ ), le surplus du consommateur est positif dans l'« indication 1 » et nul dans l'« indication 2 », donc positif dans l'ensemble**



**Figure 9D : Dans le cadre de la troisième approche (plafond de prix  $P_{13}$ ), le surplus du consommateur est positif dans l'« indication 1 » et négatif dans l'« indication 2 », donc nul dans l'ensemble**

Les figures 9A à 9D illustrent les répercussions de chacune de ces approches à l'aide d'un modèle simplifié portant sur un nouveau médicament offert aux patients dans deux indications. Dans ce modèle, le médicament est relativement plus efficace pour les patients de l'« indication 1 », ce qui se traduit par un gain de santé plus important. Compte tenu de cette efficacité, le plafond de prix auquel le RCED est égal à  $k$  pour les patients de l'« indication 1 » est  $P_{11}$ . La quantité de médicaments demandée par les patients de l'« indication 1 » est  $Q_4$ . Le médicament est relativement moins efficace pour les patients de l'« indication 2 », de sorte que le RCED est égal à  $k$  à un plafond de prix inférieur de  $P_{12}$ . La quantité de médicaments demandée par les patients de l'« indication 2 » est  $Q_3$  et  $Q_4$ .

Dans l'analyse ci-dessous, on suppose que le médicament est toujours lancé dans les deux indications (c'est-à-dire que le fabricant ne limite pas de façon stratégique le lancement du médicament à une seule indication). Les répercussions possibles d'un tel comportement stratégique sont examinées plus loin dans la présente section.

#### Approche 1 : Établir un plafond de prix en fonction de l'indication la plus rentable

Selon la première approche envisagée par le Groupe de travail, le plafond de prix du nouveau médicament serait fixé à  $P_{11}$  dans les deux indications (figure 9B).

Il n'en résulterait donc aucun surplus du consommateur dans l'« indication 1 » (puisque le plafond de prix correspond exactement à la courbe de la demande), mais un surplus du consommateur négatif serait généré dans l'« indication 2 » (comme l'illustre la superficie de la zone 29), puisque le plafond de prix est supérieur à la courbe de la demande. Par conséquent, le surplus total du consommateur dans les deux indications serait négatif, ce qui entraînerait une diminution de la santé de la population.

À ce prix plafond, le surplus du producteur est illustré par la superficie combinée des zones 28 à 31, moins la superficie de la zone 27.

#### Approche 2 : Établir un plafond de prix en fonction de l'indication la moins rentable

Selon la deuxième approche, le plafond de prix serait fixé à  $P_{12}$  dans les deux indications (figure 9C).

Il en résulterait un surplus du consommateur positif dans l'« indication 1 » (zones 28 et 32), mais aucun surplus du consommateur ne serait généré dans l'« indication 2 » (puisque le plafond de prix correspond exactement à la courbe de la demande), de sorte que le surplus total du consommateur est positif.

Le surplus du producteur serait inférieur à celui généré dans la première approche, comme l'illustre la superficie combinée des zones 30 et 31, moins la superficie combinée des zones 27 et 32.

Approche 3 : Établir un plafond de prix en fonction d'une « moyenne pondérée » de toutes les indications

Selon la troisième approche, le plafond de prix serait fixé entre  $P_{11}$  et  $P_{12}$ , de sorte que le surplus total du consommateur (dans les deux indications) serait nul. Dans cet exemple, il faut établir un plafond de prix de  $P_{13}$  (figure 9D).

À ce plafond de prix, le surplus positif du consommateur dans l'« indication 1 » (superficie combinée des zones 33 et 34) est exactement compensé par le surplus négatif du consommateur dans l'« indication 2 » (superficie de la zone 37).

Le surplus du producteur est inférieur à celui généré dans la première approche, mais supérieur à celui généré dans la deuxième approche (comme l'illustre la superficie combinée des zones 30, 31, 36 et 37, moins la superficie combinée des zones 27 et 33).

Approche 4 : Établir un plafond de prix en fonction de la première indication prise en compte

Selon la quatrième approche, le plafond de prix serait établi à  $P_{11}$  ou à  $P_{12}$ , selon l'indication dont le CEPMB tient compte d'abord.

Cette approche est la plus simple à gérer, puisqu'elle ne nécessite pas de rajustement des plafonds de prix advenant le lancement d'indications supplémentaires.

Toutefois, étant donné que le surplus du producteur est clairement plus élevé à un prix plafond de  $P_{11}$  qu'à un prix de  $P_{12}$ , cette approche incite le fabricant à lancer tout d'abord l'indication offrant le meilleur rapport coût-efficacité (dans ce cas, l'« indication 1 ») afin de garantir un plafond de prix plus élevé pour les indications futures.

(Si le fabricant lance d'abord le médicament pour l'« indication 2 », la perte de surplus du producteur est illustrée par la superficie combinée des zones 28, 29 et 32 de la figure 9C.)

Si les fabricants agissent en fonction de cette mesure incitative et accordent la priorité au lancement de l'indication la plus rentable en premier, le surplus global du consommateur sera nul dans l'indication initiale et deviendra négatif lorsque de nouvelles indications seront lancées. Si les fabricants agissent de façon parfaitement stratégique, cette approche aurait les mêmes répercussions sur le surplus du consommateur que l'approche 1.

Si les fabricants *n'agissent pas* en fonction de cette mesure indicative, alors, dans certains cas, le surplus du consommateur pour des indications supplémentaires sera positif (si une indication ayant un moins bon rapport coût-efficacité est lancée en premier) et, dans d'autres cas, le surplus du consommateur pour des indications supplémentaires sera négatif (si une indication ayant un meilleur rapport coût-efficacité est lancée en premier).

Si la décision quant à l'indication à lancer en premier est réellement aléatoire, on peut raisonnablement s'attendre à ce que le surplus du consommateur *prévu* associé aux indications supplémentaires soit nul, puisqu'il est tout aussi probable qu'il soit positif ou négatif. Cette approche aurait donc des répercussions équivalentes à celles de l'approche 3 pour le surplus du

consommateur.

Ainsi, on peut considérer que cette approche se situe quelque part entre l'approche 1 et l'approche 3, et que le surplus du consommateur prévu irait de négatif (si les fabricants agissent le moins de façon stratégique) à nul (si les fabricants n'agissent pas du tout de façon stratégique).

#### A1.4.2 Similitudes concernant l'établissement des prix entre les différentes provinces et les différents territoires

Il y a plusieurs similitudes entre les facteurs que le Groupe de travail prend en considération pour établir les prix pour plusieurs indications et ceux pour établir les prix entre les différentes provinces et les différents territoires.

Dans les deux cas, la courbe de la demande pour un médicament diffère d'un sous-groupe de patients recevant le médicament à l'autre, que ce soit selon la province ou le territoire ou selon l'indication de la maladie. Dans les deux cas, le Groupe de travail a examiné l'établissement du prix en fonction de la courbe de la demande la plus élevée ou la plus basse, ou en fonction d'une « moyenne pondérée ». Dans les deux cas, ces diverses approches ont eu des répercussions très différentes sur la répartition du surplus du consommateur et du producteur (une approche a entraîné un surplus du consommateur négatif, une autre un surplus du consommateur positif et une troisième un surplus du consommateur nul).

Il y a cependant quelques différences. Premièrement, la raison pour laquelle les courbes de la demande diffèrent d'une province ou d'un territoire à l'autre (parce que  $k$  varie pour une valeur  $\Delta H$  donnée) n'est pas la même que celle pour laquelle les courbes de la demande diffèrent d'une indication à l'autre (parce que  $\Delta H$  varie pour une valeur  $k$  donnée). Deuxièmement, le fabricant peut avoir la possibilité d'agir de manière stratégique en ce qui concerne l'ordre dans lequel les indications sont lancées, ou choisir de ne pas lancer une indication spécifique du tout, afin de maximiser les profits.

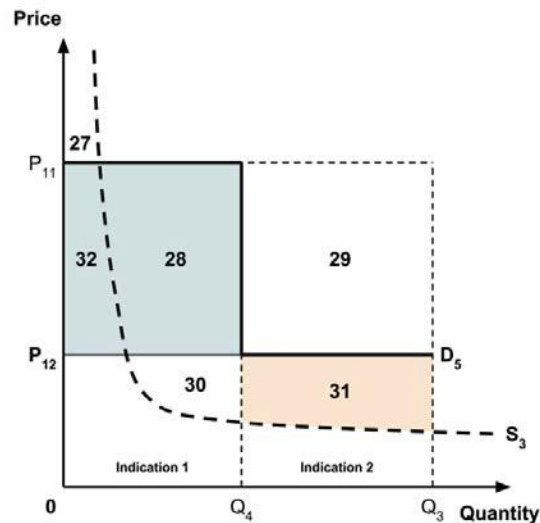
#### A1.4.3 Possibilité de comportement stratégique de la part des fabricants

Étant donné que les fabricants peuvent choisir de ne pas lancer une ou plusieurs indications, toute approche visant à établir des plafonds de prix pour l'ensemble des indications peut les amener à agir de façon stratégique, ce qui a des répercussions sur la répartition du surplus du consommateur et du producteur.

Dans l'analyse précédente de chacune des quatre approches permettant d'établir des prix pour les différentes indications, on a présumé que le nouveau médicament serait toujours lancé dans les deux indications. Dans le cadre de la deuxième approche, le lancement du médicament dans l'« indication 2 » s'est traduit par une baisse du plafond de prix dans l'« indication 1 », ce qui en retour a généré un surplus du consommateur positif. Toutefois, si cette approche était adoptée dans la pratique, les fabricants pourraient choisir stratégiquement de *ne pas* lancer le médicament dans l'« indication 2 », ce qui se traduirait par un plafond de

prix plus élevé pour l'« indication 1 », ce qui en retour générerait un surplus du consommateur nul.

On peut voir les raisons qui expliquent cette situation en examinant la figure 10, qui est adaptée de la figure 9C. Si le fabricant lance le médicament dans les deux indications, le plafond de prix est alors de  $P_{12}$  (selon la courbe de la demande pour l'« indication 2 », soit l'indication la moins rentable). Le surplus du producteur correspond donc à la superficie combinée des zones 30 et 31 *moins* la superficie combinée des zones 27 et 32.



**Figure 10 : Dans le cadre de l'approche 2, le fabricant peut choisir stratégiquement de *ne pas* lancer le médicament dans l'indication 2, ce qui augmente le surplus du producteur correspondant à la superficie des zones 28 et 32 *moins* la zone 31**

Toutefois, si le fabricant ne lance le médicament que dans l'« indication 1 », il s'agirait alors de l'indication la moins rentable et le plafond de prix serait donc de  $P_{11}$ . Le surplus du producteur correspondrait à la superficie combinée des zones 28 et 30, *moins* la superficie de la zone 27.

Par conséquent, en évitant de lancer le médicament dans l'« indication 2 », le fabricant renonce au surplus du producteur dans la zone 31, mais gagne un surplus supplémentaire du producteur dans les zones 28 et 32. Dans l'exemple de la figure 10, ce gain de surplus du producteur l'emporte sur la perte. Un fabricant qui souhaite maximiser le surplus du producteur lancerait donc stratégiquement le médicament dans l'« indication 1 » seulement.

Ce comportement stratégique engendre différentes répercussions. Premièrement, il augmente le surplus du producteur. Deuxièmement, il réduit le surplus du consommateur (dans ce cas, il devient nul, bien que dans un exemple comportant de nombreuses indications, le surplus du



consommateur puisse être positif si le médicament est toujours lancé dans deux indications ou plus). Troisièmement, il en résulte une « perte de poids mort », représentée par la superficie de la zone 31.

Cette perte de poids mort est attribuable au fait qu'il y a une demande pour le médicament pour les patients de l'« indication 2 », dont la volonté de payer correspond à  $P_{12}$ , et que le fabricant est disposé à offrir le médicament à ces patients à un plafond de prix inférieur à cette valeur. Par conséquent, il est possible de réaliser un surplus économique en offrant le médicament aux patients de l'« indication 2 ». Le fabricant n'est toutefois pas disposé à offrir le médicament à ces patients, car ce faisant, le surplus total alloué au fabricant diminuerait (puisque le plafond de prix passerait de  $P_{11}$  à  $P_{12}$  dans les deux indications). Aucun surplus économique potentiel de la zone 31 n'est donc réalisé.

Il y a plusieurs façons d'aborder cette question, qui comportent toutes des aspects positifs et négatifs. L'application d'un plafond de prix différent à chaque indication, de sorte que le plafond de prix pour l'« indication 1 » soit indépendant de celui pour l'« indication 2 », éliminerait la mesure incitative visant à ne pas offrir les médicaments dans l'« indication 2 ». Toutefois, comme on l'a noté plus haut, les membres du Groupe de travail ont exprimé des préoccupations quant à la faisabilité d'adopter un modèle d'établissement de prix par indication à l'heure actuelle. En outre, à moins qu'un plafond de prix inférieur à la courbe de la demande respective ait été appliqué dans chaque indication, le surplus global du consommateur serait nul (analogue à celui d'un modèle standard de monopole où la discrimination par les prix est parfaite).

Le décideur pourrait également envisager d'appliquer un plafond de prix supérieur à  $P_{12}$  si le médicament est lancé dans les deux indications. Pour que le surplus du consommateur soit globalement positif, il faudrait que ce plafond de prix soit inférieur au  $P_{13}$  de la figure 9D (le plafond de prix qui découle de la troisième approche, où le surplus du consommateur est nul). Bien qu'un plafond de prix entre  $P_{12}$  et  $P_{13}$  entraînerait un surplus du consommateur négatif dans l'« indication 2 », il y aurait toujours un surplus global du consommateur positif, ce qui pourrait être jugé préférable à la situation où le médicament est lancé uniquement dans l'« indication 1 » et où le surplus du consommateur est nul.

Une autre solution possible serait de « pénaliser » le fabricant qui choisit de ne pas lancer le médicament dans l'« indication 2 » en établissant un plafond de prix inférieur à  $P_{11}$  si le médicament est lancé uniquement dans l'« indication 1 ». Le surplus du producteur pourrait ainsi être maximisé en lançant le médicament dans les deux indications, ce qui inciterait le fabricant à le lancer également dans l'« indication 2 ». Toutefois, si le surplus global du producteur devient négatif à la suite de cette baisse du plafond de prix, le fabricant pourrait choisir de ne pas lancer le médicament dans *quelque* indication *que ce soit*, ce qui entraînerait un surplus du consommateur nul.

Peu importe l'approche adoptée, si le décideur tente d'atténuer ce comportement stratégique en augmentant ou en abaissant le plafond de prix, l'un des principaux défis consiste à déterminer à quel point celui-ci doit être supérieur ou inférieur. Étant donné que dans la

pratique la courbe de l'offre est incertaine, il est difficile de donner des conseils indiquant dans quelle mesure il faut augmenter ou réduire le plafond de prix dans un cas donné.

#### A1.4.4 Répercussions sur la politique

Comme par rapport aux facteurs pris en considération précédemment quant à l'établissement d'un plafond de prix unique pour l'ensemble des provinces et des territoires, l'approche la plus souhaitable pour établir un plafond de prix unique pour toutes les indications dépend de l'intention de la politique.

*Il est à noter que le rôle du Groupe de travail n'est pas de préciser l'intention de la politique. Bien que les répercussions de certains objectifs potentiels de la politique soient examinées ci-dessous, cette analyse ne doit pas être interprétée comme une approbation par le Groupe de travail d'objectifs de la politique en particulier. Il convient également de noter que cette analyse n'est pas exhaustive : il existe d'autres objectifs de la politique et approches possibles afin de fixer un plafond de prix pour toutes les indications.*

##### Objectif de la politique possible 1

Si le décideur souhaite que les nouveaux médicaments *ne nuisent pas à la santé de la population canadienne dans son ensemble*, de sorte que le surplus global du consommateur soit au moins nul, la première approche envisagée ci-dessus n'est pas compatible avec cet objectif de politique. Cela s'explique par le fait que cette approche entraîne une détérioration de la santé de la population (surplus du consommateur négatif) dans toutes les indications, à l'exception de celle offrant le meilleur rapport coût-efficacité (où le surplus du consommateur est nul), ce qui entraînerait une diminution de la santé de la population (surplus du consommateur négatif) dans son ensemble.

La deuxième approche répond aisément à cet objectif de la politique (puisqu'elle se traduit par un surplus du consommateur global positif), tandis que la troisième approche répond tout juste à cet objectif de la politique (puisqu'elle se traduit par un surplus du consommateur global nul). La quatrième approche *pourrait* répondre à cet objectif si les fabricants n'agissent pas de façon stratégique, mais dans le cas contraire, on s'attendrait à ce que le surplus du consommateur global soit négatif, auquel cas cette approche ne répondrait pas à cet objectif.

Il s'ensuit que le plafond de prix qui découle de la troisième approche ( $P_{13}$  dans la figure 9D) est le plafond de prix maximal qui serait conforme à cet objectif de la politique. À ce plafond de prix, le surplus global du consommateur est nul, analogue au surplus du consommateur généré dans un modèle standard de monopole où la discrimination par les prix est parfaite.

##### Objectif de la politique possible 2

Si le décideur souhaite plutôt que les nouveaux médicaments *ne diminuent pas la santé de la population dans une indication spécifique*, alors les première et troisième approches sont incompatibles avec cet objectif de politique, parce qu'elles entraînent une diminution de la santé de la population (surplus du consommateur négatif) pour au moins une indication. À moins que les fabricants ne lancent systématiquement en premier l'indication la moins efficace, la quatrième approche n'est pas non plus conforme à cet objectif.

La deuxième approche répondrait tout juste à cet objectif de politique, puisque le surplus du consommateur est nul dans l'indication ayant le pire rapport coût-efficacité.

Il s'ensuit que le plafond de prix qui découle de la deuxième approche ( $P_{12}$  dans la figure 9C) correspond au plafond de prix maximal qui serait conforme à cet objectif de politique.

### Objectif de la politique possible 3

Si le décideur souhaite établir des plafonds de prix pour les nouveaux médicaments afin de *maximiser la santé de la population dans l'ensemble du Canada*, il faut alors tenir compte de l'emplacement de la courbe de l'offre (comme lorsque cet objectif de politique a été pris en compte précédemment pour établir les prix entre les provinces et les territoires).

Comme auparavant, l'une des hypothèses clés est qu'un médicament ne sera pas lancé si le surplus du producteur est négatif. Si un médicament n'est pas lancé, la valeur pharmacoéconomique est nulle puisqu'il n'en résulte aucune amélioration nette de l'AVAQ. Pour que la valeur pharmacoéconomique soit positive, le médicament doit être lancé à un plafond de prix qui entraîne un surplus du consommateur positif.

De plus, comme par le passé, en vertu de cet objectif de la politique, le plafond de prix le plus souhaitable est le plafond de prix le plus bas auquel le surplus du producteur est non nul. Selon l'emplacement de la courbe de l'offre, cette valeur pourrait correspondre à un plafond de prix inférieur à  $P_{12}$  dans la figure 9D, ce qui générerait un surplus du consommateur supérieur à celui que générerait n'importe laquelle des quatre approches examinées ci-dessus. Toutefois, comme nous l'avons déjà vu, abaisser le plafond de prix pour rehausser le surplus du consommateur comporte le risque que le surplus du producteur devienne négatif, de sorte que le médicament ne soit pas lancé et que le surplus du consommateur soit nul.

Le plafond de prix le plus élevé qu'il convient d'envisager dans le cadre de cet objectif est celui qui découle de la troisième approche, soit  $P_{13}$  dans la figure 9D, puisque le surplus du consommateur est nul à ce plafond de prix (analogue à un modèle standard de monopole où la discrimination par les prix est parfaite).

## A1.5 Incertitude

Jusqu'à présent, le présent cadre a supposé que les valeurs  $\Delta H$ ,  $\Delta C$  et  $k$  sont connues avec certitude, de telle sorte que la courbe de la demande peut être tracée à un plafond de prix fixe dans chaque province ou territoire et dans chaque indication.

Dans la pratique, les estimations des valeurs  $\Delta H$  et  $\Delta C$  découlant des analyses probabilistes effectuées par l'ACMTS et l'INESSS sont incertaines, de sorte que le RCED du nouveau médicament est incertain. De plus, puisque la valeur  $k$  fait l'objet d'une estimation empirique, elle sera également incertaine.

### A1.5.1 Répercussions sur la courbe de la demande

Étant donné que le RCED et la valeur  $k$  sont incertains, le plafond de prix auquel le RCED est égal à  $k$ , ainsi que l'emplacement de la courbe de la demande, sont également incertains.

Néanmoins, comme l'ACMTS exige maintenant de mener une analyse probabiliste, il est possible d'utiliser les résultats de celle-ci pour attribuer des distributions de probabilités à  $\Delta H$  et à  $\Delta C$ . De même, les travaux empiriques devraient permettre une distribution de probabilités à  $k$  (voir, par exemple, Claxton *et coll.* 2015)<sup>10</sup>. Par conséquent, il devrait être possible d'assigner une distribution de probabilités à la courbe de la demande.

La figure 11 reproduit la courbe de la demande de la figure 1 avec un intervalle crédible de 95 %. Dans cet exemple, compte tenu de l'incertitude des valeurs  $\Delta H$ ,  $\Delta C$  et  $k$ , l'avantage net pour la santé (surplus du consommateur) du médicament *devrait* être nul à un plafond de prix de  $P_1$  (ce qui est illustré par la courbe de la demande « moyenne »). Compte tenu de cette incertitude, la probabilité que l'avantage net pour la santé soit *effectivement* nul à un plafond de prix compris entre  $P_{14}$  et  $P_{15}$  est de 95 % (ce qui est illustré par les courbes de la demande « U 95% » et « L 95% »).

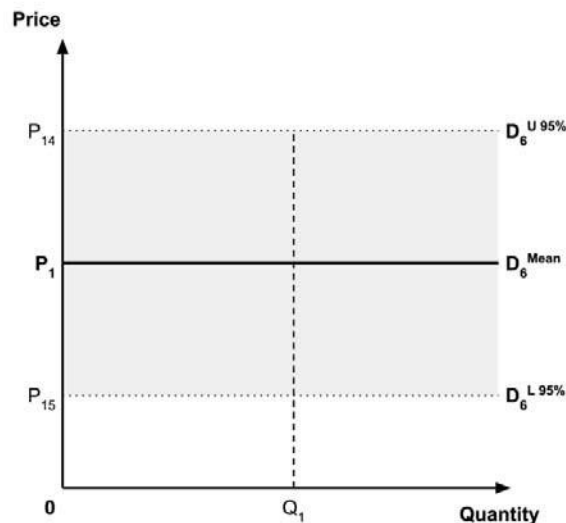


Figure 11 : Courbe de la demande soumise à un intervalle crédible de 95 %

### A1.5.2 Perte de surplus économique prévue

Étant donné que le plafond de prix auquel l'avantage net pour la santé (surplus du consommateur) du médicament est *réellement* nul est incertain, il est possible que le plafond de prix auquel on s'*attend* à ce qu'un nouveau médicament procure un surplus du consommateur nul ( $P_1$  de la figure 11) entraîne *réellement* un surplus du consommateur positif, et que ce plafond de prix entraîne *réellement* un surplus du consommateur négatif. Il est également possible que ce plafond de prix se traduise *réellement* par un surplus du consommateur nul, ce qui se produirait si  $P_1$  se situe sous la courbe de l'offre (de sorte que le médicament n'est pas lancé).

Examinons la figure 12A. Dans cet exemple, le plafond de prix *réel* auquel l'avantage net pour la santé (surplus du consommateur) est nul est  $P_{16}$ . Il s'agit du plafond de prix auquel la courbe de la demande serait tracée si les valeurs  $\Delta H$ ,  $\Delta C$  et  $k$  étaient connues avec certitude. Comme ces paramètres sont incertains, l'emplacement réel de cette courbe de demande *réelle* est inconnu (et tracé à l'aide d'une ligne en pointillés). Nous avons plutôt une estimation du plafond de prix *prévu* auquel l'avantage net pour la santé est nul ( $P_1$ ), ainsi qu'une estimation de l'intervalle crédible de 95 % (entre  $P_{14}$  et  $P_{15}$ ).

Supposons que le CEPMB fixe un plafond de prix de  $P_1$ , en fonction de la courbe de demande *prévue* (moyenne). Étant donné que  $P_1$  est inférieur à la courbe de la demande *réelle* (inconnue), mais supérieur à la courbe de l'offre (inconnue) pour la quantité  $Q_1$ , il s'ensuit qu'un plafond de prix de  $P$  se traduira par un surplus du consommateur positif (illustré par la superficie combinée des zones 34, 35 et 36). Le surplus du producteur sera également positif (illustré par la superficie combinée des zones 37 et 38, moins la superficie combinée des zones 33 et 34), mais inférieur à ce qu'il aurait été si le plafond de prix avait été établi en fonction de la courbe de la demande *réelle* (la réduction du surplus du producteur étant égale à l'augmentation du surplus du consommateur). Ainsi, parce que le surplus du producteur est positif à  $P_1$ , le médicament est toujours lancé. Il s'ensuit que, *dans cet exemple*, l'incertitude s'est traduite par un surplus du consommateur *positif*.

Examinons maintenant la figure 12B. Dans cet exemple, la courbe de la demande *réelle* ( $P_{17}$ ) est *inférieure* à la courbe de la demande *prévue* (moyenne) ( $P_1$ ). Par conséquent, si le médicament est adopté à un plafond de prix  $P_1$ , le surplus du consommateur sera *négatif* (illustré par la superficie combinée des zones 40, 41 et 42), puisqu'un plafond de prix plus élevé est payé que celui auquel le surplus du consommateur est nul. Le surplus du producteur est supérieur à ce qu'il aurait été en l'absence d'incertitude (illustré par la superficie combinée des zones 41 à 44, moins la superficie de la zone 39), cette augmentation du surplus du producteur étant égale à la réduction du surplus du consommateur (illustré par la superficie combinée des zones 40, 41 et 42).

Ceci nous amène à un résultat clé. À condition que le médicament soit lancé à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *prévue* (une exigence cruciale examinée plus loin), le surplus du consommateur *prévu* est nul (analogue à un modèle standard de monopole

où la discrimination par les prix est parfaite). Le surplus *réel* du consommateur peut être positif (comme dans la figure 12A) ou négatif (comme dans la figure 12B), mais le surplus *prévu* du consommateur est nul.

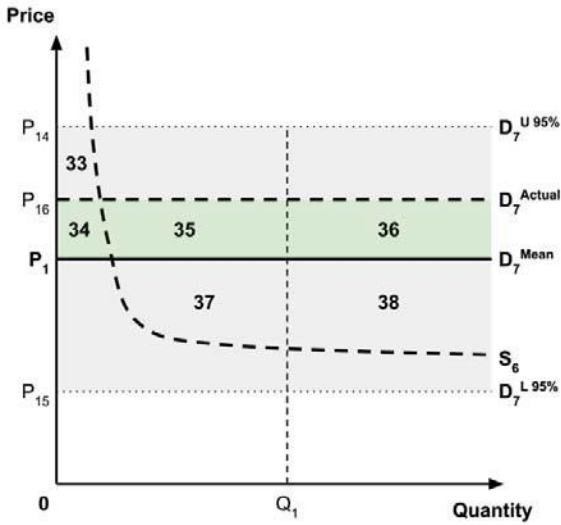


Figure 12A : Exemple où la courbe de la demande réelle ( $P_{16}$ ) est *supérieure* à la courbe de la demande prévue ( $P_1$ ) et où le médicament est lancé

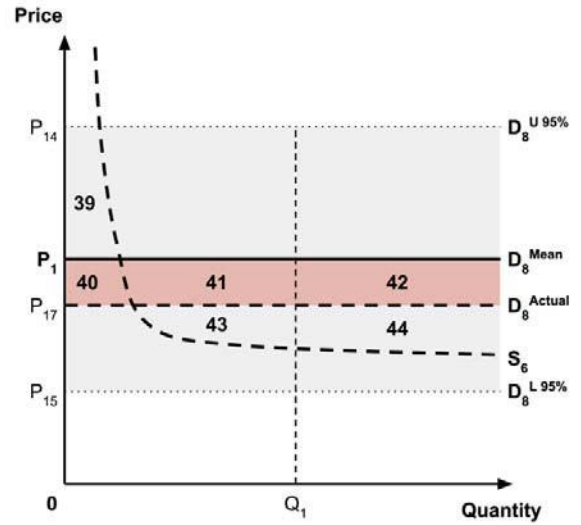


Figure 12B : Exemple où la courbe de la demande réelle ( $P_{17}$ ) est *inférieure* à la courbe de la demande prévue ( $P_1$ ) et où le médicament est lancé

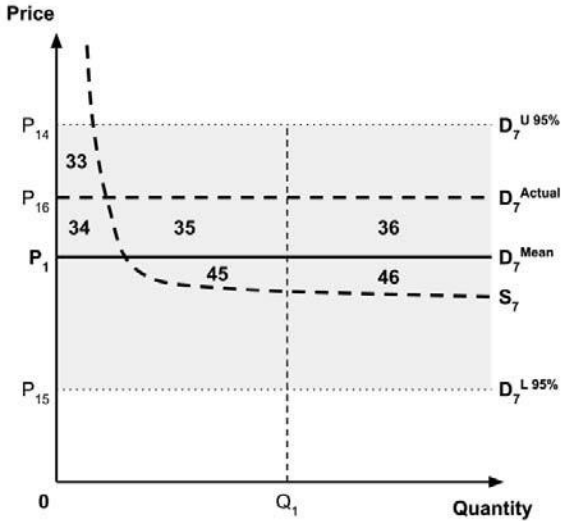


Figure 12C : Exemple où la courbe de la demande réelle ( $P_{16}$ ) est *supérieure* à la courbe de la demande prévue ( $P_1$ ) et où le médicament *n'est pas* lancé

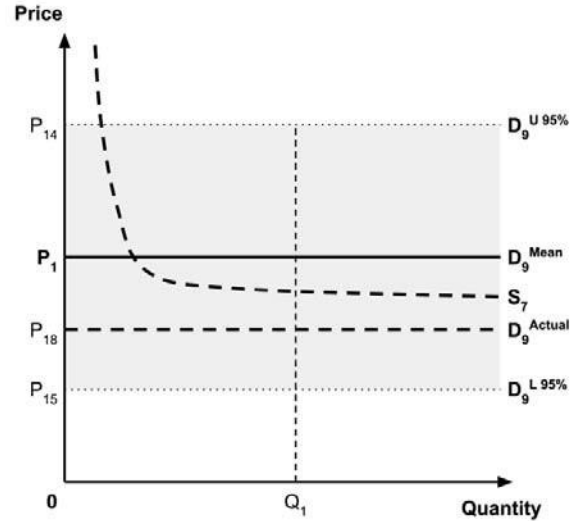


Figure 12D : Exemple où la courbe de la demande réelle ( $P_{18}$ ) est *inférieure* à la courbe de la demande prévue ( $P_1$ ) et où le médicament *n'est pas* lancé

Toutefois, ce résultat ne tient pas si le médicament *n'est pas lancé* en raison de l'incertitude.

Examinons la figure 12C. Dans cet exemple, les courbes de la demande *réelle* et *prévue* sont identiques à celles de la figure 12A, mais la courbe de l'offre est maintenant plus élevée ( $S_7$ ). Si le plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *réelle* ( $P_{16}$ ) était connu en pratique et proposé au fabricant, le médicament serait alors lancé puisque le surplus du producteur serait positif (illustré par la superficie combinée des zones 35, 36, 45 et 46, moins la superficie de la zone 33). Ce n'est toutefois pas possible, parce que la courbe de la demande *réelle* est inconnue. Si le fabricant se voit plutôt offrir le plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *prévue* ( $P_1$ ), il choisira de *ne pas* lancer le médicament, car le surplus du producteur serait alors négatif (illustré par la superficie combinée des zones 45 et 46, moins la superficie combinée des zones 33 et 34). Étant donné que le surplus du producteur serait négatif et que le médicament n'est donc pas lancé, il s'ensuit que le surplus du consommateur et celui du producteur sont tous deux nuls. Par rapport à la figure 12A, où le surplus du consommateur et celui du producteur étaient positifs parce que le médicament était toujours lancé, l'incertitude entraîne dans cet exemple une perte de surplus économique (la perte totale étant illustrée par la superficie combinée des zones 35, 36, 45 et 46, moins la superficie de la zone 33).

Enfin, examinons la figure 12D. Les courbes de la demande et de l'offre *prévues* sont identiques à celles de la figure 12C, de sorte que le médicament *n'est pas* lancé parce qu'il y aurait un surplus du producteur négatif. Toutefois, dans cet exemple, la courbe de la demande *réelle* ( $P_{18}$ ) est inférieure à la courbe de la demande *prévue* ( $P_1$ ). Par conséquent, le médicament n'aurait de toute façon pas été lancé en l'absence d'incertitude, de sorte que l'incertitude *n'entraîne pas* une perte de surplus économique (puisqu'il n'y en aurait de toute façon pas eu).

Pour résumer les résultats obtenus dans les exemples ci-dessus :

1. Si le médicament est lancé à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *prévue*, les surplus du consommateur et du producteur *prévus* sont nuls.
2. Si le médicament n'est pas rentable à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *prévue* *ni* à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *réelle*, alors le surplus du consommateur est nul.
3. Si le médicament n'est pas rentable à un plafond de prix correspondant à la courbe de demande *prévue*, mais qu'il avait été rentable à un plafond de prix correspondant à la courbe de demande *réelle*, alors l'incertitude a pour effet de *diminuer* le surplus économique total de sorte que l'incidence sur le surplus du consommateur *prévu* à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande *prévue* est *négative*.

Il s'ensuit de ce troisième résultat que l'incertitude est associée à une perte prévue du surplus du consommateur, de sorte que la réduction de l'incertitude entraîne une augmentation du surplus du consommateur *prévu*.



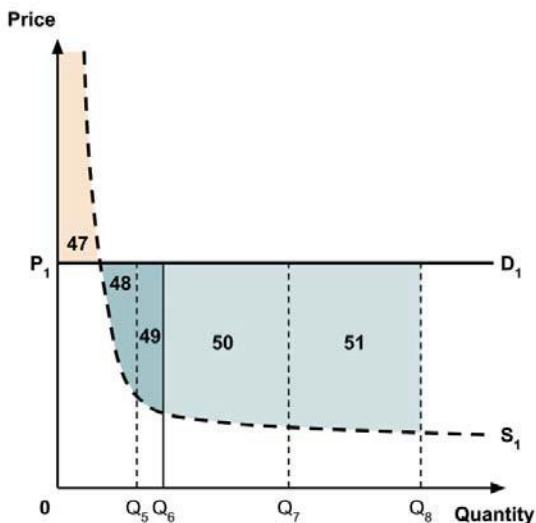
## A1.6 Taille du marché

Le CEPMB a proposé que le plafond de prix de certains médicaments de catégorie 1 fasse l'objet d'un « ajustement en fonction de la taille du marché ». Cette approche inclut un éventuel ajustement à la hausse du plafond de prix pour les médicaments ayant un petit marché et, indépendamment, un éventuel ajustement à la baisse du plafond de prix pour les médicaments dont le marché est important.

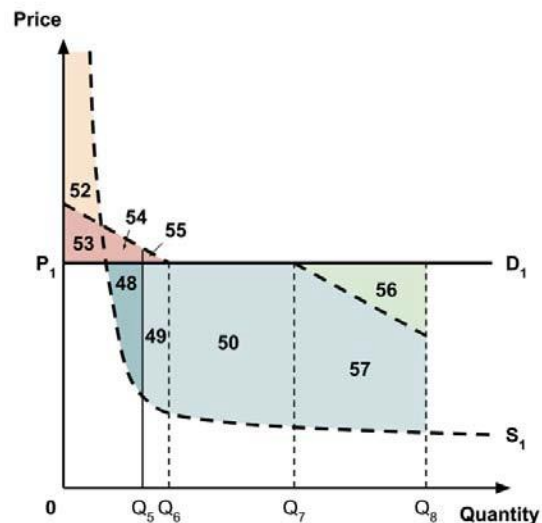
La première option aurait pour effet d'augmenter le surplus du producteur (au détriment du surplus du consommateur) pour les médicaments ayant un petit marché. La seconde option augmenterait le surplus du consommateur (au détriment du surplus du producteur) pour les médicaments dont le marché est important.

Examinons la figure 13A, qui reproduit les courbes de l'offre et de la demande pour un nouveau médicament hypothétique de la figure 4A.

Par souci de simplicité, on suppose que le médicament n'a qu'une seule indication et que la valeur  $k$  ne soit pas différente d'une province ou d'un territoire à l'autre, de sorte qu'il n'y a qu'une seule courbe de la demande horizontale ( $D_1$ ) à un plafond de prix de  $P_1$ . On suppose également que le plafond de prix du médicament est  $P_1$ , de sorte que le surplus du consommateur est nul (en l'absence d'un ajustement en fonction de la taille du marché).



**Figure 13A : Sans ajustement en fonction de la taille du marché**



**Figure 13B : Avec ajustement hypothétique en fonction de la taille du marché**

Si la taille du marché de ce médicament est très limitée (quantité  $Q_5$ ), celui-ci générera un surplus du producteur négatif (comme l'illustre la superficie de la zone 48 moins la superficie de la zone 47). Il ne serait donc pas rentable de le lancer. Si la taille du marché de ce médicament est légèrement plus importante ( $Q_6$ ), le surplus du producteur augmente (superficie de la zone 49), mais est maintenant nul. Le fabricant est donc ambivalent quant au lancement du médicament. Si la taille du marché est encore plus importante ( $Q_7$ ), le surplus du producteur augmente encore (superficie de la zone 50). Le médicament est donc maintenant rentable. Enfin, si la taille du marché est la plus importante qui soit ( $Q_8$ ), le médicament génère un surplus de production encore plus important (comme l'illustre la superficie combinée des zones 48, 49, 50 et 51, moins la superficie de la zone 47).

Il est à noter que la valeur  $Q_6$  correspond à la taille minimale du marché à laquelle le médicament est rentable. Un marché plus limité se traduit par un surplus du producteur négatif, tandis qu'un marché plus important se traduit par un surplus du producteur toujours plus positif.

### A1.6.1 Répercussions d'un ajustement en fonction de la taille du marché

Examinons maintenant la figure 13B, qui illustre un « ajustement hypothétique en fonction de la taille du marché ». À la suite de cet ajustement en fonction de la taille du marché, les médicaments dont la taille du marché est inférieure à  $Q_6$  reçoivent un plafond de prix plus élevé, tandis que les médicaments dont la taille du marché est supérieure à  $Q_7$  reçoivent un plafond de prix inférieur.

Afin de permettre de comparer les médicaments ayant un petit marché et ceux ayant un marché important, nous supposons maintenant qu'il existe de nombreux nouveaux médicaments, dont les courbes de l'offre et de la demande sont identiques, comme le montre la figure 13B, et dont la taille du marché diffère.

Cet ajustement hypothétique en fonction de la taille du marché engendre un certain nombre de répercussions.

Répercussion 1 : Augmentation du surplus du consommateur pour les médicaments dont la taille du marché est importante

La réduction du plafond de prix pour les médicaments dont le marché est important se traduit par une augmentation du surplus du consommateur et une réduction du surplus du producteur (comme l'illustre la superficie de la zone 56 pour un médicament dont la taille du marché est  $Q_8$ ).

Le surplus du producteur pour les médicaments dont la taille du marché est importante est réduit d'un montant équivalent, mais reste positif parce qu'il était suffisamment important avant la réduction du plafond de prix.

Étant donné que l'ajustement en fonction de la taille du marché n'a pas entraîné le croisement de la courbe de la demande et de la courbe de l'offre, le surplus du producteur pour un médicament ayant une taille de marché  $Q_8$  demeure supérieur au surplus du producteur pour n'importe quel marché dont la taille est inférieure (comme l'illustre la surface combinée des

zones 48, 49, 50 et 57, moins la surface combinée des régions 52 et 53).

Répercussion 2 : Réduction du surplus du consommateur pour les médicaments ayant un petit marché

Un plafond de prix plus élevé pour les médicaments ayant un petit marché se traduit par une augmentation du surplus du producteur (comme l'illustre la superficie combinée des zones 53, 54 et 55), mais par un surplus du consommateur correspondant plus faible.

Puisque (dans cet exemple) le surplus du consommateur était nul avant l'ajustement en fonction de la taille du marché, le surplus du consommateur est maintenant négatif pour les médicaments ayant un petit marché.

Répercussion 3 : Rentabilité accrue pour les médicaments ayant un petit marché

Pour un médicament dont la taille du marché est de  $Q_5$ , le surplus du producteur découlant d'un ajustement en fonction de la taille du marché est nul (comme l'illustre la superficie des zones 48, 53 et 54, moins la superficie de la zone 52), où il était auparavant négatif.

Pour un médicament dont la taille du marché est de  $Q_6$ , le surplus du producteur est maintenant positif (comme l'illustre la superficie combinée des zones 48, 49, 53, 54 et 55, moins la superficie de la zone 52), où il était auparavant nul.

Il s'ensuit que la taille minimale du marché à laquelle un médicament est rentable est passée de  $Q_6$  (avant l'ajustement en fonction de la taille du marché) à  $Q_7$ . Les médicaments dont la taille de marché se situe entre  $Q_5$  et  $Q_6$  et qui n'étaient pas rentables avant l'ajustement en fonction de la taille du marché ont maintenant un surplus du producteur positif. Il pourrait alors en résulter un meilleur accès aux médicaments ayant un petit marché.

## Annexe 2 : Documents présentés pendant les réunions du Groupe de travail

Annexe 2.1 : Diapositives du 26 juillet 2018 (D<sup>r</sup> Mike Paulden)

# Groupe de travail chargé d'éclairer le comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB)

Hôtel Alt, Ottawa  
(Ontario), 26 juillet 2018  
Président : D<sup>r</sup> Mike Paulden

## Contexte

*Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) a récemment mis sur pied un « comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix ».*

*Le mandat du comité directeur est d'aider le CEPMB à synthétiser les opinions des intervenants concernant les principales modalités opérationnelles et techniques des nouvelles lignes directrices provisoires du CEPMB.*

*Le travail du comité directeur sera en partie basé sur l'analyse et les recommandations d'un groupe de travail technique, qui se penchera sur certains enjeux qui, selon le comité directeur, profiteraient de l'examen d'experts en évaluation des technologies de la santé et autres domaines scientifiques et économiques.*

# Contexte

*Le Groupe de travail sera composé de grands experts en pharmacoeconomie et en évaluation clinique des produits pharmaceutiques.*

*Le Groupe de travail se réunira quatre fois entre juillet et octobre 2018 : deux fois en personne à Ottawa, et deux fois par vidéoconférence.*

*Un rapport des délibérations et des recommandations du Groupe de travail sera rédigé par le président, qui le soumettra ensuite au Comité directeur aux fins d'examen en octobre 2018.*

# Membres

- 1. Chris Cameron (Université Dalhousie et Cornerstone Research Group);*
- 2. Tammy Clifford (Université d'Ottawa et ACMTS);*
- 3. Doug Coyle (Université d'Ottawa);*
- 4. Patrick Duford (INESSS);*
- 5. Don Husereau (Institut de l'économie de la santé);*
- 6. Dr Peter Jamieson (Université de Calgary);*
- 7. Frédéric Lavoie (Pfizer Canada);*
- 8. Karen Lee (Université d'Ottawa et ACMTS);*
- 9. Christopher McCabe (Université de l'Alberta et Institut de l'économie de la santé);*
- 10. Stuart Peacock (Université Simon Fraser et BC Cancer Agency);*
- 11. Maureen Smith (Représentante des patients – Qualité des services de santé Ontario);*
- 12. Geoff Sprang (Agmen);*
- 13. Tania Stafinski (Université de l'Alberta).*

# Observateurs et examinateurs

## **Observateurs**

1. *Edward Burrows (Innovation, Sciences et Développement économique Canada);*
2. *Nelson Millar (Santé Canada).*

## **Examineur externe**

1. *D<sup>r</sup> Mark Sculpher (Université York).*

# Confidentialité

*Les membres du Groupe de travail peuvent consulter les non-membres de façon continue, mais doivent préserver la confidentialité de tout document qu'on leur fournit dans le cadre de leurs fonctions.*

*Les noms des membres du Groupe de travail et un rapport portant sur ses délibérations, son analyse et ses recommandations seront publiés sur le site Web du CEPMB.*



# Gouvernance et procédure

*On reconnaît que les membres du Groupe de travail peuvent avoir des points de vue divergents sur les enjeux susmentionnés, ou encore s'opposer à la justification stratégique sous-jacente des modifications apportées aux lignes directrices du CEPMB.*

*On invite toutefois les membres à collaborer de manière constructive afin d'aider le Groupe de travail à exercer ses fonctions.*

# Gouvernance et procédure

*On s'attend à ce que le président favorise le consensus entre les membres. Cependant, pour veiller à la précision et à la productivité des délibérations du Groupe de travail, le président aura le dernier mot sur toutes les questions en matière de gouvernance et de procédure.*

*Les membres qui s'opposent à une décision du président à cet égard peuvent demander à ce que leur objection soit consignée.*

*Le président doit faire tout en son possible pour que le rapport définitif du Groupe de travail reflète fidèlement tous les principaux éléments de convergence ou de discorde entre les membres.*

# Calendrier

Date	Événement	Objectif
26 juillet 2018	Réunion en personne d'une journée complète à Ottawa	Aperçu des objectifs du Groupe de travail. Sommaire des domaines d'intérêt à l'étude. Répartition des tâches entre les membres du Groupe de travail.
Semaine du 20 août 2018 (à confirmer)	Vidéoconférence de deux heures	Mise à jour du Groupe de travail. Occasion pour les membres du Groupe de travail de donner leur avis.
Semaine du 10 septembre 2018 (à confirmer)	Vidéoconférence de deux heures	Mise à jour du Groupe de travail. Occasion pour les membres du Groupe de travail de donner leur avis.
5 octobre 2018	Soumission du rapport provisoire au CEPMB	Occasion pour les membres du Groupe de travail et du CEPMB de donner leur avis.
12 octobre 2018	Réunion en personne d'une journée complète à Ottawa	Présentation du rapport provisoire. Recommandations du rapport provisoire. Dernière occasion pour les membres du Groupe de travail et du CEPMB de donner leur avis.
26 octobre 2018	Soumission du rapport final au CEPMB	Soumission du produit final au CEPMB.

## Produits livrables

*Un rapport provisoire sera remis aux membres du Comité directeur et du Groupe de travail le 5 octobre 2018, avant la dernière réunion en personne à Ottawa.*

*Après la présentation du rapport définitif, le président sera prêt à présenter les recommandations du Groupe de travail aux intervenants et aux autres parties intéressées, selon leur disponibilité.*

Contexte et aperçu

Discussion de groupe

# Domaines d'intérêt

1. Options pour déterminer quels médicaments entrent dans la catégorie 1
2. Application de seuils de rentabilité du côté de l'offre pour établir les plafonds de prix des médicaments de catégorie 1
3. Médicaments à plusieurs indications
4. Options pour utiliser les analyses d'un scénario de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS en vue d'établir un plafond de prix
5. Perspectives
6. Application du facteur de la taille du marché dans l'établissement des plafonds de prix

## 1. Options pour déterminer quels médicaments entrent dans la catégorie 1

*Un médicament de catégorie 1 est un médicament dont l'examen préliminaire de l'impact clinique, pharmacoéconomique et sur le marché, du coût de traitement et d'autres données pertinentes suggérerait un risque élevé d'avoir un prix excessif.*

*Les critères suivants ont été définis comme justifiant une classification de catégorie 1 :*

- a) Le médicament est « premier de sa catégorie » ou une amélioration « importante » par rapport aux options existantes.*
- b) Le coût de renonciation du médicament est supérieur à l'amélioration prévue de la santé.*
- c) Le médicament devrait avoir un grand impact sur le marché.*
- d) Le coût de traitement annuel moyen associé au médicament est élevé.*

**Faudrait-il tenir compte d'autres critères?**

**Quels sont les indicateurs à considérer lors de la sélection de médicaments qui répondent aux critères définis, et quelles sont les options d'utilisation de ces indicateurs?**

## 2. Application de seuils de rentabilité du côté de l'offre pour établir les plafonds de prix des médicaments de catégorie 1

*Approches potentielles permettant d'établir un plafond de prix en fonction du coût de renonciation d'un médicament.*

*Approches potentielles permettant d'obtenir des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation en fonction d'une plus grande disposition à payer pour certains types de médicaments (p. ex. pédiatrique, rare, oncologie, etc.).*

**Quelles sont les approches potentielles pour évaluer le coût de renonciation d'un médicament et établir un plafond de prix?**

**Devrait-on établir des plafonds de prix plus élevés pour certains types de médicaments? Si oui, lesquels? Comment devrait-on déterminer ces plafonds de prix plus élevés?**

## 3. Médicaments à plusieurs indications

*Options pour traiter les médicaments à plusieurs indications (p. ex. plusieurs plafonds de prix ou un seul plafond correspondant à une indication particulière).*

**Quelles sont les options pour l'établissement du prix de médicaments à plusieurs indications?**

**Quelle option devrait-on recommander, et pourquoi?**

## 4. Prise en compte de l'incertitude

*Options pour utiliser les analyses d'un scénario de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS afin d'établir un plafond de prix.*

*Options pour tenir compte de l'incertitude de l'estimation ponctuelle de chaque plafond de prix fondé sur la valeur.*

**Les analyses d'un scénario de référence actuelles produisent-elles les estimations les plus appropriées aux fins du calcul d'un plafond de prix?**

**Sinon, quelles modifications y a-t-il lieu d'apporter aux suppositions de telles analyses?**

**Comment devrait-on prendre en compte ou aborder l'incertitude dans l'établissement de plafonds de prix?**

## 5. Perspectives

*Options pour tenir compte d'une perspective sociétale ou d'une perspective d'un système public de soins de santé, incluant l'option d'appliquer un plafond de prix fondé sur la valeur plus élevé dans les cas où la différence entre les plafonds de prix selon chaque perspective est « importante ».*

*Comment définir une différence « importante » entre les plafonds de prix de chaque perspective?*

**Quelles sont les principales différences entre une perspective d'un système public de soins de santé et une perspective sociétale?**

**Quelles sont les options pour tenir compte de ces différences?**

**Comment devrait-on définir une différence « importante »?**

## 6. Application du facteur de la taille du marché dans l'établissement des plafonds de prix

*Approches permettant de calculer un ajustement approprié du plafond de prix d'un médicament en fonction de l'application des facteurs du PIB et de la taille du marché (p. ex. en fonction de l'approche américaine ICER).*

**Quelles sont les approches existantes pour envisager un ajustement du plafond de prix d'un médicament en vue d'en garantir l'abordabilité?**

**Devrait-on tenir compte d'autres facteurs (outre la taille du marché et le PIB)?**

**Comment devrait-on examiner chacun de ces facteurs?**

# Conclusion

## Annexe 2.2 : Remarques sur l'incertitude (Christopher McCabe)



# Tenir compte de l'incertitude dans l'établissement d'un plafond de prix pour les technologies à l'aide d'un seuil de rentabilité : remarques à l'intention du Groupe de travail technique du CEPMB.

Christopher McCabe, Ph. D.

Professeur d'économie de la santé, faculté de médecine et de dentisterie, Université de l'Alberta

PDG et directeur exécutif, Institut de l'économie de la santé, Alberta

## Contexte

Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) envisage d'utiliser un seuil de rentabilité afin de fixer un plafond de prix pour les nouveaux médicaments brevetés au Canada (ci-après appelé plafond de prix fondé sur la valeur [PPFV]). Dans le cadre la révision de son processus d'examen, le CEPMB a mis sur pied un groupe de travail technique chargé de formuler des commentaires sur les questions techniques et méthodologiques relatives à cette proposition qui ont été soulevées pendant le processus de consultation. L'une des questions techniques sur lesquelles le CEPMB cherche à obtenir des commentaires est celle des mécanismes permettant de composer avec l'incertitude entourant la base de données probantes dans le cadre des analyses effectuées pour l'établissement d'un PPFV. Les présentes remarques décrivent la nature des incertitudes entourant la base de données et les façons de les traiter en temps opportun, de façon analytique, à l'intérieur du cadre normalisé d'analyse de la rentabilité dans le but d'atteindre l'objectif du CEPMB de fournir rapidement un accès aux innovations.

Le contenu des présentes remarques ne doit pas être interprété comme un commentaire sur le bien-fondé ou non du PPFV au Canada, ni comme représentant les points de vue de l'Institut de l'économie de la santé, de son conseil d'administration, de ses membres ou de ses bailleurs de fonds sur toute question relative au PPFV au Canada.

Les remarques sont structurées comme suit : nous décrivons d'abord les catégories d'incertitude dont un processus d'établissement du PPFV *pourrait* tenir compte et les éléments constitutifs de ces catégories ainsi que leur lien avec la décision qu'une autorité responsable d'établir un PPFV, comme le CEPMB, est chargée de prendre, puis nous reprenons les concepts clés de la science des décisions : incertitude liée aux décisions, coût prévu d'une mauvaise décision et valeur des renseignements ainsi que le concept connexe des avantages nets attendus de l'échantillonnage. Enfin, nous décrivons comment le CEPMB pourrait utiliser ces concepts pour déterminer un PPFV. Nous terminons en expliquant brièvement pourquoi le CEPMB (ou toute autre autorité responsable d'établir un PPFV) ne devrait pas tenir compte de l'incertitude dans le rapport coût-efficacité différentiel d'un produit donné lorsqu'il fixe un plafond de prix.

#### Catégories d'incertitudes potentiellement pertinentes pour le processus d'établissement d'un PPFV

Il existe deux modèles de seuil de rentabilité, souvent appelés, respectivement, seuil du côté de la demande et seuil du côté de l'offre. On peut distinguer le seuil du côté de la demande du seuil du côté de l'offre en indiquant qu'il s'agit de la « volonté de payer pour la santé » (réf.). Le seuil du côté de l'offre représente la valeur de la santé déplacée par l'adoption d'une nouvelle technologie dans les limites d'un budget en santé fixe et entièrement alloué. C'est ce qu'on appelle souvent le coût de renonciation de l'adoption d'une nouvelle technologie, même s'il ne s'agit pas d'une utilisation techniquement correcte du terme « coût de renonciation » (réf.). Les deux sortes de seuils de rentabilité sont des quantités empiriques qui peuvent en principe être mesurées avec un certain degré d'incertitude. Aux fins des présentes remarques, il importe peu que le PPFV soit établi en fonction d'un seuil du côté de l'offre ou de la demande.

Si nous connaissons uniquement le seuil de rentabilité avec incertitude, il est possible que la valeur empirique soit supérieure ou inférieure à la valeur réelle. Les études économétriques qui fournissent généralement des estimations empiriques produisent une valeur attendue et une description de l'incertitude entourant cette valeur attendue au moyen d'erreurs types. Ces données peuvent être utilisées pour caractériser une distribution des probabilités qui décrit la plage de valeurs crédibles pour le seuil et la probabilité qu'une valeur donnée dans la plage

crédible soit la vraie valeur. Cette information permet aux analystes d'étudier deux questions importantes : 1) Quelle est la probabilité qu'en utilisant l'estimation du seuil de rentabilité pour fixer un plafond de prix, nous introduisons sur le marché une technologie qui déplacera plus de santé qu'elle n'en créera parce que le seuil estimé est supérieur au seuil réel (erreur de type 1)?; et 2) Quelle est la probabilité qu'en utilisant l'estimation du seuil de rentabilité pour fixer un plafond de prix, nous excluons du marché une technologie qui créerait plus de santé qu'elle n'en déplacerait parce que le seuil estimé est inférieur au seuil réel (erreur de type 2)?

En plus de l'incertitude quant à la valeur véritable du seuil de rentabilité, la vraie valeur (rentabilité) des technologies est également incertaine. Cette incertitude découle en grande partie, mais pas totalement, de l'incertitude entourant la base de données probantes pour la nouvelle technologie, des technologies auxquelles elle est comparée ainsi que de l'épidémiologie et de l'histoire naturelle de l'affection visée par la technologie. Dans ce contexte, la base de données probantes comprend l'utilisation des ressources, les coûts et la qualité de la vie, ainsi que les préoccupations plus classiques d'efficacité et d'innocuité. L'incertitude entourant la base de données probantes contribuera a) au risque lié à l'adoption d'une technologie qui ne devrait pas l'être parce que sa rentabilité réelle est supérieure au seuil, même si la rentabilité estimée est inférieure au seuil et b) au rejet d'une technologie qui devrait être acceptée parce que sa rentabilité estimée est supérieure au seuil même si sa rentabilité réelle est inférieure au seuil. On peut évaluer l'incertitude entourant chaque élément de la base de données probantes en se demandant si sa résolution modifierait la décision. Cette question constitue l'observation de base d'une analyse de la valeur de l'information, un ensemble bien établi de techniques issues de la science des décisions. Dans la prochaine section, nous décrirons brièvement les concepts et les applications précises de l'analyse de la valeur de l'information.

### Prise de décisions, incertitude et valeur de l'information

Par définition, les décisions sont dichotomiques. Nous choisissons de faire une chose et, ce faisant, nous choisissons de ne pas faire l'autre. En revanche, les données probantes ont tendance à être incertaines et, par conséquent, se situent sur un continuum de probabilités. L'analyse de

rentabilité synthétise toutes les données probantes disponibles (et pertinentes) pour estimer les coûts et les effets différentiels prévus du nouveau traitement par rapport à un ou plusieurs traitements actuellement utilisés. Comme les données probantes sont incertaines, les estimations des coûts et des effets découlent des distributions, qui reflètent l'incertitude entourant la base de données probantes sur le cheminement clinique que les patients suivraient s'ils recevaient les traitements parallèles, de l'utilisation des ressources, des coûts et de la qualité de vie liée à la santé associés aux différentes composantes de ces cheminements cliniques.

Tel qu'il est indiqué ci-dessus, la prise de décisions découlant de l'analyse de rentabilité exige la définition d'une valeur du seuil pour le rapport coût-efficacité différentiel, au-dessus de laquelle le nouveau traitement est considéré comme ayant une valeur faible et au-dessous de laquelle il est considéré comme ayant une bonne valeur. Lorsque l'incertitude entourant la rentabilité est reconnue et quantifiée, comme c'est le cas dans les analyses de rentabilité conformes aux lignes directrices sur les bonnes pratiques, nous pouvons quantifier la probabilité que la décision fondée sur le rapport coût-efficacité différentiel attendu soit mauvaise (soit rejeter un traitement ayant une bonne valeur ou accepter un traitement ayant une valeur faible). La probabilité de prendre la mauvaise décision correspond à « l'incertitude de la décision ». L'analyse de rentabilité nous permet d'aller plus loin que de simplement caractériser l'incertitude de la décision et d'attribuer une valeur à la prise de la mauvaise décision. Si nous prenons la mauvaise décision, alors nous renoncerons à la santé, soit en adoptant une technologie qui déplace plus de santé ailleurs dans le système en raison de son coût véritable excessif, soit en continuant de financer une technologie du système de soins de santé qui crée en réalité moins de santé que la nouvelle technologie si elle était adoptée. Le seuil de rentabilité (\$ par unité de santé gagnée) peut être appliqué à la perte de santé associée à la prise de la mauvaise décision pour déterminer si la décision est erronée. Le coût prévu d'une mauvaise décision est obtenu en pondérant ce facteur par la probabilité de prendre la mauvaise décision compte tenu des données actuelles.

De manière générale, on peut réagir de deux façons à l'inquiétude de prendre une mauvaise décision à partir des données actuelles. La première consiste à recueillir davantage de données probantes, ce qui enrichit la base de données et réduit ainsi l'incertitude entourant la décision. La

deuxième est d'apporter des modifications jusqu'à ce que le coût de la prise d'une mauvaise décision soit moins élevé que celui de retarder la prise de décision afin de recueillir plus de données probantes. Ces deux approches peuvent être régularisées par l'utilisation du cadre de valeur de l'information. La façon la plus simple d'envisager la valeur de l'information est de la considérer comme la réduction du coût prévu de la prise d'une mauvaise décision en raison des renseignements supplémentaires obtenus par la recherche, déduction faite du coût de la recherche<sup>1</sup>. Lorsque nous considérons la valeur des renseignements supplémentaires fournis par une étude de recherche donnée, et déduction faite du coût de la recherche, on parle de l'avantage net de l'échantillonnage.

Maintenant que nous avons passé en revue ces concepts clés, examinons comment un cadre de PPFV pourrait tenir compte de l'incertitude entourant la valeur du seuil de rentabilité.

#### Intégration de l'incertitude entourant la valeur du seuil de rentabilité dans un PPFV

Commençons par répéter que le seuil de rentabilité est une quantité empirique qui peut être estimée avec incertitude. Par conséquent, nous pouvons caractériser l'incertitude et sa valeur en utilisant les méthodes d'analyse probabiliste et d'analyse de la valeur de l'information recommandées dans les Lignes directrices de l'évaluation économique, Canada, 2017 de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS).

Les coûts associés à la prise d'une mauvaise décision en raison de l'incertitude du seuil sont de deux ordres : fixer un prix trop élevé parce que la valeur du seuil est en fait inférieure à l'estimation, causant une perte de santé, et fixer un prix trop bas empêchant l'entrée de la technologie sur le marché, parce que le seuil réel est supérieur à l'estimation. Ainsi, la valeur attendue d'une mauvaise décision est la somme de ces deux facteurs.

---

<sup>1</sup> La définition du coût de la recherche comprend toutes les améliorations de la santé auxquelles on renonce ou les préjudices subis pendant la recherche ainsi que tous les coûts financiers associés à la recherche.

L'autorité responsable d'établir un PPFV ne connaît pas le prix minimum qu'une entreprise est disposée à accepter. Étant donné les messages cohérents de tous les ordres de gouvernement selon lesquels l'objectif de la politique accorde la priorité à l'accès aux nouveaux traitements, il convient que l'analyste adopte une position prudente et suppose que le prix minimum que l'entreprise est disposée à payer nécessite seulement une augmentation marginale du seuil de rentabilité, ce qui maximise la probabilité que les traitements aient été exclus par erreur. Par conséquent, la probabilité de faire une erreur de type 1 correspond à la partie de la distribution des paramètres de seuil qui est supérieure à la valeur attendue. Le coût d'une erreur de type 1 est la somme de l'avantage net calculé à partir de la plage de valeurs seuils supérieures à la valeur prévue pondérée par la probabilité que chaque valeur soit la véritable valeur, multipliée par la population qui en bénéficierait.

Le coût d'une erreur de type 2 due à l'incertitude du seuil est légèrement différent parce que la technologie est fournie, mais qu'il est possible que le plafond de prix soit trop généreux. Par conséquent, le coût d'une mauvaise décision est la somme de la *différence* entre l'avantage net estimé à partir du seuil prévu et chaque valeur de seuil possible inférieure à la valeur prévue, pondérée par la probabilité qu'il s'agisse de la valeur réelle. Ce montant est ensuite multiplié par la taille de la population de patients pour obtenir le coût total.

Si la somme des coûts de ces deux types d'erreurs n'est pas égale à zéro, et qu'il n'y a aucune raison, a priori, qu'elle le soit, alors le seuil devrait être augmenté ou diminué pour trouver la valeur qui réduit la somme des deux effets. Théoriquement, lorsque la perte minimale déterminée à l'aide de ce processus n'est pas égale à zéro, il faudrait se demander si le coût de recherches supplémentaires visant à réduire l'incertitude quant à la valeur réelle du seuil est supérieur à la valeur de l'incertitude. D'un point de vue pragmatique, cette solution ne serait probablement pas pratique, car il s'agirait d'une évaluation propre à la technologie, et la volonté de prendre des décisions cohérentes et opportunes en matière de PPFV s'opposerait à une telle approche. Toutefois, des examens périodiques de la perte totale attribuable à l'incertitude entourant la valeur du seuil dans l'ensemble d'un portefeuille d'évaluations fourniraient des données empiriques sur la valeur de recherches plus poussées visant à

améliorer les données sur le seuil de rentabilité utilisé.

### Incertitude entourant le rapport coût-efficacité différentiel et le PPFV

Il convient de noter que la valeur de la technologie est incertaine, que cette incertitude est empirique et qu'elle peut donc en principe être gérée à l'aide des mêmes concepts que ceux décrits ci-dessus. Nous voudrions également souligner que si une telle approche est adoptée, elle devrait se concentrer uniquement sur les éléments de la base de données probantes que l'entreprise pourrait vraisemblablement modifier grâce à la conception du programme de recherche et développement qui a permis de mettre le produit sur le marché, généralement l'innocuité, l'efficacité, l'utilisation des ressources et la qualité de vie liée à la santé.

Toutefois, dans le contexte d'un cadre de PPFV, nous soutenons que la valeur de l'incertitude entourant la base de données probantes sur la technologie peut être considérée comme ne faisant pas partie de la portée. Nous le croyons pour deux raisons. Premièrement, la fonction de l'autorité responsable d'établir un PPFV est de fixer un prix maximum compatible avec l'accès au marché. Dans la méthode décrite ci-dessus, nous avons défini une attitude précise à l'égard du risque, qui vise à éviter les erreurs de type 1, qui n'est peut-être pas celle que les payeurs des soins de santé souhaitent adopter. Les payeurs des soins de santé ont une expérience considérable en gestion de l'incertitude entourant la base de données probantes pour une technologie et comprennent leur attitude à l'égard d'un tel risque et leurs stratégies privilégiées pour le gérer. L'intervention de l'autorité responsable d'établir un PPFV dans cette sphère n'a pas une valeur manifeste.

Deuxièmement, des technologies de plus en plus novatrices font l'objet d'autorisations de licence conditionnelle, c'est-à-dire que l'organisme de réglementation fournit un accès temporaire au marché afin de permettre d'effectuer des recherches qui réduiront l'incertitude entourant la base de données probantes sur leur valeur. Si l'autorité responsable d'établir un PPFV se penchait sur cette même incertitude, ce processus entraînerait une baisse du prix de la technologie et réduirait la probabilité que la technologie entre sur ce marché. Les politiques des autorités responsables d'octroyer des licences et d'établir un PPFV seraient en conflit

direct.

Le 3 octobre 2018



## Annexe 2.3 : Diapositives du 12 octobre 2018 (D<sup>r</sup> Mike Paulden)

# Comportement stratégique et seuil de rentabilité



Dr Mike Paulden, professeur adjoint, École de santé publique, Université de l'Alberta



@mikepaulden paulden@ualberta.ca mikepaulden.com

1

## Seuil du côté de l'offre (k)

Déterminé par le coût de renoncement des nouvelles interventions



2

# Seuil du côté de la demande (v)

Déterminé par la **volonté de payer** de la société pour de meilleurs « avantages » pour la santé



3

## Autres points à considérer

- En pratique, les décisions de financement tiennent compte d'un certain nombre de **facteurs complexes** que les **seuils conventionnels du côté de l'offre et de la demande** ne reflètent pas
- Le financement pourrait **déplacer les services de soins de santé** qui procurent des « avantages » vers d'autres patients, un aspect qui *n'est pas pris en compte dans une approche du côté de la demande*
- Le fait de préciser **A** pourrait inciter les fabricants à adopter un **comportement stratégique en matière d'établissement de prix**
- Les fabricants peuvent être **réticents à fournir de nouvelles technologies** si **A est faible**, mais ils peuvent faire de **gros profits** au détriment de la **santé de la population** si **A est élevé**
- Un décideur qui a à cœur à la fois les intérêts des **consommateurs** et ceux des **producteurs** peut vouloir essayer de comprendre les **options** associées aux **différentes valeurs de A**

D<sup>r</sup> Mike Paulden, Université de l'Alberta @mikepaulden paulden@ualberta.ca mikepaulden.com Diapositive 4

4

# Un nouveau modèle conceptuel

5

## Aperçu

---

- Le présent document propose un **nouveau modèle conceptuel du seuil de rentabilité** qui prend ces **autres facteurs** en considération
- Il tient compte à la fois du **coût de renonciation** et de la **volonté de payer** de la société pour des « avantages » en santé des méthodes conventionnelles du **côté de l'offre** et de la **demande**
- Il tient compte des **coûts engagés par les fabricants** pour mettre au point des technologies et des **mesures incitatives offertes aux fabricants pour fixer des prix de façon stratégique jusqu'à concurrence de A**
- Il permet de tenir compte du « **surplus du consommateur** » et du « **surplus du producteur** », de sorte que les décideurs puissent prendre en considération la **façon dont A influe sur la répartition du surplus entre les consommateurs (patients) et les producteurs (fabricants)**

D<sup>r</sup> Mike Paulden, Université de l'Alberta    @mikepaulden    paulden@ualberta.ca    mikepaulden.com    Diapositive 6

6

## Hypothèses

---

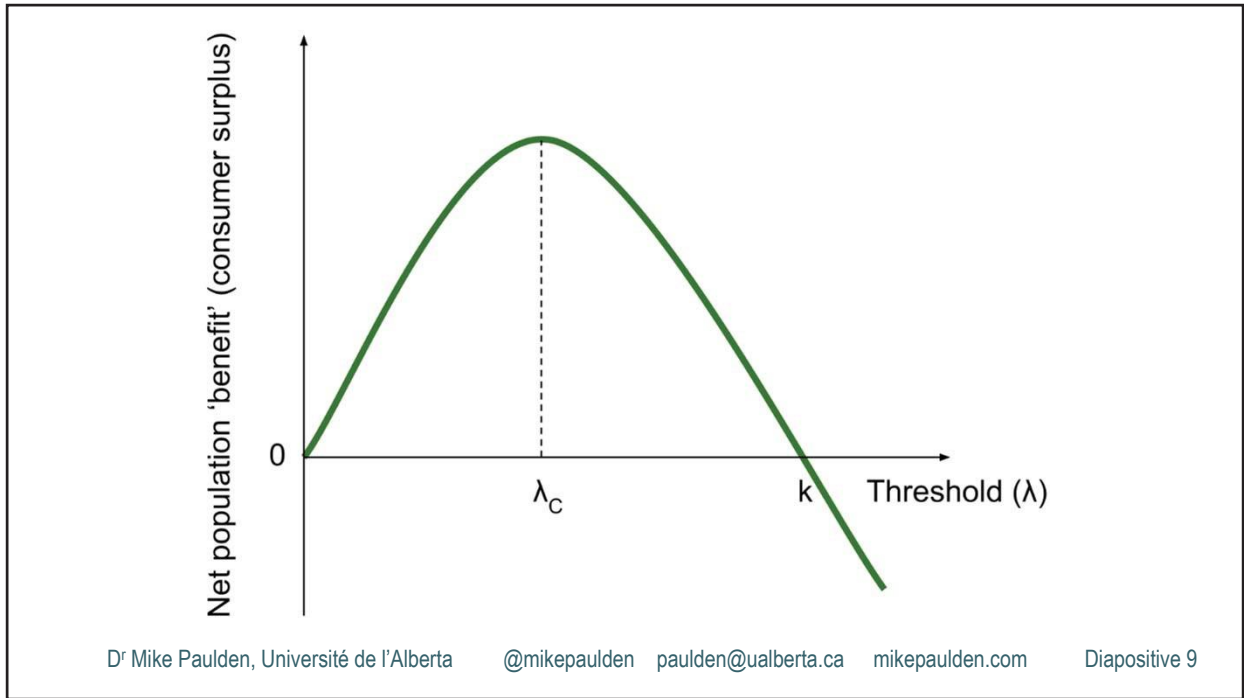
1. Il existe une mesure acceptée des « **avantages** » que les patients tirent des soins de santé
2. Le **financement des nouvelles technologies** a un **coût de renonciation** en termes d'« **avantages** » perdus
3. Les nouvelles technologies sont **chères** à produire et les fabricants **n'en fourniront pas à perte**
4. Un **seuil unique, A**, est **rendu public** par un décideur du système de soins de santé, et les **nouvelles technologies sont adoptées seulement si le rapport coût-efficacité différentiel (RCED) est inférieur à A**
5. Les fabricants de nouvelles technologies sont **protégés de la concurrence par les prix** (p. ex. par le **système des brevets**), ce qui permet de réaliser des **profits supérieurs à la normale**
6. Un **prix stratégique** est fixé pour chaque nouvelle technologie adoptée de telle sorte que le **RCED est égal à A**
7. Les **distributions de « prix de réserve »** et de « **RCED de réserve** » sont **vastes et continues**
8. Tous les « **RCED de réserve** » sont **non négatifs** (les technologies ne « **dominent** » pas au « **prix de réserve** »)
9. Chaque nouvelle technologie est **indépendante** et **mise au point par un fabricant différent**

Dr Mike Paulden, Université de l'Alberta    @mikepaulden    paulden@ualberta.ca    mikepaulden.com    Diapositive 7

7

Point de vue du consommateur

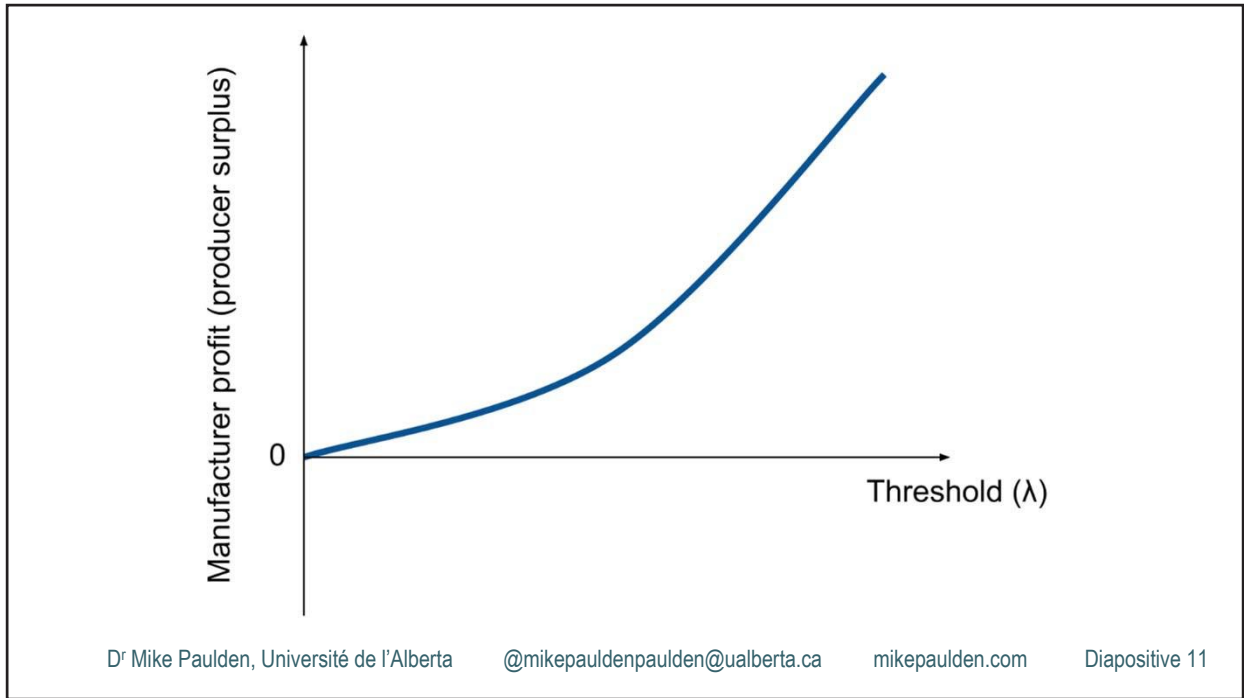
8



9

# Point de vue du producteur

10



11

Combinaison des points de vue

12

## Conversion en une mesure commune

---

- À moins que la mesure de l'« avantage » du point de vue du consommateur ne soit déjà précisée en **termes financiers**, la combinaison des surplus du consommateur et du producteur exige que chacun de ces surplus soit étudié selon une **mesure commune**
- Que ce soit en convertissant le surplus du consommateur en termes financiers ou en convertissant le surplus du producteur en unités d'« avantages » n'a pas d'importance; la difficulté réside dans la **définition d'un taux de conversion approprié**
- Un **seuil du côté de la demande** conventionnel fournit une source naturelle pour un tel taux de conversion, puisqu'il indique une estimation de la **valeur financière d'une unité d'« avantage »** qui **reflète les préférences de la société** (désignée par la lettre «  $v$  »)

Dr Mike Paulden, Université de l'Alberta

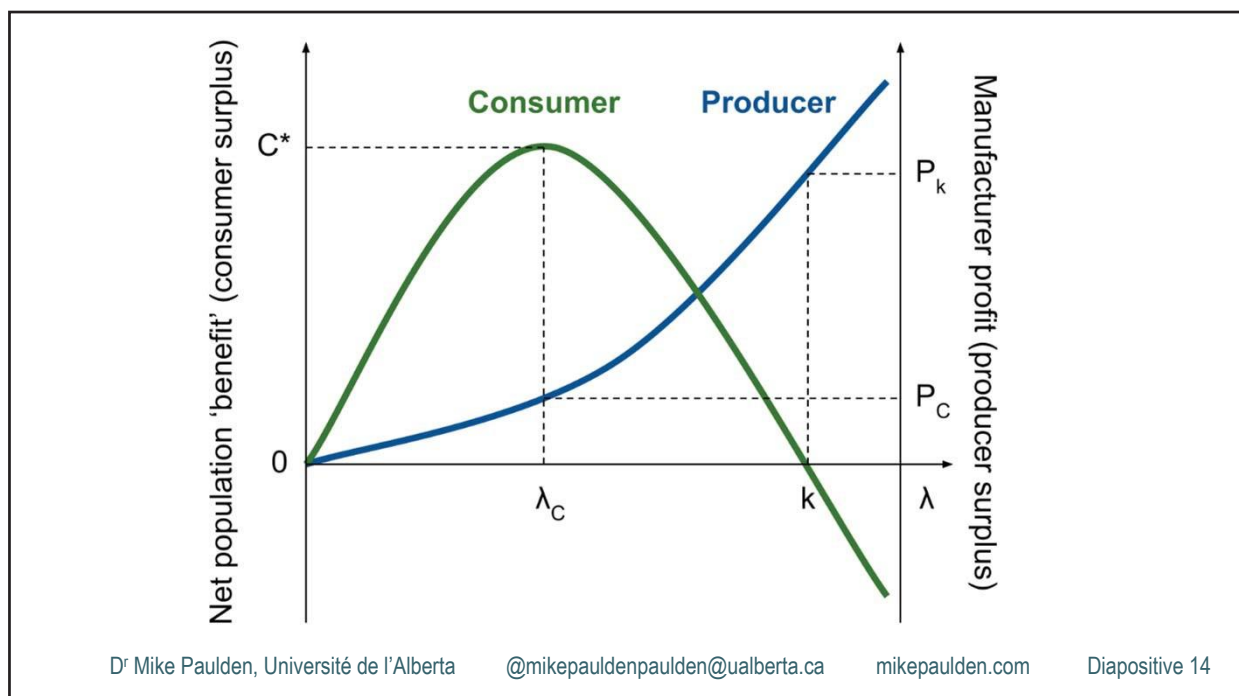
@mikepaulden

paulden@ualberta.ca

mikepaulden.com

Diapositive 13

13



Dr Mike Paulden, Université de l'Alberta

@mikepauldenpaulden@ualberta.ca

mikepaulden.com

Diapositive 14

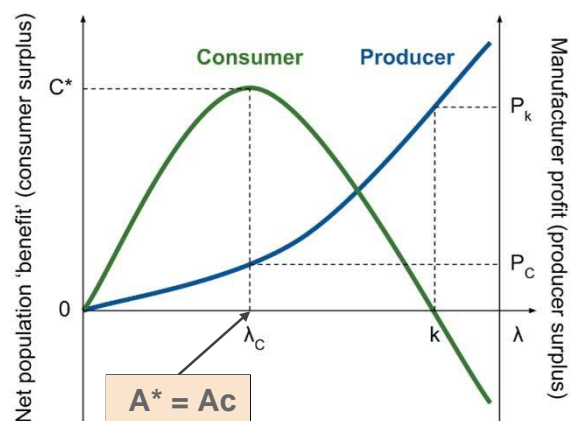
14



# Objectifs de la politique

15

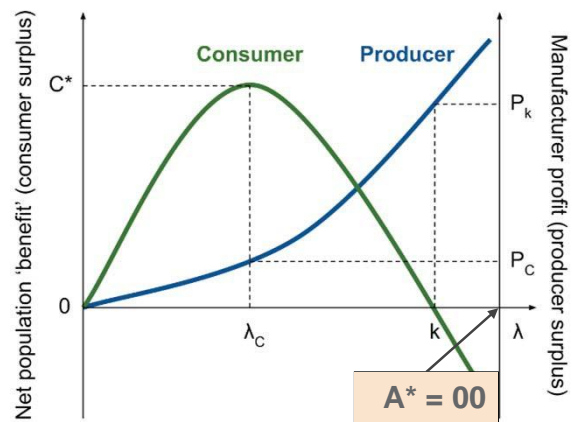
« Maximiser le surplus du consommateur »



On maximise le surplus du consommateur en définissant un seuil de  $A_c$ .

16

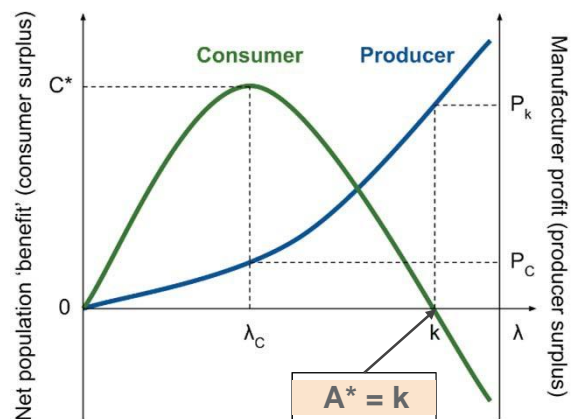
« Maximiser le surplus du producteur »



On maximise le surplus du producteur avec un **seuil infiniment élevé**.

17

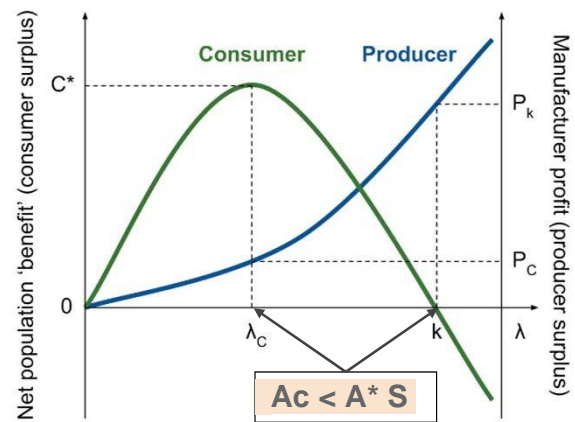
« Surplus maximal du producteur, sous réserve que les surplus du consommateur et du producteur soient non négatifs »



Étant donné que le surplus du producteur augmente proportionnellement au seuil et que le surplus du consommateur est négatif lorsque le seuil est supérieur à  $k$ , on atteint

18

« Maximiser le surplus combiné, sous réserve que les deux surplus soient non négatifs »



Étant donné que les surplus du consommateur et du producteur augmentent tous deux proportionnellement au seuil jusqu'à concurrence de  $A_c$ , mais que le surplus du consommateur est

19

Conclusions

20

## Implications pour les politiques, la théorie et la recherche empiriques

---

- Le **seuil optimal** dépend essentiellement de l'**objectif de la politique**
- Selon cet objectif, le seuil optimal peut être **inférieur** ou **supérieur** à celui d'**une ou l'autre des approches conventionnelles** (du côté de l'offre ou de la demande)
- Une estimation du seuil du **côté de l'offre** ( $k$ ) est nécessaire pour comprendre la forme de la **courbe du seuil du consommateur** et la « **plage** » **optimale de seuils**
- Une estimation du seuil du **côté de la demande** ( $v$ ) est nécessaire pour **convertir les surplus du consommateur et du producteur en une mesure commune**
- Les **recherches empiriques** futures doivent estimer **non seulement  $k$  et  $v$** , mais aussi les **formes des courbes des seuils du consommateur et du producteur**

Dr Mike Paulden, Université de l'Alberta    @mikepaulden    paulden@ualberta.ca    mikepaulden.com    Diapositive 21

21

Téléchargez les  
diapositives (en anglais) à  
l'adresse  
<https://goo.gl/Mv66HD> ou  
en lisant le code à barres



## Des questions?

Dr Mike Paulden, Université de l'Alberta    @mikepaulden    paulden@ualberta.ca    mikepaulden.com    Diapositive 22

22

Annexe 2.4 : Diapositives du 12 octobre 2018  
(Christopher McCabe)

# Seuils de rentabilité du côté de l'offre pour fixer un plafond de prix : quelques outils pour décortiquer les problèmes

Christopher McCabe, Ph. D.,  
Université de l'Alberta  
et  
Institut de l'économie de la  
santé

1

## Problème décisionnel

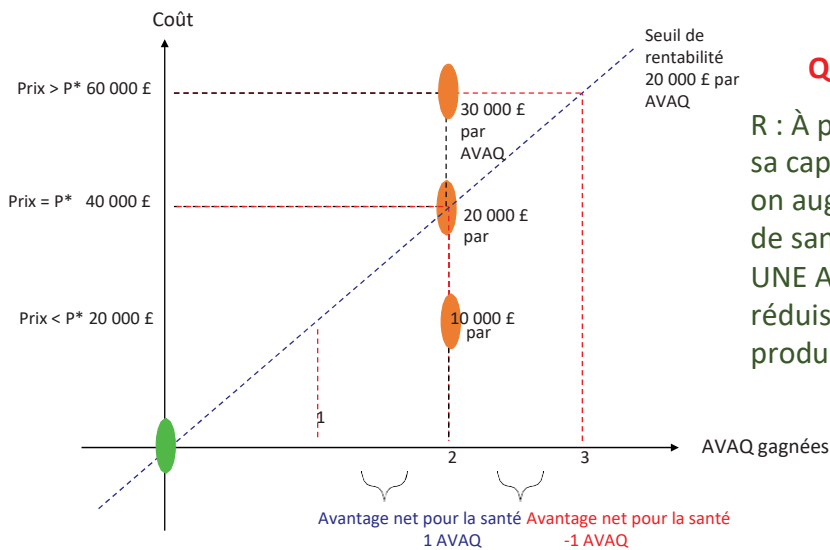
Un nouveau médicament a été homologué et on s'attend à ce qu'il améliore la santé des bénéficiaires de deux années de vie ajustées en fonction de la qualité (AVAQ) par rapport à la pratique exemplaire actuelle.

De quels éléments l'organisme de réglementation des prix devrait-il tenir compte afin d'établir un prix maximal pour ce nouveau médicament?

1. Incidence prévue sur la santé de la population
2. Incidence prévue sur la viabilité du système de santé
3. Valeur attendue de la santé =  $f(S.(m,p,t))$
4. Récompense de l'innovation = prime s'ajoutant au coût de production de l'innovation
5. Accès à des traitements novateurs
6. Incertitude

2

## Incidence prévue sur la viabilité du système de santé

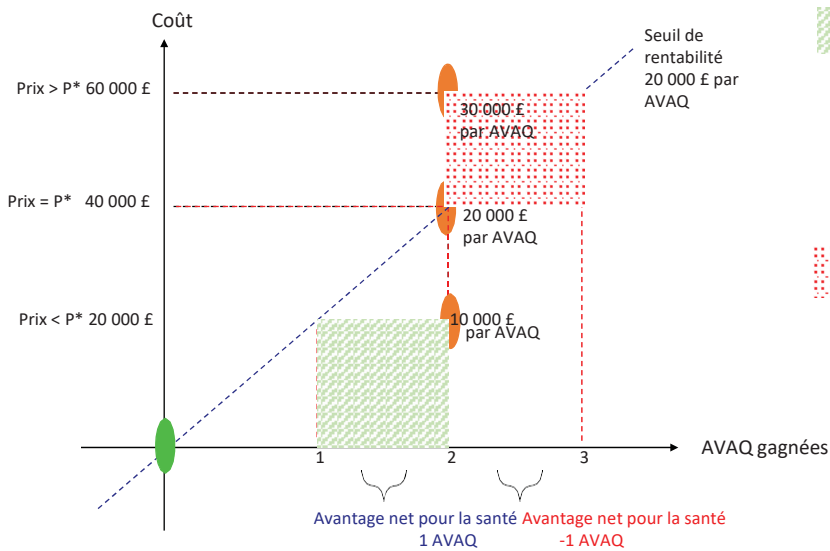



**Q : Qu'est-ce que cela signifie?**

R : À partir de son budget actuel et de sa capacité à produire de la santé, si on augmentait le budget du système de santé de 20 000 \$, on ajouterait UNE AVAQ supplémentaire, mais si on réduisait ce budget d'autant, on produirait UNE AVAQ de moins.


3

## Incidence prévue sur la viabilité du système de santé



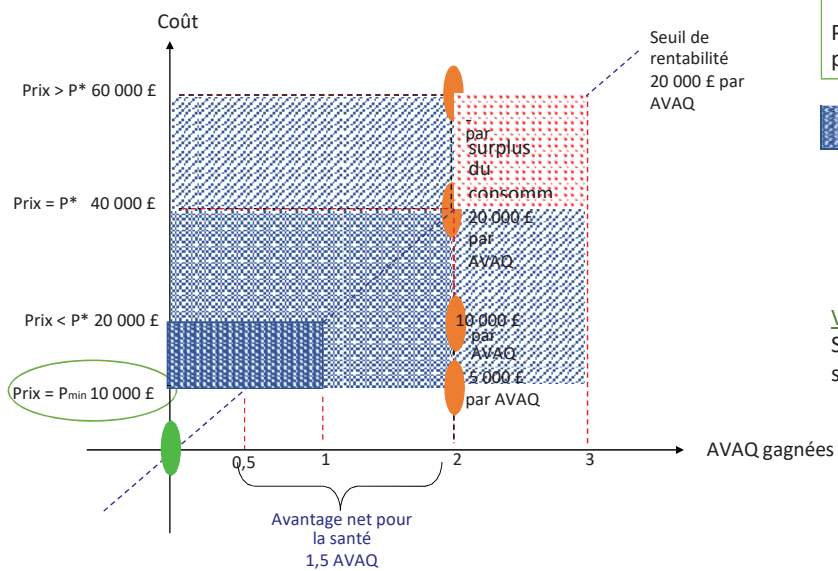
 = Différence entre le maximum que le système de santé serait prêt à payer (auquel il renoncerait) pour la technologie et ce à quoi il doit effectivement renoncer = Surplus du consommateur

surplus du consommateur positif contribue à la viabilité du système de santé

 surplus du consommateur négatif met à risque la viabilité du système de santé


4

# Récompenser l'innovation



$P_{min}$  = Prix qui suffit tout juste à payer les coûts

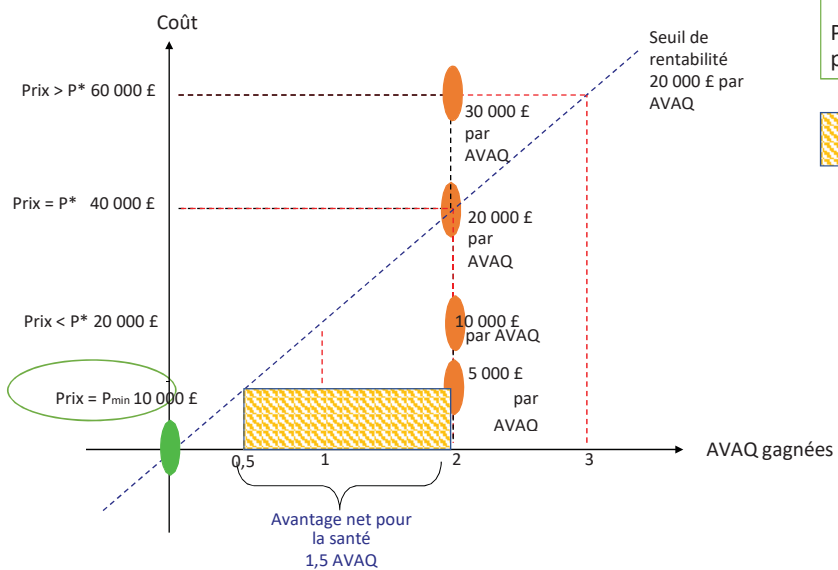
Prix <  $P_{min}$  = Le médicament ne sera pas mis en marché.

 Différence entre le prix minimum et le prix reçu = Surplus du producteur

Valeur de l'innovation = Surplus du consommateur plus surplus du producteur


5

# Récompenser l'innovation



$P_{min}$  = Prix qui suffit tout juste à payer les coûts

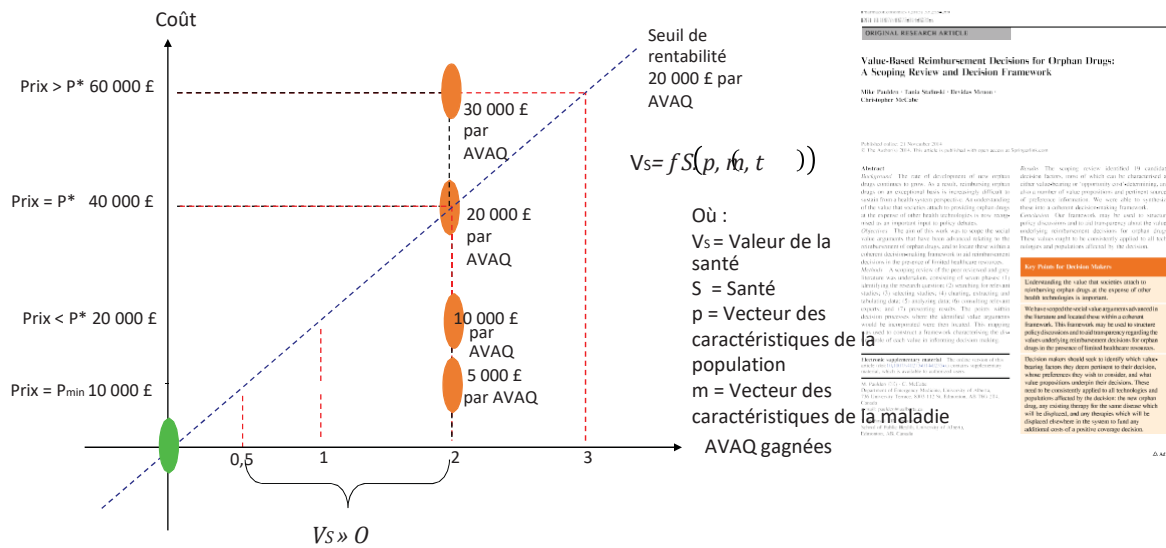
Prix <  $P_{min}$  = Le médicament ne sera pas mis en marché.

 Perte de bien-être associée à la non-commercialisation d'un médicament

6

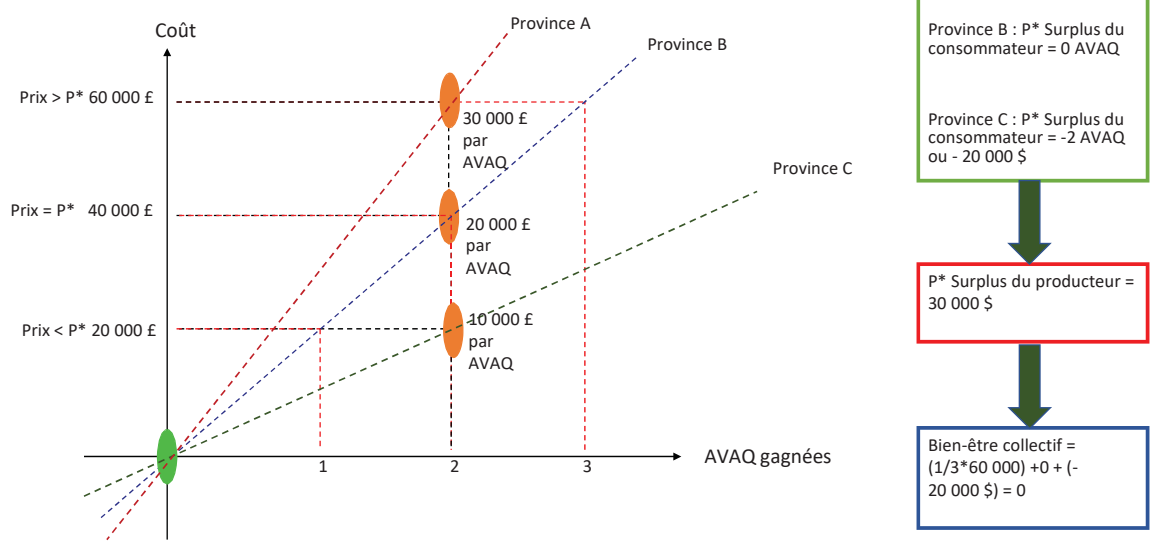


# Valeur de la santé



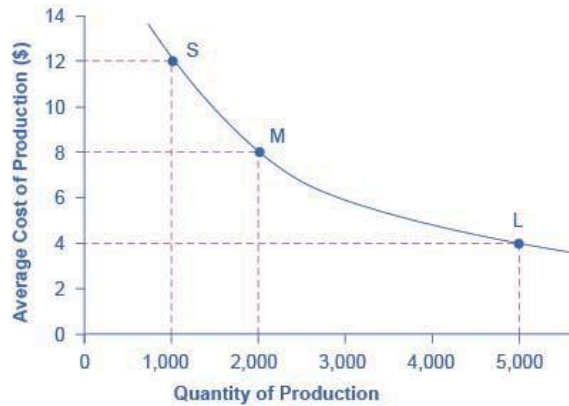
7

# Budgets multiples : seuils multiples



8

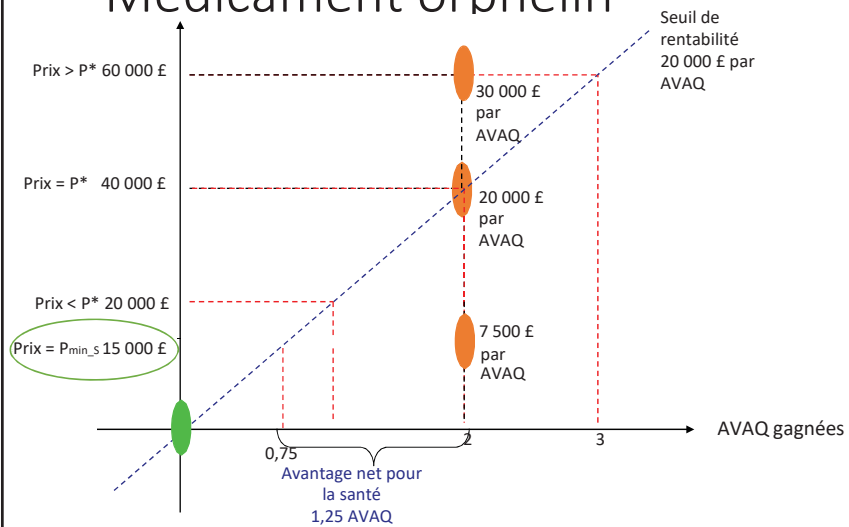
## Décortiquer la taille du marché : Taille du marché et prix de réserve ( $P_{\min}$ )



© Khan Academy, 2018

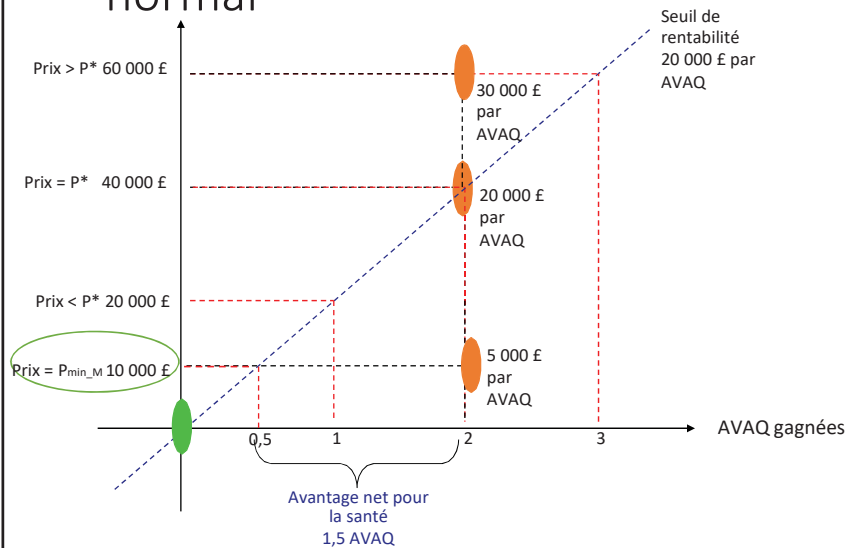
9

## Taille du marché et prix de réserve : Médicament orphelin



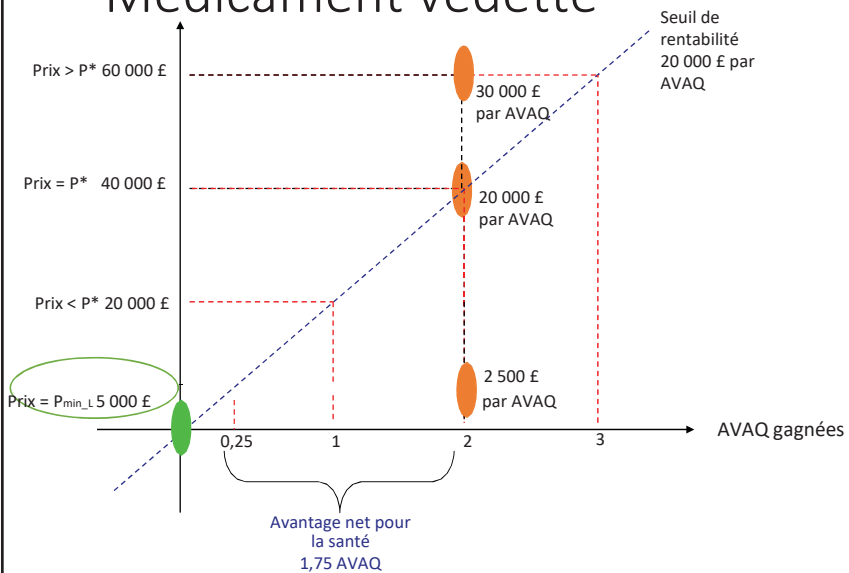
10

## Taille du marché et prix de réserve : Médicament normal



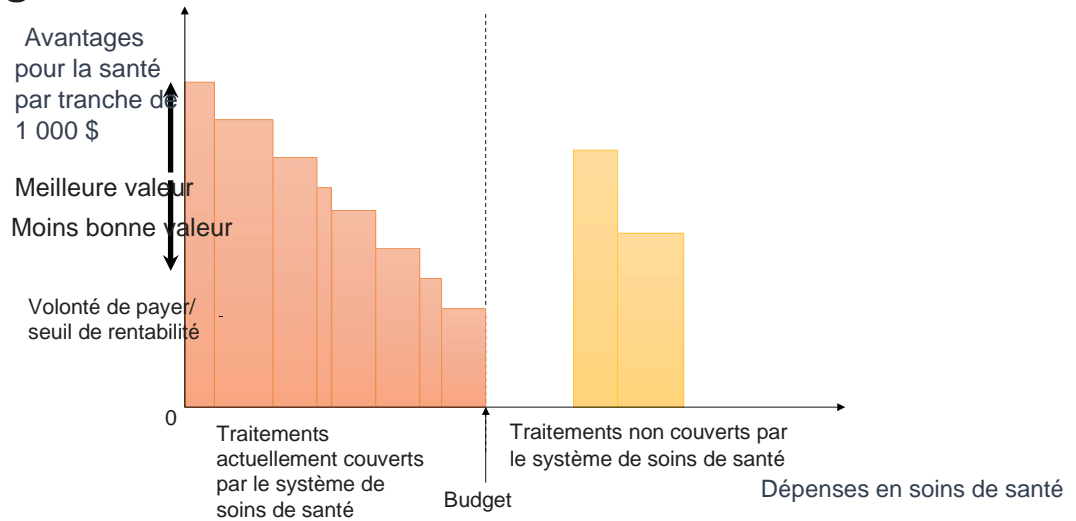
11

## Taille du marché et prix de réserve : Médicament vedette



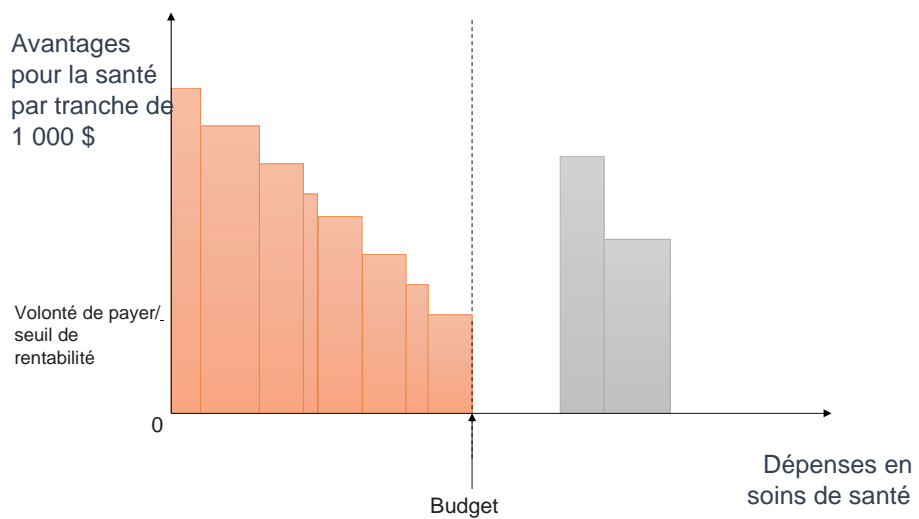
12

## Taille du marché et répercussions budgétaires



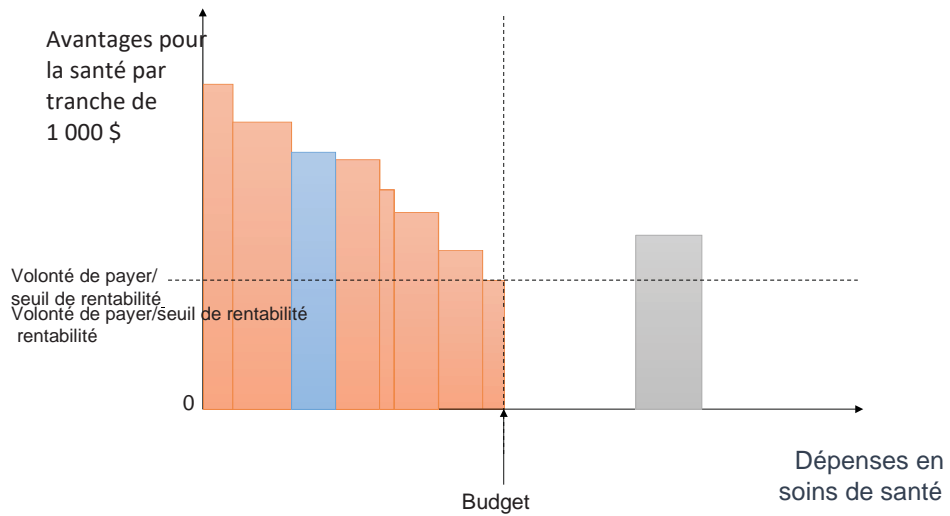
13

## Taille du marché et répercussions budgétaires



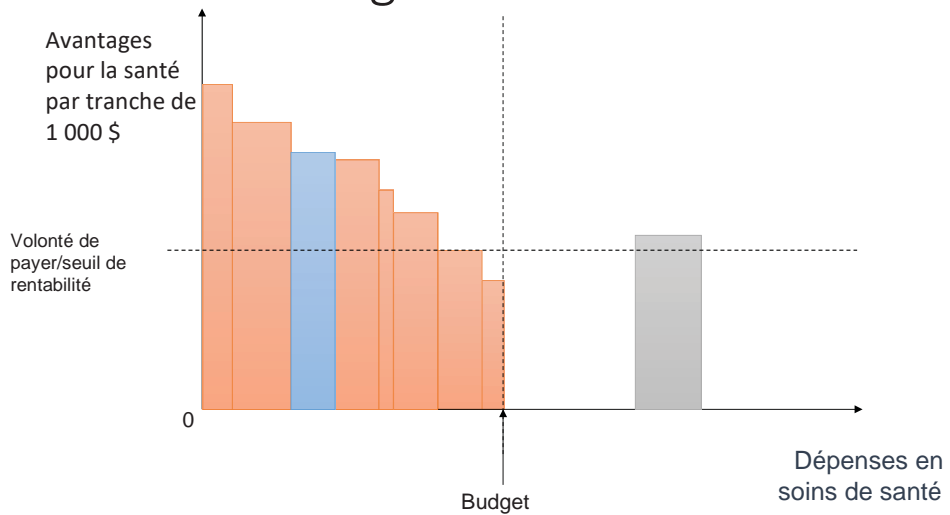
14

## Taille du marché et répercussions budgétaires



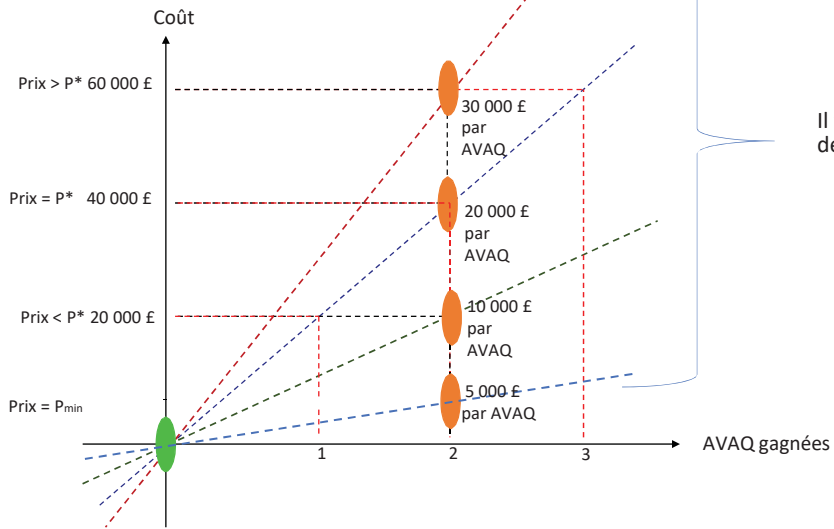
15

## Taille du marché et répercussions budgétaires



16

## Incertitude entourant le seuil

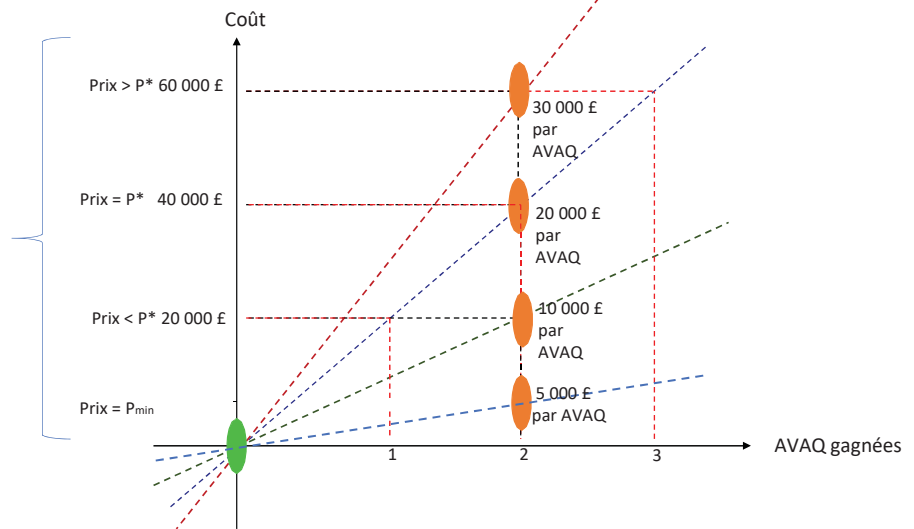


Il y a une probabilité que chacun de ces seuils soit le « vrai seuil ».

17

## Incertitude entourant le seuil

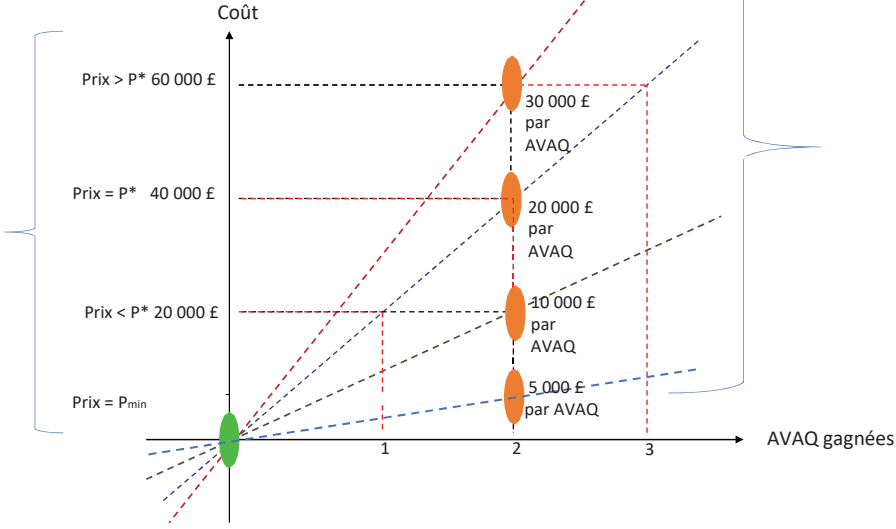
Il y a une probabilité que chacun de ces prix soit le prix minimum réel.



18

# Incertitude entourant le seuil

Pour un plafond de prix donné, il est possible de calculer la valeur prévue de l'incertitude (payer trop, payer trop peu et perdre complètement l'accès) et de tenter de la réduire au minimum.



## Annexe 2.5 : Diapositives du 5 février 2019 (D<sup>r</sup> Mike Paulden)

*Remarques : La « version préliminaire des recommandations potentielles » présentées dans les diapositives suivantes a été passée en revue lors de la réunion du 5 février 2019. Les recommandations ont ensuite été modifiées, en fonction des commentaires des membres, avant que le Groupe de travail vote un ensemble définitif de « recommandations potentielles ».*



# Réunion du Groupe de travail technique du CEPMB

Le 5 février 2019

1

## Cadre conceptuel

- Le rôle du Groupe de travail était d'examiner un certain nombre d'enjeux techniques et de faire des recommandations au Comité directeur. Le mandat décrivait six domaines d'intérêt distincts que le Groupe de travail devait examiner.
- Le présent cadre conceptuel a été rédigé par le président avant la dernière réunion du Groupe de travail. Ce cadre visait à aider le Groupe de travail à formuler des recommandations cohérentes pour ces six domaines d'intérêt tout en respectant l'intention de la politique et l'éventail d'opinions exprimées par les membres du Groupe de travail au cours des délibérations.

2

## Principes économiques

- Quel que soit le prix, le « surplus économique » d'un bien correspond à la somme de deux éléments :
  - Le « surplus du consommateur », soit l'avantage obtenu par le consommateur parce qu'il peut acheter le bien à un prix inférieur à sa « volonté de payer »;
  - Le « surplus du producteur », soit l'avantage obtenu par le producteur parce qu'il peut vendre le bien à un prix supérieur celui qu'il est « prêt à accepter ».
- Afin de tenir compte des surplus du consommateur et du producteur que pourrait générer l'établissement par le CEPMB d'un plafond de prix pour un nouveau médicament, nous devons d'abord préciser les courbes de la demande et de l'offre.

3

## Courbe de la demande pour un médicament

- La courbe de la demande reflète la volonté de payer de la société pour le médicament en question.
- Il appartient au CEPMB, plutôt qu'aux membres du Groupe de travail, de définir les composantes de cette courbe de la demande. Lorsqu'il examine les composantes pertinentes de la courbe de la demande, le Groupe de travail se réfère donc à l'intention de la politique du gouvernement.

4

## Intention de la politique

- Au cours des délibérations du Groupe de travail, le CEPMB a déclaré que la meilleure perspective à adopter est celle des *systèmes publics de soins de santé du Canada*.
- Le *Résumé de l'étude d'impact de la réglementation (REIR)* (p. 10) indique que l'année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ), telle qu'on l'utilise dans l'analyse coût-utilité, est perçue par les experts comme étant l'« approche de référence » pour examiner la valeur économique de nouveaux médicaments.
- Dans un document préparé pour le Groupe de travail en juillet 2018, le CEPMB a précisé que son objectif est de veiller à ce que les *titulaires de brevets ne facturent pas de prix excessifs au cours de la période de monopole de droit*.

5

## Courbe de la demande pour un médicament

- À la lumière de l'intention de la politique, une définition raisonnable de la courbe de la demande pour un nouveau médicament est fonction des répercussions nettes sur la santé des patients (mesurées en AVAQ) associées à l'adoption du médicament par les systèmes publics de soins de santé du Canada pour la durée de la période du monopole de droit.
- Les répercussions nettes d'un nouveau médicament sur la santé des patients dépendent de deux éléments :
  - Le gain de santé des patients qui reçoivent le nouveau médicament;
  - La perte de santé des autres patients dont les soins de santé reçoivent ainsi un financement inférieur à celui dont ils auraient bénéficié en l'absence du nouveau médicament.

6

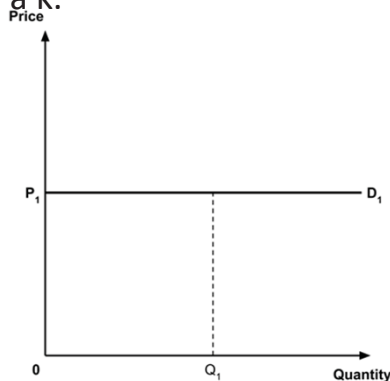
## Pondération de l'équité

- Même si le mandat exigeait que le Groupe de travail examine des approches possibles qui permettraient de fixer des plafonds de prix plus élevés pour certains médicaments en fonction de caractéristiques données (ce qu'on appelle la « pondération de l'équité »), le Groupe de travail a convenu qu'à l'heure actuelle, il ne dispose pas de données empiriques suffisantes pour le faire. Aux fins du présent cadre conceptuel, la pondération de l'équité n'est donc pas appliquée.

7

## Emplacement de la courbe de la demande

- La courbe de la demande détermine le plafond de prix auquel le rapport coût-efficacité différentiel (RCED) du nouveau médicament est égal à  $k$ .



8

## Courbe de l'offre pour un médicament

- La courbe de l'offre détermine le prix le plus bas qu'un fabricant serait prêt à accepter pour un médicament. C'est ce que l'on appelle parfois le prix « de réserve » (ou « minimum ») du médicament.
- La courbe de l'offre est fonction d'un certain nombre de facteurs possibles, y compris les coûts initiaux associés à la mise au point du médicament, les coûts marginaux de production et les répercussions possibles de l'établissement d'un « prix de référence » sur les prix dans d'autres régions.

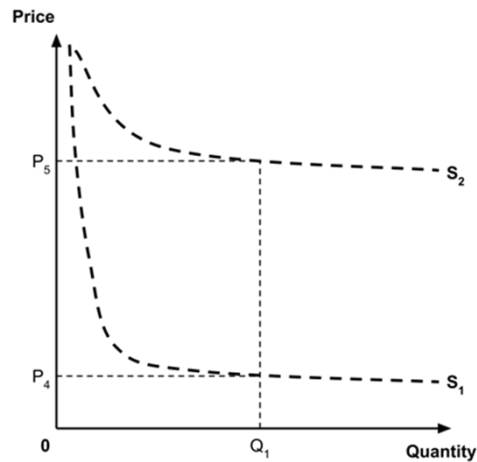
9

## Courbe de l'offre pour un médicament

- Les composantes de la courbe de l'offre sont complexes.
- Aux fins du présent cadre, la courbe de l'offre pour un médicament sera donc considérée comme étant inconnue (et tracée en pointillés).
- Bien qu'elle soit inconnue, on peut raisonnablement s'attendre à ce que la courbe de l'offre pour un médicament présente les propriétés de base suivantes :
  - Un point d'interception relativement élevé sur l'axe vertical, reflétant des coûts initiaux importants associés à la mise au point du médicament;
  - Une pente descendante, reflétant une baisse du coût par patient pour offrir le médicament à mesure que la quantité fournie augmente. Cette baisse du coût par patient s'explique par la possibilité de répartir les coûts initiaux de mise au point sur un plus grand nombre de patients, ainsi que par les économies d'échelle potentielles dans la production du médicament.

10

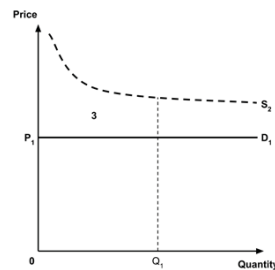
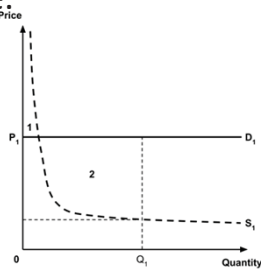
## Courbe de l'offre pour un médicament



11

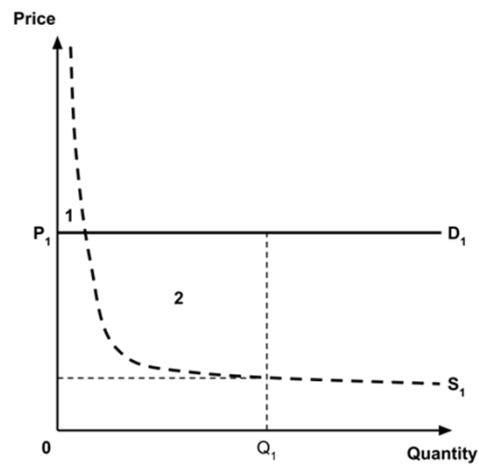
## Surplus économique

- Le surplus économique est illustré par la région située sous la courbe de la demande et au-dessus de la courbe de l'offre, moins toute zone située au-dessus de la courbe de la demande, mais sous la courbe de l'offre, et comprise entre l'axe vertical et la quantité de médicaments adoptée.



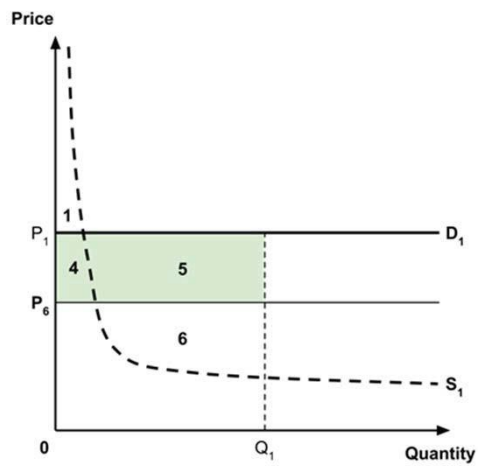
12

1. Le producteur reçoit la totalité du surplus (P1)



13

2. Le consommateur reçoit la totalité du surplus (P6)



14

## Sujet 1 : Options pour déterminer quels médicaments entrent dans la catégorie 1

- Un médicament de catégorie 1 est un médicament dont l'examen préliminaire de l'impact clinique, pharmacoéconomique et sur le marché, du coût de traitement et d'autres données pertinentes suggérerait un risque élevé d'avoir un prix excessif.
- Les critères suivants ont été définis comme justifiant une classification de catégorie 1 :
  - a) Le médicament est « premier de sa catégorie » ou une amélioration « importante » par rapport aux options existantes.
  - b) Le coût de renonciation du médicament est supérieur à l'amélioration prévue de la santé.
  - c) Le médicament devrait avoir un grand impact sur le marché.
  - d) Le coût de traitement annuel moyen associé au médicament est élevé.
- Faudrait-il tenir compte d'autres critères? Quels sont les indicateurs à considérer lors de la sélection de médicaments qui répondent aux critères définis, et quelles sont les options d'utilisation de ces indicateurs?

15

## Sujet 1 : Sommaire des délibérations

- Faudrait-il tenir compte d'autres critères?
  - Les membres du Groupe de travail ne suggèrent aucun autre critère.
- Quels sont les indicateurs pertinents et quelles sont les options d'utilisation de ces indicateurs?
  - Il n'est pas pratique d'appliquer le critère B comme filtre de sélection.
  - Le critère D devrait « s'ajouter » au traitement existant.
  - En s'appuyant, idéalement, sur les définitions existantes, les définitions devraient refléter les méthodes employées ailleurs.
  - Les « seuils » devraient être clairement définis afin de fournir une « ligne claire et nette » aux fabricants.
  - Les indicateurs devraient fournir un nombre raisonnable de médicaments de catégorie 1 pour le CEPMB.

16



## Sujet 1 : Version préliminaire des recommandations potentielles

- 1. Le CEPMB ne devrait pas tenir compte d'autres critères.**
- 2. Le CEPMB ne devrait pas tenir compte du critère B.**
- 3. Le critère D devrait « s'ajouter » au traitement existant.**
- 4. Les indicateurs pour les critères A, C et D devraient refléter les méthodes actuellement utilisées au Canada (p. ex. en fonction des définitions existantes des avantages « importants » des traitements).**
- 5. Le CEPMB devrait établir des « seuils » pour chaque critère en tenant compte de la capacité d'évaluer les médicaments de catégorie 1, des considérations techniques du Groupe de travail ainsi que de l'intention de la politique.**
- 6. Les « seuils » pour chaque critère devraient être clairement définis afin de fournir une « ligne claire et nette » aux fabricants.**

17

## Sujet 2 : Application de seuils de rentabilité du côté de l'offre pour établir les plafonds de prix

- Approches potentielles permettant d'établir un plafond de prix en fonction du coût de renonciation d'un médicament.
- Approches potentielles permettant d'obtenir des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains types de médicaments (p. ex. pédiatriques, rares, oncologiques, etc.).

18

## Sujet 2 : Sommaire des délibérations (1/2)

- Approches potentielles permettant d'établir un plafond de prix en fonction du coût de renonciation d'un médicament.
  - Une estimation du « seuil de rentabilité du côté de l'offre » (« k ») permet d'estimer le coût de renonciation pour la santé, en termes d'AVAQ abandonnées, associé aux nouveaux médicaments.
  - Sur le plan conceptuel, le Groupe de travail s'attend à ce que la valeur de « k » varie selon les provinces et les territoires.
  - La seule estimation de « k » actuellement disponible pour le Canada est celle d'Ochalek et coll. (2018), et se chiffre à 30 000 \$ par AVAQ pour l'ensemble du Canada.
  - Des préoccupations ont été soulevées quant aux variables instrumentales (VI) utilisées dans le cadre de ces travaux empiriques, ainsi qu'à l'utilisation de données provenant du Royaume-Uni (plutôt que du Canada).
  - Néanmoins, l'estimation de 30 000 \$ par AVAQ de « k » par Ochalek et coll. (2018) se situe dans la même fourchette que les estimations empiriques récentes de « k » publiées dans d'autres pays membres du CEPMB12 (Royaume-Uni : 12 936 £ par AVAQ, Australie : 28 033 \$ AU par AVAQ, Espagne : 24 870 € par AVAQ).
  - D'autres recherches empiriques sont nécessaires pour estimer la valeur de « k » au Canada. Il faudrait utiliser des données canadiennes ainsi que des VI appropriées et tenir compte de l'écart de « k » entre les provinces et les territoires.
  - Toute mesure du coût de renonciation utilisée pour fixer un plafond de prix devrait être bien définie de manière à fournir une « ligne claire et nette » aux fabricants.

19

## Sujet 2 : Sommaire des délibérations (2/2)

- Approches potentielles permettant d'obtenir des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains types de médicaments (p. ex. pédiatriques, rares, oncologiques, etc.).
  - À l'heure actuelle, nous ne disposons pas de données empiriques suffisantes pour appliquer des « pondérations de l'équité » (comme cela serait nécessaire pour pouvoir fixer des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains médicaments).
  - Certains facteurs techniques doivent être pris en compte pour utiliser des « pondérations de l'équité », y compris la nécessité de respecter l'équité horizontale en appliquant des pondérations de l'équité à tous les patients visés.
  - Pour appliquer les pondérations de l'équité aux patients qui assument le coût de renonciation des nouveaux médicaments, il faut comprendre leurs caractéristiques, en plus d'estimer l'ampleur de la santé à laquelle on renonce (c.-à-d. qu'une estimation de « k » est nécessaire, mais insuffisante).
  - Le CEPMB devrait appuyer les recherches empiriques futures dans ce domaine, afin d'estimer comment la volonté de payer du « côté de la demande » pour une AVAQ au Canada diffère selon les caractéristiques du patient, la maladie ou la technologie en cause.

20

## Sujet 2 : Cadre conceptuel

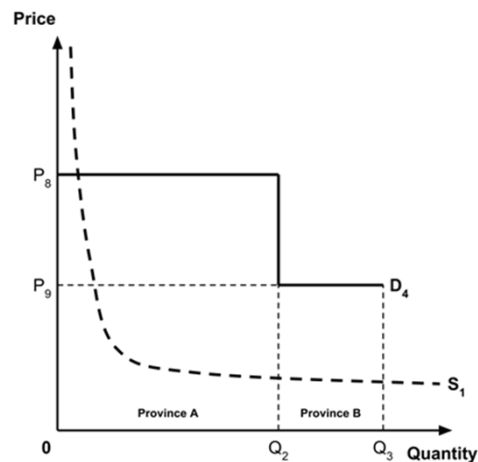
21

## Prix dans les différentes provinces et les différents territoires

- Étant donné que les provinces et les territoires canadiens jouissent d'une certaine autonomie dans l'établissement des budgets en soins de santé et des priorités en matière de dépenses, on peut s'attendre à ce que  $k$  varie d'une province et d'un territoire à l'autre.
- Puisque la courbe de la demande détermine le plafond de prix auquel le rapport coût-efficacité différentiel (RCED) du nouveau médicament est égal à  $k$ , il s'ensuit que la courbe de la demande sera plus élevée dans les provinces et les territoires où les estimations de  $k$  sont plus élevées.

22

## Prix dans les différentes provinces et les différents territoires



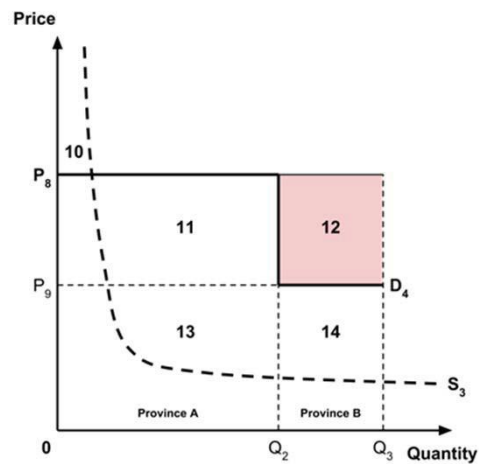
23

## Approches permettant d'établir un plafond de prix unique

- Le Groupe de travail a examiné plusieurs approches qui permettraient d'établir un plafond de prix unique pour l'ensemble des provinces et des territoires, notamment les suivantes :
  1. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable dans la province ou le territoire ayant la valeur de  $k$  la plus élevée (de telle sorte que le RCED soit égal à cette valeur la plus élevée de  $k$ );
  2. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable dans la province ou le territoire ayant la valeur de  $k$  la moins élevée (de telle sorte que le RCED soit égal à cette valeur la moins élevée de  $k$ );
  3. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable partout au Canada (de telle sorte que le RCED soit égal à une valeur « moyenne pondérée » de  $k$  partout au Canada).

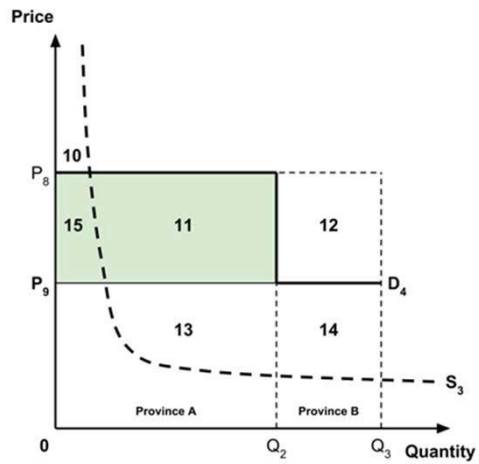
24

## Approche 1 : Valeur de k la plus élevée



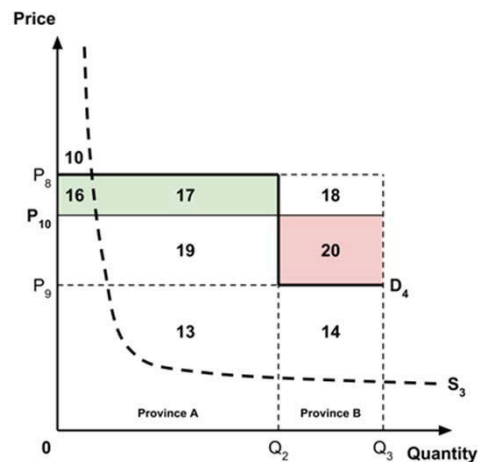
25

## Approche 2 : Valeur de k la moins élevée



26

## Approche 3 : Valeur moyenne pondérée de k



27

## Répercussions sur la politique

- L'approche la plus souhaitable pour fixer un plafond de prix unique à l'échelle du Canada dépend de l'intention de la politique du gouvernement.
- *Il est à noter que le rôle du Groupe de travail n'est pas de préciser l'intention de la politique du gouvernement. Bien que les répercussions de certains objectifs potentiels de la politique soient examinées ci-dessous, cette analyse ne doit pas être interprétée comme une approbation par le Groupe de travail d'objectifs de la politique en particulier. Il convient également de noter que cette analyse n'est pas exhaustive : il existe d'autres objectifs de politique et approches possibles afin de fixer un plafond de prix pour toutes les provinces et tous les territoires.*

28

## Objectif 1 : Aucune perte de santé à l'échelle du Canada

- La première approche n'est pas conforme à cet objectif de la politique, parce qu'elle entraînerait une diminution de la santé de la population (surplus du consommateur négatif) dans toutes les provinces et tous les territoires, à l'exception de la province ou du territoire où la valeur de  $k$  est la plus élevée (où le surplus du consommateur est nul), ce qui entraînerait une diminution de la santé de la population (surplus du consommateur négatif) dans son ensemble.
- La deuxième approche répond aisément à cet objectif de la politique (puisqu'elle se traduit par un surplus du consommateur global positif), tandis que la troisième approche répond tout juste à cet objectif de la politique (puisqu'elle se traduit par un surplus du consommateur global nul).

29

## Objectif 2 : Aucune perte de santé dans aucune province

- La première et la troisième approches sont incompatibles avec cet objectif de la politique, parce qu'elles entraînent toutes les deux une diminution de la santé de la population (surplus négatif du consommateur) dans au moins une province ou un territoire.
- La deuxième approche répondrait tout juste à cet objectif de la politique, puisque le surplus du consommateur est nul dans la province ou le territoire ayant la valeur de  $k$  la moins élevée.

30

## Objectif 3 : Maximiser l'amélioration de la santé partout au Canada

- Il faut tenir compte de l'emplacement de la courbe de l'offre.
- Cela pose problème étant donné que l'emplacement de la courbe de l'offre est incertain.
- Hypothèse clé : un médicament ne sera pas lancé si le surplus du producteur est négatif.
  - Si un médicament n'est pas lancé, la valeur pharmacoéconomique est nulle puisqu'il n'en résulte aucune amélioration nette de l'AVAQ.
  - Pour que la valeur pharmacoéconomique soit positive, le médicament doit être lancé à un plafond de prix qui entraîne un surplus du consommateur positif.
- *Le mandat du CEPMB est de protéger les consommateurs contre les prix excessifs, et non de veiller à ce que les produits soient lancés sur le marché.*

31

## Objectif 3 : Maximiser l'amélioration de la santé partout au Canada

- Si l'on considère que la courbe de l'offre est suffisamment basse pour que le médicament soit rentable au plafond de prix calculé selon la deuxième approche (P9), la maximisation de la santé de la population exige de fixer un plafond de prix inférieur à P9 de façon à maximiser le surplus du consommateur, sous réserve que le surplus du producteur soit non négatif.
- Toutefois, étant donné que l'emplacement réel de la courbe de l'offre est incertain, toute réduction du plafond de prix comporte un risque que le surplus du producteur devienne négatif, de sorte que le médicament ne serait pas lancé du tout. Dans de telles circonstances, le surplus du consommateur serait nul, alors qu'à un plafond de prix plus élevé de P9, le nouveau médicament aurait été lancé et le surplus du consommateur aurait été positif.

32



## Sujet 2 : Version préliminaire des recommandations potentielles

1. Le Groupe de travail considère comme étant très incertaine la base de données probantes actuelles sur le coût de renonciation lié à l'adoption de nouveaux médicaments dans les systèmes publics de soins de santé du Canada. Le CEPMB devrait être conscient des limites des travaux empiriques d'Ochalek et coll. (2018), y compris l'utilisation de données du Royaume-Uni et le choix des VI utilisées. Toutefois, l'orientation de tout biais qui en résulte est inconnue. De plus, l'estimation d'un « k » de 30 000 \$ par AVAQ faite par les auteurs est conforme aux estimations empiriques de « k » publiées pour les autres pays membres du CEPMB<sup>12</sup>.
2. Le CEPMB devrait favoriser la réalisation d'autres recherches empiriques afin d'estimer un « seuil de rentabilité du côté de l'offre » (« k ») pour le Canada. Ces recherches devraient tenir compte de la variation potentielle de « k » entre les provinces et les territoires et en rendre compte.
3. À l'heure actuelle, nous ne disposons pas de données empiriques suffisantes pour appliquer des « pondérations de l'équité », ce qui serait nécessaire pour pouvoir fixer des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains médicaments, mais pas tous.
4. Tous les éléments qui déterminent le plafond de prix devraient être clairement définis, de manière à fournir une « ligne claire et nette » aux fabricants.

33

## Sujet 3 : Médicaments à plusieurs indications

- Options pour gérer les médicaments à plusieurs indications (p. ex. plusieurs plafonds de prix ou un seul plafond correspondant à une indication particulière).

34

## Sujet 3 : Sommaire des délibérations

- En principe, l'établissement d'un prix par indication est souhaitable, car il permettrait au prix de chaque médicament de refléter plus fidèlement la valeur du médicament pour les patients selon chaque indication.
- Toutefois, d'autres pays qui établissent des prix par indication disposent d'une infrastructure de TI perfectionnée pour appuyer cette méthode, ce qui fait défaut au Canada.
- Par conséquent, il n'est pas possible à l'heure actuelle d'appliquer l'établissement de prix par indication au Canada.
- Un rajustement des prix au fil du temps cause de l'instabilité et de l'incertitude pour les fabricants.
- Étant donné que les fabricants peuvent choisir l'ordre dans lequel les indications sont lancées, et qu'ils peuvent décider de ne pas lancer le médicament pour des indications données, toute approche d'établissement des prix en fonction des indications peut susciter des craintes de « jeu » de la part des fabricants.

35

## Sujet 3 : Cadre conceptuel

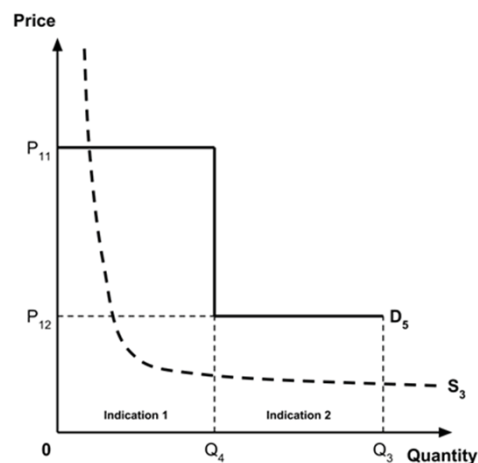
36

## Prix en fonction des indications

- Le fait d'offrir un médicament pour plusieurs indications a des répercussions sur la définition de la courbe de la demande d'un nouveau médicament.
- Si le nouveau médicament entraîne une amélioration de la santé par patient différente pour chaque indication, alors le plafond de prix auquel le RCED est égal à  $k$  varie également selon les indications.
- Il s'ensuit que, de manière générale, la courbe de la demande sera différente pour chaque indication, avec un plafond de prix relativement plus élevé correspondant à un RCED de  $k$  pour les indications pour lesquelles le médicament offre une amélioration de la santé par patient relativement plus élevée.

37

## Prix en fonction des indications



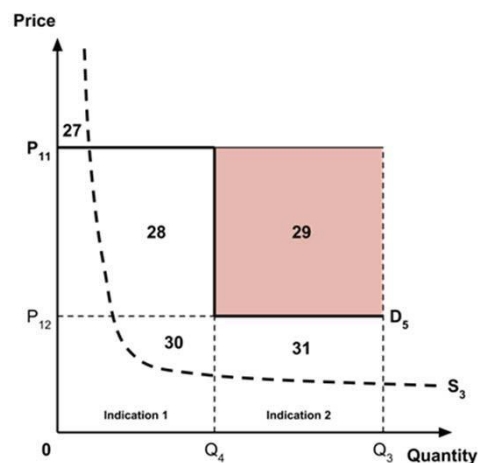
38

## Approches permettant d'établir un plafond de prix unique

- Le Groupe de travail a donc examiné diverses approches permettant de fixer un plafond de prix unique pour plusieurs indications, notamment les suivantes :
  1. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour son indication offrant le meilleur rapport coût-efficacité (de telle sorte que le RCED soit égal à  $k$  pour cette indication);
  2. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour son indication offrant le pire rapport coût-efficacité;
  3. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour toutes les indications (de telle sorte qu'une « moyenne pondérée » du RCED pour toutes les indications soit égale à  $k$ );
  4. Un plafond de prix auquel le médicament est « tout juste » rentable pour la première indication étudiée par le CEPMB (de telle sorte que le RCED soit égal à  $k$  pour cette indication).

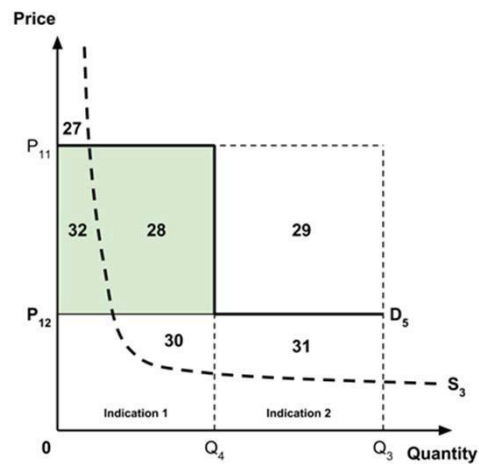
39

## Approche 1 : Indication offrant le meilleur rapport coût-efficacité



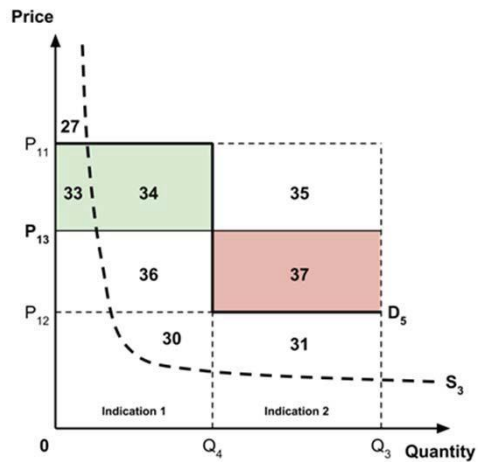
40

## Approche 2 : Indication offrant le pire rapport coût-efficacité



41

## Approche 3 : « Moyenne pondérée » des indications



42

## Approche 4 : Première indication examinée

- Cette approche est la plus simple à gérer, puisqu'elle ne nécessite pas de rajustement des plafonds de prix advenant le lancement d'indications supplémentaires.
- Toutefois, étant donné que le surplus du producteur est clairement plus élevé à un plafond de prix de  $P_{11}$  qu'à un prix de  $P_{12}$ , cette approche incite le fabricant à lancer tout d'abord l'indication offrant le meilleur rapport coût-efficacité afin de garantir un plafond de prix plus élevé pour les indications futures.

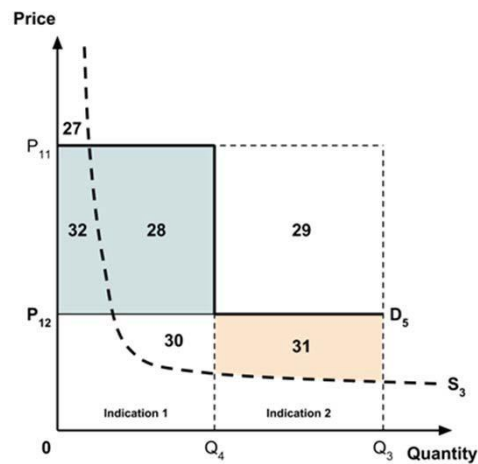
43

## Approche 4 : Première indication examinée

- Si les fabricants agissent en fonction de cette mesure incitative de façon parfaitement stratégique, cette approche aurait les mêmes répercussions sur le surplus du consommateur que l'approche 1.
- Si les fabricants *n'agissent pas* en fonction de cette mesure incitative, alors, dans certains cas, le surplus du consommateur pour des indications supplémentaires sera positif (si une indication ayant un moins bon rapport coût-efficacité est lancée en premier) et, dans d'autres cas, le surplus du consommateur pour des indications supplémentaires sera négatif (si une indication ayant un meilleur rapport coût-efficacité est lancée en premier). Si la décision quant à l'indication à lancer en premier est réellement aléatoire, on peut raisonnablement s'attendre à ce que le surplus du consommateur *prévu* associé aux indications supplémentaires soit nul. Cette approche aurait donc des répercussions équivalentes à celles de l'approche 3 pour le surplus du consommateur.
- Ainsi, on peut considérer que cette approche se situe quelque part entre l'approche 1 et l'approche 3, et que le surplus du consommateur prévu irait de négatif (si les fabricants agissent le moins de façon stratégique) à nul (si les fabricants *n'agissent pas* du tout de façon stratégique).

44

## Possibilité de comportement stratégique



45

### Objectif 1 : Aucune perte de santé à l'échelle du Canada

- La première approche n'est pas conforme à cet objectif de la politique
- La deuxième approche répond aisément à cet objectif de la politique (puisque'elle se traduit par un surplus du consommateur global positif)
- La troisième approche répond tout juste à cet objectif de la politique (puisque'elle se traduit par un surplus du consommateur global nul)
- La quatrième approche répond à cet objectif *si les fabricants n'agissent pas de façon stratégique*, mais dans le cas contraire, on s'attendrait à ce que le surplus du consommateur global soit négatif, auquel cas cette approche *ne* répondrait *pas* à cet objectif.

46

## Objectif 2 : Aucune perte de santé, quelle que soit l'indication

- La première et la troisième approches sont incompatibles avec cet objectif de la politique, parce qu'elles entraînent une diminution de la santé de la population (surplus du consommateur négatif) pour au moins une indication.
- La deuxième approche répondrait tout juste à cet objectif de la politique, puisque le surplus du consommateur est nul pour une indication et positif pour toutes les autres.
- La quatrième approche répond à cet objectif de la politique *si les fabricants lancent toujours en premier l'indication ayant le pire rapport coût-efficacité*, sinon elle ne répond pas à cet objectif.

47

## Objectif 3 : Maximiser l'amélioration de la santé partout au Canada

- Conformément à cet objectif de la politique, le plafond de prix le plus souhaitable est le plafond de prix le plus bas auquel le surplus du producteur est non nul.
- Selon l'emplacement de la courbe de l'offre, cette valeur pourrait correspondre à un plafond de prix inférieur à P12, ce qui générerait un surplus du consommateur supérieur à celui de n'importe laquelle des quatre approches examinées ci-dessus.
- Toutefois, comme nous l'avons déjà vu, abaisser le plafond de prix pour rehausser le surplus du consommateur comporte le risque que le surplus du producteur devienne négatif, de sorte que le médicament ne soit pas lancé et que le surplus du consommateur soit nul.

48



### Sujet 3 : Version préliminaire des recommandations potentielles

- 1. Étant donné que l'établissement des prix par indication n'est pas possible pour le moment, le CEPMB devrait fixer un plafond de prix unique pour chaque médicament, pour toutes ses indications.**
- 2. Ce plafond de prix devrait être conforme à l'intention de la politique du gouvernement en ce qui concerne la répartition des surplus du consommateur et du producteur.**
- 3. Le CEPMB devrait appuyer les efforts visant à mettre en place l'infrastructure nécessaire pour permettre l'établissement de prix par indication dans l'avenir.**

49

### Sujet 4 : Prise en compte de l'incertitude

- Options pour utiliser les analyses d'un scénario de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS afin d'établir un plafond de prix.
- Options pour tenir compte de l'incertitude de l'estimation ponctuelle de chaque plafond de prix fondé sur la valeur.

50

## Sujet 4 : Sommaire des délibérations

- Options pour utiliser les analyses d'un scénario de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS pour établir un plafond de prix.
  - Les lignes directrices de l'ACMTS (4<sup>e</sup> édition) décrivent les principales méthodes, mais les différences entre les scénarios de référence de l'ACMTS et de l'INESSS, et entre les évaluations de l'incertitude de chaque analyste, peuvent mener à des estimations ponctuelles différentes du RCED
  - Le CEPMB pourrait définir son propre « scénario de référence », y compris un « seuil » et une perspective privilégiés
  - Le CEPMB pourrait former un comité chargé d'examiner les données économiques
  - Des ajustements de prix pourraient se révéler nécessaires en fonction de l'évolution des données probantes dans la réalité
- Options pour tenir compte de l'incertitude de l'estimation ponctuelle de chaque plafond de prix fondé sur la valeur.
  - Actuellement, l'ACMTS indique une fourchette pour le RCED du scénario de référence, et non une estimation ponctuelle
  - Les « tables de réduction des prix » présentées par l'ACMTS ne font pas l'objet d'un examen par les pairs
  - Les méthodes de l'ACMTS (4<sup>e</sup> édition) rendent l'analyse probabiliste obligatoire
  - Faut-il utiliser les valeurs prévues ou les valeurs supérieures ou inférieures de la fourchette?

51

## Sujet 4 : Cadre conceptuel

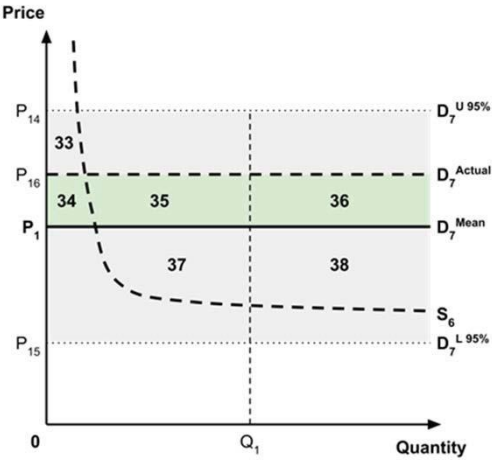
52

# Incertitude



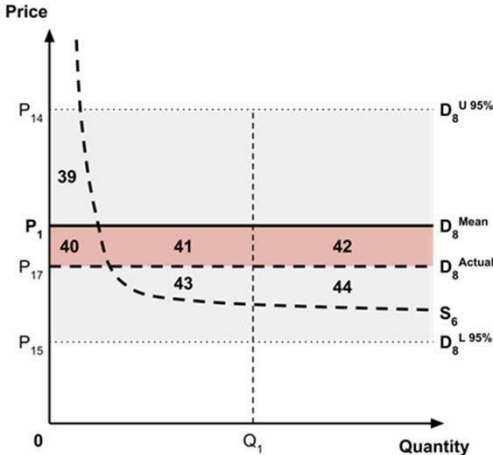
53

# Courbe de la demande réelle plus élevée, lancement du médicament



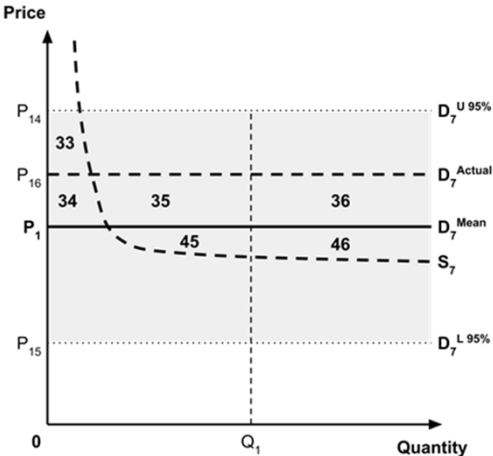
54

# Courbe de la demande réelle plus basse, lancement du médicament



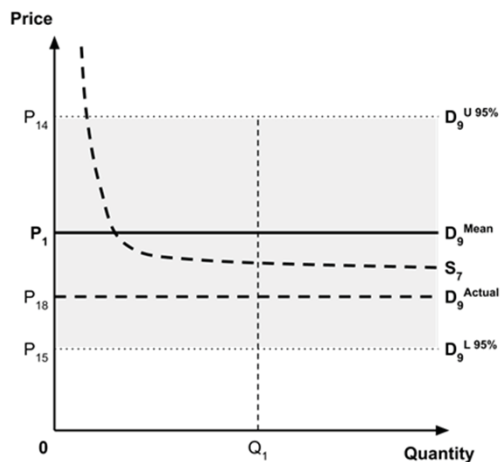
55

# Courbe de la demande réelle plus élevée, médicament non lancé



56

## Courbe de la demande réelle plus basse, médicament non lancé



57

## Conséquences de l'incertitude

- Si le médicament est lancé à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande prévue, les surplus du consommateur et du producteur prévus sont nuls.
- Si le médicament n'est pas rentable à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande prévue ni à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande réelle, alors le surplus du consommateur est nul.
- Si le médicament n'est pas rentable à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande prévue, mais qu'il aurait été rentable à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande réelle, alors l'incertitude a pour effet de diminuer le surplus économique total de sorte que l'incidence sur le surplus du consommateur prévu à un plafond de prix correspondant à la courbe de la demande prévue est négative.

58

## Analyse de la valeur de l'information

- En pharmacéconomie classique, la perte prévue découlant de l'incertitude est estimée à l'aide d'une analyse de la « valeur de l'information » (VDI).
- Étant donné que l'analyse pharmacéconomique classique vise à prendre une décision sur l'adoption ou non d'un nouveau médicament, l'analyse de la VDI conventionnelle estime la perte prévue associée à la prise de la « mauvaise » décision (p. ex. approuver un médicament qui aurait autrement été rejeté, ou vice versa).
- Dans le contexte où le CEPMB utilise la « valeur pharmacéconomique » comme facteur lorsqu'il évalue le plafond de prix d'un nouveau médicament, la perte prévue découlant de l'incertitude n'est pas causée par la prise de la « mauvaise » décision (adoption ou non), mais par l'établissement du « mauvais » plafond de prix.

59

## Analyse de la valeur de l'information

- En principe, l'analyse de la VDI pourrait être utilisée pour estimer cette perte prévue, et donc la valeur associée à l'obtention de données d'échantillonnage supplémentaires pour un ou plusieurs paramètres incertains. Les résultats de ces analyses pourraient ensuite être utilisés pour réduire le plafond de prix du médicament afin de refléter la diminution de la valeur pharmacéconomique prévue en raison de l'incertitude.
- Toutefois, pour effectuer de telles analyses de la VDI, il est essentiel de comprendre l'emplacement de la courbe de l'offre, car cette information est nécessaire pour estimer la perte prévue de surplus économique et, en pratique, l'emplacement de la courbe de l'offre est inconnu. Bien qu'en principe la courbe de l'offre puisse être modélisée avec une distribution de probabilités afin de permettre l'analyse de la VDI, les méthodes d'estimation des paramètres d'une telle distribution ne sont pas encore au point. Il peut donc se révéler impossible d'effectuer de telles analyses de la VDI à l'heure actuelle.

60

## Sujet 4 : Version préliminaire des recommandations potentielles

- 1. Le CEPMB devrait évaluer son attitude à l'égard du risque**
- 2. Si le CEPMB est neutre à l'égard du risque, les valeurs *prévues* des coûts différentiels, des AVAQ et de  $k$  devraient être utilisées pour déterminer le plafond de prix**
- 3. Si le CEPMB *n'est pas* neutre à l'égard du risque, des valeurs supérieures ou inférieures aux valeurs prévues peuvent être appropriées, selon l'attitude à l'égard du risque**
- 4. Pour le moment, le CEPMB ne devrait pas évaluer systématiquement l'utilité d'obtenir des renseignements supplémentaires pour des paramètres incertains**

61

## Sujet 5 : Perspective

- Options pour tenir compte d'une perspective sociétale ou d'une perspective d'un système public de soins de santé, incluant l'option d'appliquer un plafond de prix fondé sur la valeur plus élevée dans les cas où la différence entre les plafonds de prix selon chaque perspective est « importante ».
- Comment définir une différence « importante » entre les plafonds de prix de chaque perspective.

62

## Sujet 5 : Sommaire des délibérations

- **Le CEPMB est intervenu pour indiquer que la perspective du payeur public est privilégiée**
- Avant de disposer de cette information, le Groupe de travail a évalué les répercussions des réformes sur les payeurs privés et les particuliers qui paient de leur poche
- Une perspective « sociétale » élargie pose problème pour des raisons de principe (p. ex. équité) et d'ordre pratique (préciser la productivité, les effets de propagation, le fardeau pour les fournisseurs de soins, etc.)
- Crainte que l'exclusion de la productivité ait des répercussions sur les payeurs privés
- Les clients qui paient comptant seront exclus du plafond de prix confidentiel pour le prix remboursable maximum
- Il est possible que les utilisateurs finaux ne profitent pas des mêmes avantages que les payeurs privés

63

## Sujet 5 : Version préliminaire des recommandations potentielles

1. **Compte tenu de l'intention de la politique, la perspective du payeur public devrait être adoptée**
2. **Le CEPMB devrait être conscient des répercussions possibles de ses réformes sur les payeurs privés et les particuliers**

64



## Sujet 6 : Application du facteur de la taille du marché dans l'établissement des plafonds de prix

- Approches permettant de calculer un ajustement approprié du plafond de prix d'un médicament en fonction de l'application des facteurs du PIB et de la taille du marché (p. ex. en fonction de l'approche américaine ICER).

65

## Sujet 6 : Sommaire des délibérations

- Différents payeurs ont des tolérances variables à la croissance des dépenses
- Au Royaume-Uni, le National Institute for Health and Care Excellence a récemment accepté de plafonner à 2 % par année la croissance des dépenses pour les nouveaux médicaments
- Les membres ont examiné l'approche américaine ICER, qui a décidé de ne plus tenir compte des facteurs liés au PIB pour l'établissement des prix
- La taille du marché est distincte de l'« incidence budgétaire nette »
- Conséquences particulières sur la rentabilité des médicaments orphelins
- La taille du marché n'est pas toujours connue au moment du lancement (incertitude)

66

## Sujet 4 : Cadre conceptuel

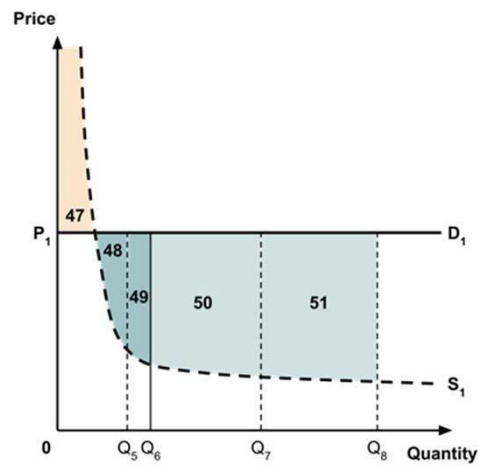
67

### Taille du marché

- Le CEPMB a proposé que le plafond de prix de certains médicaments de catégorie 1 fasse l'objet d'un « ajustement en fonction de la taille du marché ». Cette approche inclut un éventuel ajustement à la hausse du plafond de prix pour les médicaments ayant un petit marché et (indépendamment) un éventuel ajustement à la baisse du plafond de prix pour les médicaments dont le marché est important.
- La première option aurait pour effet d'augmenter le surplus du producteur (au détriment du surplus du consommateur) pour les médicaments ayant un petit marché. La seconde option augmenterait le surplus du consommateur (au détriment du surplus du producteur) pour les médicaments dont le marché est important.

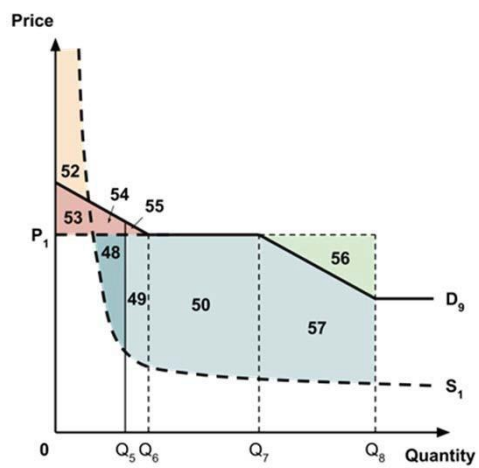
68

Sans ajustement en fonction de la taille du marché



69

Avec ajustement hypothétique en fonction de la taille du marché



70

## Conséquences d'un ajustement en fonction de la taille du marché

- Augmentation du surplus du consommateur pour les médicaments dont la taille du marché est importante
  - La réduction du plafond de prix pour les médicaments dont le marché est important se traduit par une augmentation du surplus du consommateur et une réduction du surplus du producteur
- Réduction du surplus du consommateur pour les médicaments ayant un petit marché
  - Un plafond de prix plus élevé pour les médicaments ayant un petit marché se traduit par une augmentation du surplus du producteur et une réduction du surplus du consommateur
  - Puisque (dans cet exemple) le surplus du consommateur était nul avant l'ajustement en fonction de la taille du marché, le surplus du consommateur est maintenant négatif pour les médicaments ayant un petit marché.

71

## Risques et effets dissuasifs possibles

- Dans le cas d'une grande réduction du plafond de prix pour les médicaments dont le marché est important, les fabricants peuvent être incités à abaisser la quantité fournie afin d'éviter que le plafond de prix baisse. Ce risque est particulièrement élevé si le médicament en question a plusieurs indications et si le prix pour toutes les indications est fondé sur l'indication ayant le pire rapport coût-efficacité. Comme nous l'avons mentionné précédemment, cette approche d'établissement de prix pourrait déjà inciter les fabricants à éviter de lancer une ou plusieurs indications, et l'ajout d'un ajustement en fonction de la taille du marché pourrait exacerber ce risque.
- En établissant un plafond de prix plus élevé pour les médicaments ayant un petit marché, un ajustement en fonction de la taille du marché favoriserait aussi dans une certaine mesure la mise au point de ces médicaments. Au fil du temps, une réduction du nombre de médicaments dont le marché est important et une augmentation du nombre de médicaments ayant un petit marché pourraient entraîner des gains de plus en plus faibles et des pertes de plus en plus importantes au chapitre du surplus du consommateur par suite de l'ajustement en fonction de la taille du marché.

72

## Sujet 6 : Version préliminaire des recommandations potentielles

- 1. Le CEPMB devrait veiller à ce que tout ajustement en fonction de la taille du marché entraîne une modification harmonieuse du prix remboursable maximum selon la taille du marché.**
- 2. Le CEPMB devrait tenir compte des répercussions sur les surplus du consommateur et du producteur et vérifier leur conformité avec l'intention de la politique.**
- 3. Le CEPMB devrait tenir compte des facteurs dissuasifs potentiels de l'application d'un ajustement en fonction de la taille du marché.**

## Annexe 3 : Commentaires « officiels »

## Annexe 3.1 : Courriel de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang (1/4)

*Objet : Réunion du Groupe de travail du 26 juillet 2018*

*Date : Le 9 août 2018 à 15 h 21, HNR*

*Expéditeur : Frédéric Lavoie*

*Destinataire : Mike Paulden*

*c. c. : Geoff Sprang*

Bonjour Mike,

Au nom de BIOTECanada et de Médicaments novateurs Canada, nous aimerions vous remercier d'avoir présidé la première réunion en personne du Groupe de travail du CEPMB qui s'est tenue le 26 juillet 2018. Bien que les associations industrielles que nous représentons ne soient pas en faveur de l'utilisation de facteurs économiques tels que les analyses de rentabilité dans le cadre des modifications proposées au *Règlement sur les médicaments brevetés* et qu'elles s'inquiètent également du lancement des consultations sur les lignes directrices avant l'achèvement des modifications réglementaires, nous avons eu l'impression que vous étiez ouverts à connaître nos points de vue et que vous nous avez invités avec le plus grand respect à contribuer tout au long de la réunion.

Comme le mandat du Groupe de travail stipule que les éléments de discordance seront consignés par le président et se refléteront dans le rapport définitif du Groupe de travail, nous avons jugé approprié de résumer nos points de vue par écrit et de vous faire part de nos opinions sur les discussions qui se sont tenues au cours de la réunion.

### **Observations sur les discussions**

Au cours de la réunion avec les experts universitaires et les autres intervenants représentés au sein du Groupe de travail, nous avons eu l'impression qu'il était impossible d'en arriver à un consensus sur l'application des facteurs économiques aux fins de l'établissement de plafonds de prix pour les médicaments brevetés au Canada. Les débats que nous avons observés autour de la table ont renforcé l'appréhension que notre industrie a manifesté au sujet de l'utilisation des facteurs pharmacoéconomiques et ont clairement démontré que le Groupe de travail doit impérativement informer le Comité directeur et le gouvernement fédéral des enjeux que pose l'utilisation proposée de ces facteurs, afin que la portée des discussions avec notre industrie et les autres intervenants puisse être élargie de manière à inclure d'autres approches réglementaires dès que possible.

## Détermination du seuil correspondant à la volonté de payer et utilisation des facteurs pharmacoéconomiques au niveau du CEPMB

En ce qui concerne les facteurs économiques comme la pharmacoéconomie, l'utilisation proposée d'un seuil et d'une estimation ponctuelle du rapport coût-utilité dans le cadre du processus visant les produits de catégorie 1 (comme le CEPMB en a d'abord fait l'annonce aux intervenants le 25 juin 2018) entraînerait une incertitude considérable et est donc inacceptable.

Les différentes écoles de pensée et les discussions théoriques sur l'établissement d'un seuil correspondant à la volonté de payer par des méthodes du côté de l'offre ou de la demande sont variées et évoluent. Même si un consensus scientifique pouvait être atteint, l'application d'une méthode unique conduirait toujours à une estimation ponctuelle à partir de laquelle une distribution des résultats possibles refléterait le degré élevé d'incertitude entourant l'établissement d'un seuil correspondant à la volonté de payer et sa variabilité parmi la diversité de perspectives canadiennes qu'il doit refléter. Cette citation tirée des travaux de Neumann et coll. à ce sujet illustre cet argument : [TRADUCTION] « La recherche d'un point de repère unique est au mieux un exercice chimérique, car il n'y a pas de seuil approprié dans tous les contextes décisionnels. » (*New England Journal of Medicine*, vol. 371, n° 9, 28 août 2014).

Le même problème se pose pour les évaluations du rapport coût-utilité lorsqu'il y a un écart important entre le numérateur et le dénominateur du rapport coût-utilité, exacerbé par la variabilité observée en fonction de l'analyste à l'origine de l'évaluation et les pairs examinateurs qui remettent en question les analyses (p. ex. industrie, ACMTS, INESSS, secteur privé, etc.). Un examen des recommandations récentes du Programme commun d'évaluation des médicaments (PCEM) et du Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux (PPEA) de l'ACMTS effectué par Médicaments novateurs Canada et par EY montre que le degré de divergence entre les seuils coût-utilité produits par l'ACMTS et ceux soumis par l'industrie est considérable. Dans la majorité des cas, les rapports coût-utilité différentiels fondés sur les réévaluations de l'ACMTS sont beaucoup plus élevés que ceux soumis par les fabricants, l'écart pouvant souvent être de deux à trois fois plus élevé. La distribution des résultats possibles pour ces estimations ponctuelles est invariablement vaste : il ne s'agit donc pas d'une mesure appropriée pour fixer les plafonds de prix des médicaments brevetés. De plus, la perspective utilisée dans les présentations du PCEM et du PPEA de l'ACMTS est celle d'un régime public d'assurance-médicaments, conformément aux directives de l'ACMTS, et il est inapproprié d'appliquer ces analyses pharmacoéconomiques à l'ensemble de la population canadienne.

Compte tenu de ces limites importantes, il est déconseillé d'utiliser un test aussi imprécis du rapport coût-utilité, plutôt qu'un seuil tout aussi controversé correspondant à la volonté de payer, afin de déterminer un plafond de prix pour un médicament novateur. Son utilisation entraînerait des différends fréquents et potentiellement litigieux qui nécessiteraient des ressources humaines et financières qu'il serait préférable d'affecter ailleurs, tant pour l'organisme de réglementation que pour les organismes réglementés.

En outre, étant donné que bon nombre de nos sociétés membres exercent leurs activités à



l'échelle internationale et ont des ressources limitées à allouer à l'accomplissement des tâches importantes nécessaires pour introduire un produit sur n'importe quel marché du monde, les signaux réglementaires envoyés par chaque pays doivent être aussi clairs que possible pour inciter les entreprises à lancer des médicaments novateurs. Contrairement à l'objectif établi dans le nouveau cadre proposé par le CEPMB, l'ensemble de facteurs économiques proposé ne tracera pas une « ligne claire » qui « conduira à l'établissement de plafonds de prix prévisibles pour les titulaires de brevet » (traductions libres). Dans des circonstances aussi incertaines, on peut s'attendre à ce que de nombreuses entreprises retardent ou même abandonnent le lancement de nouveaux médicaments novateurs au Canada.

### **Catégorisation des risques**

L'exercice de catégorisation proposé par le CEPMB n'est conforme qu'en théorie à la proposition de l'industrie d'adopter une approche axée sur le risque pour l'examen réglementaire des prix. Comme les discussions du Groupe de travail l'ont clairement montré, la définition et l'application de critères précis doivent faire l'objet d'un examen attentif afin d'éviter des conséquences imprévues. Si la définition de la catégorisation est trop large, comme c'était le cas dans les renseignements initialement divulgués par le CEPMB aux intervenants le 25 juin 2018, le nombre de médicaments brevetés qui feront l'objet d'un examen réglementaire approfondi sera trop important. Cette situation imposera à son tour un lourd fardeau opérationnel tant à l'organisme de réglementation qu'aux organismes réglementés, sans atteindre l'objectif stratégique énoncé de concentrer les ressources de réglementation là où elles ajoutent le plus de valeur. De plus, un lien doit être établi entre cette catégorisation et l'ampleur des risques qui préoccupent les décideurs. Le CEPMB n'a pas justifié sa politique de façon convaincante pour chacun des critères de sélection proposés. D'après les discussions du Groupe de travail, nous croyons que l'incidence potentielle de l'inclusion de ces critères doit être évaluée plus en profondeur.

Encore une fois, nous vous remercions de tenir compte du point de vue que nous avons présenté au nom de nos associations industrielles et de veiller à ce que le contenu de cette communication se reflète dans le compte rendu du Groupe de travail et soit communiqué au Comité directeur.

Nous nous réjouissons à la perspective de poursuivre un dialogue constructif avec vous et le Groupe de travail.

Frédéric et Geoff

## Annexe 3.2 : Courriel de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang (2/4)

*Objet : Résumé provisoire de la réunion du Groupe de travail du 26 juillet*

*Date : Le 17 août 2018 à 11 h 17, HNR*

*Expéditeur : Frédéric Lavoie*

*Destinataires : Mike Paulden, Chris Cameron, Christopher McCabe, Donald Husereau, Doug Coyle, Karen Lee, Maureen Smith, Patrick Dufort, Peter Jamieson, Stuart Peacock, Tammy Clifford et Tania Stafinski*

*c. c. : Edward Burrows, Douglas Clark, Guillaume Couillard, Isabel Jaen Raasch, Matthew Kellison, Nelson Millar, Richard Lemay, Tanya Potashnik, Theresa Morrison et Geoff Sprang*

Bonjour Mike,

Nous voulions attirer votre attention immédiate sur certains points du procès-verbal.

Après vous avoir fait parvenir par courriel le 9 août 2018 (ci-joint pour référence) un résumé des perspectives de notre industrie et de nos points de vue sur les discussions de la première réunion du Groupe de travail technique (GTT), nous avons appris que le compte rendu de la première réunion du GTT avait été communiqué au Comité directeur du CEPMB avant d'avoir été transmis aux membres du groupe de travail et validé par ces derniers. Comme le mandat du GTT stipule que [TRADUCTION] « le président a le dernier mot sur toutes les questions de gouvernance et de procédures », il nous semble important de demander l'amélioration de certains processus de gouvernance. Un de ces processus habituels est que les procès-verbaux des réunions soient examinés et approuvés par les membres du comité avant d'être diffusés à plus grande échelle. Nous recommandons également que les procès-verbaux comprennent plus de détails, y compris l'heure, la date, la durée de la réunion, les personnes présentes et celles qui n'ont pas pu y participer, donnent un compte rendu de ce qui a été dit et de ce dont on a convenu et dressent une liste des mesures à prendre et de leur état.

De plus, dans ce cas-ci, la situation est particulièrement problématique parce que le procès-verbal, à notre avis, et comme le confirment les observations que nous vous avons transmises par courriel le 9 août 2018, ne reflète pas avec justesse ou de façon exhaustive les discussions du Groupe de travail, ce qui pourrait induire le lecteur en erreur quant au degré de consensus des experts sur les questions fondamentales à l'étude. Cette lacune du procès-verbal limite la capacité des intervenants externes du GTT (c.-à-d. des membres du Comité directeur du CEPMB) de comprendre l'origine et la raison d'être des éléments de discordance que le président est tenu de consigner dans le rapport définitif du GTT (conformément à son mandat).

À titre d'exemples des questions qui nous préoccupent, nous aimerions attirer votre attention sur les passages suivants (traductions libres) :

- « Plusieurs membres sont d'avis que le coût de renonciation d'un médicament pourrait ne pas être un outil de sélection approprié. On suggère qu'une étude plus approfondie pourrait être nécessaire pour éclairer la discussion. Les membres conviennent généralement que l'application de seuils de rentabilité du côté de l'offre est une approche appropriée pour tenir compte du coût de renonciation lors de l'établissement de plafonds de prix pour les médicaments de catégorie 1. »
  - À notre avis, il n'y a pas eu d'accord général sur le caractère approprié des seuils de rentabilité comme approche pour tenir compte du coût de renonciation, et le GTT n'a jamais résolu la question de savoir comment un tel seuil pourrait être déterminé. En fait, ce point a soulevé beaucoup de débats et de désaccords, ce qui a poussé Mitch Levine, le président du CEPMB, à remettre en question les solutions de rechange possibles à l'utilisation de la pharmacoéconomie. Votre proposition (et l'accord des membres du personnel du CEPMB) d'organiser d'autres téléconférences en plus de celles prévues dans le mandat afin de poursuivre les discussions et d'arriver à des points de vue plus uniformes prouve cette absence de consensus.
- « Les membres discutent de l'utilisation de l'analyse des scénarios de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS pour établir un plafond de prix ainsi que des approches possibles à adopter dans les situations où le scénario de référence existant n'est pas pertinent. »
  - Nous aimerions souligner que le procès-verbal de la réunion devrait indiquer que les participants s'accordaient largement pour dire que les évaluations de l'INESSS et de l'ACMTS ne constituaient PAS des scénarios de référence appropriés, que les processus en place ne représentent pas une approche évaluée par les pairs et qu'ils n'étaient pas appliqués selon une perspective adaptée pour l'établissement de prix. De plus, en tant que représentants de notre industrie, nous avons clairement indiqué que les estimations ponctuelles du rapport coût-utilité de l'ETS ne fourniront jamais le niveau de certitude nécessaire et approprié aux fins de l'établissement de prix dans un contexte quasi judiciaire.

Nous voulions porter nos préoccupations à votre attention immédiate et nous serions heureux de poursuivre la discussion ainsi que de valider le procès-verbal détaillé de la réunion avec le groupe de travail. Aux fins de transparence totale, nous voulons également que ce courriel, ainsi que notre courriel du 9 août, soient affichés sur le site BrightShare afin que les membres du Comité directeur puissent être informés de nos points de vue.

Nous serons heureux de discuter de l'un ou l'autre de ces points si vous avez des questions, et

nous sommes impatients de connaître votre opinion sur ces enjeux. Merci,

Geoff et Frédéric

## Annexe 3.3 : Courriel de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang (3/4)

*Objet : Prochaines étapes du Groupe de travail technique du CEPMB*

*Date : Le 17 août 2018 à 11 h 17, HNR*

*Expéditeur : Frédéric Lavoie*

*Destinataire : Mike Paulden*

*c. c. : Edward Burrows, Douglas Clark, Guillaume Couillard, Isabel Jaen Raasch, Matthew Kellison, Nelson Millar, Richard Lemay, Tanya Potashnik, Theresa Morrison, Geoff Sprang, Marie-Claude Aubin, Sylvie Bouchard, Chris Cameron, Christopher McCabe, Donald Huserreau Doug Coyle, Karen Lee, Maureen Smith, Patrick Dufort, Peter Jamieson, Stuart Peacock, Tammy Clifford et Tania Stafinski*

Bonjour Mike,

Tout d'abord, nous aimerions vous remercier pour votre façon de diriger et de présider ce groupe de travail (GT), en maintenant un ton constructif et professionnel tout au long des réunions et des appels, malgré les points de vue très divergents des différents membres du groupe.

Comme vous et les autres membres du GT le savez, en raison de nos nombreux rappels, l'industrie est fondamentalement en désaccord avec le principe d'utiliser les facteurs économiques proposés pour établir les plafonds de prix dans le contexte du mandat du CEPMB. Au premier rang de ces préoccupations se trouvent les difficultés d'établir des soi-disant « lignes claires » que le CEPMB lui-même a définies comme un élément important du nouveau cadre réglementaire, étant donné la nature intrinsèquement subjective des estimations ponctuelles, ainsi que les enjeux techniques et opérationnels associés à leur application. En raison de ces préoccupations, il nous est extrêmement difficile de restreindre nos commentaires aux limites très étroites établies par le mandat du GT.

Bien que le personnel du CEPMB nous ait rappelé à maintes reprises que le mandat de ce groupe de travail se limite à trouver des solutions pour appliquer les facteurs économiques proposés dans le projet de règlement publié dans la partie I de la *Gazette du Canada*, en supposant que le règlement définitif publié dans la partie II de la *Gazette du Canada* demeurera inchangé, nous croyons fermement qu'il nous incombe d'attirer votre attention non seulement sur les questions liées aux incertitudes et au manque de clarté, mais également sur les enjeux techniques et opérationnels importants, et souvent insurmontables, associés à l'application de ces facteurs économiques. Nous savons que bon nombre de ces enjeux ont déjà été soulevés dans les perspectives et les commentaires formulés par d'autres membres du GT.

Une grande partie, sinon la totalité, des efforts déployés par le GT pour arriver à des recommandations seront d'une utilité limitée si des enjeux techniques ou opérationnels rendent leur mise en œuvre impossible ou irréaliste. C'est pourquoi nous croyons fermement que, pour être informatives, les recommandations du groupe doivent être accompagnées d'un commentaire complet sur les difficultés techniques et opérationnelles potentielles connues de la mise en œuvre.

En plus de participer à la première réunion du GT le 26 juillet, nous avons assisté aux huit heures de conférences téléphoniques prévues les 22 et 24 août 2018. Il aurait été intéressant d'entendre des intervenants clés, comme le personnel de l'ACMTS, qui n'ont malheureusement pas participé à ces appels. L'absence totale ou partielle de consensus sur l'utilisation des facteurs économiques, à l'exception d'un ensemble de tests de référence internationaux, dans les exercices réglementaires d'établissement d'un plafond de prix, semble être ressortie de toutes ces discussions.

Malgré les nombreuses heures de discussion, il semble que l'application des facteurs économiques proposés par le CEPMB au GT demeure nébuleuse. Nous avons entendu des commentaires selon lesquels il est possible de travailler avec ce manque de clarté, et qu'il peut en fait fournir un niveau souhaité de souplesse lorsque les facteurs économiques sont appliqués au niveau des détenteurs de budget pour orienter la prise de décision. Toutefois, dans le contexte de leur application prescriptive à l'établissement d'un plafond de prix explicite, étant donné le rôle du CEPMB comme organisme de réglementation du plafond de prix, un tel manque de clarté constitue une limite importante. Jusqu'à présent, les discussions de notre GT n'ont fait qu'accroître nos craintes que l'incertitude associée à l'utilisation et à l'interprétation des facteurs soit considérable et qu'ils ne fournissent pas de ligne claire qui permettrait aux entreprises novatrices de comprendre les répercussions de l'investissement dans le marché canadien des ressources importantes nécessaires à la commercialisation des innovations.

Bien que nous soyons conscients du mandat limité de ce GT prescrit par le CEPMB, nous croyons qu'il est de notre responsabilité de réitérer aux décideurs que nous recommandons fortement de revoir les hypothèses de travail du GT et que le gouvernement du Canada entame d'urgence des discussions avec notre industrie pour envisager d'autres approches réglementaires qui excluent l'utilisation des facteurs économiques.

Vous trouverez ci-dessous nos observations tirées des discussions du GT sur chacun des six sujets visés qui appuient le point de vue de l'industrie présenté plus haut :

## MÉDICAMENTS DE CATÉGORIE 1

- L'industrie est favorable à une approche du règlement du CEPMB fondée sur le risque, c'est-à-dire proportionnelle au risque d'abus du pouvoir monopolistique d'un titulaire de brevet. Toutefois, cette catégorisation des risques ne peut pas servir de point de départ à l'ajustement des facteurs économiques comme le prévoit le projet de règlement actuel (recours à des tests de prix pharmacoéconomiques).
- L'intention initiale publiée par le CEPMB, selon laquelle la catégorisation des risques est fondée sur l'hypothèse que les produits dont l'estimation ponctuelle du rapport coût-utilité est supérieure à 30 000 \$/AVAQ (ce qui correspond à une estimation du seuil correspondant à la volonté de payer du côté de la demande au Royaume-Uni) viserait plus de 90 % des médicaments actuellement brevetés au Canada.
- En raison de la difficulté technique d'établir une estimation du rapport coût-utilité d'un médicament nouvellement lancé, le GT dissuade le CEPMB de l'utiliser comme critère pour définir le risque.
- Le GT estime que cet exercice devrait inclure exclusivement le coût annuel du traitement, la taille du marché et le degré de valeur novatrice (produit révolutionnaire).
- Les données préliminaires sur la catégorisation fondée sur les risques ont uniquement été communiquées au GT de façon verbale par le personnel du CEPMB. D'autres détails et discussions sont nécessaires avant de pouvoir tirer des conclusions.
- La nature sensible de ces critères doit également être évaluée après l'application du premier test de prix de référence international. Le CEPMB n'en a pas tenu compte dans ses analyses préliminaires.

## SEUIL DU CÔTÉ DE L'OFFRE

- Les représentants de l'industrie ont souligné à maintes reprises que le manque de précision (niveaux élevés d'incertitude) associé aux estimations de la rentabilité et aux seuils correspondant à la volonté de payer rend l'utilisation de ces outils inappropriée pour déterminer les plafonds de prix. Les représentants des patients et de l'ETS partagent cette préoccupation. Il semble y avoir un consensus voulant que les estimations de la rentabilité et les seuils correspondant à la volonté de payer sont (et devraient continuer d'être) utilisés par les payeurs pour déterminer l'allocation de ressources limitées dans le contexte de l'aperçu fourni par les détenteurs de budget (payeurs publics et privés).
- Les discussions du GT ont mis en évidence l'existence de différentes méthodes

quantitatives (des côtés de l'offre et de la demande) qui donneraient des estimations différentes quant à la volonté de payer des Canadiens qui ont toutes une part d'incertitude et seraient donc susceptibles d'être débattues par les intervenants. Des estimations aussi subjectives ne sont pas des outils appropriés dans le cadre d'un exercice quasi judiciaire d'établissement de plafonds de prix.

Les membres du GT se sont généralement entendus pour dire que la position initiale du CEPMB sur l'estimation du côté de l'offre au Royaume-Uni (30 000 \$/AVAQ) n'était pas appropriée, et certains universitaires membres du GT ont laissé entendre que des recherches plus adaptées à la réalité canadienne devraient être effectuées avant que ce paramètre soit appliqué dans ce contexte et que le statu quo devrait être observé jusqu'à la conclusion des recherches canadiennes dans ce domaine (interruption temporaire de l'application des facteurs économiques).

- Un autre élément de discordance a été soulevé au cours des délibérations du GT, car il y a un décalage entre les suggestions du personnel du CEPMB d'utiliser une estimation du seuil correspondant à la volonté de payer des Canadiens du côté de l'offre et le mandat du CEPMB, qui est de protéger les intérêts des consommateurs canadiens en utilisant une méthode quantitative conforme au seuil correspondant à la volonté de payer du côté de la demande. Outre cette question non résolue, l'utilisation de seuils du côté de la demande pourrait nécessiter que le CEPMB effectue autant d'études pour établir des seuils qu'il y a de détenteurs de budget dans le système pharmaceutique canadien fragmenté. La variabilité des différents seuils soulèvera probablement aussi des questions parmi les patients visés quant à la raison pour laquelle certaines régions ou maladies ont un seuil inférieur à d'autres. Plusieurs questions éthiques comme celles-ci n'ont pas été étudiées dans le cadre des propositions de Santé Canada et du CEPMB.
- La nature incertaine de tout seuil de rentabilité représenterait une référence irréaliste pour un produit pharmaceutique novateur breveté testé par rapport à sa valeur coût-utilité tout aussi incertaine.

## **TAILLE DU MARCHÉ**

- L'atténuation du risque d'incidence budgétaire est un objectif des payeurs publics et privés au Canada. Ces intervenants disposent d'outils efficaces pour gérer le risque perçu lié à la taille prévue du marché d'un médicament.
- Il a été reconnu que l'utilisation d'un chiffre d'affaires brut (ou même net) pour ajuster le plafond de prix ne tient pas compte de l'incidence budgétaire réelle, qui est plus importante pour les payeurs et qui est également un facteur plus approprié pour récompenser l'innovation et influencer sur l'allocation des ressources. Toutefois, il n'existe aucun moyen pratique ou efficace de définir préalablement ce facteur, et toute méthodologie utilisée pour le prévoir serait accompagnée d'une énorme incertitude. Il



est également important de noter que ces facteurs sont déjà systématiquement pris en compte par les détenteurs de budget dans le cadre des ententes d'inscription de produits.

- L'établissement d'un seuil de plafond de prix fondé sur le PIB est également problématique en raison de la variabilité économique et, plus important encore, des différences entre les administrations et les segments de payeurs dans les définitions de l'abordabilité ainsi que des priorités locales ou régionales en matière de soins de santé. Au bout du compte, l'abordabilité et les priorités en matière de soins de santé sont des décisions stratégiques qu'il est préférable de laisser aux soins des différentes autorités compétentes. Ces facteurs sont déjà pris en compte par les mécanismes gouvernementaux existants (p. ex. Alliance pharmaceutique pancanadienne).
- Si, malgré l'opposition de l'industrie, des facteurs pharmacoéconomiques étaient appliqués, pourquoi les détenteurs de brevets devraient-ils voir leurs prix ajustés davantage en fonction de la taille du marché s'ils offrent une meilleure optimisation des ressources à mesure que leur utilisation augmente? Sur le plan opérationnel, quand procède-t-on à cet ajustement?

## **MÉDICAMENTS À PLUSIEURS INDICATIONS**

- L'incertitude associée aux ajustements potentiels des prix des médicaments sur le marché en raison de l'introduction de nouvelles indications ou de modifications de la composition des activités découlant de changements dans la pratique médicale ou dans la dynamique concurrentielle découragerait les fabricants de lancer de nouvelles indications et rendrait plus difficile la prise de décisions de lancement au Canada, ce qui entraînerait des retards ou une perte potentielle de l'accès aux médicaments novateurs.
- Les limites pratiques du suivi et de la déclaration par indication rendent la mise en œuvre impossible dans le contexte canadien actuel des médicaments d'ordonnance.
- Même dans un contexte hypothétique où l'indication subséquente d'un médicament déjà approuvé serait associée à un rapport coût-utilité plus élevé, il n'y a aucun mécanisme en place pour appliquer un prix différentiel par indication. En outre, le comportement des payeurs dans la négociation des remboursements semble suivre une logique prix-volume pour la totalité du cycle de vie des médicaments.

## **PERSPECTIVE**

- Théoriquement, la perspective sociétale est la perspective la plus large, mais elle est associée à d'importants obstacles techniques au niveau de la mesure. Dans une

perspective sociétale, l'évaluation des coûts indirects a fait l'objet d'importantes questions d'équité en raison de son caractère discriminatoire. L'évaluation de la productivité au moyen des coûts indirects entraîne souvent la priorisation des traitements destinés principalement aux Canadiens en âge de travailler au détriment de ceux qui ciblent une population plus âgée, plus susceptible d'être à la retraite.

- Encore une fois, l'expression d'une ligne claire pour l'établissement d'un plafond de prix pour les produits pharmaceutiques serait brouillée en raison de l'absence de consensus net au sein de la communauté universitaire sur la meilleure perspective à adopter ainsi que les façons de la mesurer adéquatement et de la protéger contre l'accusation d'entraîner le recours à des pratiques discriminatoires. En raison de ces enjeux, il sera difficile pour le GT de formuler une recommandation valable.

## **PRISE EN COMPTE DE L'INCERTITUDE**

- La réglementation des plafonds de prix en fonction de facteurs qui seraient mesurés par des processus de payeurs non destinés à l'établissement de prix est une source de préoccupation. Cette question a été soulevée par le GT durant la discussion sur l'incertitude.
- L'ACMTS et l'INESSS, qui produiraient des estimations ponctuelles du rapport coût-utilité des médicaments au Canada, présentent souvent des estimations différentes en raison de leurs hypothèses et de leurs opinions d'experts différentes. Leurs processus n'intègrent pas d'étapes de validation à la fine pointe de la technologie ni de niveaux d'examen par les pairs.
- Le GT a discuté de la possibilité de créer un nouveau comité sur l'économie de la santé afin de rendre l'évaluation plus rigoureuse. Toutefois, on a souligné que la pénurie importante d'économistes de la santé qualifiés au Canada rendrait la composition d'un tel groupe difficile et redondante. Cette option ajouterait également une autre couche de complexité et retarderait le cheminement déjà difficile d'une innovation pharmaceutique au Canada.

L'incertitude exacerbée des multiples facteurs économiques proposés va à l'encontre de l'objectif défini par le CEPMB qui consiste à fournir aux innovateurs une ligne claire pour prévoir les plafonds de prix des produits novateurs qui font leur entrée sur le marché canadien.

Au fur et à mesure que le GT passera aux prochaines étapes, il sera utile de clarifier le processus d'élaboration des recommandations et le rôle du Comité directeur (CD) du CEPMB à cet égard. Nous avons appris que le personnel du CEPMB avait précisé lors de la dernière réunion du CD que le rôle de ce dernier n'est pas de diriger les travaux du GT. Cela soulève une importante question de gouvernance et de procédure pour les prochaines étapes du

processus d'élaboration de recommandations par le GT et le rôle du CD dans l'approbation des recommandations.

Merci à l'avance pour le travail que vous ferez afin d'intégrer toutes les considérations ci-dessus dans les travaux du GT.

Sincèrement,

Frédéric et Geoff

## Annexe 3.4 : Courriel de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang (4/4)

*Objet : Rétroaction concernant la réunion du 25 septembre*

*Date : Le 3 octobre 2018 à 13 h 55, HNR*

*Expéditeur : Frédéric Lavoie*

*Destinataire : Mike Paulden*

*c. c. : Geoff Sprang, Marie-Claude Aubin, Sylvie Bouchard, Christopher McCabe, Donald Huserreau, Doug Coyle, Karen Lee, Maureen Smith, Patrick Dufort, Chris Cameron, Peter Jamieson, Stuart Peacock, Tammy Clifford, Tania Stafinski, Edward Burrows, Douglas Clark, Guillaume Couillard, Isabel Jaen Raasch, Matthew Kellison, Nelson Millar, Richard Lemay, Tanya Potashnik et Theresa Morrison*

Bonjour Mike,

Par suite de l'appel de notre Groupe de travail technique du 25 septembre dernier, et en tant que représentants de l'industrie visée par les lignes directrices du CEPMB, nous voulions consigner les principaux points que nous avons retenus de la discussion ainsi que de notre compréhension des prochaines étapes et vous en informer.

Encore une fois, nous tenons à vous féliciter pour votre approche réfléchie et inclusive à l'égard d'un processus complexe et difficile, compte tenu des limites du mandat défini par le CEPMB pour le Groupe de travail et de la diversité des opinions représentées au sein du groupe. Bien que nous vous ayons fait part de quelques commentaires supplémentaires sur les six domaines prédéfinis ci-dessous, il nous est apparu évident que nous avons toujours de la difficulté à parvenir à un consensus dans l'un ou l'autre de ces six domaines et nous apprécions la franchise avec laquelle vous l'avez reconnu à la fin de la réunion. Comme nous l'avons mentionné à maintes reprises, l'hétérogénéité des opinions au sein du groupe de travail et l'incapacité des membres à obtenir un consensus sur l'application des facteurs économiques à la réglementation des prix illustrent bien les enjeux à la base des préoccupations de l'industrie réglementée, notamment le degré d'incertitude, l'absence de « lignes claires » et la complexité de l'application qui, selon nous, représentent les limites critiques du cadre réglementaire proposé.

Nous croyons comprendre que les prochaines étapes proposées sont la distribution d'un rapport provisoire d'ici le 5 octobre pour examen par les membres avant une dernière réunion du Groupe de travail le 12 octobre, au cours de laquelle se tiendra le vote sur les recommandations finales. Les documents qui vous seront fournis avant cette date pourront être intégrés au rapport provisoire. Toutefois, ceux fournis après la publication du rapport provisoire pourront quand même être examinés lors de la réunion du 12 octobre. Les recommandations finales du Groupe de travail seront transmises au Comité directeur peu après afin d'être

examinées à la fin octobre. Toutefois, le Comité directeur ne recevra aucune version provisoire des documents ou des commentaires du Groupe de travail. Compte tenu de la complexité des enjeux, nous croyons que le Groupe de travail n'a pas suffisamment de temps pour terminer ses travaux dans les délais prescrits par le CEPMB.

Étant donné que le mandat du Groupe de travail stipule que les recommandations seront déterminées par un vote à la majorité simple, et compte tenu de nos commentaires ci-dessus, nous prévoyons qu'il sera extrêmement difficile de parvenir à un ensemble unique de recommandations cohérentes qui « rendent justice » à la complexité des enjeux et que le produit final qui sera présenté au Comité directeur pourrait ne pas refléter l'hétérogénéité sous-jacente des opinions. Dans ces circonstances, nous croyons qu'il est essentiel que les enjeux qui feront l'objet d'un vote, le processus par lequel tous les résultats seront saisis et communiqués, ainsi que le contenu et le format des documents qui seront transmis au Comité directeur et aux autres intervenants pertinents soient bien définis à l'avance. Nous demandons donc que ces considérations soient rédigées et communiquées au Groupe de travail dès que possible et avant que le processus de vote ne soit lancé. Les membres du Groupe de travail devraient pouvoir se prononcer sur le processus proposé avant le début du vote. Votre engagement de déposer en annexe du rapport définitif les commentaires écrits des membres du Groupe de travail qui souhaitent qu'ils soient « officiels » nous rassure. Ainsi, veuillez considérer ce courriel comme étant « officiel ».

En outre, et pour les raisons exposées précédemment, nous croyons qu'il sera important que les intervenants qui examinent les résultats des travaux du Groupe de travail reçoivent des renseignements sur la faisabilité technique et sur d'autres questions et difficultés de mise en œuvre liées aux recommandations. D'après les discussions de la réunion du 12 septembre, nous croyons comprendre que le personnel du CEPMB devait fournir des études de cas pour éclairer les délibérations du Groupe de travail et nous sommes déçus qu'il ne l'ait pas fait jusqu'ici. La suggestion du personnel du CEPMB que les membres du Groupe de travail ayant de l'expertise et des exemples puissent les présenter a été faite au cours des dernières semaines des délibérations du Groupe et n'a pas représenté une occasion suffisante de les développer et de les examiner. En tant que représentants de l'industrie, et même si nous croyons qu'il devrait incomber au personnel du CEPMB, plutôt qu'aux membres du Groupe de travail, de fournir des études de cas, nous tenterons de compiler certaines études de cas afin de les partager avec le groupe avant notre prochaine réunion.

En ce qui concerne les six domaines à l'étude, comme nous l'avons mentionné plus tôt, nous ne sommes pas en faveur de l'inclusion des facteurs économiques dans une méthodologie réglementaire de plafonnement des prix quasi judiciaire étant donné l'incertitude que ces facteurs pourraient introduire, leurs défis pratiques et la complexité de la mise en œuvre ainsi que du fait qu'il existe des méthodes beaucoup plus simples, transparentes et prévisibles d'atteindre les objectifs réglementaires du gouvernement. Nos observations sur la discussion du groupe sont présentées ci-dessous.

1. Perspective – Bien que certains membres soient d'avis qu'une perspective du

système de santé serait préférable à une perspective sociétale afin de réduire au minimum les biais discriminatoires (p. ex. les considérations de productivité), d'autres membres craignent que la perspective du système de santé ne tienne pas compte du segment privé et à but lucratif du marché. La crainte que les payeurs privés soient des « maximiseurs de profit » et que les réductions de prix potentielles ne profitent pas aux consommateurs a également été soulevée.

2. Seuil – Les points de vue divergeaient quant à savoir si les seuils devaient être déterminés en fonction des facteurs du côté de l'offre ou de la demande. Certains étaient également d'avis que le CEPMB ne peut pas « faire appliquer » ou réglementer l'efficacité et que la volonté de payer varie, de sorte qu'il serait peut-être préférable d'établir une limite supérieure pour tous les médicaments, mais de laisser les payeurs négocier. Quelques personnes favorisaient la réalisation d'autres travaux empiriques, car les membres s'entendaient généralement pour dire que les seuils utilisés dans les ETS existantes ne refléteraient pas adéquatement la volonté de payer collective. Certains membres ont également évoqué la nécessité d'effectuer d'autres recherches dans ce domaine où les travaux empiriques actuels ne sont pas suffisamment matures et ne sont pas propres au Canada.
3. Incertitude – L'incertitude se reflète dans les ETS et la prise de décisions subséquentes en tenant compte de l'éventail des RCED possibles plutôt que d'une estimation ponctuelle. Les ETS ne sont pas effectuées dans le but de déterminer une estimation ponctuelle aux fins d'établissement des prix. Les nouveaux médicaments sont lancés sur le marché et leur prix est fixé au point d'incertitude maximale qui diminue généralement avec le temps.
4. Taille du marché – On reconnaît le fait que l'incidence budgétaire nette est plus importante que le chiffre d'affaires brut; il est difficile de définir ce facteur à l'avance en raison de l'incertitude des prévisions.
5. Plusieurs indications – De manière générale, les membres s'entendent pour dire que la tarification par indication est théoriquement attrayante, mais impossible étant donné les limites actuelles en matière de saisie et de communication des données. Dans la pratique, il semble nécessaire de réglementer un prix pour toutes les indications, mais il n'y a pas eu d'accord sur la manière d'établir un prix unique pour toutes les indications.
6. Critères de la catégorie 1 – Accord général sur le fait que le rapport coût-efficacité ne serait pas un critère de sélection approprié, appui pour l'approche fondée sur le risque, appui partiel pour l'utilisation du niveau d'amélioration thérapeutique et du nouveau protocole d'entente comme facteur, préoccupations soulevées à propos de la taille du marché et de l'incidence budgétaire nette, puisque ces facteurs pourraient fausser la sélection, ainsi qu'à propos de l'incidence d'un seuil donné sur les médicaments orphelins.

Nous attendons votre réponse. Si vous avez des questions, n'hésitez pas à communiquer avec nous.

Cordialement,

Geoff et Frédéric

## Annexe 3.5 : Résumé des commentaires de Frédéric Lavoie et de Geoff Sprang

*Date : Le 1<sup>er</sup> mars 2019 à 15 h, HNR*

En tant que membres du Groupe de travail technique (GTT) représentant BIOTECanada et Médicaments novateurs Canada, nous désirons consigner au dossier le résumé suivant des observations et des enjeux au nom de nos membres respectifs, qui représentent la plupart des titulaires de brevets régis par le CEPMB.

Comme ces deux organismes l'ont déjà indiqué, nous croyons que l'utilisation des facteurs économiques proposés dans le contexte de la réglementation quasi judiciaire des prix est inappropriée. Nos préoccupations à cet égard et la justification sous-jacente ont été consignées ailleurs et, pour cette raison, ne sont pas reprises ici, mais peuvent être trouvées dans les commentaires officiels en annexe du rapport du GTT. Toutefois, notre participation au GTT et la possibilité d'examiner plus en profondeur les enjeux complexes associés à une telle utilisation des facteurs économiques n'ont fait que renforcer nos craintes que ces réformes, au mieux, retarderont l'accès des patients canadiens aux nouvelles options thérapeutiques ou empêcheront carrément cet accès dans la mesure où les fabricants choisiront de ne pas lancer de nouveaux produits thérapeutiques au Canada.

Dans l'ensemble, le manque de clarté concernant les objectifs globaux de la politique était une des préoccupations majeures. À plusieurs occasions, le GTT n'a pas été en mesure de formuler des recommandations claires et a finalement déterminé qu'il serait possible de répondre aux questions posées uniquement si les objectifs de la politique du CEPMB étaient mieux définis. Le fait que ces objectifs n'étaient pas suffisamment clairs pour le GTT constitue un problème en soi et a limité la valeur du GTT. Nous tenons également à souligner que la mention, dans les recommandations proposées, de l'« intention de la politique » ne devrait pas être interprétée comme un appui aux nouveaux facteurs économiques proposés.

Un autre sujet important et épineux que le GTT devait examiner était le sujet 5 – Perspective qui, en vertu du mandat, exigeait que le GTT discute des options pour tenir compte des perspectives sociétale ou du système public de soins de santé. Étant donné le caractère hétérogène du milieu canadien des payeurs, qui comprend des payeurs publics, des régimes privés financés par l'employeur et des clients qui paient comptant, les discussions connexes ont reflété des points de vue très différents. Il est décevant et, à notre avis, inapproprié que le CEPMB, après avoir demandé au GTT de lui donner son avis, soit intervenu et ait imposé l'adoption du point de vue du système public de soins de santé sans tenir compte des divers points de vue des experts membres du GTT.

De plus, nous croyons que le mandat du GTT a grandement limité la valeur de l'exercice en ce qui a trait à la mise à profit de l'expertise pratique et théorique des membres. Par exemple, nous



estimons qu'il est important d'exprimer notre préoccupation et notre déception à l'égard du fait que d'importantes questions de faisabilité liées à la mise en œuvre ont été jugées ne pas relever du mandat du GTT, d'autant plus que celui-ci est le seul forum dédié à l'étude des questions techniques liées à la mise en œuvre. Nous trouvons inconcevable que le processus de réforme réglementaire proposé en soit arrivé à ce stade sans que la faisabilité technique ait été évaluée en bonne et due forme.

Le personnel du CEPMB a essentiellement rejeté nos tentatives de faire valoir les enjeux de faisabilité majeurs. Dans certains cas, les questions de faisabilité que nous avons tenté de soulever sont suffisamment importantes pour que les titulaires de brevets visés par les modifications réglementaires proposées ne soient pas en mesure, actuellement, de se conformer aux nouvelles exigences de déclaration. Dans d'autres cas, notre conformité aux réformes proposées aurait des répercussions majeures sur les ressources et la reconfiguration du système d'affaires, ce qui augmenterait considérablement les coûts actuels et le fardeau réglementaire des titulaires de brevets en matière de déclaration. Il est insensé d'alourdir considérablement le fardeau réglementaire sans tenir dûment compte des autres options en matière de réglementation, et cette approche va à l'encontre des efforts du gouvernement fédéral visant à réduire la soi-disant « bureaucratie ».

Nous tenons également à exprimer notre préoccupation à l'égard du fait que, malgré les nombreuses demandes et l'accent mis sur la nécessité d'élaborer des études de cas pour explorer comment les réformes proposées seraient appliquées, les études de cas ont uniquement été mises à la disposition des membres à la dernière étape des délibérations du GTT, et que seulement 35 minutes ont été allouées à l'examen des six études de cas et aux discussions pertinentes dans l'ordre du jour de la seule réunion où elles ont été abordées. Une discussion approfondie sur ces études de cas aurait grandement enrichi les délibérations du GTT. Les études de cas elles-mêmes, qui ont été élaborées par le CEPMB, soulèvent de nombreuses questions qui illustrent le genre d'enjeux qui se poseront si les révisions réglementaires actuelles sont mises en œuvre tel qu'il est proposé. Il convient de noter qu'en dépit des efforts considérables déployés par nos associations professionnelles respectives ainsi que du recours au savoir-faire externe en matière d'établissement des prix et d'analyse, nous n'avons pas été en mesure de désosser ou de reproduire les résultats du CEPMB. Cette situation est préoccupante en soi et souligne la nécessité de mener d'autres consultations. L'ampleur des réductions de prix illustrée par les études de cas soulève également des préoccupations puisqu'elle n'est manifestement pas conforme au Résumé de l'étude d'impact de la réglementation et à l'Analyse coûts-avantages publiés par Santé Canada, avec les modifications réglementaires proposées ou avec l'objectif d'harmoniser les prix canadiens des médicaments sur ordonnance avec ceux d'un sous-ensemble plus vaste de marchés de référence. Lorsque ces questions ont été soulevées dans les réunions du GTT, le personnel du CEPMB n'y a pas donné suite de façon appropriée.

Dans l'ensemble, bien que nous apprécions les efforts déployés par le président (Mike Paulden) pour exécuter le mandat qui lui a été confié de la façon la plus impartiale possible, le mandat lui-même, la portée limitée des considérations du GTT (notamment l'exclusion des

considérations de faisabilité technique), le manque de clarté, au début du processus entourant l'intention de la politique du CEPMB qui a limité la capacité du GTT à formuler des recommandations significatives dans de nombreux domaines, la disponibilité tardive des études des cas et le délai insuffisant alloué à leur étude ainsi que la décision du CEPMB de ne pas tenir compte des délibérations du GTT sur le sujet 5 (Perspective), ensemble, rendent le processus de consultation du GTT inadéquat.

En tant que représentants de l'industrie novatrice, nous avons clairement reconnu les enjeux que doivent relever les gouvernements pour répondre aux demandes croissantes en matière de soins de santé et nous réitérons notre volonté de travailler avec les gouvernements et les autres intervenants pour trouver des solutions appropriées. Ces solutions doivent refléter un cadre stratégique complet et équilibré qui va au-delà du contrôle des plafonds de prix des produits pharmaceutiques pour inclure les objectifs de veiller à ce que les Canadiens aient accès en temps opportun aux meilleurs traitements possible et de préserver l'attrait du Canada comme destination pour la recherche et les investissements en sciences de la vie. Par conséquent, en ce qui concerne les réformes du règlement sur l'établissement de plafonds de prix, nous continuons de préconiser des consultations plus poussées auprès des représentants de l'industrie, des associations de patients, des autres ministères fédéraux ainsi que des gouvernements provinciaux, qui partagent tous l'objectif d'améliorer la santé et le bien-être des Canadiens.

## Annexe 3.6 : Résumé des commentaires de Maureen Smith

Date : Le 1<sup>er</sup> mars 2019 à 15 h 59, HNR

En tant que membre du Groupe de travail technique (GTT), j'aimerais que les commentaires suivants soient inclus dans les annexes du rapport définitif du GTT. Lorsque j'ai accepté l'invitation à me joindre au GTT du CEPMB en juillet 2018, je savais qu'il me serait difficile de présenter mon point de vue en tant que patiente au sein d'un groupe de travail dont l'objectif était d'informer le Comité directeur du CEPMB sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix. Après tout, peu de patients connaissent l'existence de cet organisme quasi judiciaire qui fixe les plafonds de prix des médicaments brevetés au Canada, et pourtant ces plafonds de prix sont importants pour les patients, car ils peuvent avoir des conséquences sur la viabilité de notre système de santé et sur l'accès aux médicaments. J'ai passé les cinq dernières années comme patiente membre d'un organisme provincial d'évaluation des technologies de la santé. J'avais donc l'impression d'en savoir assez sur l'économie de la santé pour participer aux discussions et, je l'espérais, apporter mon expérience en tant que Canadienne atteinte d'une maladie rare qui dépend des médicaments et qui a dû composer avec des problèmes d'accès.

Malheureusement, je crois que le GTT n'a pas été en mesure d'entamer une discussion qui aurait pu nous permettre de respecter notre mandat. Autrement dit, le mandat ne reflétait pas la portée du GTT. Une grande partie des éléments dont nous devons discuter dans les six domaines d'intérêt a été prédéterminée par le Résumé de l'étude d'impact de la réglementation (REIR) publié dans la *Gazette du Canada*, Partie 1. Par exemple, après deux mois de discussion sur les options de tenir compte des perspectives sociétale ou d'un système public de soins de santé, le GTT a été informé que, conformément au REIR, le CEPMB adoptait une perspective du système public de soins de santé. Pourquoi alors avoir demandé au GT de se pencher sur ces perspectives? Étant donné que nous n'avons pas de régime national d'assurance-médicaments et que les consommateurs canadiens ont recours à des régimes publics ou à des assurances privées ou encore paient leurs médicaments de leur poche, il a été décevant d'apprendre que la perspective avait déjà été déterminée.

On a dit au GTT que d'autres thèmes étaient également hors de la portée du mandat, malgré que celui-ci suggérait le contraire. Même si je comprends que nous n'étions pas là pour débattre du REIR, le mandat aurait dû être mieux harmonisé avec le REIR et ses contraintes. Un autre obstacle à la réalisation de notre mandat était l'absence d'un examen approprié des données empiriques sur chaque sujet. Cette tâche aurait dû être effectuée au préalable, plutôt que de se fier aux connaissances des membres du GTT sur les éléments disponibles et sur leurs préconceptions personnelles. Enfin, dès la première réunion, et à maintes reprises par la suite, plusieurs membres du GTT ont demandé au CEPMB d'élaborer des études de cas qui nous permettraient d'examiner les détails techniques et de mieux comprendre les répercussions. Les études de cas réalisées pour le Comité directeur ont finalement été mises à notre disposition et nous avons eu 30 minutes pour en discuter lors de notre dernière réunion.

Les recommandations que vous verrez recevront fort probablement un degré d'approbation élevé parce que, à l'exception de quelques-unes, elles ne peuvent pas vraiment être considérées comme des recommandations si l'on regarde les questions précises dans nos six domaines d'intérêt. Elles indiquent si les membres du GTT sont en accord avec les conclusions. Il n'y a pas tellement matière à désaccord, puisqu'aucune ressource n'a été investie pour résumer les données empiriques existantes, ce qui a laissé peu de place à une discussion technique réfléchie. À mon avis, les recommandations du GTT se divisent en cinq catégories : 1) recommandation au CEPMB d'adopter des mesures conformes à l'intention de sa politique; 2) recommandations qui indiquent simplement qu'il s'agit de la seule option en raison de l'intention de la politique; 3) recommandations qui traitent des enjeux énormes liés à l'application de l'évaluation des technologies de la santé dans un pays comptant 17 autorités compétentes qui ont chacune leurs propres budgets et priorités en matière médicaments; 4) recommandations qui énoncent les conclusions du GTT, notamment (traduction libre) 2.3 « Le GTT considère inconnues l'orientation et l'ampleur de tout biais dans l'estimation de 30 000 \$ par AVAQ calculée par Ochalek et coll. (2018) »; et 5) recommandations qui demandent d'autres recherches empiriques. Pour moi, c'est là le résultat de 31 heures de discussion et, malheureusement, l'incidence est minime en raison des défaillances du processus.

En tant que patiente, mon objectif était de contribuer à la discussion sur l'atteinte d'un juste équilibre qui ne dissuade pas l'accès au marché et fixe des prix qui, de l'avis des payeurs, protégeront le système de santé public. Les patients s'inquiètent non seulement des prix des médicaments, mais aussi de l'accès à des thérapies novatrices au Canada. Certaines données indiquent que des pays comme l'Australie et la Nouvelle-Zélande, où les prix des médicaments sont parmi les plus élevés, y ont moins accès. On se demande aussi si l'application des outils d'évaluation des technologies de la santé par le CEPMB n'entraînera pas d'autres inégalités dans l'accès aux médicaments pour les Canadiens, en particulier pour ceux qui dépendent des médicaments pour des maladies rares dont la couverture est souvent déterminée par leur code postal. Reconnaîtra-t-on les problèmes liés à l'ETS pour les médicaments contre les maladies rares, en particulier le caractère inapproprié des seuils? Enfin, si le CEPMB élargit son mandat pour intégrer l'ETS dans l'établissement des plafonds de prix, il devrait mettre en place un processus de participation des patients semblable à ceux qu'ont adopté nos organismes canadiens d'ETS pour la présentation des observations des patients.

En conclusion, je suis d'avis que le CEPMB a raté l'occasion de consulter véritablement les membres du GTT, car une grande partie des résultats a été déterminée à l'avance par le document des lignes directrices clés (le REIR) et parce que l'intention de la politique n'était pas claire dès le départ. Il est inquiétant que le GTT n'ait pas été en mesure de débattre des considérations importantes et de réduire une partie de l'incertitude entourant les conséquences pour les patients canadiens en faisant des recommandations qui auraient reflété nos meilleures réflexions.

## Annexe 4 : Mandat



# Mandat du groupe de travail visant à éclairer le comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix du Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB)

## Contexte

Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) a récemment mis sur pied un comité directeur sur les Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen du prix. Le mandat du **comité directeur** est d'aider le CEPMB à synthétiser les opinions des intervenants concernant les principales modalités opérationnelles et techniques des nouvelles lignes directrices provisoires du CEPMB.

Le travail du comité directeur sera en partie basé sur l'analyse et les recommandations d'un **groupe de travail** technique, qui se penchera sur certains enjeux qui, selon le comité directeur, profiteraient de l'examen d'experts en évaluation des technologies de la santé et autres domaines scientifiques et économiques.

Le groupe de travail sera composé de grands experts en pharmacoeconomie et en évaluation clinique des produits pharmaceutiques. Le groupe de travail se réunira deux fois en personne et plusieurs fois par téléconférence entre juillet et octobre 2018. Un rapport des délibérations et des recommandations du groupe de travail sera rédigé par le président. Il le soumettra ensuite au comité directeur aux fins d'examen en octobre 2018.

## Membres

Le président du groupe de travail sera le D<sup>r</sup> Mike Paulden (Université de l'Alberta).

Treize personnes siégeront comme membres du groupe de travail (nommés par ordre alphabétique) :

1. Sylvie Bouchard (Patrick Dufort comme suppléant, le cas échéant) (INESSS);
2. Chris Cameron (Université Dalhousie et Cornerstone Research Group);
3. Tammy Clifford (Université d'Ottawa et ACMTS);
4. Doug Coyle (Université d'Ottawa);
5. Don Husereau (Université d'Ottawa);
6. D<sup>r</sup> Peter Jamieson (Université de Calgary);
7. Frédéric Lavoie (Pfizer Canada);
8. D<sup>re</sup> Karen Lee (Université d'Ottawa et ACMTS);
9. Christopher McCabe (Université de l'Alberta et Institut de l'économie de la santé);
10. Stuart Peacock (Université Simon Fraser et BC Cancer Agency);
11. Maureen Smith (Représentante des patients);
12. Geoff Sprang (Agmen);
13. Tania Stafinski (Université de l'Alberta).

Deux personnes siégeront à titre d'observateurs du groupe de travail :

1. Edward Burrows (Innovation, Sciences et Développement économique Canada);
2. Nelson Millar (Santé Canada).

Une personne agira en tant qu'examineur externe du rapport provisoire du groupe de travail :

1. D<sup>r</sup> Mark Sculpher (Université York).

Les recommandations du groupe de travail seront déterminées en fonction d'un vote des membres. En cas d'égalité, le vote du président sera décisif.

# Domaines d'intérêt

Le groupe de travail réalisera un examen et formulera des recommandations au sujet des questions et des éléments suivants :

## 1. Options pour déterminer quels médicaments entrent dans la catégorie 1

- Un médicament de catégorie 1 est un médicament dont l'examen préliminaire de l'impact clinique, pharmacoéconomique et sur le marché, du coût de traitement et d'autres données pertinentes suggérerait un risque élevé d'avoir un prix excessif.
- Les critères suivants ont été définis comme justifiant une classification de catégorie 1 :
  - a) Le médicament est « premier de sa catégorie » ou une amélioration « importante » par rapport aux options existantes.
  - b) Le coût de renonciation du médicament est supérieur à l'amélioration prévue de la santé.
  - c) Le médicament devrait avoir un grand impact sur le marché.
  - d) Le coût de traitement annuel moyen du médicament est élevé.
- Faudrait-il tenir compte d'autres critères? Quels sont les indicateurs à considérer lors de la sélection de médicaments qui répondent aux critères définis, et quelles sont les options d'utilisation de ces indicateurs?

## 2. Application de seuils de rentabilité du côté de l'offre pour établir les prix plafonds des médicaments de la catégorie 1

- Approches potentielles permettant d'établir un plafond de prix en fonction du coût de renonciation d'un médicament.
- Approches potentielles permettant d'obtenir des plafonds de prix supérieurs au coût de renonciation pour certains types de médicaments (p. ex. pédiatrique, rare, oncologie, etc.).

## 3. Médicaments à plusieurs indications

- Options pour traiter les médicaments à plusieurs indications (p. ex. plusieurs plafonds de prix ou un seul plafond correspondant à une indication particulière).

## 4. Prise en compte de l'incertitude

- Options pour utiliser les analyses d'un scénario de référence de l'ACMTS ou de l'INESSS pour établir un prix plafond.
- Options pour tenir compte de l'incertitude de l'estimation ponctuelle de chaque plafond de prix basé sur la valeur.

## 5. Perspectives

- Options pour tenir compte de la considération d'un système de santé public par rapport à



une perspective sociétale, incluant l'option d'appliquer un plafond de prix basé sur la valeur plus élevée où la différence entre les plafonds de prix de chaque perspective est « importante ».

- Comment définir une différence « importante » entre les plafonds de prix de chaque perspective.

## **6. Application du facteur de la taille du marché dans l'établissement des prix plafonds**

- Approches permettant de calculer un ajustement approprié du prix plafond d'un médicament en fonction de l'application des facteurs du PIB et de la taille du marché (p. ex. en fonction de l'approche américaine ICER).

Des domaines d'intérêt supplémentaires pourraient être déterminés par le comité directeur avant la première réunion du groupe de travail en juillet 2018.

Il se peut que les approches ou les méthodes recommandées par le groupe de travail ne ressemblent pas à celles que l'ACMTS ou l'INESS utilise à l'heure actuelle. Si de tels écarts peuvent nuire à l'application de ses recommandations, le groupe de travail trouvera des solutions techniques ou d'autres types de solutions.

## **Confidentialité**

Les membres du groupe de travail peuvent consulter les non-membres de façon continue, mais doivent veiller à la confidentialité de tout document qu'on leur fournit dans le cadre de leurs fonctions.

Les noms des membres du groupe de travail et un rapport portant sur ses délibérations, son analyse et ses recommandations seront publiés sur le site Web du CEPMB.

## **Gouvernance et procédure**

On reconnaît que les membres du groupe de travail peuvent avoir des points de vue divergents sur les enjeux susmentionnés, ou encore s'opposer à la justification stratégique sous-jacente aux modifications apportées aux lignes directrices du CEPMB. Les membres sont toutefois encouragés à collaborer de manière constructive afin d'aider le groupe de travail à exercer ses fonctions.

On s'attend à ce que le président favorise le consensus entre les membres. Cependant, pour veiller à la précision et la productivité des délibérations du groupe de travail, le président aura le dernier mot sur toutes les questions en matière de gouvernance et de procédure. Les membres qui s'opposent à une décision du président à cet égard peuvent demander à ce que leur objection soit consignée. Le président doit faire tout en son possible pour s'assurer que le rapport final du groupe de travail reflète fidèlement tous les principaux points de convergence ou de discordance entre les membres.

## **Calendrier**

En juillet, le groupe de travail se réunira pour la première fois en personne à Ottawa. Puis, il se réunira de nouveau à l'occasion de plusieurs téléconférences qui auront lieu en août et en septembre. Une deuxième réunion en personne aura lieu en octobre, après la soumission d'un rapport provisoire.

Toutes les dates dépendent de la disponibilité du président et des membres du groupe de travail.

<b>Date</b>	<b>Événement</b>	<b>Objectif</b>
26 juillet 2018	Réunion en personne d'une journée complète à Ottawa	Aperçu des objectifs du groupe de travail Sommaire des domaines d'intérêt à l'étude. Répartition des tâches entre les membres du groupe de travail.
Du 22 au 24 août 2018	Téléconférence d'une heure sur chaque domaine d'intérêt	Occasion pour les membres du groupe de travail de donner leur avis.
24 août 2018	Téléconférence de deux heures	Mise à jour du groupe de travail. Occasion pour les membres du groupe de travail de donner leur avis.
Semaine du 10 septembre ou du 24 septembre 2018 (à confirmer)	Téléconférence de deux heures	Mise à jour du groupe de travail. Occasion pour les membres du groupe de travail de donner leur avis.
5 octobre 2018	Circulation du rapport provisoire parmi le personnel du CEPMB et les membres du groupe de travail	Occasion pour les membres du groupe de travail et du CEPMB de donner leur avis.
12 octobre 2018	Réunion en personne d'une journée complète à Ottawa	Présentation du rapport provisoire. Recommandations du rapport provisoire. Dernière occasion pour les membres du groupe de travail et du CEPMB de donner leur avis.
26 octobre 2018	Soumission du rapport final au CEPMB	Soumission du produit final au CEPMB.

## Produits livrables

Un rapport provisoire sera remis aux membres du comité directeur et du groupe de travail le 5 octobre 2018, avant la dernière réunion en personne à Ottawa.

Suite à la présentation du rapport final, le président sera prêt à présenter les recommandations du groupe de travail aux intervenants et aux autres parties intéressées, selon leur disponibilité.

## Budget

Le CEPMB peut couvrir les dépenses raisonnables liées aux déplacements et à l'hébergement des membres si le financement est demandé et approuvé à l'avance. Le président du groupe de travail s'efforcera d'organiser des réunions de façon à réduire les dépenses pour les participants.

## Annexe 5 : Intention de la politique

## Annexe 5.1 : Règlement modifiant le Règlement sur les médicaments brevetés



## Annexe 5.2 : Document d'orientation sur les Lignes directrices du CEPMB

## Annexe 5.3 : Présentation sur la modernisation du cadre du CEPMB



## Annexe 5.4 : Notions élémentaires du CEPMB



## CONSEIL D'EXAMEN DU PRIX DES MÉDICAMENTS BREVETÉS

*Préparé pour les groupes de travail sur les réformes des  
lignes directrices*

Juillet 2018

La brève description qui suit vise à répondre aux questions soulevées au cours de la réunion du Groupe de travail technique sur le mandat et le rôle du CEPMB.

---

Avant 1987, la *Loi sur les brevets* du Canada (la « Loi ») permettait aux fabricants de médicaments génériques d'obtenir des licences obligatoires pour produire des versions génériques de médicaments de marque brevetés à tout moment pendant la durée du brevet. De plus, la Loi autorisait uniquement le brevetage des procédés de fabrication des médicaments, et pas des médicaments eux-mêmes.

En 1987, la Loi a été considérablement modifiée afin de réduire le nombre de licences obligatoires octroyées aux fabricants de médicaments génériques et d'autoriser le brevetage des médicaments eux-mêmes. Ces changements ont fait craindre que les titulaires de brevet n'abusent de leurs nouveaux droits attachés au brevet en facturant des prix supérieurs aux niveaux « raisonnables ». Pour répondre à cette préoccupation, la Loi a été modifiée de nouveau afin de créer le CEPMB. Toutes ces modifications ont été apportées à la Loi dans le cadre du projet de loi C-22.

En présentant ce projet de loi au Parlement, le ministre responsable, l'honorable Harvie Andre, a fait les déclarations suivantes au sujet de la double intention de cette mesure législative :

Fondamentalement, les modifications que je propose dans le projet de loi C-22 créeront un climat favorable à de nouveaux investissements dans le domaine de la recherche et du développement, en protégeant pendant une période donnée les entreprises pharmaceutiques qui détiennent des brevets au Canada. Ces modifications permettront également de protéger les consommateurs en créant un conseil d'examen du prix des médicaments chargé de surveiller les prix<sup>1</sup>...

Il y a la question de la protection des consommateurs. À quoi cela nous servirait-il d'avoir toutes sortes de nouveaux médicaments si personne n'avait les moyens de se les payer? Si les gens malades et les personnes âgées ne pouvaient pas se payer ces médicaments, à quoi serviraient-ils<sup>2</sup>?

À mon humble avis, si l'on examine objectivement notre proposition, on verra que nous avons mis sur pied un énorme mécanisme de poids et contrepoids pour nous assurer que le prix à la consommation des médicaments demeurera raisonnable<sup>3</sup>.

Ainsi, bien que le renforcement des droits attachés aux brevets des fabricants de produits pharmaceutiques vise à favoriser l'innovation au Canada, le CEPMB a pour mission de contrôler efficacement ces droits en veillant à ce que les titulaires de brevets ne facturent pas des prix excessifs pendant la période de monopole de droit. La protection des consommateurs offerte par le CEPMB vise tous les acheteurs canadiens de médicaments, qu'il s'agisse de gouvernements, d'assureurs, de grossistes ou de particuliers.

Dans une situation de monopole de droit, un vendeur peut limiter la concurrence, et donc fixer un prix plus élevé que celui qui prévaudrait autrement, possiblement à des niveaux excessifs. Ce risque de prix excessifs est exacerbé lorsque la demande pour le produit est élevée et qu'il existe peu ou pas de produits de remplacement. Dans le domaine pharmaceutique, cette situation est plus susceptible de se produire dans le cas de médicaments brevetés qui constituent le premier traitement efficace de ce genre pour des troubles potentiellement mortels. L'existence du CEPMB en tant que seul organisme de réglementation sectoriel en vertu de la Loi est attribuable à cette situation et au fait que les décideurs reconnaissent que l'absence d'entrave à l'établissement de prix de monopole pour les médicaments brevetés n'est pas dans l'intérêt public.

En 1993, la Loi a été modifiée de nouveau pour éliminer le régime spécial de licences obligatoires qui s'appliquait uniquement aux médicaments brevetés et, à titre de mesure compensatoire, pour conférer au CEPMB des pouvoirs réparateurs supplémentaires dans la gestion des cas où les prix des médicaments brevetés sont excessifs. À propos de cette dernière série de modifications, le ministre promoteur, l'honorable Pierre Blais, a expliqué au Parlement qu'elles visaient à « renforcer la protection qui est offerte aux consommateurs, afin que ceux-ci puissent continuer de se procurer des médicaments brevetés, qui soient à des prix raisonnables » et à « [assurer] aux consommateurs canadiens des prix raisonnables, comme ceux dont ils bénéficient depuis 1987 ».

La portée des pouvoirs du CEPMB est définie dans les articles 83 et 85 de la Loi. L'article 83 permet au Conseil d'ordonner à un titulaire de brevet d'abaisser le prix maximal de son médicament lorsqu'il est jugé « excessif ».

---

<sup>1</sup> Débats de la Chambre des communes, 33<sup>e</sup> législature, 2<sup>e</sup> session, vol. 1, page 1369, honorable Harvie Andre (ministre de la Consommation et des Affaires commerciales).

<sup>2</sup> Débats de la Chambre des communes, 33<sup>e</sup> législature, 2<sup>e</sup> session, vol. 1, page 1371, honorable Harvie Andre (ministre de la Consommation et des Affaires commerciales).

<sup>3</sup> Débats de la Chambre des communes, 33<sup>e</sup> législature, 2<sup>e</sup> session, vol. 1, page 1373, honorable Harvie Andre (ministre de la Consommation et des Affaires commerciales).

Lorsqu'il estime que le breveté vend sur un marché canadien le médicament à un prix qu'il juge être excessif, le Conseil peut, par ordonnance, lui enjoindre de baisser le prix de vente maximal du médicament dans ce marché au niveau précisé dans l'ordonnance et de façon qu'il ne puisse pas être excessif.

La Loi ne définit pas ce qu'est un prix « excessif » et enjoint plutôt au CEPMB de tenir compte des facteurs suivants à l'article 85 pour prendre cette décision :

- le prix de vente du médicament sur un tel marché;
- le prix de vente de médicaments de la même catégorie thérapeutique sur un tel marché;
- le prix de vente du médicament et d'autres médicaments de la même catégorie thérapeutique à l'étranger;
- les variations de l'indice des prix à la consommation;
- *[facteur proposé] la taille du marché pour le médicament au Canada et à l'étranger;*
- *[facteur proposé] le produit intérieur brut au Canada et le produit intérieur brut par habitant au Canada;*
- *[facteur proposé] la valeur pharmacoéconomique du médicament au Canada et celle d'autres médicaments de la même catégorie thérapeutique.*

Bien que le CEPMB puisse ordonner des réductions de prix à la suite d'une audience, il publie également des lignes directrices qui décrivent sa façon de surveiller les prix des médicaments brevetés afin de déterminer si le prix d'un médicament donné doit être considéré comme potentiellement excessif et faire l'objet d'une audience. Les lignes directrices n'ont pas force exécutoire, mais elles indiquent aux titulaires de brevets les comportements en matière d'établissement de prix, et leur respect réduit la probabilité qu'un titulaire de brevet soit convoqué en audience devant le Conseil.

Bien qu'il fasse partie du portefeuille de la santé, le CEPMB dans son ensemble n'a aucun lien de dépendance avec d'autres entités, y compris le ministre de la Santé et ses intervenants. En d'autres termes, le CEPMB surveille les prix des médicaments brevetés et décide des convocations en audience indépendamment de ces entités. Par exemple, bien que les plaintes de tiers puissent mener à une enquête en vertu des lignes directrices, le plaignant ne joue aucun rôle dans l'enquête proprement dite ou dans son règlement.

Le CEPMB n'a ni le mandat ni les outils stratégiques nécessaires pour favoriser l'innovation au Canada, ne peut pas interdire la mise en marché d'un médicament breveté au Canada, ne prend aucune décision ni ne fait aucune recommandation concernant l'approbation des médicaments sur le plan de l'innocuité, de l'efficacité et de la qualité et ne prend aucune décision ou ne fait aucune recommandation concernant l'inscription des médicaments dans les régimes d'assurance-médicaments ou leur remboursement par ces régimes.

Le gouvernement est d'avis que le cadre réglementaire actuel du CEPMB ne lui fournit pas les outils nécessaires pour protéger efficacement les Canadiens contre les prix excessifs ou pour

déterminer de façon optimale les prix maximums dans le milieu pharmaceutique actuel. C'est pourquoi Santé Canada propose ces modifications réglementaires, y compris les nouveaux facteurs prévus à l'article 85 relativement à la valeur pharmacoéconomique, à la taille du marché et au PIB.

## Annexe 6 : Études de cas

## Annexe 7 : Avis de non-responsabilité

### Annexe 7.1 : Avis de non-responsabilité du CEPMB

Le CEPMB a fait parvenir au président l'avis de non-responsabilité suivant :

[TRADUCTION] « *Les opinions exprimées dans le présent document sont celles de l'auteur et des parties auxquelles certains points de vue sont attribués et ne doivent pas être considérées comme constituant ou reflétant les opinions du CEPMB ou du gouvernement du Canada, sauf indication contraire.* »

### Annexe 7.2 : Avis de non-responsabilité de Médicaments novateurs Canada

Frédéric Lavoie a fourni au président l'avis de non-responsabilité suivant au nom de Médicaments novateurs Canada (MNC) :

[TRADUCTION] « *MNC croit comprendre que le CEPMB a l'intention de prendre des mesures pour moderniser ses lignes directrices dans le cadre des modifications proposées au règlement. Bien que MNC s'engage à collaborer de façon constructive avec le CEPMB aux Lignes directrices visant la modernisation du processus d'examen des prix, notre participation au Comité directeur et au Groupe de travail ne doit pas être interprétée comme un appui aux modifications proposées au règlement. MNC continue d'avoir de sérieuses préoccupations quant aux processus et aux politiques associés aux modifications proposées et se réserve le droit de s'opposer à ces modifications et aux travaux du Comité directeur et du Groupe de travail dans la mesure où ils visent à mettre en œuvre ou à refléter les modifications proposées. Le projet de lignes directrices du 25 juin 2018 inspire également de nombreuses réserves à MNC, et nous formulerons des commentaires plus détaillés lorsque nous aurons eu l'occasion d'évaluer pleinement leurs répercussions possibles sur les titulaires de brevets. En ce qui concerne la gouvernance du Groupe de travail, MNC a l'intention de participer de manière constructive, mais il tient à ce que les opinions minoritaires et dissidentes soient consignées de manière complète et précise tout au long du processus, y compris dans les versions provisoire et définitive du rapport du Groupe de travail et sa publication, à la demande d'un ou de plusieurs membres du Groupe de travail.* »

## Annexe 8 : Examen externe du rapport provisoire

*Vous trouverez ci-dessous un examen externe du rapport provisoire réalisé par le D<sup>r</sup> Mark Sculpher du Centre for Health Economics de l'Université York.*

*Cet examen a été envoyé par courriel au président le 4 mars 2019.*

### Observations générales

Dans l'ensemble, le rapport se lit bien, et l'orientation et les conseils offerts au CEPMB semblent appropriés et bien équilibrés.

**Réponse du président :** *J'aimerais remercier le D<sup>r</sup> Sculpher d'avoir examiné le rapport provisoire et d'avoir formulé des observations réfléchies. Vous trouverez ci-dessous mes réponses à chacune d'entre elles.*

J'ai eu de la difficulté à comprendre le rôle du CEPMB par rapport aux ententes avec le PCEM et les ETS provinciales. On peut supposer que ces différents niveaux d'examen des politiques sur les prix des médicaments travailleront en synergie et de façon cohérente. Il me semble que la version la plus évidente de tels accords prévoirait que le CEPMB fixe un plafond de prix que le PCEM ou l'ETS provinciale utiliserait comme maximum et qui pourrait ne pas être considéré comme rentable du point de vue d'une province, d'une indication ou d'un sous-groupe de patients. Autrement dit, le plafond de prix du CEPMB devient le point de départ d'un examen des données, d'une analyse et d'une négociation des prix subséquents qui pourraient bien faire baisser davantage les prix. Par conséquent, certains des enjeux examinés dans le rapport pourraient s'en trouver simplifiés (voir ci-dessous). Bien que ce ne soit pas le mandat du rapport, il semble nécessaire d'examiner comment le CEPMB collaborera avec le PCEM et les ETS provinciales afin d'éviter les redondances et les contradictions.

**Réponse du président :** *Il existe de nombreuses approches possibles permettant d'établir un plafond de prix unique pour plusieurs provinces, indications ou sous-groupes de patients. Le Groupe de travail a reconnu que le choix de l'approche à adopter relevait des décideurs. Ainsi, il n'a pas recommandé d'approche particulière. Nous avons plutôt tenu compte des implications techniques de plusieurs approches possibles afin d'aider les décideurs à prendre une décision éclairée quant à l'approche à adopter.*

*Le D<sup>r</sup> Sculpher propose un accord particulier selon lequel le CEPMB fixe d'abord un plafond de prix en fonction du prix maximal auquel un médicament est « tout juste » rentable dans une province, pour une indication ou pour un sous-groupe de patients,*



*puis les provinces utilisent ensuite d'autres mécanismes pour négocier le prix à la baisse. Le Groupe de travail a discuté de certaines des implications techniques d'un tel accord. Certaines personnes ont fait valoir que les provinces dont les seuils du côté de l'offre sont plus bas n'ont peut-être pas le pouvoir de négocier le prix à un niveau où le surplus du consommateur est positif pour elles. Par conséquent, une telle approche pourrait entraîner une détérioration de la santé de la population de ces provinces, ce qui pourrait se traduire par une détérioration de la santé de la population dans l'ensemble du Canada.*

Le rapport évoque les principaux éléments de données et les principales analyses auxquels je m'attendais compte tenu du contexte de la politique, à trois exceptions près. La première est l'importance de l'hétérogénéité au niveau des patients. L'établissement de prix selon l'indication fait l'objet de nombreuses discussions, mais les mêmes questions se posent à propos des sous-groupes de patients pour une même indication. Il y a un compromis à faire entre le plafond de prix du produit et le nombre de sous-groupes pour lesquels il serait rentable. Ce facteur est particulièrement évident dans le cas des produits pour lesquels le rapport coût-efficacité est fonction du risque sous-jacent d'un événement clinique (p. ex. cardiopathie, ostéoporose, etc.), mais s'applique également à une grande proportion de produits pharmaceutiques dans d'autres domaines pathologiques. J'y reviendrai plus loin.

**Réponse du président :** *Je suis d'accord avec le D<sup>r</sup> Sculpher pour dire que l'hétérogénéité des patients pour une indication est un facteur important. En raison de cette hétérogénéité, il pourrait y avoir des sous-groupes de patients plus rentables à traiter que d'autres pour une même indication.*

*En principe, l'établissement d'un plafond de prix unique pour l'ensemble des sous-groupes de patients d'une même indication a des répercussions semblables à celles associées à l'établissement d'un même prix pour plusieurs indications (comme le prévoit le cadre conceptuel) sur les surplus du consommateur et du producteur. Parmi les nombreuses approches possibles, le plafond de prix peut être déterminé selon le prix auquel :*

- 1. Le traitement du sous-groupe de patients le plus rentable est « tout juste » rentable (ce qui entraîne un surplus du consommateur global négatif pour l'indication en question);*
- 2. Le traitement du sous-groupe de patients le moins rentable est « tout juste » rentable (ce qui entraîne un surplus du consommateur global positif pour l'indication en question);*
- 3. Le traitement du patient « moyen » au sein du sous-groupe est « tout juste » rentable (ce qui entraîne un surplus du consommateur global nul pour l'indication en question).*

Le deuxième élément pour lequel je me serais attendu à avoir plus d'information concerne les raisons pour lesquelles on devrait s'intéresser au surplus du producteur. Une bonne partie du rapport (surtout la première annexe sur le cadre conceptuel) se concentre sur l'équilibre entre les surplus du producteur et du consommateur, mais l'intérêt pour le premier n'est certainement dû qu'à son lien prévu avec l'accroissement futur du surplus du consommateur. Le problème est qu'il y a peu de données probantes sur le surplus du producteur nécessaire pour générer des surplus du consommateur futurs, en particulier dans un marché individuel et relativement petit. Une grande partie du contenu du rapport dépend de l'ampleur du surplus du producteur (ou de la probabilité d'un tel surplus) que le système devrait « donner » aujourd'hui pour stimuler la recherche et le développement afin de générer un surplus du consommateur futur, mais il n'y a aucune information sur la façon de le déterminer selon les données existantes.

**Réponse du président :** *C'est aux décideurs de déterminer l'équilibre approprié entre les surplus du consommateur et du producteur. Le Groupe de travail n'a donc pas pris position sur la question de savoir si un surplus du producteur plus important est intrinsèquement souhaitable ou si, comme le suggère le D' Sculpher, il n'est souhaitable que s'il se traduit par une augmentation future du surplus du consommateur. Le Groupe de travail s'est plutôt penché sur certaines des répercussions possibles sur le surplus du producteur associées à diverses approches possibles pour établir un plafond de prix.*

Dans le même ordre d'idées, le rapport mentionne souvent les surplus du consommateur et du producteur pendant la durée du brevet d'un produit comme si celui-ci était octroyé à perpétuité. C'est le cas à la page 26, par exemple, où on examine les répercussions de seuils du côté de l'offre différents d'une province à l'autre. Il semble pertinent de tenir compte des répercussions de la fin d'un brevet sur les prix et les surplus du consommateur et du producteur dans le cadre de différentes politiques.

**Réponse du président :** *Le Groupe de travail a discuté de la possibilité que les prix chutent après l'expiration du brevet, ce qui aurait des répercussions sur la répartition à long terme des surplus du consommateur et du producteur. Cependant, dans un document préparé pour le Groupe de travail en juillet 2018 (annexe 5.4), le CEPMB a précisé que son objectif est de veiller à ce que les titulaires de brevets « ne facturent pas de prix excessifs au cours de la période de monopole de droit ». Par conséquent, le Groupe de travail s'est concentré uniquement sur le prix pendant la période de monopole de droit.*

Le dernier élément de données et d'analyse sur lequel je m'attendais à obtenir plus d'information concerne l'incertitude. Les données probantes et la modélisation traitent bien des enjeux sous-jacents de l'incertitude et de leurs répercussions sur les décisions, mais j'ai été surpris qu'il n'y ait pas plus d'information sur les réponses stratégiques à ce sujet et sur les répercussions sur les plafonds de prix. Je pense ici à des cadres qui tiennent compte de la valeur des données supplémentaires, de la possibilité de produire des données en plus du remboursement, des répercussions sur les coûts irréversibles et de l'importance du prix d'un produit et de sa souplesse (p. ex. Claxton et coll.). Une réponse raisonnable à cette critique est que le CEPMB n'a qu'une seule « décision stratégique » à prendre dans le domaine de la valeur et des ressources, soit l'établissement d'un plafond de prix. Mais on aurait peut-être pu inclure plus d'information sur ce que cela signifie pour les organismes provinciaux d'ETS qui pourraient, en principe, disposer d'autres leviers stratégiques comme l'offre de financement uniquement pour la recherche ou parallèlement à la recherche ainsi que d'autres réductions de prix.

**Réponse du président :** *Je suis d'accord avec le D<sup>r</sup> Sculpher pour dire que l'incertitude a des répercussions importantes pour les décideurs provinciaux, qui peuvent disposer de divers leviers stratégiques. Toutefois, le Groupe de travail avait pour objectif de formuler des recommandations techniques précises au Comité directeur sur la façon dont le CEPMB pourrait établir un plafond de prix pour un nouveau médicament, de sorte qu'il a été déterminé que ces répercussions ne relevaient pas du mandat.*

## Observations particulières

*Page 22 :* On sous-entend ici que les seuils du côté l'offre s'appliquent uniquement aux systèmes dont le budget est limité. Ce n'est pas le cas : tous les systèmes ont de nombreuses autres possibilités d'améliorer les avantages pour les patients et assument des coûts de renonciation lorsqu'ils prennent des décisions d'investissement (voir Sculpher et coll.).

**Réponse du président :** *Je suis d'accord avec le D<sup>r</sup> Sculpher. Le texte de la page 22 a été révisé pour supprimer la référence à un « budget limité ».*

*Page 28 :* Il peut être utile de souligner que toute pondération de l'équité utilisée dans le cadre d'une analyse visant à étayer les décisions d'établissement de prix et de remboursement devrait également être appliquée au seuil empirique du côté de l'offre.

**Réponse du président :** *Je suis d'accord avec le D<sup>r</sup> Sculpher pour dire que les pondérations de l'équité, si elles sont adoptées, devraient également s'appliquer aux patients qui assument le coût de renonciation. Pour ce faire, on peut notamment pondérer directement les AVAQ auxquelles on a renoncé ou ajuster le seuil de rentabilité. Toutefois, cette dernière approche comporte des limites qui ne s'appliquent pas à la pondération directe des AVAQ<sup>19</sup>. Le texte actuel indique qu'il y a « également un débat en cours et non résolu sur la question de savoir si les pondérations devraient être appliquées directement aux AVAQ ou au seuil de rentabilité ». Je n'ai apporté aucune modification au texte en réponse à ce commentaire.*

Page 29 : Je n'ai pas bien saisi comment le processus du CEPMB donnerait de l'information sur l'emplacement de la courbe de la demande s'il se concentrait sur le prix maximum qu'un produit devrait obtenir au Canada. Il faudrait sans doute aussi des renseignements sur la relation entre les prix les plus bas qui pourraient découler des volumes et du processus d'ETS provinciale.

**Réponse du président :** *Le Groupe de travail a recommandé que « toute estimation du seuil du côté de l'offre adopté par le CEPMB aux fins de l'établissement d'un plafond de prix soit clairement précisée afin de réduire l'incertitude des intervenants » (recommandation 2.7).*

*Les intervenants obtiendraient ainsi de l'information sur l'emplacement de la courbe de la demande, compte tenu du coût différentiel et de l'efficacité du médicament en question.*

En ce qui concerne la courbe de l'offre pour les nouveaux médicaments, existe-t-il des exemples de systèmes de santé capables de l'estimer de manière crédible? Je n'en connais pas, mais si c'est le cas, il serait utile de réfléchir aux implications pour le processus du CEPMB.

**Réponse du président :** *Les difficultés associées à l'estimation des courbes de l'offre, et certaines des implications possibles pour le CEPMB, sont décrites dans le Cadre conceptuel. Ces implications comprennent la possibilité que les plafonds de prix soient tellement abaissés que les nouveaux médicaments ne sont pas lancés, ce qui pourrait entraîner une perte de surplus économique et annuler tout surplus du consommateur positif qui aurait autrement pu être enregistré.*

Page 32 : Il peut être utile de mentionner à la section 2.3.9 la distinction entre un seuil de politique (c.-à-d. le coût [ou la fourchette de coûts] par AVAQ qui entraîne généralement une décision positive en matière de financement ou d'établissement de prix) et une estimation empirique du seuil du côté de l'offre. D'après mon expérience, ces deux notions sont souvent confondues et les exemples de « seuils » cités dans cette page correspondent à la première plutôt qu'à la seconde.

**Réponse du président :** *Je suis d'accord avec le D' Sculpher. Le texte de la page 32 a été révisé pour remplacer toutes les références à un « seuil » qui n'est pas associé au côté de la demande par « seuil de politique ».*

Pages 34 et 35 : Cette section pourrait également s'appliquer dans le contexte des sous-groupes de patients par indication, mais je n'ai vu aucune mention à cet effet.

**Réponse du président :** *Je suis d'accord avec le D<sup>r</sup> Sculpher pour dire que l'hétérogénéité au niveau individuel est un facteur important. Toutefois, comme le Groupe de travail ne s'est pas penché explicitement sur les approches d'établissement d'un plafond de prix pour des sous-groupes de patients hétérogènes pour une même indication, je n'ai pas modifié le texte dans cette section.*

Je reviens au point mentionné sous la rubrique « Observations générales », à savoir que si le CEPMB définit un prix maximum, l'option 2 est certainement appropriée. Cette approche permettrait aux provinces de prendre des décisions et d'entreprendre des négociations visant à faire baisser le prix afin que d'autres indications soient également rentables.

Ce point pourrait être généralisé et s'appliquer aux délibérations concernant le choix du seuil du côté de l'offre (compte tenu des variations d'une autorité compétente à l'autre), des sous-groupes de patients et de l'incertitude. En d'autres termes, le CEPMB définit un prix maximum et les provinces peuvent réduire ce prix pour refléter des seuils du côté de l'offre inférieurs, une entente pour inclure plus de sous-groupes ou indications et les répercussions de l'incertitude.

**Réponse du président :** *Comme nous l'avons déjà mentionné, le choix final de l'approche à adopter relève des décideurs. Ainsi, le Groupe de travail n'a pas recommandé d'approche particulière, mais a plutôt évalué les répercussions techniques de diverses approches possibles.*

Page 38 : Je me demande si les notions de « neutralité à l'égard du risque » et d'« aversion au risque » sont utiles ici. Le point de départ normatif sous-jacent du rapport est un ensemble d'objectifs liés à la santé de la population (peut-être complétés par des questions d'équité), plutôt qu'une fonction d'utilité non précisée. Quel est donc l'intérêt de tenir compte des préférences en matière de risques?

**Réponse du président :** *Comme l'indique le cadre conceptuel, l'incertitude augmente la probabilité que l'incidence réelle d'un nouveau médicament sur la santé de la population à un plafond de prix donné soit négative, même si l'incidence prévue sur la santé de la population est nulle.*

*Si le CEPMB est « neutre à l'égard du risque », cette attitude est compensée par la possibilité que l'incidence réelle sur la santé de la population soit positive, de sorte qu'aucun ajustement du plafond de prix n'est nécessaire.*

*Toutefois, si le CEPMB fait preuve d'aversion au risque et que l'incidence réelle sur la santé de la population est négative, il pourrait alors vouloir abaisser le plafond de prix. Une telle attitude augmenterait l'incidence prévue sur la santé de la population et réduirait le risque que l'incidence réelle soit négative.*

*Cette dernière position s'écarte de l'hypothèse par défaut de neutralité à l'égard du risque. Cependant, l'objectif implicite est toujours « lié à la santé de la population (peut-être complété par des considérations d'équité) ». Plus précisément, l'objectif implicite est lié non seulement à la santé prévue de la population, mais aussi à la distribution de l'incertitude entourant la santé prévue de la population, dans les deux cas potentiellement complétée par des considérations d'équité.*

*Le Groupe de travail ne connaissait pas l'attitude précise du CEPMB à l'égard du risque et n'a pas tenté de définir une « fonction d'utilité » pour tenir compte de toute aversion au risque potentielle. Le Groupe de travail a plutôt reconnu que le CEPMB pourrait adopter une approche du risque qui s'écarte de l'hypothèse par défaut de neutralité à l'égard du risque et a remarqué que cela aurait des répercussions sur la définition d'un plafond de prix.*

Page 45 : Le terme « perspective sociétale » est utilisé ici de façon assez vague. Il pourrait être utile d'en préciser la signification et la conformité avec un point de départ normatif général des objectifs en matière de santé de la population et des coûts de renonciation associés aux ressources en soins de santé.

**Réponse du président :** À la page précédente, il est fait mention des lignes directrices de l'ACMTS, qui précisent explicitement les différences entre les perspectives « du système public de soins de santé » et « sociétales » (voir « Différence entre les perspectives », à la page 44).

*Je suis d'accord avec le D<sup>r</sup> Sculpher pour dire que l'utilisation d'une perspective sociétale soulève d'importantes questions quant à la position normative en ce qui concerne la santé de la population et les coûts de renonciation. Tel qu'il est indiqué dans le texte, un membre du Groupe de travail a fait valoir que : « l'adoption d'une perspective sociétale sous-entend que les décideurs sont disposés à échanger les avantages pour la santé contre d'autres avantages sociétaux, ce qui n'est peut-être pas le cas. » D'autres membres ont fait remarquer qu'une perspective sociétale soulève « des préoccupations d'ordre éthique, y compris la possibilité que la productivité soit évaluée à la baisse pour les personnes à faible revenu », ce qui ne correspond pas nécessairement à la position normative privilégiée. Je n'ai apporté aucune modification au texte de cette section en réponse à ce commentaire.*



# Références

1. OCHALEK, J., J. LOMAS et K. CLAXTON. *Assessing health opportunity costs for the Canadian health care systems*, Université York, 2018.
2. PANDEY, H., M. PAULDEN et C. McCABE. *Theoretical models of the cost-effectiveness threshold, value assessment, and health care system sustainability*, Institut de l'économie de la santé, 2018.
3. International statistics: Compare countries on just about anything! NationMaster.com. Accessible à l'adresse : <https://www.nationmaster.com/> (page consultée le 17 février 2019).
4. BOUND, J., D. A. JAEGER et R. BAKER. *The Cure Can Be Worse than the Disease: A Cautionary Tale Regarding Instrumental Variables*, 1993 (numéro d'identification de l'objet de document : 10.3386/t0137).
5. BOUND, J., D. A. JAEGER et R. M. BAKER. « Problems with Instrumental Variables Estimation when the Correlation between the Instruments and the Endogenous Explanatory Variable is Weak », *Journal of American Statistical Association*, vol. 90, pp. 443–450, 1995.
6. CHAO, J. C. et N. R. SWANSON. « Consistent Estimation with a Large Number of Weak Instruments », *Econometrica*, vol. 73, pp. 1673–1692, 2005.
7. *Estimating Cost Effectiveness Thresholds for Canadian Provinces*, séminaire du NOAHE, question sur les VI à 48 min 20 s, NOAHE, 2018.
8. PAULDEN, M., J. O'MAHONY et C. McCABE. « Determinants of Change in the Cost-effectiveness Threshold », *Medical Decision Making*, vol. 37, pp. 264-276, 2017.
9. LOMAS, J., K. CLAXTON, S. MARTIN et M. SOARES. « Resolving the "Cost-Effective but Unaffordable" Paradox: Estimating the Health Opportunity Costs of Nonmarginal Budget Impacts », *Value Health*, 2018 (numéro d'identification de l'objet de document : 10.1016/j.jval.2017.10.006).
10. CLAXTON, K., et coll. « Methods for the estimation of the National Institute for Health and Care Excellence cost-effectiveness threshold », *Health Technology Assessment*, vol. 19, 2015.
11. AGENCE CANADIENNE DES MÉDICAMENTS ET DES TECHNOLOGIES DE LA SANTÉ (ACMTS). *Lignes directrices de l'évaluation économique des technologies de la santé au Canada*, 4<sup>e</sup> édition, ACMTS, 2017.
12. HAMPSON, G., D. MOTT, K. SHAH, et coll. *Public Preferences for Health Gains and Cures: A Discrete Choice Experiment*, Office of Health Economics, 2019.
13. BENTLEY, C., et coll. « Trade-offs, fairness, and funding for cancer drugs: key findings from a deliberative public engagement event in British Columbia, Canada », *BMC Health Services Research*, vol. 18, p. 339, 2018.
14. STAFINSKI, T. et D. MENON. « Explicating social values for resource allocation decisions on new cancer technologies: We, the jury, find: » , *Journal of Cancer Policy*, vol. 14, pp. 5-10, 2017.
15. CARMAN, K. L., et coll. « Effectiveness of public deliberation methods for gathering input on issues in healthcare: Results from a randomized trial », *Social Science and Medicine*, vol. 133, pp. 11-20, 2015.

16. VAN EXEL, J., R. BAKER, H. MASON, C. DONALDSON & W. BROUWER. « Public views on principles for health care priority setting: Findings of a European cross-country study using Q methodology », *Social Science and Medicine*, vol. 126, pp. 128-137, 2015.
17. RATCLIFFE, J., E. LANCSAR, R. WALKER et Y. GU. « Understanding what matters: An exploratory study to investigate the views of the general public for priority setting criteria in health care », *Health Policy*, vol. 121, pp. 653-662, 2017.
18. MENON, D. et T. STAFINSKI. « Engaging the public in priority-setting for health technology assessment: findings from a citizens' jury », *Health Expectations*, vol. 11, pp. 282-293, 2008.
19. PAULDEN, Mike, James F. O'MAHONY, Anthony J. CULYER et Christopher McCABE. « Some inconsistencies in NICE's consideration of social values », *Pharmacoeconomics*, vol. 32, pp. 1043-1053, 2014.
20. BUIST, S. « New cancer drugs cost more than \$10,000 each month », *The Hamilton Spectator*, 2016.
21. MARIN, A. *Une vaste injustice*, Ombudsman de l'Ontario, 2009.
22. VALLEJO-TORRES, L., B. GARCÍA-LORENZO et P. SERRANO-AGUILAR. « Estimating a cost-effectiveness threshold for the Spanish NHS », *Health Economics*, 2017 (numéro d'identification de l'objet de document : 10.1002/hec.3633).
23. EDNEY, L. C., H. HAJI ALI AFZALI, T. C. CHENG et J. KARNON. « Estimating the Reference Incremental Cost-Effectiveness Ratio for the Australian Health System », *Pharmacoeconomics*, 2017 (numéro d'identification de l'objet de document : 10.1007/s40273-017-0585-2).
24. TOWSE, A., A. COLE, B. ZAMORA, et coll. « The Debate on Indication-Based Pricing in the US and Five Major European Countries », *London: OEH Consulting*, 2018.
25. PEARSON, S. D., W. B. DREITLEIN, C. HENSHALL et A. TOWSE. « Indication-specific pricing of pharmaceuticals in the US healthcare system », *Journal of Comparative Effectiveness Research*, vol. 6, pp. 397-404, 2017.
26. INSTITUT NATIONAL D'EXCELLENCE EN SANTÉ ET EN SERVICES SOCIAUX (INESSS). *Guide de soumission d'une demande à l'INESSS*, INESSS, 2018.
27. ARROW, K. J. et R. C. LIND. « Uncertainty and the Evaluation of Public Investment Decisions », *The American Economic Review*, vol. 60, pp. 364-378, 1970.
28. PEKARSKY, B. « Trust, constraints and the counterfactual: Reframing the political economy of new drugs », *University of Adelaide*, 2012 (numéro d'identification de l'objet de document : 10.1007/978-3-319-08903-4\_3).
29. ECKERMANN, S. et B. PEKARSKY. « Can the real opportunity cost stand up: displaced services, the straw man outside the room », *Pharmacoeconomics*, vol. 32, pp. 319-325, 2014.
30. JAYASUNDARA, K., et coll. « Estimating the clinical cost of drug development for orphan versus non-orphan drugs », *Orphanet Journal of Rare Diseases*, vol. 14, p. 12, 2019.
31. BERDUD, M., M. F. DRUMMOND et A. TOWSE. « Establishing a reasonable price for an orphan drug », *OHE Research Paper*, Londres, Office of Health Economics, 2018.