INESSS
LE SAVOIR PREND FORME

Institut national d'excellence
en santé et en services sociaux

JUILLET
2018

ÉVALUATION DES MÉDICAMENTS AUX FINS D'INSCRIPTION

ÉVOLUTION DES MODALITÉS

Québec

Le contenu de ce document a été rédigé et édité par l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS).

Équipe de projet

Auteures
Marie-Claude Aubin, Ph. D.
Michelle Boulanger, B. Pharm, M. Sc.
Marie-Ève Brouard, B. A., M. A.
Marie Hotte, B. Pharm., M. Sc.

Coordination scientifique
Anne-Marie Lemieux, M. Sc

Direction
Sylvie Bouchard, B. Pharm., D.P.H., M. Sc., MBA,

Collaborateurs
Stéphane P. Ahern, M.D., M. A., FRCPC, Ph. D.
Sylviane Forget, M.D., M. Sc., FRCPC, CAGF
Bernard Keating, B. Th., M. A., Ph. D.
Luc Poirier, B. Pharm., M. Sc.

Transfert de connaissances
Renée Latulippe, M. A., coordonnatrice scientifique
Jocelyne Guillot, B. A., graphiste
Carole Saint-Père, réviseure

Déclaration d'intérêts
L'Institut ne déclare aucun conflit d'intérêts.

Dépôt légal 2018
Bibliothèque et archives nationales du Québec
Bibliothèque et archives Canada
ISBN 978-2-550-82047-5 (imprimé) 978-2-550-82048-2 (PDF)

Toute reproduction totale ou partielle du présent document est autorisée à la condition que la source soit citée.

Table des matières

Préambule 1

Introduction 4

La portée du présent document 5

Approche d'évaluation structurée par critères 6

Aspect de la loi : Valeur thérapeutique 9

Critère 1 : Identification du besoin de santé à combler chez les patients visés et appréciation de l'importance de ce besoin 9

Critère 2 : Capacité du médicament à procurer un bénéfice clinique 10

Aspects de la loi : Justesse du prix et rapport entre le coût et l'efficacité 13

Critère 3 : Efficience du médicament 13

Aspect de la loi : Conséquences de l'inscription du médicament à la liste sur la santé de la population et sur les autres composantes du système de santé et de services sociaux 15

Critère 4 : Importance des effets de la condition et du médicament sur la santé de la population 15

Critère 5 : Importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour le système 16

Critère 6 : Capacité organisationnelle du système à offrir le médicament 17

Aspect de la loi : Opportunité de l'inscription du médicament à la liste au regard de l'objet du régime général d'assurance médicaments 19

Recommandation concernant le caractère équitable et raisonnable de l'inscription 21

Conclusion 24

Références 27

Préambule

La création de l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS), en janvier 2011, consolidait un travail déjà accompli par deux organismes indépendants au Québec, qui évaluaient, d'une part, les médicaments aux fins d'inscription (Conseil du médicament), d'autre part, les technologies (Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé). Cette consolidation des savoirs en évaluation visait à doter le Québec d'une organisation de haut calibre permettant une évaluation scientifique, économique, organisationnelle, éthique et sociétale des nouvelles thérapies (médicaments ou technologies).

Le mandat d'évaluer les médicaments aux fins d'inscription sur les listes des médicaments, auparavant assumé par le Conseil du médicament, a été transféré à l'INESSS. Dans sa Loi constitutive (ci-après, Loi), l'article 7 précise cinq aspects que l'Institut doit apprécier avant de formuler une recommandation au ministre de la Santé et des Services sociaux dans le cadre de la mise à jour de la Liste des médicaments dont le coût est garanti par le régime général d'assurance médicaments (RGAM). Ce régime a été constitué en 1997, et est, tel que le stipule la Loi sur l'assurance médicaments du Québec, à caractère universel (couverture minimale obligatoire pour tous les Québécois), mixte (public et privé) et contributif (participation financière des assurés). Il a pour objet d'assurer à l'ensemble de la population du Québec un accès raisonnable et équitable aux médicaments requis par l'état de santé des personnes. À la lumière des recommandations de l'INESSS, le ministre exerce sa responsabilité de procéder ou non à l'inscription des médicaments qui ont fait l'objet d'une demande par un fabricant et de déterminer les modalités appropriées. Ses décisions donnent lieu à la mise à jour de la *Liste des médicaments* du RGAM, publiée et administrée par la Régie de l'assurance maladie du Québec. L'Institut évalue également les médicaments aux fins d'inscription à la *Liste des médicaments – Établissements,* en conformité avec la Loi sur les services de santé et les services sociaux.

En 2011, l'INESSS a fait sien le cadre méthodologique d'évaluation des médicaments aux fins d'inscription[1] élaboré par le Conseil du médicament pour réaliser ses travaux. En 2012, l'Institut s'est engagé dans un travail de révision de ce cadre d'évaluation afin de s'adapter à l'environnement scientifique changeant et à la volonté des acteurs de favoriser l'introduction de l'innovation, spécialement en oncologie. Cette démarche a mené à la révision du processus d'évaluation des médicaments en oncologie et au développement d'un modèle collaboratif entre le Comité de l'évolution des pratiques en oncologie (CEPO), anciennement de la Direction québécoise du cancer du ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS), et le Comité scientifique permanent de l'évaluation des médicaments aux fins d'inscription (CSEMI) de l'INESSS. L'INESSS avait également bonifié sa typologie des recommandations afin de proposer des avis d'inscription, des avis conditionnels (avec suivi clinique et/ou réduction du fardeau financier) et des avis de refus pour les médicaments évalués.

En 2016, la Direction du médicament de l'INESSS a entrepris une révision du cadre méthodologique d'évaluation, en collaboration avec d'autres directions de l'Institut et les membres du CSEMI. Une consultation auprès des partenaires externes, issus de l'industrie pharmaceutique ou des associations de patients et de proches aidants, a été menée. Considérant les changements importants de l'environnement lié au médicament au Québec et les attentes des partenaires, l'INESSS a poursuivi ses réflexions. Dans la foulée, d'autres directions de l'INESSS travaillaient à développer de nouveaux outils d'évaluation des thérapies innovantes tantôt non médicamenteuses, tantôt à la croisée du médicament et des nouvelles technologies.

La présente révision a pour but de mettre à jour la démarche évaluative à la lumière des développements récents en matière d'évaluation des médicaments et des nouvelles thérapies innovantes. Parmi ces développements, mentionnons les évaluations de médicaments qui ont débuté avant l'octroi d'un Avis de conformité par Santé Canada, la place grandissante des agents biologiques, des biosimilaires, des médicaments visant les maladies rares ainsi que la médecine personnalisée et la pharmacogénomique. De plus, l'INESSS souhaite informer ses partenaires ainsi que les patients, les proches aidants et les citoyens du Québec de la mise à jour de ses processus évaluatifs et délibératifs.

Ce document représente le premier jalon d'un nouveau cadre d'évaluation appelé à évoluer au cours des prochaines années. L'INESSS a décidé d'adopter une démarche itérative qui se poursuivra en consolidant les maillons de l'évaluation et de la délibération. En effet, en collaboration avec différents organismes d'évaluation ainsi que des experts internationaux, l'INESSS désire notamment intégrer de nouvelles façons de faire dans sa démarche d'évaluation. Parmi celles-ci, mentionnons l'évaluation en continu des médicaments faisant appel à des données provenant de situations cliniques réelles (*Real World Evidence*) et l'introduction d'outils intégrant davantage les perspectives des patients, des proches aidants et

1. Conseil du médicament. Le choix des médicaments assurés au Québec : une démarche responsable et transparente. Québec, Qc : Conseil du médicament; 2007.

des citoyens et permettant d'assurer l'équité dans l'évaluation de tous les médicaments. De plus, l'Institut souhaite bonifier son approche d'évaluation afin de rendre plus systématique et transparente la délibération sur chacun des aspects prévus par la Loi.

Ainsi, l'Institut poursuivra ses travaux en publiant des mises à jour et en insérant de nouveaux chapitres à ce document, lesquels seront élaborés en fonction de ce qu'il estime être les meilleures pratiques en matière d'évaluation. Cette approche séquentielle a plusieurs buts, notamment de favoriser une démarche réflexive sur ses propres mécanismes d'évaluation et leur portée, de permettre aux partenaires de s'adapter aux nouvelles pratiques d'évaluation, de contribuer à l'évolution des connaissances en lien avec les travaux des autres organismes d'évaluation d'ici et d'ailleurs et de favoriser la contribution des partenaires, dont les patients, les proches aidants et, finalement, l'ensemble des citoyens du Québec. Cette démarche de l'INESSS est également en cohérence avec les cibles définies dans la Stratégie québécoise des sciences de la vie 2017-2027 du Gouvernement du Québec.

Introduction

Les avancées pharmaceutiques ont été très importantes dans les dernières décennies et ont changé le cours de plusieurs maladies en réduisant la morbidité et le fardeau associé, ainsi que la mortalité de plusieurs d'entre elles. Plus récemment, grâce aux avancées en pharmacogénomique et à la médecine personnalisée, de nouveaux médicaments onéreux ciblant de petites populations ou des maladies rares, comme certains cancers, ont fait leur apparition.

De plus, des changements substantiels sont survenus dans l'environnement législatif et politique concernant le développement, l'évaluation et l'usage optimal des médicaments au Québec et au Canada. Parmi ces changements, mentionnons l'adoption de la Stratégie québécoise des sciences de la vie 2017-2027 du Gouvernement du Québec et l'adhésion de celui-ci à l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP). Cette adhésion permet au ministre de la Santé et des Services sociaux de négocier des ententes d'inscription confidentielles des médicaments et de réaliser des appels d'offres avec les fabricants, de concert avec les représentants des autres provinces. De plus, à la suite des demandes sociétales visant un accès plus rapide aux thérapies innovantes et prometteuses sur le marché, l'organisme d'homologation au Canada (Santé Canada) a mis en place de nouveaux mécanismes d'autorisation conditionnelle offrant un accès accéléré, en dépit d'un niveau de preuve scientifique plus faible que celui exigé au cours des dernières décennies. Encore plus récemment, un processus d'évaluation alignée entre Santé Canada et les organismes d'évaluation des technologies comme l'Agence canadienne des médicaments et des technologies en santé (ACMTS) et l'INESSS a été mis en place afin de diminuer les délais entre l'octroi de l'Avis de conformité et les recommandations d'inscription. D'autres changements pourraient découler des travaux en cours à Santé Canada, à l'ACMTS et au Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB). L'ensemble de ces éléments posent de nouveaux défis dans l'évaluation des médicaments, ce qui exige de réaliser ce mandat autrement.

Considérant que les médicaments occupent une place de plus en plus importante dans la prise en charge des patients et accaparent une part majeure du budget de la santé au Québec, tant dans les établissements de soins de santé que pour le RGAM, leur utilisation optimale est plus que jamais un défi de taille. Il s'agit de concilier l'allocation juste et responsable des ressources et la pérennité de l'accès aux soins publics au Québec. L'appréciation de la valeur réelle des médicaments est donc fondamentale. C'est ainsi que l'INESSS poursuit l'engagement commun du gouvernement et de ses organismes de conserver l'intérêt public au premier rang de ses priorités et au cœur de toutes ses activités. Enchâssées dans sa Loi constitutive, les valeurs qu'il met de l'avant dans ses travaux sont l'excellence, l'indépendance, l'ouverture, la rigueur scientifique, la transparence, la probité et l'équité.

L'objectif du présent document est de procéder à une mise à jour de la démarche d'évaluation des médicaments à l'INESSS. On y énonce les grandes orientations relatives à l'évaluation des médicaments, ainsi que les principes de base qui s'appliquent à l'ensemble des médicaments évalués, de même qu'aux autres produits qui font l'objet d'une évaluation aux fins de leur inscription aux listes des médicaments. Un des changements les plus importants est la mise en place d'une approche structurée par critères pour l'évaluation des médicaments, qui conduira à un examen plus méthodique et rigoureux des différents aspects prévus par la Loi. Ainsi, l'INESSS souhaite rendre plus explicites et transparents les différents critères pris en compte pour apprécier chacun des aspects requis par la Loi pour l'évaluation et qui mènent à l'appréciation de la valeur des médicaments et au terme, au jugement final sur le caractère raisonnable et équitable de leur inscription. Cette approche d'évaluation du médicament se veut globale; elle tient compte des résultats obtenus grâce à diverses approches scientifiques et méthodologiques (documentation scientifique, expérience et expertise des professionnels de la santé et autres experts, expérience vécue des patients ou de leurs proches aidants). De plus, l'adoption d'une telle approche permettra de mieux animer et structurer les délibérations du CSEMI, dont la composition reflète les différentes perspectives citées dans sa Loi (médecins, pharmaciens, spécialistes en économie de la santé et en méthodologie, gestionnaires, éthiciens et citoyens).

Par ailleurs, mentionnons que tout au long de sa démarche d'évaluation des médicaments, l'INESSS repère, évalue et gère les conflits d'intérêts et de rôles réels, potentiels ou apparents, qu'ils soient commerciaux, financiers, relatifs à la carrière, relationnels ou autres et qu'ils aient une portée individuelle ou institutionnelle. À cette fin, les principes de gouvernance des conflits d'intérêts énoncés dans les codes d'éthique de l'INESSS, y compris l'obligation de déclaration, s'appliquent à toutes les personnes, instances ou regroupements qui participent aux travaux d'évaluation des médicaments.

La portée du présent document

Bien que le document ait été en priorité conçu pour l'évaluation des médicaments innovateurs et pour les nouvelles indications de médicaments déjà inscrits, les principes adoptés s'appliquent également aux autres médicaments[2] qui font l'objet d'une évaluation pour inscription aux listes, en les adaptant à leur contexte particulier, tels les produits d'extension de ligne (nouvelles teneurs et nouvelles formes pharmaceutiques de médicaments déjà inscrits), les médicaments biosimilaires, les médicaments multisources (génériques ou produits de santé naturels), les agents diagnostiques, les pansements et les formules nutritives.

2. Le terme médicament utilisé dans ce document, englobe également, à des fins de simplification du texte, les produits non médicamenteux évalués et inscrits aux listes des médicaments.

Approche d'évaluation structurée par critères

L'INESSS réalise son mandat d'évaluation des médicaments sur la base des cinq aspects prévus à l'article 7 de sa Loi constitutive :

Dans l'exercice des fonctions prévues au paragraphe 8 de l'article 5, l'Institut doit en premier lieu évaluer la valeur thérapeutique d'un médicament. S'il considère que celle-ci n'est pas démontrée à sa satisfaction, il transmet un Avis au ministre à cet effet.

Si l'Institut considère que la valeur thérapeutique d'un tel médicament est démontrée, il transmet sa recommandation au ministre après avoir évalué les autres aspects suivants :

LES ASPECTS

1	2	3	4	5
La valeur thérapeutique.	La justesse du prix.	Le rapport entre le coût et l'efficacité du médicament.	Les conséquences de l'inscription du médicament à la liste sur la santé de la population et sur les autres composantes du système de santé et de services sociaux.	L'opportunité de l'inscription du médicament à la liste au regard de l'objet du régime général d'assurance médicaments[3].

Ces cinq aspects d'évaluation sont également utilisés par l'Institut dans l'exercice des fonctions prévues au paragraphe 9 de l'article 5.

3. Loi sur l'assurance médicaments, article 2 : Le régime général a pour objet d'assurer à l'ensemble de la population du Québec un accès raisonnable et équitable aux médicaments requis par l'état de santé des personnes.

L'INESSS souhaite adopter une nouvelle approche d'évaluation structurée permettant la prise en compte explicite de plusieurs critères et leur intégration en vue de la prise de décision. Cette démarche s'appuie sur différentes méthodologies formelles qui sont de plus en plus utilisées dans le domaine de la santé.

L'utilisation de cette approche exige que les aspects à considérer soient déclinés en un ensemble de critères essentiels qui traduisent les fondements de la décision à prendre. Ces critères doivent être complémentaires les uns aux autres et s'apprécier selon une même logique. Les bonnes pratiques en la matière exigent notamment que la nature de la décision à prendre soit clairement décrite, que les critères soient explicités et justifiés, que les éléments d'information et les sources de données utilisées pour apprécier chaque critère soient clairement définis et l'incertitude associée à chaque critère, et que ses sources et son ampleur soient décrites et analysées.

Afin de formuler ses recommandations, l'INESSS s'est doté de six critères permettant de prendre en compte l'ensemble des aspects prévus par la Loi :

Plus précisément, le lien entre les six critères et les cinq aspects de la Loi est le suivant :

LES CRITÈRES	LES ASPECTS DE LA LOI
1 L'identification du besoin de santé à combler chez les patients visés et l'appréciation de l'importance de ce besoin.	
2 La capacité du médicament à procurer un bénéfice clinique.	**Aspect 1 :** Valeur thérapeutique
3 L'efficience du médicament.	**Aspect 2 :** Justesse du prix **Aspect 3 :** Rapport entre le coût et l'efficacité du médicament
4 L'importance des effets de la condition et du médicament sur la santé de la population.	
5 L'importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour le système.	**Aspect 4 :** Conséquences de l'inscription du médicament à la liste sur la santé de la population et sur les autres composantes du système de santé et de services sociaux
6 La capacité organisationnelle du système à offrir le médicament.	

Les sections subséquentes du document viseront notamment à étayer ces critères.

L'évaluation, à partir de ces critères, se réalise dans un processus répondant aux exigences fondamentales d'une éthique procédurale de la justice et en accord avec les valeurs énoncées par l'INESSS. Les valeurs priorisées par les Québécois, spécialement celles énoncées par les Chartes canadienne et québécoise, sont les premières sources d'orientation éthique. L'appréciation rigoureuse des différents aspects prévus par la Loi nécessite la prise en compte des données scientifiques et expérientielles tirées de plusieurs sources, en considérant leur qualité et leur robustesse, telles que :

La qualité des données et des méthodes de consultation permet de considérer la force des allégations soumises. L'appréciation de la qualité des données se fonde sur la pertinence de l'information fournie en fonction des besoins du processus d'évaluation, en tenant compte par exemple de la population à l'étude, du stade de la maladie concernée, du devis des études et analyses sélectionnées. Elle s'intéresse également à la validité relativement aux normes scientifiques reconnues, telles que celles touchant la conception des études ou des mécanismes de consultation, et à la validité des résultats soumis, notamment en termes de concordance et d'évaluation de l'incertitude.

ASPECT DE LA LOI

Valeur thérapeutique

L'INESSS évalue la valeur thérapeutique d'un médicament selon deux critères :

- L'identification du besoin de santé à combler chez les patients visés et l'appréciation de l'importance de ce besoin;
- La capacité du médicament à procurer un bénéfice clinique.

Critère 1

Identification du besoin de santé à combler chez les patients visés et appréciation de l'importance de ce besoin

Pour identifier le besoin de santé à combler et évaluer son importance, l'INESSS se base sur des données concernant :

- l'impact de la condition;
- le niveau actuel de prise en charge du besoin de santé.

Impact de la condition

L'évolution naturelle de la maladie, la symptomatologie, les effets de la maladie sur la qualité de vie, l'autonomie fonctionnelle et l'espérance de vie du patient sont des éléments considérés pour apprécier l'effet de la condition ou de l'état de santé sur la vie quotidienne du patient.

Niveau actuel de prise en charge du besoin de santé

La capacité des traitements de prévenir la dégradation, guérir ou améliorer l'état de santé ciblé et la qualité de vie des patients permet de déterminer le niveau de prise en charge actuel du besoin. Pour ce faire, l'efficacité, l'innocuité, la tolérabilité et l'effet sur la qualité de vie des traitements offerts au Québec sont considérés.

Le besoin de santé à combler peut être de différentes natures. À titre d'exemple, il peut s'agir de prévenir l'apparition ou soulager des symptômes, prolonger la vie, atténuer les effets délétères à long terme de la condition ou les effets indésirables des traitements actuels ou offrir une option thérapeutique supplémentaire. Ce besoin peut être déjà comblé en tout ou en partie par d'autres traitements, ce qui constitue un élément fondamental de l'appréciation qui doit en être faite.

Critère 2

Capacité du médicament à procurer un bénéfice clinique

Pour évaluer la capacité du médicament à procurer un bénéfice clinique, l'INESSS se base sur des données concernant :

- l'efficacité;
- le profil d'innocuité;
- la qualité de vie;
- les caractéristiques thérapeutiques.

L'INESSS prend également en considération la visée thérapeutique et la place du médicament au sein de l'arsenal thérapeutique disponible au moment de son évaluation.

La capacité du médicament à procurer un bénéfice clinique consiste en l'appréciation de l'efficacité du traitement à l'endroit des manifestations principales et significatives du problème de santé visé, du profil d'innocuité, des autres caractéristiques du produit qui peuvent influencer l'adhésion au traitement et l'acceptabilité ainsi que du potentiel d'amélioration de la qualité de vie comparativement à ceux des traitements comparateurs.

L'efficacité

L'efficacité du médicament correspond à sa capacité à prévenir ou guérir un problème de santé ou à entraîner un changement bénéfique au regard des signes et des symptômes de la maladie. L'efficacité du médicament à l'étude est évaluée par rapport à celle d'un traitement comparateur. Des paramètres d'évaluation d'efficacité visant à identifier le bénéfice clinique pour le patient, soit la morbidité, la mortalité et la résolution de symptômes, sont privilégiés. Toutefois, des marqueurs de substitution (*surrogate markers*) peuvent être retenus lorsque la corrélation entre ces derniers et des paramètres cliniques d'intérêt est établie et bien documentée.

Le profil d'innocuité

Le profil d'innocuité, y compris les effets indésirables et la tolérabilité du médicament, est examiné parallèlement à celui d'un traitement comparateur. La gravité, la nature et la fréquence des effets indésirables sont considérées ainsi que les abandons liés à ces mêmes effets. La capacité de gestion des effets indésirables par les cliniciens et les patients est aussi prise en compte.

La qualité de vie

Un bénéfice en matière de qualité de vie correspond à la capacité du médicament à maintenir ou procurer un bien-être physique, mental et social. L'effet du médicament sur la qualité de vie (amélioration, maintien, détérioration) par rapport à celle d'un traitement comparateur

est considéré. Sa détermination est basée sur des outils de mesure validés, ainsi que sur la perception des patients.

Les caractéristiques thérapeutiques

L'INESSS prend en considération les caractéristiques thérapeutiques qui affectent l'adhésion au traitement et l'acceptabilité par rapport au traitement comparateur, comme la voie, la fréquence et le dispositif d'administration. Elles devront être appuyées par de la documentation scientifique, à moins d'une justification. Les interactions médicamenteuses significatives sont également considérées lorsque pertinentes au jugement.

QUALITÉ DES DONNÉES DE LA DOCUMENTATION SCIENTIFIQUE

L'INESSS évalue la qualité méthodologique des études soumises par le fabricant et détermine leur niveau de preuve à l'aide d'outils d'analyse reconnus (ex. : approche GRADE).

Pour chaque médicament soumis, l'INESSS s'attend à recevoir les meilleures données cliniques disponibles pour apprécier l'efficacité et l'innocuité du produit et ainsi apprécier l'équilibre entre les bénéfices et les risques. L'INESSS exige qu'au moins une étude clinique à répartition aléatoire et contrôlée, pertinente, publiée ou soumise pour publication, soit incluse dans la demande d'évaluation.

Dans des situations exceptionnelles, lorsqu'il n'est pas possible de réaliser une étude clinique contrôlée et à répartition aléatoire, d'autres types d'études de niveaux de preuves plus faibles peuvent être recevables, mais celles-ci doivent être accompagnées d'une justification. Le principe veut que les données présentées soient d'une qualité proportionnelle au potentiel de réalisation d'une étude, en tenant compte, notamment, de la prévalence de la maladie et du respect des exigences en matière d'éthique de la recherche.

L'INESSS accepte, en complément, les abrégés et les affiches en lien avec les études cliniques principales publiées.

Par ailleurs, du point de vue de l'INESSS, la détermination de la bioéquivalence ou de la biosimilarité par Santé Canada confirme la valeur thérapeutique des médicaments multisources et des médicaments biosimilaires.

CONSULTATION DES EXPERTS, DES PROFESSIONNELS DE LA SANTÉ, DES PATIENTS ET DES PROCHES AIDANTS

Les informations fournies par les experts permettent de mieux comprendre la maladie et son évolution, de documenter les trajectoires de soins, et de poser un regard critique sur les études soumises, afin de mieux en apprécier leur portée clinique.

Les données expérientielles rapportées notamment par les professionnels de la santé, les patients et les proches aidants contribuent au processus d'appréciation de la valeur thérapeutique, en permettant de documenter l'expérience clinique et vécue de l'état de santé et

des traitements. Elles permettent ainsi d'illustrer les symptômes de la maladie ou du problème de santé, les bénéfices et les risques des traitements, et de documenter les attentes ou les expériences de même que les valeurs et les préférences guidant leurs choix.

Les informations fournies par les experts et les données expérientielles des cliniciens et des patients, en tenant compte de leur représentativité, sont recueillies de différentes façons, par exemple par l'entremise de groupes de travail et dans le cadre de la démarche de consultation relative aux médicaments qui seront évalués par l'INESSS. Des données expérientielles peuvent également, selon le cas, être issues d'une revue de la documentation scientifique ou d'autres méthodes de consultation reconnues, telles que l'enquête par questionnaires standardisés, les groupes de discussion ou les entrevues semi-dirigées.

APPRÉCIATION DE LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

L'importance du besoin de santé sera jugée selon la gravité de la maladie, son évolution naturelle et l'offre de traitements, en considérant leurs bénéfices et leurs limites. Le besoin de santé peut varier de quasi inexistant à très grand.

La capacité du médicament à procurer un bénéfice clinique sera jugée selon l'ampleur des résultats en termes de gain de santé, d'innocuité, de qualité de vie ou d'autres avantages thérapeutiques procurés par le médicament évalué. L'ajout d'une option additionnelle de traitement peut être considéré comme un bénéfice.

La qualité des données soumises et le niveau d'incertitude qui les caractérise viendront teinter le jugement sur les gains observés. Par ailleurs, l'importance du besoin de santé à combler détermine la tolérance aux incertitudes liées aux données. Tous ces éléments seront mis en tension afin d'apprécier l'importance du besoin de santé et la capacité du médicament à procurer le bénéfice clinique escompté.

RECOMMANDATION CONCERNANT LA VALEUR THÉRAPEUTIQUE

L'INESSS détermine premièrement si le médicament présente une valeur thérapeutique. Si cette dernière est reconnue,

- la valeur thérapeutique est qualifiée d'**ajoutée** lorsque le médicament présente un bénéfice objectif additionnel quant à son efficacité, son profil d'innocuité, la qualité de vie des patients ou ses avantages thérapeutiques par rapport à ses traitements comparateurs. Elle pourra être jugée faible, modérée ou importante en fonction de l'ampleur des résultats et de l'incertitude associée;
- la valeur thérapeutique est qualifiée de **similaire** lorsque le médicament n'offre pas de bénéfice additionnel par rapport à ses comparateurs.

ASPECT DE LA LOI

Justesse du prix et rapport entre le coût et l'efficacité

L'évaluation de la justesse du prix et du rapport entre le coût et l'efficacité d'un médicament permet d'apprécier la somme des ressources à investir pour avoir accès aux médicaments évalués ainsi qu'à tout traitement à même visée thérapeutique, relativement aux résultats thérapeutiques escomptés. Cette évaluation permet de juger de l'efficience.

Critère 3

Efficience du médicament

Pour apprécier l'efficience du médicament évalué, l'INESSS se base sur la mise en rapport des données concernant :

- les effets cliniques (efficacité, innocuité, qualité de vie, caractéristiques thérapeutiques);
- les coûts, directs et indirects, en lien avec l'utilisation des ressources.

L'évaluation de l'efficience amène à poser un jugement sur les bénéfices attendus du médicament en fonction des coûts qu'il occasionne pour le traitement d'une personne. Elle se fonde sur une analyse pharmacoéconomique, réalisée dans la population visée par l'indication demandée et comparativement à la prise en charge thérapeutique que le médicament à l'étude pourrait modifier s'il venait à être inscrit.

En présence d'une valeur thérapeutique ajoutée, l'analyse se base généralement sur un modèle qui simule l'évolution de la maladie et les effets cliniques des traitements sur celle-ci. Les coûts pertinents en lien avec sa prise en charge, selon la perspective retenue (celle d'un système public de soins de santé et de services sociaux ou celle sociétale, principalement), sont également considérés.

En présence d'une valeur thérapeutique similaire, lorsque le produit à l'étude n'amène pas d'effets cliniques différentiels par rapport à son comparateur, l'appréciation de l'efficience est réalisée en comparant les coûts.

QUALITÉ DES DONNÉES

L'INESSS apprécie la qualité de l'analyse pharmacoéconomique soumise par le fabricant, notamment au regard des intrants, de la modélisation et de la méthodologie.

Au moins une analyse doit être incluse, dont le choix du devis repose principalement sur la qualification de la valeur thérapeutique, à savoir ajoutée (analyse coût-utilité et coût-efficacité) ou similaire (analyse de minimisation des coûts). Dans certaines situations, bien qu'elle ne soit pas privilégiée en raison de son appréciation davantage subjective, l'analyse coût-conséquences peut être pertinente.

Sur la base des meilleures données cliniques et économiques disponibles, l'INESSS définit des limites et apporte des modifications à l'analyse du fabricant afin qu'il puisse dériver ses propres résultats. Dans certaines situations, pour l'évaluation de l'efficience du traitement, il peut réaliser sa propre étude pharmacoéconomique.

CONSULTATION DES EXPERTS ET DES PROFESSIONNELS DE LA SANTÉ

Les informations fournies par les experts au sujet de la maladie et de son évolution, de la trajectoire de soins ainsi que des études soumises servent également à mieux apprécier la portée des intrants cliniques et économiques inclus dans l'analyse pharmacoéconomique.

De leur côté, les données expérientielles rapportées par les professionnels de la santé contribuent au processus d'appréciation de l'efficience en permettant de concrétiser la qualité de vie des patients en lien avec les symptômes de la maladie, les bénéfices et les risques liés aux traitements ainsi que l'utilisation des ressources pour la prise en charge de la maladie et des effets liés aux traitements.

APPRÉCIATION DE L'EFFICIENCE DU MÉDICAMENT

L'efficience du médicament sera jugée selon le résultat de l'analyse pharmacoéconomique, lequel peut être qualifié de défavorable à favorable. La qualité des données économiques et cliniques utilisées dans cette analyse, de même que l'ampleur de l'incertitude qui les caractérise, influera sur le jugement de l'efficience.

ASPECT DE LA LOI

Conséquences de l'inscription du médicament à la liste sur la santé de la population et sur les autres composantes du système de santé et de services sociaux

L'évaluation sur la santé, des conséquences de l'inscription d'un médicament à la liste, se fonde notamment sur les bénéfices et les risques de santé associés au médicament à l'échelle populationnelle, sociale ou de la santé publique. Par exemple, l'impact sur les proches aidants, sur la propagation d'une maladie et sur l'amélioration globale de la santé de la population est un élément qui peut être considéré.

L'évaluation des conséquences de l'inscription du médicament à la liste sur les autres composantes du système de santé et de services sociaux se réalise notamment par le biais d'analyses d'impact budgétaire. Elle fait appel à d'autres considérations quant à l'organisation des soins de santé et services sociaux, lorsqu'applicable.

L'INESSS évalue les conséquences de l'inscription d'un médicament à la liste sur la santé de la population et sur les autres composantes du système de santé et de services sociaux selon trois critères :

- L'importance des effets de la condition et du médicament sur la santé de la population;
- L'importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour le système;
- La capacité organisationnelle du système à offrir le médicament.

Critère 4

Importance des effets de la condition et du médicament sur la santé de la population

Pour apprécier l'importance des effets de la condition et du médicament sur la santé de la population, l'INESSS se base sur des données concernant :

- le nombre de personnes touchées;
- le fardeau de la condition pour la population;
- les bénéfices ou les risques anticipés associés au produit pour la population.

Le nombre de personnes touchées

La population touchée par la condition de santé est considérée comme un élément factuel. Elle est quantifiée à l'aide de données épidémiologiques canadiennes ou québécoises, telles que la prévalence et l'incidence. De plus, l'évolution démographique de cette population est étudiée.

Le fardeau de la condition pour la population

Dans un contexte canadien ou québécois, selon la perspective d'un système public de soins de santé et de services sociaux ou selon la perspective sociétale, les coûts occasionnés par la condition peuvent être évalués de manière qualitative ou quantitative à l'échelle populationnelle.

Les bénéfices ou les risques anticipés associés au produit pour la population

Les effets positifs ou négatifs associés à l'usage du médicament à l'échelle populationnelle peuvent être évalués selon différents facteurs : la fluctuation du nombre de personnes qui peuvent reprendre une vie active, la modification du risque de contracter une maladie transmissible, l'impact sur les proches aidants, les méfaits, les accidents ou sur les populations vulnérables ainsi que la possibilité d'un usage non optimal.

Critère 5

Importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour le système

Pour apprécier l'importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour la portion publique du RGAM et les établissements de santé, l'INESSS se base sur des données concernant :

- l'importance du marché visé;
- les produits dont l'usage sera affecté par l'inscription;
- les parts de marché;
- la mise en perspective de l'impact sur le budget.

L'évaluation de l'importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour le système amène à poser un jugement sur l'ampleur de l'effort financier requis pour le rembourser. Elle se fonde sur une analyse d'impact budgétaire pour l'indication demandée, réalisée selon la perspective de la portion publique du RGAM ou selon celle des établissements.

L'analyse d'impact budgétaire pour le système de santé prend en considération l'environnement du médicament évalué, soit l'importance du marché visé, les produits amenés à être remplacés et l'estimation des parts de marché qu'il s'appropriera au cours des premières années. Dans certaines situations, l'INESSS considère le contexte d'utilisation réelle et met en perspective l'impact budgétaire associé à l'indication demandée par rapport à d'autres ressources auxquelles on devrait renoncer. En ce qui a trait à cette mise en perspective, elle peut être effectuée autant pour le remboursement des médicaments par les établissements de santé, lesquels ont l'obligation d'atteindre l'équilibre budgétaire, que pour la portion publique du RGAM.

Critère 6

Capacité organisationnelle du système à offrir le médicament

Pour évaluer la capacité du système à offrir le médicament, l'INESSS se fonde sur des données concernant :

- les ressources humaines, matérielles, physiques ou autres;
- l'organisation du système.

Les ressources humaines, matérielles, physiques ou autres

Les répercussions associées à l'usage du médicament sur les diverses ressources du système de santé et de services sociaux sont évaluées. Il peut s'agir de l'effet sur le recours à des professionnels de la santé, de la nécessité d'acquérir ou de modifier l'utilisation d'une ressource matérielle, de la nécessité de recourir à des ressources physiques ou toutes autres ressources du système de santé telles que les tests compagnons. De plus, les informations relatives à la mise sur pied de programmes pour les patients sont considérées.

L'organisation du système

Les répercussions de l'usage du médicament sur l'organisation du système sont considérées dans l'évaluation. Les changements dans la façon de prodiguer des soins, le transfert des patients traités du milieu ambulatoire au milieu hospitalier et vice-versa ainsi que l'accessibilité du médicament ou des soins à travers le Québec en sont des exemples.

QUALITÉ DES DONNÉES

L'appréciation du critère de l'importance des effets de la condition et du médicament sur la santé de la population repose sur les meilleures données cliniques, économiques et épidémiologiques disponibles. La fiabilité de leur source et de leur méthodologie est notamment considérée.

En ce qui a trait au critère de l'importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour le système, qui repose sur une analyse d'impact budgétaire, la qualité de la modélisation ainsi que la fiabilité des intrants cliniques, économiques et épidémiologiques sont évaluées.

Concernant le critère de la capacité du système à offrir le médicament, la qualité des données organisationnelles fournies est appréciée.

CONSULTATION DES EXPERTS, DES PROFESSIONNELS DE LA SANTÉ, DES PATIENTS ET DES PROCHES AIDANTS

Les informations fournies par les experts en ce qui concerne l'épidémiologie de la maladie, des traitements actuellement administrés et de la place du médicament évalué au sein de

l'arsenal thérapeutique permettent de poser un regard critique et de valider les différents intrants considérés dans les analyses d'impact budgétaire. Ces avis permettent d'identifier et de documenter également les considérations de santé publique ainsi que celles d'organisation des soins et services.

L'expérience des patients ou de leurs proches aidants bonifie les données au sujet de l'accessibilité géographique, financière et organisationnelle. De plus, les données expérientielles permettent de mieux apprécier les répercussions de la maladie du patient dans la vie des proches aidants, tant sur le plan personnel que professionnel.

.

APRÉCIATION DE L'IMPORTANCE DES EFFETS DE LA CONDITION ET DU MÉDICAMENT SUR LA SANTÉ DE LA POPULATION, DE L'IMPORTANCE DU FARDEAU BUDGÉTAIRE ASSOCIÉ AU MÉDICAMENT ET DE LA CAPACITÉ DU SYSTÈME À OFFRIR LE MÉDICAMENT

L'importance des effets de la condition et du médicament sur la santé de la population sera jugée selon le nombre de personnes touchées par la condition, l'ampleur du fardeau de la condition et des bénéfices ou risques anticipés associés au médicament pour la population.

Quant à l'importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour le système, elle sera jugée selon l'ampleur des résultats de l'analyse d'impact budgétaire à la suite de l'inscription du médicament évalué. De plus, les résultats de l'analyse d'impact budgétaire sont appréciés dans un contexte de ressources limitées et dans une visée de pérennité des services publics.

La capacité organisationnelle du système à offrir le médicament sera jugée selon l'ampleur des répercussions associées à l'usage du médicament sur les ressources humaines, matérielles, physiques ou autres ainsi que sur l'importance de ces répercussions sur l'organisation du système.

La qualité des données soumises et le niveau d'incertitude qu'elles sous-tendent influeront sur le jugement relativement à ces trois critères

ASPECT DE LA LOI

Opportunité de l'inscription du médicament à la liste au regard de l'objet du régime général d'assurance médicaments

Cet aspect prévu par la Loi sur l'INESSS vise à intégrer l'ensemble des considérations précédentes relatives à l'évaluation d'une demande d'inscription dans un jugement synthétique, tel qu'exprimé dans l'objet du RGAM qui est « d'assurer à l'ensemble de la population du Québec un accès raisonnable et équitable aux médicaments requis par l'état de santé des personnes. À cette fin, il prévoit une protection de base à l'égard du coût de services pharmaceutiques et de médicaments et exige des personnes ou des familles qui en bénéficient une participation financière tenant compte notamment de leur situation économique. »

L'évaluation de l'opportunité de l'inscription du médicament à la liste au regard de l'objet du RGAM se fait donc sur la base de l'ensemble des considérations qu'exige le jugement sur le caractère équitable et raisonnable. Cela implique de mettre en tension l'ensemble des jugements posés sur les six critères évalués, soit :

- l'identification du besoin de santé à combler chez les patients visés et l'appréciation de l'importance de ce besoin;
- la capacité du médicament à procurer un bénéfice clinique;
- l'efficience du médicament;
- l'importance des effets de la condition et du médicament sur la santé de la population;
- l'importance du fardeau budgétaire associé au médicament pour le système;
- la capacité organisationnelle du système à offrir le médicament.

À ces considérations s'ajoutent d'autres informations qui peuvent être utiles pour mener les délibérations, telles que :

- De l'information sur les valeurs et sur les priorités sociales, tels des résultats de consultations citoyennes et de parties prenantes qui sont publiés ou qui sont mis en œuvre par l'INESSS. La qualité et la représentativité des mécanismes consultatifs sont appréciées selon les normes en la matière;
- Une recension ciblée de la documentation sur les enjeux et préoccupations éthiques ou sociaux, dont la qualité est également appréciée selon les normes méthodologiques et théoriques pertinentes;
- Les décisions d'homologation et d'inscription provenant d'autres autorités;
- Les conséquences sur les assurés du volet privé du RGAM.

L'interprétation des incertitudes et des jugements posés dans l'exercice d'évaluation des médicaments impliquent des jugements éthiques implicites et explicites. De fait, refuser l'accès à un médicament ou le limiter, tolérer des risques importants dans l'espoir de bénéfices objectivement marginaux, mais subjectivement importants, décider en dépit des incertitudes présentes, comparer les différents fardeaux de maladies entre eux, sacrifier les intérêts de petits groupes d'individus au nom du principe de maximisation des bénéfices de santé pour une population sont des situations qui impliquent des jugements éthiques et leurs résultats sont potentiellement contestables au nom même de l'éthique.

C'est dans ce contexte que l'évaluation de l'opportunité de l'inscription du médicament à la liste au regard de l'objet du RGAM nécessite une appréciation globale qui considère les aspects prévus par la Loi, les différents critères qui en découlent et les informations utiles qui sont détaillées dans le présent document. Le cas échéant, cette appréciation permettra de rendre explicites les différentes tensions, les principes de résolution de celles-ci et les priorités accordées, et de construire un argumentaire qui offrira une résolution raisonnable pour l'élaboration de la recommandation.

Recommandation concernant le caractère équitable et raisonnable de l'inscription

À la lumière de son appréciation globale, l'INESSS formule une recommandation au ministre de la Santé et des Services sociaux, concernant la *Liste des médicaments* du RGAM, la *Liste des médicaments – Établissements*, ou les deux.

Les diverses recommandations pouvant être émises par l'Institut ainsi que les contextes dans lesquels elles s'appliquent sont décrits dans le tableau qui suit. Plus précisément, l'INESSS divise ses recommandations en trois catégories : inscription, inscription avec conditions ou refus d'inscription, ce qui est concordant avec d'autres agences d'évaluation. Une simplification des libellés de recommandations était devenue nécessaire compte tenu du fait que l'inscription des médicaments peut se faire maintenant à la suite d'une entente entre le MSSS et le fabricant.

Synthèse des recommandations émises par l'INESSS au ministre de la Santé et des Services sociaux

Recommandations de l'INESSS	Applicabilité
Inscription	L'INESSS émet cette recommandation lorsqu'il considère que l'appréciation de tous les aspects de l'évaluation prévus par la Loi est favorable à l'inscription du médicament, sans restriction.
Inscription – Avec conditions	L'INESSS émet cette recommandation lorsqu'il considère que l'appréciation de tous les aspects de l'évaluation prévus par la Loi est favorable à l'inscription du médicament seulement si certaines conditions sont respectées. **CONDITIONS POSSIBLES :** Médicament d'exception Cette condition est proposée par l'INESSS lorsqu'il considère que l'appréciation de tous les aspects de l'évaluation prévus par la Loi est favorable à l'inscription du médicament selon des critères d'utilisation spécifiques. Une indication reconnue pour le paiement ou des critères d'utilisation du médicament sont alors proposés. Réalisation d'un suivi Cette condition est proposée par l'INESSS dans les situations suivantes : • lorsqu'il considère qu'il existe une valeur thérapeutique escomptée pour le médicament, mais que des données cliniques additionnelles sont requises afin de procéder à une réévaluation (suivi clinique); • lorsqu'il considère que le médicament présente un risque d'usage non optimal et que le suivi de données en situation réelle est requis afin de procéder à une réévaluation (suivi d'usage optimal). Atténuation du fardeau économique Cette condition est proposée par l'INESSS dans les situations suivantes : • lorsqu'il considère que le rapport entre le coût et l'efficacité du médicament est défavorable (non efficient); ou • lorsqu'il n'est pas en mesure d'évaluer le rapport entre le coût et l'efficacité du médicament (efficience non estimable); ou • lorsqu'il considère que l'inscription du médicament générerait un impact budgétaire défavorable qui pourrait avoir des conséquences sur le système de santé.

Recommandations de l'INESSS	Applicabilité
Refus d'inscription	L'INESSS émet cette recommandation dans les situations suivantes : • lorsqu'il considère que la valeur thérapeutique du médicament n'est pas démontrée; • lorsqu'il considère notamment que l'importance du besoin de santé pour le patient est quasi inexistante, que le niveau d'incertitude associé à l'efficience du médicament est trop important et, lorsqu'applicable, qu'il n'est pas opportun de procéder à la négociation d'une entente d'inscription pour ce médicament.
Autres recommandations	
Dans le cadre de ses travaux, l'INESSS peut procéder à la réévaluation de l'inscription d'un médicament, qu'il soit inscrit sur la Liste des médicaments du RGAM ou sur la *Liste des médicaments – Établissements*. Il pourrait ainsi recommander de modifier ou non l'inscription du médicament. Les possibilités suivantes pourraient alors s'appliquer : modifier/ne pas modifier une indication reconnue, maintenir/retirer/transférer l'inscription, exempter/ne pas exempter de l'application de la méthode du prix le plus bas ou non.	

Conclusion

Le présent document se veut une première étape dans la mise à jour de la démarche d'évaluation des médicaments aux fins d'inscription de l'INESSS. Ces travaux s'inscrivent en complémentarité avec ceux effectués par les autres directions de l'Institut en matière de thérapies innovantes et se poursuivront considérant les bouleversements scientifiques, économiques et réglementaires en cours.

Au cœur de ce premier exercice, l'INESSS met en place une approche structurée par critères pour l'évaluation des médicaments aux fins d'inscription, laquelle sera modulée et bonifiée dans une démarche multicritère qui se veut réflexive. L'Institut et les membres du CSEMI souhaitent renforcer la qualité de la démarche analytique et évaluative des médicaments, dans un souci de transparence, de justice et d'équité. Il importe que l'INESSS soit en mesure de transmettre au ministre de la Santé et des Services sociaux des recommandations dont les motifs et les considérations, qui sont rendus publics, soient bien explicités et compréhensibles pour l'ensemble des parties prenantes. Cette communication est essentielle pour témoigner des efforts consentis pour atteindre l'objectif fixé par la Loi, soit assurer un accès raisonnable et équitable aux médicaments requis par l'état de santé des personnes.

Plusieurs initiatives seront amorcées ou poursuivies au cours des prochains mois afin de consolider, au final, un Cadre institutionnel d'évaluation des technologies et des modes d'intervention aux fins d'une couverture publique au Québec. Ce cadre permettra de répondre aux exigences de la Stratégie québécoise des sciences de la vie 2017-2027 ainsi qu'aux plus hauts standards en matière d'évaluation des technologies.

L'implantation et l'optimisation de l'approche d'évaluation par critères seront poursuivies afin de rendre systématique la délibération sur chacun des aspects prévus par la Loi et d'assurer la cohérence des différentes recommandations. Ces efforts correspondent aux orientations de l'Institut en matière d'équité et de justice. Jusqu'à maintenant, la démarche de l'INESSS s'appuyait sur une approche par argumentaires, visant à comparer, au cas par cas, les maladies au fardeau de morbidité et de mortalité équivalent et à préserver, autant que faire se peut, la cohérence avec les décisions antérieures. L'approche multicritère permettra de cerner de plus près les différences entre les évaluations, de mieux comparer les diverses situations, et ce, en fonction des critères retenus. Elle contribuera donc à l'équité, qui est depuis toujours une préoccupation d'importance. L'Institut travaillera à développer de meilleurs outils pour intégrer les éléments découlant de l'ensemble des critères évalués et de bien expliciter les arguments et considérations retenus en vue de transmettre une recommandation transparente qui puisse être qualifiée de juste, raisonnable et équitable aux différents paliers de décisions ainsi qu'aux parties prenantes.

Parmi les réflexions à entreprendre, une portera sur le développement de nouveaux outils d'inclusion et d'interprétation des données issues de situations cliniques réelles (*Real World Evidence*) dans l'évaluation des thérapies et la réévaluation ponctuelle des gains réels à la suite de leur remboursement.

L'introduction d'outils intégrant davantage les perspectives des patients, des proches aidants et des citoyens dans le processus d'évaluation est aussi prévue. L'INESSS souhaite bonifier son appréciation de la valeur thérapeutique ou de la valeur ajoutée à la lumière du vécu des patients et de leurs proches relativement à la maladie. Cette démarche vise à bonifier

certaines informations colligées lors des essais cliniques. Elle vise aussi à mieux comprendre l'expérience de la maladie du patient, ses attentes quant à la thérapie innovante, et ses craintes. L'Institut est bien conscient que ce sont deux paradigmes qui se confrontent, soit celui de l'évaluation fondée sur les données probantes, propre à la méthodologie scientifique des études à répartition aléatoire et contrôlée, et celui d'une approche expérientielle qu'on retrouve dans la recherche qualitative. L'Institut désire également parfaire la prise en compte de la délibération citoyenne, et ce, particulièrement pour les thérapies innovantes aux frontières de la médecine de demain, quant à l'impact sur les représentations sociétales de la santé, de la maladie ou de la mort, mais aussi sur cet équilibre difficile entre l'intérêt du patient individuel et les besoins de santé collectifs.

Santé Canada a mis en place de nouveaux mécanismes d'autorisation permettant un accès plus rapide à de nouvelles thérapies. L'Institut désire développer de meilleurs outils pour évaluer et gérer les incertitudes liées à l'évaluation précoce des thérapies innovantes, dont la valeur escomptée sur la santé est jugée élevée. Les répercussions de leur accès rapide exigent un examen approfondi. De nouvelles modalités d'introduction de ces thérapies dans le RGAM devront être explorées afin de permettre un partage des risques financiers liés à ces incertitudes et une prise en charge responsable des risques en matière d'innocuité. Les avis de conformité conditionnels octroyés par Santé Canada depuis 1991 ouvrent la porte à ces nouvelles modalités en intégrant, dès l'accès, l'obligation de réévaluer les impacts, notamment par l'appréciation des données issues du monde réel. Qui plus est, la commercialisation de produits combinant les technologies pharmacologiques et non pharmacologiques exige une vision plus systémique de leur introduction.

Dans un environnement scientifique et social changeant, l'INESSS considère qu'il est crucial de s'engager dans une démarche continue d'amélioration de la qualité de ses processus évaluatifs et délibératifs. En plus de renforcer ses collaborations au sein même de l'organisation, l'INESSS souhaite adopter une approche contributive et ouverte auprès de ses partenaires, afin d'entendre leurs préoccupations en lien avec ces nouveaux outils ou approches d'évaluation. Engagé dans la réalisation de son mandat ainsi que dans l'atteinte des cibles énoncées dans la Stratégie québécoise des sciences de la vie 2017-2027, l'INESSS présente cette mise à jour de la démarche d'évaluation des médicaments aux fins d'inscription avec un grand enthousiasme et considère qu'il s'agit là d'une avancée majeure pour les patients, les proches aidants et les citoyens du Québec.

Références

Les sites Web cités ont tous été consultés le 25 juillet 2018.

Conseil du médicament. Le choix des médicaments assurés au Québec : une démarche responsable et transparente. Québec, Qc : Conseil du médicament; 2007. Disponible à : https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/DocuAdmin/Choix-medicaments-evaluation.pdf.

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Règles de fonctionnement du Comité scientifique de l'évaluation de médicaments aux fins d'inscription. Québec, Qc : INESSS; 2018. Disponible à : http://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/DocuAdmin/Comites_scientifiques/Regles-CSEMI.pdf.

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Évaluation des médicaments biosimilaires [site Web]. Québec, Qc : INESSS; 2018. Disponible à : http://www.inesss.qc.ca/index.php?id=1002.

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Faire un commentaire sur un médicament [site Web]. Québec, Qc : INESSS; 2018. Disponible à : http://www.inesss.qc.ca/index.php?id=639.

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Information générale – Répertoire des procédures de biologie médicale [site Web]. Québec, Qc : INESSS; 2018. Disponible à : http://www.inesss.qc.ca/activites/procedures-de-biologie-medicale/information-generale.html.

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Code d'éthique applicable aux collaborateurs externes de l'INESSS. Québec, Qc : INESSS; 2016. Disponible à : https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/DocuAdmin/Lois_Politiques/INESSS-Code-collaborateurs-externes.pdf.

Ministère de l'Économie, de la Science et de l'Innovation (MESI). Stratégie québécoise des sciences de la vie 2017-2027 : l'innovation prend vie. Québec, Qc : MESI; 2017. Disponible à : https://www.economie.gouv.qc.ca/fileadmin/contenu/publications/administratives/strategies/sciences_vie/strategie_sciences_vie.pdf.

Lois du Québec

Loi sur l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (chapitre I-13.03). Disponible à : http://legisquebec.gouv.qc.ca/fr/ShowDoc/cs/I-13.03.

Loi sur l'assurance médicaments (chapitre A-29.01). Disponible à : http://legisquebec.gouv.qc.ca/fr/ShowDoc/cs/A-29.01.

Loi sur les services de santé et les services sociaux (chapitre S-4.2). Disponible à : http://legisquebec.gouv.qc.ca/fr/showdoc/cs/S-4.2.

Québec
2535, boulevard Laurier, 5e étage
Québec (Québec) G1V 4M3
Téléphone : 418 643-1339
Télécopieur : 418 646-8349

Montréal
2021, avenue Union, 12e étage, bureau 1200
Montréal (Québec) H3A 2S9
Téléphone : 514 873-2563
Télécopieur : 514 873-1369

inesss@inesss.qc.ca
inesss.qc.ca

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux
Québec