

La liste des produits dérivés du plasma de la Société canadienne du sang : un modèle susceptible d'éclairer divers aspects d'un régime national d'assurance médicaments

Rapport au Conseil consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance médicaments

28 septembre 2018

Graham D. Sher, chef de la direction, Société canadienne du sang

Rapport au Comité consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance médicaments

Société canadienne du sang

La Société canadienne du sang est un organisme de bienfaisance sans but lucratif qui a ouvert ses portes en septembre 1998 à la suite de la signature d'un protocole d'entente entre les gouvernements fédéral, provinciaux et territoriaux. Le financement de ses activités provient principalement des gouvernements provinciaux et territoriaux.

Le présent document fait suite au rapport que nous avons présenté au Comité permanent sur la santé le 2 mai 2016, au moment où cette entité étudiait l'élaboration d'un programme national d'assurance médicaments.

Ce que nous faisons

La Société canadienne du sang est la chaîne de vie du Canada. Nous sommes le lien entre la sincère générosité des donateurs et la profonde reconnaissance des receveurs. À ce titre, nous menons une vaste gamme d'activités partout au pays dans les quatre grands domaines suivants :

- **Sang** : Nous sommes l'autorité nationale en matière d'approvisionnement en sang et le fournisseur de sang dans toutes les provinces et tous les territoires du Canada, à l'exception du Québec. Nous prélevons du sang, puis nous l'analysons et l'utilisons pour préparer divers produits sanguins, notamment des globules rouges, des plaquettes et du plasma, que nous distribuons aux hôpitaux. Nous collaborons avec les gouvernements provinciaux et territoriaux pour répondre aux besoins des patients à la grandeur du pays. Nous offrons également des services d'analyse diagnostique en laboratoire dans certaines provinces.
- **Plasma** : Nous recueillons du plasma auprès de donateurs canadiens volontaires non rémunérés. Nous conservons une partie de ce plasma pour répondre aux besoins transfusionnels des Canadiens, mais la plus grande quantité est expédiée à des sous-traitants qui utilisent un procédé appelé fractionnement pour fabriquer des médicaments dérivés du plasma. De plus, nous achetons en gros et distribuons des produits thérapeutiques biologiques approuvés par Santé Canada. Ces médicaments, dits protéines plasmatiques, sont obtenus par fractionnement de plasma humain ou fabriqués synthétiquement au moyen de la technique de l'ADN recombinant.
- **Cellules souches** : Nous exploitons un programme de cellules souches pour aider les patients qui vivent avec l'une des quelque 80 maladies pouvant être traitées grâce à des greffes de cellules souches. Nous prélevons du sang de cordon ombilical pour préparer des unités de cellules souches que nous entreposons dans notre banque de sang de cordon. Nous tenons un registre national fiable de donateurs potentiels de cellules souches adultes et faisons partie d'un réseau international de registres de donateurs. Nous fournissons des services de typage des antigènes leucocytaires humains (HLA) pour assurer la meilleure compatibilité possible entre les personnes qui souhaitent donner des cellules souches et celles qui en ont besoin.
- **Organes et tissus** : Nous gérons un registre national de transplantation qui facilite l'échange d'organes entre les provinces ainsi que des programmes connexes de don et de transplantation d'organes. Nous travaillons avec la communauté du don et de la greffe d'organes et de tissus pour définir et diffuser de bonnes pratiques, fournir des ressources éducatives et trouver de nouvelles façons de partager les données sur le rendement du système canadien de don et de greffe d'organes et de tissus.

Rapport au Comité consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance médicaments

Pour appuyer ces activités et les progrès dans le domaine de la médecine et de la science transfusionnelle et transplantatoire au Canada et dans le monde, la Société canadienne du sang mène une vaste gamme d'activités de recherche-développement, en plus de participer aux recherches menées par d'autres organismes. Cela permet de mettre en pratique les nouvelles procédures, connaissances et technologies dans le milieu de fabrication. Nos travaux de recherche-développement appuient également la résolution des problèmes dans la chaîne d'approvisionnement en sang, ce qui favorise l'amélioration de sa qualité et de son efficacité. Outre l'appui des activités de formation des professionnels et de sensibilisation du public en ce qui concerne la transfusion et la transplantation, nous échangeons nos connaissances et notre expertise avec nos partenaires des systèmes de santé, les différentes parties intéressées et nos bailleurs de fonds.

Nous avons une relation unique avec Héma-Québec, l'organisme du Québec qui fournit du sang et des produits sanguins aux patients de cette province et qui gère le registre provincial de donneurs de cellules souches. Nos deux organisations travaillent en étroite collaboration. Nous partageons des produits sanguins en cas de besoin et échangeons régulièrement des informations, des connaissances et des données.

Liste nationale de protéines plasmatiques

La Société canadienne du sang est le seul fabricant national de produits biologiques financé par les provinces et les territoires du Canada. Nous gérons une liste nationale d'environ 45 marques de protéines plasmatiques et de substituts synthétiques. Nous stockons ces produits et les distribuons aux hôpitaux et cliniques de tout le Canada grâce à notre réseau de distribution déjà approuvé et financé en vertu de nos responsabilités de fournisseur national de sang.

Les protéines plasmatiques servent à soigner les gens qui souffrent de divers déficits immunitaires héréditaires ou acquis, y compris ceux qui ont besoin d'un traitement à vie. On les prescrit pour traiter l'hémophilie et d'autres troubles de saignement; les déficits immunitaires primaires et secondaires, dont certaines maladies neurologiques, les brûlures graves et les traumatismes; des troubles liés aux carences congénitales en protéines et bien d'autres maladies. Dans certains cas, ces médicaments sont des traitements vitaux pour lesquels il n'existe aucun produit de remplacement. Bien que beaucoup de ces produits soient administrés à l'hôpital, certains se présentent de plus en plus sous forme de préparation que l'on peut donner à la maison par injection sous-cutanée.

Notre programme de protéines plasmatiques a une valeur annuelle d'environ 750 millions de dollars. Il s'appuie sur le pouvoir d'achat combiné des budgets de la santé provinciaux et territoriaux pour offrir des produits sanguins financés par des fonds publics aux patients, sans coût direct pour eux. Même si nous offrons une vaste gamme de produits, notre liste de médicaments est une liste gérée et non ouverte. Lorsque nous la modifions, nous passons par un processus de sélection de produits et lançons des appels d'offres publics.

Principes fondamentaux du système du sang

La gestion du système d'approvisionnement en sang, dont les protéines plasmatiques, est régie par un cadre stratégique axé sur les besoins des patients et la durabilité. Ce cadre est défini par les principes énoncés dans le protocole d'entente signé en 1997 au moment de la création de la Société canadienne du sang, lequel est toujours en vigueur aujourd'hui. Les principes et recommandations du rapport Krever,

Rapport au Comité consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance médicaments

qui a été publié la même année par la Commission d'enquête sur l'approvisionnement en sang au Canada, servent encore de référence à la Société canadienne du sang à ce jour.

Ce cadre exige que nous trouvions un équilibre entre les coûts, les avantages et les risques lorsque nous devons prendre des décisions. Il désigne la Société canadienne du sang comme autorité nationale en matière de sang dans toutes les provinces et tous les territoires du Canada, à l'exception du Québec, et commande la « gratuité du sang, des constituants sanguins et des fractions plasmatiques pour les destinataires, dans le cadre des services de santé assurés au Canada ». De la même façon, la commission Krever a recommandé que les Canadiens et les Canadiennes aient un accès gratuit et universel aux composants et aux produits sanguins, que ce soit à l'hôpital ou ailleurs, dans un système public national. Guidée par ces recommandations et par d'autres principes propres à un système de gestion du sang, la Société canadienne du sang gère sa liste de médicaments en s'efforçant de trouver un juste équilibre entre un accès équitable pour tous, le choix et l'innovation des produits et des prix très concurrentiels.

Choix des produits

L'inclusion de produits dans notre liste passe par un processus de sélection et des appels d'offres. Lorsque nous envisageons l'ajout d'un produit en tant que nouvelle catégorie, celui-ci doit faire l'objet d'une évaluation médicale et scientifique approfondie par des spécialistes du système du sang. Il est également soumis à une analyse pharmacoéconomique de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé. Suivant cette étape, nous faisons une recommandation aux ministères de la Santé provinciaux et territoriaux, qui doivent approuver l'ajout de la nouvelle catégorie avant que la Société canadienne du sang puisse distribuer le produit.

Le choix d'une nouvelle marque de produit dans une catégorie approuvée revient à la Société canadienne du sang. Tous les nouveaux produits doivent faire l'objet d'un appel d'offres public. Il arrive qu'un appel d'offres donne lieu au retrait d'un produit de la liste. Le cas échéant, la Société canadienne du sang peut se procurer les produits retirés pour certains patients qui ne tolèrent pas d'autres médicaments existants ou nouveaux. Ces situations sont évaluées au cas par cas. Ce mécanisme permet aux patients dont le besoin médical est clairement défini d'avoir accès à des produits d'une marque précise, peu importe les choix que nous faisons durant les cycles d'approvisionnement.

Dans le cadre de notre pratique, nous entretenons des relations avec les principaux acteurs du processus d'introduction de nouveaux produits (patients, médecins, fournisseurs) afin de mieux comprendre leur partie du processus, notamment les préférences des médecins et des patients, et de maximiser l'accès, l'efficacité et le choix de produits. Nos processus d'approvisionnement permettent aux groupes de patients et aux médecins prescripteurs de participer à la prise de décisions, bien que les décisions finales à l'issue des appels d'offres reviennent à la Société canadienne du sang. Nous nous efforçons d'offrir un choix raisonnable de produits dans notre liste de médicaments. Lorsque nos décisions entraînent le retrait d'un produit de la liste et, par conséquent, la nécessité pour certains patients de passer à une nouvelle marque de produit, nous collaborons avec les parties prenantes pour favoriser une transition efficace et sans danger.

En définitive, notre but est de répondre aux besoins des patients et des médecins tout en travaillant de concert avec nos bailleurs de fonds provinciaux et territoriaux pour maintenir la viabilité financière de la liste.

Rapport au Comité consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance médicaments

Notre valeur ajoutée

Étant donné que nous offrons un modèle public typiquement canadien fondé sur des principes, nous sommes d'avis que certains aspects de notre expérience en ce qui a trait aux protéines plasmatiques pourraient alimenter les discussions sur un programme national d'assurance médicaments. Nous reconnaissons que notre modèle ne peut régler tous les problèmes liés à l'assurance médicaments, mais nous croyons que nos stratégies en matière d'équité, d'accès, de choix de produits et de rentabilité méritent d'être prises en considération, tout comme notre engagement continu à améliorer les résultats pour les patients.

Nous estimons apporter une valeur ajoutée dans les domaines suivants :

- **Un modèle offrant un accès équitable partout au pays, sans coût direct pour le patient, et utilisant les investissements publics existants comme effet de levier** : Une fois qu'une protéine plasmatique est ajoutée à notre portefeuille, elle est disponible pour les patients et les professionnels de la santé dans toutes les provinces et tous les territoires que nous desservons, lesquels établissent leurs propres conditions d'accès. Cette pratique résulte de l'application des principes régissant le système de gestion du sang et elle est conforme aux principes d'accès universel de la *Loi canadienne sur la santé*.

Nous utilisons la logistique et les infrastructures de notre réseau de distribution du sang pour distribuer les protéines plasmatiques à tous les hôpitaux, qu'ils soient en milieu urbain, en milieu rural ou en région éloignée. Notre système n'est pas seulement matériel, il fait appel au savoir-faire en matière de gestion de processus et de validation exigé de tout fabricant de produits biologiques réglementé par Santé Canada. Nous avons d'excellents processus en ce qui a trait à l'achat, l'assurance qualité, le stockage, la distribution et la surveillance des produits.

- **Un approvisionnement sûr et diversifié** : Dans bien des cas, nous proposons plusieurs marques d'une même catégorie de produits pour assurer la sécurité de l'approvisionnement et favoriser des prix plus concurrentiels. Nous achetons aussi de petites quantités de produits différents, et nous négocions une garantie d'approvisionnement afin de réduire les risques de pénurie. À part quelques exceptions, notre approche a contribué à créer un marché concurrentiel et à garantir un approvisionnement sûr et diversifié en protéines plasmatiques et en substituts synthétiques. Par ailleurs, la Société canadienne du sang soumet ses nouveaux fournisseurs à une procédure de qualification indépendante, puis à des vérifications régulières. Ces mesures renforcent la vigilance et la sûreté des produits. Nos fournisseurs sont tenus, par contrat, de nous informer tôt de toute rupture d'approvisionnement et de tout problème de qualité, puis de nous tenir au courant de l'évolution de la situation. Ainsi, lorsqu'un fournisseur éprouve des difficultés pour commercialiser un produit ou nous approvisionner, nous pouvons agir rapidement pour réduire le risque de pénurie.
- **Une approche collaborative et évolutive fondée sur des données probantes** : Comme nous l'avons mentionné précédemment, l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé réalise une analyse pharmacoéconomique lorsque l'ajout de nouvelles catégories de médicaments est envisagé dans le cadre de notre processus de sélection de produits. Cette collaboration, qui constitue un facteur important de notre processus d'approvisionnement, nous assure que les produits ajoutés à notre liste de médicaments sont appropriés. Soucieux d'optimiser l'utilisation des produits, nous collaborons avec des médecins, des groupes de patients et les

Rapport au Comité consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance médicaments

gouvernements provinciaux et territoriaux afin d'élaborer des lignes directrices de pratique clinique et de promouvoir une utilisation optimale.

Notre modèle permet aux provinces et aux territoires d'établir leurs propres conditions d'accès aux produits et d'en assurer la gestion ou de la confier aux hôpitaux, selon ce qu'ils jugent approprié. Il peut également arriver que la Société canadienne du sang définisse des critères pour l'ensemble des provinces et des territoires en collaboration avec des groupes de médecins nationaux affiliés au système d'approvisionnement en sang.

- **Le savoir-faire d'un système de gestion du sang qui favorise de meilleurs soins médicaux :** Nos agents de liaison maintiennent des liens étroits avec les hôpitaux, les centres de traitement et les médecins prescripteurs pour gérer et régler tout problème technique concernant l'approvisionnement, le choix de produits ou le suivi des effets indésirables. Et lorsqu'un médecin a un cas pour lequel il souhaite avoir l'avis d'un autre spécialiste, nos directeurs médicaux peuvent l'aider.
- **Des prix très concurrentiels pour des produits biologiques coûteux :** Par l'intermédiaire d'un processus d'appel d'offres public tirant parti du pouvoir d'achat combiné des gouvernements provinciaux et territoriaux, nous avons lancé des demandes de propositions pour acheter des protéines plasmatiques. De 2013-2014 à 2017-2018, nos contrats nous ont permis de réaliser des réductions et évitements de coûts d'environ 600 millions de dollars sur des dépenses totales d'environ 3 milliards de dollars. Entre 2018-2019 et 2020-2021, grâce à notre nouvelle série d'appels d'offres, nous prévoyons réduire et éviter des coûts supplémentaires de l'ordre de 455 millions sur des dépenses totales estimées à environ 2 milliards pour la durée de ces contrats. De façon cumulative, cela représente des économies et des évitements de coûts de plus de 1 milliard de dollars pour les budgets des systèmes de santé sur une période de huit ans. Au cours des dernières années, pour certaines grandes catégories de produits, nous avons fait baisser les prix à des taux inférieurs à ceux de 2009, ce qui témoigne de notre engagement à utiliser les deniers publics de façon judicieuse.

Gestion de l'utilisation des produits dans un contexte pancanadien

Bien que l'utilisation des protéines plasmatiques soit du ressort des médecins prescripteurs et hors du contrôle direct de la Société canadienne du sang, nous collaborons avec les gouvernements provinciaux et territoriaux pour établir des pratiques favorisant l'accès des patients à ces produits. Cependant, nous prenons en considération la viabilité à long terme de la liste de médicaments. Nous reconnaissons qu'il peut être difficile de trouver un juste équilibre entre ces deux impératifs, mais nous avons à cœur les discussions en cours qui seront profitables aussi bien aux patients qu'aux systèmes de santé.

C'est dans ce contexte que nous travaillons avec les systèmes de santé provinciaux et territoriaux afin de mobiliser les programmes externes et de prendre des initiatives internes visant à comprendre et à gérer l'utilisation des produits tout en continuant de répondre aux besoins des patients et des médecins. Cela représente un défi de taille qui comporte de multiples facettes dont l'une est l'accès à des données cohérentes sur la façon dont on utilise les produits à domicile, à l'hôpital ou dans d'autres centres de soins. Meilleures sont les données, plus les avantages sont grands. On peut notamment mieux évaluer le coût total d'un médicament pour un système de santé par rapport au coût d'achat considéré seul.

Rapport au Comité consultatif sur la mise en œuvre d'un régime national d'assurance médicaments

Travailler en tandem avec des provinces ou territoires qui ont différents modèles de gestion des produits peut également s'avérer complexe. Par exemple, certaines provinces peuvent avoir des lignes directrices très rigoureuses concernant l'utilisation de certains produits tandis que d'autres favorisent des relations plus étroites avec les médecins prescripteurs.

Nous croyons qu'une approche coordonnée et efficace pour gérer la hausse de l'utilisation des produits compte tenu d'un système à payeur unique serait plus réalisable si les conditions suivantes étaient réunies :

- les rôles et la participation de l'administration fédérale, provinciale et territoriale sont clairement définis et toutes les parties y adhèrent;
- l'accès à des données cohérentes sur la façon dont les produits sont utilisés est un élément essentiel du programme;
- la participation des patients et des médecins à la prise de décisions concernant la liste de médicaments est préservée comme il se doit.

Conformément à son modèle de financement, la Société canadienne du sang fournit des protéines plasmatiques aux hôpitaux sans qu'ils aient à déboursier des coûts directs. Cela signifie que nous sommes l'entité qui est remboursée par les ministères de la Santé provinciaux et territoriaux pour l'utilisation de ces produits par les hôpitaux. Ce modèle comporte ses qualités et ses défauts, mais il existe d'autres modèles de remboursement qui pourraient s'avérer utiles dans le contexte d'un régime national d'assurance médicaments, surtout en ce qui a trait à la gestion de l'utilisation des produits. Par exemple, des programmes d'utilisation pancanadiens pourraient en bénéficier si le point de remboursement des médicaments achetés en gros était le centre de soins, c'est-à-dire l'entité qui utilise les médicaments plutôt que celle qui les achète.

Conclusion

La liste de médicaments de la Société canadienne du sang est centrée sur les protéines plasmatiques, soit une seule catégorie de produits. Nous croyons toutefois que notre expérience vaut la peine qu'on s'y intéresse parce qu'elle offre des exemples canadiens concrets de certains des grands avantages d'un programme d'assurance médicaments. Parmi ces avantages figurent l'achat en gros de médicaments, la logistique d'un réseau national, la participation de groupes cliniques et de groupes de patients à la prise de décisions, une plate-forme permettant de trouver un équilibre entre le choix des produits, l'accès et l'optimisation des coûts et un degré élevé d'équité pour les patients à la grandeur du pays.

Grâce à une gestion prudente et à de solides partenariats, nos pratiques relatives à la chaîne d'approvisionnement et aux achats ont créé de la valeur à long terme tant pour les systèmes de santé que pour les Canadiens qui dépendent des médicaments que nous distribuons. Notre modèle soulève également des questions intéressantes. Par exemple, quelle est la meilleure façon de gérer l'utilisation des produits dans un contexte pancanadien tout en répondant aux besoins des patients et des médecins?

Au fil de l'évolution de notre programme public fondé sur des principes, nous continuerons de miser sur ses succès et de chercher des solutions aux défis qu'il présente en faisant appel à l'innovation et à la collaboration. Si le Comité désire en savoir plus sur notre expérience, nous serons heureux de répondre à ses questions.