



Conseil d'examen  
du prix des médicaments  
brevetés

Patented  
Medicine Prices  
Review Board

# sniump



## Lignes directrices portant sur l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments : Évaluation des besoins

**sniump**  
Série d'études analytiques

Système national d'information  
sur l'utilisation des médicaments  
prescrits

Canada

This report is also available in English under the title  
"Budget Impact Analysis Guidelines: Needs Assessment"

Pour obtenir un exemplaire du rapport, veuillez vous adresser au :

Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés  
Centre Standard Life  
B.P. L40  
333, avenue Laurier ouest  
Bureau 1400  
Ottawa (Ontario)  
K1P 1C1

Tél. : 1-877-861-2350  
(613) 952-7360  
Facsimilé : (613) 952-7626  
ATME : (613) 957-4373

Courriel : [pmprb@pmprb-cepmb.gc.ca](mailto:pmprb@pmprb-cepmb.gc.ca)

Vous trouverez également la présente publication sur notre site Web à l'adresse  
<http://www.pmprb-cepmb.gc.ca>

Lignes directrices portant sur la préparation de l'analyse de l'incidence du prix d'un médicament  
sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments : Évaluation des besoins  
ISBN : 0-662-69337-X N° de catalogue : H82-2/2005

---

## Remerciements

Le présent rapport a été préparé par le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) au titre du Système national d'information sur l'utilisation des médicaments prescrits (SNIUMP).

Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés profite de la présente pour remercier les différents membres du Comité directeur du SNIUMP pour leur contribution inestimable à la préparation du présent rapport. Ces membres sont :

### **Colleen Janes\***

Directrice  
Services pharmaceutiques  
Gouvernement de Terre-Neuve et Labrador  
Ministère de la Santé et des Services  
communautaires

### **Patrick Crawford**

Expert-conseil en services pharmaceutiques  
Acute and Continuing Care  
Ministère de la Santé et des services sociaux  
de l'Île-du-Prince-Édouard

### **John Hoar\***

Économiste en services pharmaceutiques  
Services pharmaceutiques  
Ministère de la Santé de la Nouvelle-Écosse

### **James Ayles**

Expert-conseil en information sur la santé  
Régime d'assurance-maladie/Programme des  
médicaments d'ordonnance  
Ministère de la Santé et du bien-être du  
Nouveau-Brunswick

### **Brent Fraser\***

Directeur adjoint intérimaire  
Section de coordination des services  
pharmaceutiques  
Ministère de la Santé et des Soins de longue  
durée de l'Ontario

### **Deborah Malazdrewicz**

Gestionnaire  
Services d'aide à la décision  
Gestion de l'information relative à la santé  
Politique de responsabilité en santé  
et Planification  
Ministère de la Santé du Manitoba

### **Kevin Wilson**

Président du Comité directeur du SNIUMP  
et directeur exécutif  
Direction générale du régime d'assurance-  
médicaments et prestations complémentaires  
Ministère de la Santé de la Saskatchewan

### **Marilyn Thornton**

Directrice adjointe  
Direction générale de la politique  
pharmaceutique et des programmes  
Ministère de la Santé et du bien-être  
de l'Alberta

### **Brett Wilmer**

Économiste principal  
Pharmacare, Politiques et analyse de  
programme  
Ministère des services de santé  
de la Colombie-Britannique

### **Dianne Tait**

Gestionnaire  
Programme d'assurance-médicaments  
et des prestations complémentaires  
Ministère des Services de santé du Yukon

### **Georges Nadon\***

Expert-conseil en services pharmaceutiques  
Direction des prestations  
Direction générale de la Santé des  
Premières nations et des Inuits  
Santé Canada

### **Wayne Lepine**

Gestionnaire  
Politiques pharmaceutiques  
Division de la qualité des soins, de la  
technologie et des produits pharmaceutiques  
Santé Canada

### **Michael Hunt**

Gestionnaire, Services pharmaceutiques  
Institut canadien d'information sur la santé

### **Paul De Civita**

Directeur intérimaire  
Direction des politiques et de l'analyse  
économique  
Conseil d'examen du prix des médicaments  
brevetés

\* Membres du Comité directeur.

Le CEPMB profite de l'occasion pour exprimer sa reconnaissance aux membres de l'équipe de recherche de la direction Politiques et analyse économique pour tous les efforts qu'ils ont investis dans la préparation du présent rapport. Le CEPMB tient également à remercier les membres de la direction Conformité et application pour leur participation dévouée.

## Table des matières

Faits saillants	1
1. Introduction	3
2. Contexte	4
3. Qu'est-ce qu'une AIPMB ?	6
3.1 Quelle est l'utilité de l'AIPMB ?	6
3.2 Utilisation des AIPMB	7
3.3 Différences entre l'évaluation économique et l'AIPMB	7
3.3.1 Rapport " prix-efficacité " du médicament versus son " accessibilité d'un point de vue financier "	7
3.3.2 Perspective : Perspective sociale versus budget du régime d'assurance-médicaments	8
3.3.3 Horizon prévisionnel	8
3.4 Complémentarité de l'évaluation économique et de l'AIPMB	8
4. Textes de référence existants	9
4.1 Lignes directrices portant sur la préparation de l'AIPMB	9
4.2 Modèles canadiens d'AIPMB pour les fabricants	10
5. Besoin de lignes directrices portant sur la préparation de l'AIPMB	11
5.1 Lacunes des rapports d'AIPMB dans leur forme actuelle	11
5.2 Position du Comité directeur du SNIUMP concernant l'utilité des Lignes directrices portant sur la préparation d'une AIPMB	12
6. Conclusion	14
7. Prochaines étapes	15
8. Suivi à donner	16
Annexe 1.a : Rapport sur les résultats du sondage	17
Annexe 1.b : Questionnaire du sondage	42
Annexe 2 : Comparaison des modèles d'analyse	51
Annexe 3 : Analyse des AIPMB soumises aux régimes provinciaux d'assurance-médicaments	53
Références	57



## Faits saillants

- Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) a effectué la présente analyse au titre du Système national d'information sur l'utilisation des médicaments prescrits (SNIUMP).
- En décembre 2004, le Comité F-P-T sur les questions relatives aux produits pharmaceutiques a approuvé la première phase du projet dont le mandat est d'évaluer le besoin de Lignes directrices à l'échelle nationale portant sur la préparation de l'analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments. La deuxième phase du projet consistera à formuler ces Lignes directrices.
- Le présent rapport a été établi à la lumière des éléments suivants : un sondage mené auprès des différents membres du Comité directeur du SNIUMP; une analyse des 35 analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments (AIPMB) soumises par les différentes instances provinciales et territoriales; une analyse documentaire.
- L'AIPMB s'intéresse à l'incidence que peut avoir sur le budget d'un régime d'assurance-médicaments l'ajout d'un médicament à son formulaire de médicaments admissibles à un remboursement. Les régimes publics d'assurance-médicaments consultent systématiquement les AIPMB avant de prendre une décision concernant l'ajout d'un médicament à leurs formulaires respectifs. Le Programme d'examen en commun des médicaments (PECM) utilise également les AIPMB dans le cadre de son examen des priorités sous l'angle des économies de coûts.
- Les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments considèrent généralement insatisfaisantes les AIPMB que leur soumettent les fabricants. Selon les résultats de l'enquête et de l'analyse des 35 AIPMB, les principales lacunes sont : le manque de transparence, l'inexactitude des hypothèses ou leur mauvaise application; l'analyse trop généralisée – en ce sens qu'elle ne s'applique pas spécifiquement à la juridiction et (ou) au plan; le choix des médicaments de comparaison qui laisse à désirer; et la qualité générale de l'analyse.

- L'analyse documentaire a révélé que peu de pays membres de l'Organisation de coopération et de développement économiques (OCDE) ont actuellement des lignes directrices qui expliquent comment effectuer des analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments et ce, même s'il existe de nombreuses lignes directrices pour les évaluations économiques. Certaines provinces du Canada ont des modèles d'analyse qu'elles proposent aux fabricants pour qu'ils les suivent.
- Les AIPMB doivent être utilisées en complément aux évaluations économiques. L'évaluation économique s'intéresse au rapport « prix efficacité tandis que l'AIPMB s'intéresse à « l'accessibilité au médicament d'un point de vue économique ». Ces deux types d'évaluation permettent de mieux éclairer les décisions concernant l'inscription d'un médicament sur un formulaire.
- Les Lignes directrices concernant l'AIPMB proposent une série de principes et de meilleures pratiques qui devraient faciliter la conception et la mise en oeuvre de l'analyse et, partant, améliorer la fiabilité et l'utilité du rapport sur l'AIPMB.
- Les conclusions de ce rapport confirment l'utilité des Lignes directrices portant sur la préparation de l'analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur le budget du régime d'assurance-médicaments (AIPMB).



# Introduction

# 1

Les ministres F-P-T de la Santé ont adopté en septembre 2001 une approche diversifiée dont l'objectif est de permettre une meilleure gestion des produits pharmaceutiques. Cette approche, qu'ils ont convenu de mettre en œuvre au titre du Système national d'information sur l'utilisation des médicaments prescrits (SNIUMP), « fournira des analyses critiques des prix des médicaments d'ordonnance, de l'utilisation qui en est faite et des tendances des prix de manière à ce que le régime canadien de soins de santé ait accès à des renseignements plus exhaustifs et plus exacts sur l'utilisation faite des médicaments d'ordonnance ainsi que sur les facteurs d'augmentation des prix des médicaments ».

Le SNIUMP a été établi en partenariat entre l'Institut canadien d'information sur la santé (ICIS) et le CEPMB. Pour le CEPMB, le SNIUMP représente un suivi naturel au travail qu'il effectuait déjà au titre du protocole d'entente qu'il avait négocié avec le ministre de la Santé.

L'incidence du prix d'un nouveau médicament disponible sur le marché canadien ou sur le point de le devenir a été retenue comme sujet d'analyse au titre du plan de mise en œuvre établi conjointement par l'ICIS et le CEPMB en 2001. Par la suite, le Comité directeur du SNIUMP et le Comité sur les questions relatives aux produits pharmaceutiques (CQRPP) ont convenu d'élaborer des lignes directrices qui dicteraient la méthodologie à suivre pour l'analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments si le présent rapport démontrait la nécessité de telles lignes directrices.

Le présent rapport se fonde sur les éléments suivants : un sondage mené auprès des différents membres du Comité directeur du SNIUMP, une analyse de 35 AIPMB soumises par les provinces et les territoires et une analyse documentaire.

Des douze répondants au sondage, 10 administrent un régime provincial d'assurance-médicaments, un représente l'ICIS et l'autre Santé Canada. L'étude avait pour objet d'évaluer l'efficacité et l'utilité des analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments. Le rapport et les questionnaires de sondage sont présentés à la suite du rapport, aux annexes 1.a et 1.b.

# 2

## Contexte



Même si les prix des médicaments ont été relativement stables au cours de la dernière décennie<sup>1</sup>, les dépenses en médicaments constituent encore l'une des composantes des dépenses en santé qui augmentent le plus rapidement. D'ailleurs, le tout récent rapport de l'ICIS intitulé *Tendances nationales des dépenses en santé 1975–2004* révèle que le secteur public a assumé en 2004 47,3 % de la valeur des dépenses en médicaments d'ordonnance. Cette valeur a été estimée à 18,0 milliards de dollars. En 1998, les régimes publics d'assurance-médicament assuraient 42,5 % de cette valeur.

Les conséquences économiques associées à l'ajout d'un médicament sur les formulaires des régimes d'assurance-médicaments deviennent de plus en plus importantes en raison de l'augmentation des prix des médicaments. Ce fait ressort clairement des différentes initiatives menées au cours des dernières années relativement à la gestion des produits pharmaceutiques. Les décideurs des régimes d'assurance-médicaments sont jour après jour confrontés au défi d'assurer l'utilisation la plus efficace possible des ressources financières limitées. Ce défi devient encore plus grand sous l'effet des pressions exercées par des sources économiques et non économiques. Le graphique 1, à la page 5, qui suit présente quelques facteurs exerçant une influence sur les décisions d'inscrire ou non de nouveaux médicaments sur les formulaires des régimes d'assurance-médicaments.

L'Australie a été le premier pays à exiger des sociétés pharmaceutiques qu'elles lui soumettent des données économiques sur leurs médicaments à l'appui de leurs demandes d'inscription d'un médicament sur le formulaire.<sup>2</sup> Les programmes de médicaments de différents pays membres de l'OCDE, dont le Canada, obligent les fabricants de médicaments à soumettre des évaluations économiques et des analyses de l'incidence du prix de leur médicament sur le budget du régime d'assurance-médicaments. La plupart de ces pays qui utilisent actuellement les évaluations économiques ont des lignes directrices sur les évaluations économiques ou, encore, travaillent à leur élaboration. En ce qui concerne les analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur le budget, il n'existe pas encore une pratique établie concernant leur préparation et ce, même si elles sont actuellement largement utilisées.

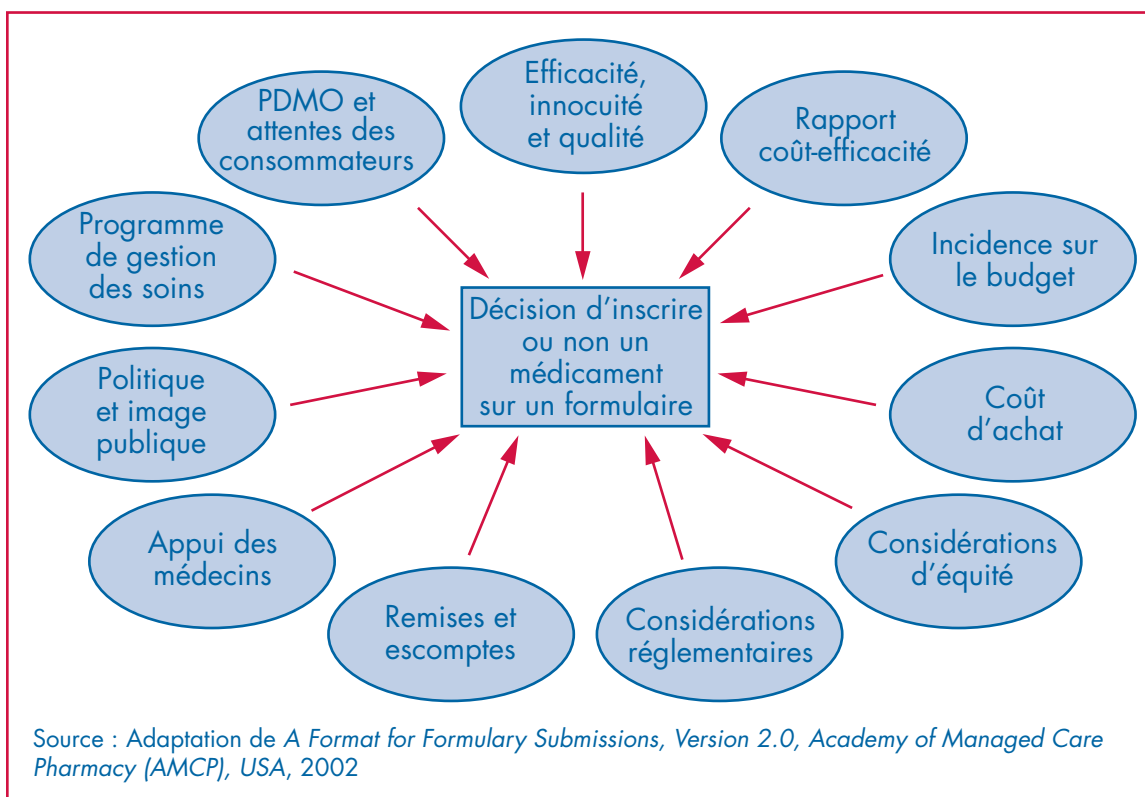
1. Institut canadien d'information sur la santé (ICIS).

2. *Survey of Pharmacoeconomic Assessment Activity in Eleven Countries: Michael Dickson, Jeremy Hurst and Stéphane Jacobzone; OECD Health Working Papers No 4; Mai 2003.*



## Graphique 1

Facteurs ayant une influence sur les décisions d'inscrire ou non de nouveaux médicaments sur les formulaires des régimes d'assurance-médicaments



# 3

## Qu'est-ce qu'une AIPMB ?



L'AIPMB s'intéresse spécifiquement à l'incidence qu'est susceptible d'avoir le prix d'un médicament sur le budget d'un régime d'assurance-médicaments. Les données requises pour de telles analyses sont vastes. Elles portent entre autres sur l'incidence et sur la prévalence, sur la mesure dans laquelle les traitements existants seront remplacés, sur la durée du traitement, sur le prix du médicament utilisé, sur la part de marché que devrait accaparer le médicament et sur le coût total. Les analyses de l'incidence sur le budget et les évaluations économiques utilisent essentiellement les mêmes données, mais leur portée et la façon de rapporter les résultats varient l'une de l'autre (Trueman, Drummond et Hutton, 2001).

### 3.1 Quelle est l'utilité de l'AIPMB ?

L'AIPMB s'intéresse d'une façon toute particulière à l'accessibilité du médicament d'un point de vue financier. De bonnes AIPMB peuvent éclairer les décisions qui doivent être prises concernant l'admissibilité d'un médicament à un remboursement. Elles peuvent également aider à déterminer le rôle spécifique d'un médicament et à créer des points de référence à partir desquels les régimes de soins de santé mesureront sa performance future (Fry, Avey et Sullivan, 2003).

Réagissant aux augmentations des prix des médicaments et à la pression que ces augmentations exercent sur les budgets publics, le Canada et d'autres pays membres de l'OCDE ont adopté au cours de la dernière décennie différentes politiques de contrôle des dépenses. Par exemple, l'Ontario a gelé en 1994 les prix de tous les médicaments inscrits à son formulaire. La Colombie-Britannique a introduit en 1995 des prix de référence pour certaines catégories thérapeutiques. Les autorités des régimes de soins de santé cherchent de plus en plus à obtenir un « juste prix » dans le contexte de restrictions budgétaires dans lequel ils doivent administrer les régimes. Ainsi, les fabricants de médicaments de la plupart des pays membres de l'OCDE doivent aujourd'hui fournir des données économiques ainsi que des données scientifiques démontrant l'efficacité, l'innocuité et la qualité de leurs médicaments. Ils doivent faire la démonstration que leur nouveau médicament offre un bon rapport prix-efficacité et qu'il est accessible d'un point de vue financier. Le rapport prix-efficacité du médicament et son accessibilité d'un point de vue financier sont souvent qualifiés dans les publications « de quatrième et de cinquième obstacles » au marché.

## 3.2 Utilisation des AIPMB

Tous les régimes F-P-T d'assurance-médicaments obligent les fabricants à joindre une AIPMB à leur demande d'inscription d'un nouveau médicament. Le programme commun d'évaluation des médicaments (PCEM) exige que l'AIPMB respecte les exigences de la juridiction compétente. L'analyse de l'incidence est particulièrement importante dans le processus du PCEM lorsque le fabricant demande un examen de priorité en raison de l'économie de coût associée au médicament.<sup>3</sup> Dans certaines juridictions, ce sont les Comités consultatifs d'experts (CCE) qui se prononcent sur la pertinence des analyses financières.

La plupart des gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments ayant participé au sondage utilisent l'AIPMB pour déterminer si un médicament est accessible d'un point de vue financier mais ce, suite à la recommandation du CCE ou du PCEM concernant l'efficacité clinique et le rapport prix-efficacité du médicament. L'AIPMB fournit également les données de départ des évaluations de l'utilisation du médicament. Certaines juridictions utilisent l'AIPMB dans la négociation d'ententes écrites avec les fabricants.

## 3.3 Différences entre l'évaluation économique et l'AIPMB

### 3.3.1 Rapport « prix-efficacité » du médicament versus son « accessibilité d'un point de vue financier »

Les décideurs des régimes d'assurance-médicaments acceptent les médicaments qu'ils jugent accessibles d'un point de vue financier et qui présentent un bon rapport prix-efficacité. Les décideurs doivent en effet composer avec les limites des budgets annuels impartis à leurs régimes tout en optimisant l'utilisation faite des fonds. Une démonstration du rapport « prix-efficacité » ou du « juste prix » doit être faite avant que puissent être priorisées les interventions qui deviendront admissibles à un remboursement et ainsi maximiser l'efficience.

Une évaluation économique qui utilise des techniques telles que l'analyse du rapport prix-efficacité ou du rapport prix-utilité constitue une analyse différentielle de la relation entre le prix du médicament et la conséquence tandis que l'AIPMB reflète l'incidence sur les coûts totaux. L'évaluation économique peut aider les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments à bien distribuer les crédits disponibles, mais elle ne fournit pas l'information requise pour les aider à respecter les limites budgétaires au cours des années qui suivront l'inscription du médicament. Il n'est pas exclu qu'un nouveau médicament présentant un excellent rapport prix-efficacité se révèle non accessible au niveau de son prix. Cette situation est illustrée par les préoccupations exprimées au Royaume Uni concernant les « statines » (Trueman, Drummond et Hutton, 2001). Malgré l'efficacité clinique des statines et leur bon rapport prix-efficacité, l'ordonnance de « statines » s'est révélée bien inférieure au taux suggéré. L'existence possible d'un lien avec le coût d'administration du traitement a été soulevée. Il a été estimé qu'environ 8,2 % de la population des 35 à 69 ans serait traitée à la statine, ce qui pourrait accaparer environ 20 % du budget annuel affecté aux médicaments du régime d'assurance-santé du Royaume Uni.

---

3. Lignes directrices en matière de soumission au PCEM à l'intention des fabricants; Programme commun d'examen des médicaments, Juillet 2004

### 3.3.2 Perspective : Perspective sociale versus budget du régime d'assurance-médicaments

Pour être considérée complète, l'évaluation économique doit adopter une perspective sociale et tenir compte de l'ensemble des coûts et des économies associés à une intervention en santé.<sup>4</sup> En réalité, le décideur d'un régime d'assurance-médicaments tient rarement compte des coûts et des économies auxquels donne lieu son programme. Lorsque les budgets sont établis en « silo », où chaque composante de la santé fonctionne avec un budget distinct, le gestionnaire du régime sera moins porté à tenir compte des économies réalisées dans les différentes composantes du système lorsqu'il sera appelé à prendre des décisions relatives au choix des médicaments admissibles à un remboursement.

### 3.3.3 Horizon prévisionnel

Dans le domaine de la santé, l'horizon prévisionnel du décideur est souvent plus bref que ce que nécessiterait une évaluation économique raisonnable. Pour déterminer la valeur d'un nouveau traitement, l'évaluation économique doit prendre en considération les coûts à long terme du traitement ainsi que les économies qui en découlent, c'est-à-dire la viabilité. Toutefois, la plupart des régimes d'assurance-médicaments doivent fonctionner dans les limites d'un budget annuel. En règle générale, le gestionnaire du régime d'assurance-médicaments peut difficilement consacrer une partie importante de son budget à un médicament lorsque l'investissement n'est pas susceptible d'avoir des retombées à court terme, sauf dans les cas où le nouveau médicament doit remplacer un traitement qui engendre des coûts beaucoup plus élevés. Par conséquent, dans un scénario où l'introduction d'un nouveau médicament très efficace peut paraître socialement optimale à long terme, le gestionnaire du régime d'assurance-médicaments doit connaître l'incidence à court terme du prix du médicament sur le budget du régime.

## 3.4 Complémentarité de l'évaluation économique et de l'AIPMB

Lorsque l'AIPMB est comparée dans le cours du processus de prise de décisions à l'évaluation économique, l'AIPMB se révèle complémentaire à l'évaluation économique. L'évaluation économique détermine si le médicament est efficace sous l'angle de ses différentes contributions au régime de soins de santé tandis que l'AIPMB évalue si le médicament est accessible d'un point de vue financier. Tant l'analyse que l'évaluation sont nécessaires pour fonder les décisions sur des données factuelles.

Au Canada, le Comité consultatif d'experts formule sa recommandation concernant l'inscription d'un médicament sur le formulaire à la lumière des conclusions de l'analyse pharmacoéconomique et de données scientifiques. Les régimes F-P-T d'assurance-médicaments se réservent pour leur part le droit de fonder leur décision sur l'accessibilité du médicament d'un point de vue financier. Il est donc important que l'AIPMB soit fiable pour que les décideurs évaluent avec justesse le niveau d'accessibilité du médicament d'un point de vue financier.

Selon les résultats du sondage, l'AIPMB est plus crédible que l'évaluation économique dans les juridictions où les restrictions budgétaires constituent une priorité. Autrement dit, même un médicament présentant un bon rapport prix-efficacité peut être jugé non accessible d'un point de vue financier et ne pas être admissible à un remboursement au titre du régime d'assurance-médicaments. Certaines juridictions appliquent d'autres mécanismes dont le critère d'utilisation restreinte pour les médicaments présentant un bon rapport prix-efficacité.

4. Beaucoup de lignes directrices sur l'évaluation économiques recommandent de mener l'analyse dans une perspective sociale et également dans la perspective du financement des soins de santé. *International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research*; <http://www.ispor.org/PEguidelines/index.asp>



## Textes de référence existants

Il existe peu de textes de référence pouvant servir de lignes directrices ou de modèles. Dans certains pays, les lignes directrices sur l'évaluation économique ou les lignes directrices sur l'évaluation des demandes d'inscription d'un médicament au formulaire font état de l'importance d'une analyse de l'incidence du médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments. Dans d'autres pays cet aspect est davantage élaboré.

### 4.1 Lignes directrices portant sur la préparation de l'AIPMB

C'est l'*Australian Pharmaceutical Benefits Advisory Committee* (PBAC) qui a été le premier organisme à recommander à l'industrie pharmaceutique d'effectuer des AIPMB. Les *2002 Guidelines for the Pharmaceutical Industry on Preparation of Submissions to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee* (PBAC) expliquent dans le détail comment faire une AIPMB et en rapporter les résultats. Les Lignes directrices établissent l'horizon prévisionnel, l'approche à suivre pour évaluer la population touchée et les considérations dont il y a lieu de tenir compte dans le calcul de l'incidence financière nette sur le budget du *Australian Pharmaceutical Benefits Scheme* (PBS).

En Angleterre et au Pays de Galles, c'est le *National Institute of Clinical Excellence* (NICE) qui formule les Lignes directrices concernant l'évaluation de la technologie. Le NICE recommande d'obliger les fabricants à fournir une analyse de l'incidence du médicament sur le budget, laquelle analyse doit être effectuée aux fins du *National Health Service* (NHS) et du *Personal Social Service* (PSS). Cette analyse doit également se fonder sur le groupe de patients traités à l'aide du médicament. Dans le cas des nouvelles technologies, l'analyse doit comprendre des estimés de la variation de l'incidence sur le budget sur un horizon prévisionnel de trois à cinq ans pour tenir compte de la variation des taux de diffusion. L'analyse doit également comprendre une évaluation de l'incidence à compter du moment où la diffusion du médicament atteint son point de stabilité. Le NICE exige aussi un calcul de l'économie nette à laquelle donnera lieu la technologie qui remplace un traitement existant.

La *Polish Society for Medical Decision Making*, l'association professionnelle des médecins de la Pologne, a mené une série de consultations sur des lignes directrices concernant l'analyse financière. Ces Lignes directrices sont en fait une adaptation des lignes directrices de l'Australie et des lignes directrices du NICE (Orlewska and Mierzejewski, 2004). De plus, les lignes directrices de la Pologne attirent l'attention sur certaines caractéristiques générales, mais désirables telles que la population cible, la perspective d'un réaménagement des ressources, la nécessité de faire rapport des résultats en unités naturelles et en unités monétaires et le besoin de modèles interactifs.

Dans sa publication *Format for Formulary Submissions, 2002*, l'*Academy of Managed Care Pharmacy* (AMCP) des États-Unis mentionne que les fabricants de médicaments doivent faire preuve de transparence au niveau de leurs méthodes d'analyse. L'AMCP nomme douze éléments sur lesquels doivent porter une analyse économique et une analyse de l'incidence sur le budget pour être considérées acceptables. Dans ses lignes directrices, l'AMCP recommande aux fabricants de consulter les responsables du régime de santé aux premières étapes d'élaboration de leur modèle d'analyse afin de s'assurer que celle-ci tient compte des produits de comparaison appropriés et des effets.

En 2005, la *International Society for Pharmacoeconomics & Outcomes Research* (ISPOR) a constitué un groupe de travail et l'a chargé d'élaborer « une série cohérente de lignes directrices sur la méthodologie à suivre ».<sup>5</sup> Ce groupe de travail a été créé en reconnaissance du fait que, pour être complète, l'évaluation économique d'une nouvelle intervention thérapeutique au moment de son lancement doit comprendre une analyse du rapport prix-efficacité et une autre de l'incidence sur le budget du régime d'assurance-médicaments.

## 4.2 Modèles canadiens d'AIPMB pour les fabricants

Les modèles présentent d'une façon structurée les renseignements requis. Ils sont suggérés par les régimes d'assurance-médicaments dans le but d'aider les fabricants à préparer leurs rapports sur l'incidence du prix de leur médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments. À l'heure actuelle, il n'existe aucun modèle normalisé de données ou de formats de rapport au Canada.

Toutes les nouvelles entités chimiques font l'objet d'un examen du PCEM.<sup>6</sup> Au nombre des renseignements exigés dans la version de juillet 2004 des Lignes directrices en matière de soumission au PCEM à l'intention des fabricants se trouve le rapport sur l'incidence du prix du médicament sur le budget des juridictions participantes, lequel rapport doit satisfaire aux besoins des juridictions. La Saskatchewan n'exige pas une AIPMB, mais elle exige des fabricants qu'ils lui fournissent de l'information sur la part de marché qu'ils estiment que leur médicament devrait prendre. Cette information aide la province à prévoir avec autant de justesse que possible l'incidence d'un nouveau médicament sur le budget de son régime d'assurance-médicaments. La Colombie-Britannique et les provinces de l'Atlantique obligent les fabricants à leur présenter une AIPMB, mais elles ne leur en fournissent pas un modèle. Quant à l'Alberta, au Manitoba et à l'Ontario, ces provinces fournissent aux fabricants des modèles détaillés. On note toutefois des différences entre les modèles fournis, notamment au niveau du type d'information et du niveau de détail exigé. Vous trouverez à l'annexe 2 au présent document une comparaison des modèles établis par le Programme des médicaments de l'Ontario, par la Croix bleue de l'Alberta et par Santé Manitoba<sup>7</sup>.

5. [http://www.ispor.org/workpaper.budget\\_impact.asp](http://www.ispor.org/workpaper.budget_impact.asp).

6. Le Québec ne participe pas pour l'instant au PCEM.

7. À titre d'information, les modèles de l'Alberta et du Manitoba sont identiques.

## Besoin de lignes directrices portant sur la préparation de l'AIPMB

*“...Si les décideurs et les autorités responsables du remboursement souhaitent faire de l'analyse de l'incidence d'un médicament sur le budget des régimes d'assurance-médicaments un critère d'inscription d'un nouveau médicament sur le formulaire, il devient donc essentiel de se doter de modèles de référence puisqu'il s'agit de l'aspect le plus incertain des besoins en matière de données... Sans ces modèles de référence, les décisions pourraient donner lieu à des négociations mal éclairées et fondées sur des données d'une qualité variable.”*

*(Trueman, Drummond et Hutton, 2001)*

Après avoir imposé l'obligation de soumettre des données économiques aux décideurs, différents pays membres de l'OCDE se sont dotés de lignes directrices pharmacoéconomiques. Le site Web d'ISPOR fait état de 28 lignes directrices pour 23 pays (21 lignes directrices pharmacoéconomiques, 6 concernant les demandes d'inscription au formulaire et 1 concernant la publication dans des journaux scientifiques). Les données requises pour compléter l'AIPMB et les coûts des évaluations économiques se recoupent et sont dans une large mesure incertaines sur le plan des contributions de première importance. Elles posent également des défis similaires. D'autre part, la portée de l'AIPMB et les renseignements qu'elle doit contenir diffèrent tellement de celles des évaluations économiques que des lignes directrices spéciales sont requises pour l'analyse de l'incidence sur le budget. Elles ne peuvent être considérées comme une variante des lignes directrices pharmacoéconomiques.

### 5.1 Lacunes des rapports d'AIPMB dans leur forme actuelle

Le CEPMB a passé en revue 35 AIPMB que les fabricants ont soumises aux provinces. Il a relevé dans cet échantillonnage les caractéristiques dites désirables pour que l'AIPMB soit considérée de grande qualité. Vous trouverez à l'annexe 3 du présent rapport une analyse détaillée de ces caractéristiques. Les principales lacunes relevées sont les suivantes : manque de transparence, hypothèses non adéquatement justifiées; données sur les prix et sur l'utilisation incohérentes. Ces lacunes ont également été mentionnées par les différents répondants. Les lacunes les plus souvent mentionnées sont les suivantes :

### **Manque de transparence**

Tous les répondants ont signalé le manque de transparence des analyses préparées par les fabricants. Au nombre des points qui, de l'avis des répondants, manquent de clarté, citons le fondement des hypothèses, la méthodologie, l'information sur l'incidence et sur la prévalence et, enfin, les sources des données.

### **Hypothèses inexactes ou mal appliquées**

Selon les répondants, les hypothèses de départ utilisées pour la modélisation de l'incidence des prix des nouveaux médicaments sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments sont plus souvent qu'autrement irréalistes et sous-estimées. Les hypothèses concernant les variables clés comme, par exemple, l'incidence et la prévalence de la maladie, l'adoption de nouveaux traitements par le patient et la durée du traitement sont souvent inexactes ou trompeuses.

### **Analyse généralisée – manque de précision ou n'est pas adaptée à la juridiction et (ou) au régime**

Tous les répondants ont affirmé que les AIPMB ne tiennent pas suffisamment compte de la juridiction ou du régime d'assurance-médicaments et de ce fait ne sont pas aussi utiles qu'elles pourraient l'être. Les fabricants font des extrapolations pour les différentes juridictions quand, dans les faits, cette extrapolation ne doit pas se faire en ligne droite. La prévalence, la population, la structure du régime et la population desservie par le régime d'assurance-médicaments sont des variables avec lesquelles toutes les régions et tous les régimes d'assurance-médicaments doivent composer. De même, l'incidence sur le budget varie selon la situation géographique : les coûts globaux de traitement et l'accès à certains traitements spécialisés ou à des médecins spécialistes ne sont pas les mêmes dans des communautés éloignées.

### **Choix inapproprié des médicaments de comparaison**

Certains fabricants comparent le médicament faisant l'objet de la demande d'inscription au formulaire à des traitements non conventionnels et parfois même à un placebo. Une analyse juste évalue le médicament par rapport aux traitements reconnus et admissibles à un remboursement et par rapport également aux régimes posologiques.

### **Qualité**

Les répondants ont exprimé certains doutes quant à la conformité des allégations faites dans les AIPMB relativement aux incidences de l'inscription d'un médicament sur le formulaire. L'évaluation effectuée suite à l'inscription d'un médicament a révélé un écart important et fréquent entre l'incidence réelle sur le budget du régime d'assurance-médicaments et l'incidence estimée par les fabricants dans l'AIPMB. Il y a donc lieu de douter de la qualité des analyses préparées par les fabricants.

## **5.2 Position du Comité directeur du SNIUMP concernant la nécessité des lignes directrices portant sur la préparation d'une AIPMB**

D'après les réponses obtenues dans le cours du sondage, tous les membres du Comité directeur du SNIUMP approuvent l'adoption de lignes directrices nationales. À leur avis, ces lignes directrices nationales seront plus utiles si la possibilité est donnée aux juridictions de les adapter en fonction de critères tels que la prévalence de la maladie, la démographie, l'emplacement géographique et la structure du régime d'assurance-médicaments. Ils croient que l'application de lignes directrices nationales pourrait contribuer à la qualité des AIPMB et par conséquent à une réduction des délais d'examen. Pour favoriser la conformité aux Lignes directrices portant sur la préparation de l'AIPMB, les membres du comité directeur ont attiré notre attention sur l'importance d'adhérer et de se commettre à suivre les lignes directrices (vous trouverez de plus amples détails à l'annexe 1.a).



Les membres du Comité directeur ont proposé que les critères suivants soient pris en compte dans les lignes directrices :

- que les lignes directrices soient faciles d'emploi, interactives et simples
- que les lignes directrices constituent un outil utile pour l'industrie
- que les lignes directrices n'exigent pas de données qui ne peuvent être validées, qui ne sont pas fiables ou qui ne seront pas nécessaires (par ex. données ésotériques ou accessoires)
- que les lignes directrices soient rigoureuses
- que les lignes directrices soient faciles à comprendre pour les décideurs
- que les lignes directrices soient disponibles en format électronique, sur CD-ROM et peut-être même sur le site Web dans un format interactif
- que les lignes directrices tiennent compte de la spécificité des différentes juridictions.

# 6

## Conclusion



Le présent rapport confirme l'utilité que pourraient avoir des lignes directrices portant sur la préparation d'une AIPMB. De plus, les membres du Comité directeur du SNIUMP ont identifié dans le cadre du sondage les caractéristiques qui pourraient rendre l'AIPMB plus utile.

Les lignes directrices rendraient les analyses de l'incidence plus fiables et plus utiles. Il n'existe aucune méthodologie pouvant être appliquée à toutes les nouvelles technologies de la santé ou à tous les médicaments, mais il n'en demeure pas moins que les lignes directrices peuvent favoriser l'adoption de principes ou de meilleures pratiques qui devraient amener les décideurs des régimes d'assurance-médicaments à se fier davantage aux AIPMB que leur soumettent les fabricants. D'autre part, les fabricants auront des directives claires et cohérentes concernant les données qu'ils doivent fournir et les formats dans lesquels ils doivent les présenter.



## Prochaines étapes

7

Le travail de formulation des Lignes directrices portant sur la préparation d'une analyse sera confié à un expert indépendant. Il effectuera son mandat sous la supervision d'un groupe consultatif. Ce groupe sera formé de membres du Comité directeur du SNIUMP et de l'Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé (OCCETS). Les Lignes directrices seront passées en revue par des pairs.

# 8

## Suivi à donner




### ***Mise en œuvre des Lignes directrices***

Le seul fait d'avoir des lignes directrices ne sous-tend pas qu'elles seront systématiquement suivies. Nous avons d'ailleurs constaté dans les provinces qui proposent des modèles d'analyse que les analyses ne sont pas toujours élaborées à l'aide du modèle. Il faudra poursuivre le travail de collaboration pour pousser les fabricants à suivre les lignes directrices concernant l'évaluation économique formulées par l'OCCETS ainsi que les lignes directrices concernant l'analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur le budget du régime d'assurance-médicaments.

### ***Régimes privés d'assurance-médicaments***

Plusieurs répondants ont suggéré d'effectuer un sondage semblable auprès des gestionnaires de régimes privés d'assurance-médicaments. Ils ont fait valoir les avantages d'une analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur le budget du régime d'assurance-médicaments (AIPM) qui couvrirait l'ensemble de la population ainsi que les budgets des régimes publics et privés d'assurance-médicaments.



## Annexe 1.a : Rapport sur les résultats du sondage

*Le présent rapport sur les résultats du sondage a été préparé par Panacea Canada Inc. C'est d'ailleurs Panacea qui a élaboré le questionnaire du sondage et qui a effectué le sondage auprès des membres du Comité directeur. L'objectif du sondage était de recueillir les points de vue des membres du Comité directeur concernant les analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments ainsi que l'utilité que pourraient avoir des lignes directrices portant sur la préparation de telles analyses.*

### Résumé

Le sondage a été effectué dans le but d'aider le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés (CEPMB) à formuler des lignes directrices nationales portant sur la préparation d'une analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments. Le Conseil estime que ces lignes directrices pourraient être utiles pour les gestionnaires d'un régime d'assurance-médicaments, pour les fabricants et pour d'autres intervenants appelés à évaluer l'incidence que peut avoir l'inscription d'un nouveau médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments. Le projet comportait deux phases, à savoir une première phase d'élaboration d'un questionnaire de sondage portant sur le contenu des lignes directrices. La deuxième phase consistait en entrevues téléphoniques dans lesquelles il a été plus particulièrement question de l'utilité des analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments. Des douze personnes appelées à participer au sondage, dix administrent un régime d'assurance-médicaments, un représente l'Institut canadien d'information sur la santé (ICIS) et le douzième est à l'emploi de la section des politiques pharmaceutiques de Santé Canada.

### Utilisation des analyses sur l'incidence du prix d'un nouveau médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments

Les dix gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments qui ont répondu au questionnaire de sondage utilisent les AIPMB dans l'exercice de leurs fonctions. La plupart s'en servent pour estimer l'incidence que pourrait avoir l'inscription d'un médicament sur le budget de leur régime. D'une façon générale, les répondants lisent les AIPMB que leur

soumettent les fabricants et les valident. Lorsque le fabricant ne soumet pas son AIPMB, certains gestionnaires en font préparer une à l'interne. La disponibilité et la qualité des analyses préparées par les fabricants semblent varier d'une juridiction à une autre et d'un fabricant à un autre.

En ce qui concerne l'utilité des AIPMB dans différents scénarios, les répondants considèrent que le processus de prise de décisions peut être meilleur lorsque les renseignements sont fiables et qu'ils peuvent être validés. L'utilité des AIPMB dépend de la spécificité de l'information fournie sur la prévalence dans leur juridiction ainsi que de la mesure dans laquelle elles s'appliquent à la population couverte par le régime. Selon les dix gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments interrogés, les AIPMB sont utiles pour déterminer l'incidence que pourrait avoir une nouvelle intervention sur le budget de leur régime. Un petit nombre d'entre eux utilisent l'information de l'AIPMB pour évaluer l'incidence de l'inscription d'un nouveau médicament sur le budget du régime de soins de santé. Même si l'accessibilité aux médicaments d'un point de vue financier préoccupe les différentes juridictions, certaines d'entre elles ne fonctionnent pas dans un véritable contexte de restrictions budgétaires. Dans ces juridictions, le rôle de l'AIPMB qui est de déterminer l'accessibilité du médicament d'un point de vue financier devient moins important.

L'AIPMB peut se révéler particulièrement utile pour prévoir l'incidence de l'ajout d'un nouveau médicament sur les ressources des services de santé. Les payeurs de ces coûts additionnels ne sont pas toujours les mêmes, tout dépendant de la conception du régime d'assurance-médicaments et de l'existence de payeurs privés. La plupart des régimes d'assurance-médicaments sont financés en silos et, de ce fait, n'accumulent pas d'économies, d'avantages ou de coûts dépassant l'incidence sur le budget du régime d'assurance-médicaments.

Dans le cadre du sondage, nous avons examiné les diverses catégories de médicaments pour lesquelles une AIPMB est effectuée. Pour certains répondants, l'AIPMB devrait être jointe à toute demande d'inscription d'un médicament au formulaire tandis que d'autres font une distinction sur la base de l'incidence possible : il n'y a pas lieu d'effectuer une AIPMB lorsqu'on ne prévoit pas que le prix du médicament aura une incidence sur le budget du régime d'assurance-médicaments. Au nombre des catégories de médicaments pour lesquelles une AIPMB semble utile, citons les nouvelles entités chimiques, les produits distribués par une source exclusive, les nouvelles formulations d'un médicament, les nouvelles indications, les extensions d'une gamme de produits et les médicaments pour lesquels une nouvelle demande est présentée. Dans de rares cas, l'AIPMB porte sur un produit distribué par des sources multiples.

Dans certaines juridictions l'influence relative d'une AIPMB est très importante au point où même des recommandations favorables du PCEM et du comité consultatif d'experts ne suffisent pas à faire inscrire un médicament sur le formulaire lorsque l'AIPMB démontre que le médicament aura une incidence sur le budget du régime d'assurance-médicaments. Les AIPMB exercent une influence importante dans diverses situations, notamment lorsque les données reflètent fidèlement la population desservie par le régime d'assurance-médicaments, lorsque le coût du médicament est élevé et que l'augmentation des coûts se révèle importante, lorsque les éléments de preuve clinique exigent l'application du critère d'utilisation limitée et lorsque l'efficacité clinique/relative du médicament est « aussi bonne » que celle du ou des médicaments de comparaison mais que l'AIPMB indique une incidence plus marquée sur le budget.

Certains répondants ont fait valoir que la valeur clinique, l'innocuité et l'efficacité du médicament ont plus d'influence qu'une AIPMB sur la décision d'inscrire ou non un nouveau médicament sur le formulaire. D'autres estiment que la pression exercée par un intervenant fait parfois plus de poids dans la balance que l'AIPMB. Le scepticisme à l'égard des hypothèses de départ de l'AIPMB peut miner l'influence de l'analyse sur le processus de prise de décisions.

Le sondage s'est intéressé à la valeur d'une collaboration avec les fabricants au niveau de l'élaboration de l'AIPMB. D'une façon générale, les répondants y reconnaissent un avantage théorique tout en affirmant de ne pas avoir le temps ni les ressources requises pour une telle collaboration. Plusieurs répondants ont indiqué que ce type de collaboration devrait se faire à un niveau national.

Si on compare l'influence qu'exercent les AIPMB sur le processus de prise de décisions à celle qu'exercent les évaluations économiques, l'AIPMB se positionne comme un complément à l'évaluation économique. Plusieurs répondants ont fait valoir l'utilité des évaluations économiques du PCEM dans leur processus de prise de décisions. Dans les juridictions où les contraintes budgétaires constituent une priorité importante, l'AIPMB exerce une plus grande influence que l'analyse économique, ce qui revient à dire que même les médicaments présentant un bon rapport prix-efficacité peuvent être jugés non accessibles d'un point de vue financier. D'autres juridictions arrivent à composer avec les coûts des médicaments présentant un bon rapport prix-efficacité en restreignant l'utilisation de ces médicaments et en trouvant des moyens de les payer. Dans quelques juridictions, le rapport prix-efficacité a plus de poids sur la décision que l'AIPMB. Les conclusions des analyses du rapport prix-efficacité ne se sont pas toujours imposées étant donné que plus souvent qu'autrement les épargnes et les avantages annoncés ne se sont pas concrétisés.

Plusieurs répondants ont souligné la nécessité d'atteindre un juste équilibre entre le rapport prix-efficacité du médicament et les restrictions budgétaires. Ici encore, le PCEM est considéré très utile pour l'évaluation de rapport prix-efficacité des médicaments et de leurs bienfaits cliniques. Dans la plupart des juridictions lorsque l'incidence des prix des médicaments est marquée, l'argument du rapport prix-efficacité du médicament doit être très solide pour justifier une augmentation des dépenses. Dans certains cas, il n'existe aucun compromis possible : même les médicaments présentant un excellent rapport prix-efficacité ne pourront être ajoutés au formulaire si le budget du régime n'est pas augmenté. Des répondants ont affirmé que le niveau de tolérance est très bas lorsque les avantages escomptés sont exprimés d'une façon tellement vague qu'ils ne peuvent être validés ou quantifiés. Selon plusieurs répondants, la décision d'inscrire ou non un médicament sur le formulaire peut être influencée par les pressions des intervenants, sans considération pour l'incidence du prix du médicament sur le budget ou pour le rapport prix-efficacité du médicament.

Selon les répondants, les critères suivants peuvent maximiser l'utilité des lignes directrices portant sur la préparation d'une AIPMB : les lignes directrices doivent être faciles à consulter, être interactives et simples, elles doivent constituer un outil que l'industrie acceptera d'utiliser, elles doivent exclure les données qui ne peuvent être validées, qui ne sont pas fiables ou qui ne sont pas nécessaires; elles doivent être appliquées d'une façon rigoureuse; elles doivent être faciles à comprendre par les décideurs; et finalement elles doivent être disponibles en formats électroniques. Les répondants ont fait état de l'importance de la spécificité : les lignes directrices nationales seront assurément plus utiles si la possibilité est offerte aux différentes juridictions de les adapter en fonction de la prévalence, de la composition démographique de la clientèle, de l'emplacement géographique, de la structure du régime d'assurance-médicaments, etc.

Un certain nombre de répondants se sont exprimés sur l'avantage de la centralisation du système d'évaluation des demandes d'inscription des médicaments au formulaire et des AIPMB. Ce système pourrait fonctionner d'une façon parallèle au Programme commun d'examen des médicaments, le PCEM. Ce nouveau système pourrait considérer les différences entre les régimes sous l'angle du besoin de spécificité dont il a été précédemment question. Le Programme commun d'examen des médicaments pourrait effectuer un examen de l'analyse de haut niveau, y compris des médicaments de comparaison et des hypothèses. L'importance du rôle des bases de données du SNIUMP dans une telle approche a été mentionnée.

Bon nombre de répondants croient qu'il serait possible de sauver du temps et d'obtenir de meilleures analyses si les fabricants suivaient des lignes directrices nationales portant sur la préparation d'une AIPMB. Il serait souhaitable d'éviter le dédoublement des efforts en préparant des lignes directrices dans les différentes juridictions.

Les répondants considèrent importants la participation et l'engagement des fabricants. Dans une juridiction qui propose un modèle d'AIPMB, les fabricants utilisent le modèle comme une ligne directrice approximative et seulement un petit nombre de ceux-ci s'y réfèrent systématiquement.

Des gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments se sont dits en faveur du partage avec d'autres juridictions des données fournies dans les AIPMB. D'autres répondants souhaiteraient pouvoir consulter les AIPMB des autres juridictions, mais ont exprimé certaines réserves quant à l'utilité réelle de l'information qu'ils y trouveraient. Les différences entre les régimes rendraient les comparaisons difficiles.

Plusieurs répondants ont suggéré de mener un sondage semblable auprès des gestionnaires de régimes privés d'assurance-médicaments privés. À leur avis, il serait avantageux que l'AIPMB couvre l'ensemble de la population, avec analyse de l'incidence sur les budgets des régimes publics et privés.

### **Éléments que devrait couvrir l'AIPMB**

Les répondants ont été invités à classer par ordre d'importance les différents éléments que devrait couvrir l'AIPMB. Le classement de ces éléments et les commentaires exprimés concernant ceux-ci sont présentés dans le présent rapport sous les rubriques suivantes :

- Perspective
- Provenance, fiabilité et pertinence des données
- Indications visées
- Populations touchées
- Taux d'adoption
- Horizon prévisionnel
- Demandes complémentaires
- Substitution des traitements existants
- Probabilité de réaffectation des ressources
- Transparence
- Analyses des degrés d'incertitude et de sensibilité
- Rapport des résultats



Les répondants partagent les mêmes points de vue quant aux éléments que devrait couvrir une AIPMB. Les détails concernant ces éléments sont présentés dans le corps du rapport.

## Participants

Colombie-Britannique : Wendy Eyres, Brett Wilmer

Alberta : Marilyn Thornton

Saskatchewan : Kevin Wilson

Manitoba : Gail Keeley, Kathy McDonald

Ontario : Brent Fraser

Nouvelle-Écosse : John Hoar

Nouveau-Brunswick : Leanne Jardine

Île-du-Prince-Édouard : Patrick Crawford

Terre-Neuve et Labrador : Colleen Janes

Direction générale de la Santé des Premières Nations et des Inuits : Georges Nadon

Institut canadien d'information sur la santé (ICIS) : Michele Arthur

Section de la politique pharmaceutique, Santé Canada : Hugues Vaillancourt

## Introduction

Le CEPMB se prépare à formuler des Lignes directrices nationales portant sur la préparation d'une analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments (AIPMB). Ces lignes directrices pourraient être suivies par les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments, par les fabricants de médicaments et par d'autres intervenants appelés à évaluer l'incidence que peut avoir le prix d'un nouveau médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments.

De l'avis du Comité directeur du SNIUMP, de telles lignes directrices présenteraient les principes de meilleures pratiques d'analyse financière, ce qui contribuerait à améliorer la fiabilité et l'utilité de l'analyse.

Dans le cadre de ce projet, un sondage a été mené auprès des gestionnaires de régimes publics d'assurance-médicaments. L'objectif de ce sondage était d'évaluer l'efficacité et l'utilité des analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments. Le présent rapport présente un résumé des résultats du sondage. Des douze répondants au sondage, dix sont des gestionnaires de régimes publics d'assurance-médicaments, les deux autres représentent l'ICIS et la section de la politique pharmaceutique de Santé Canada.

Le sondage comportait deux phases distinctes : un sondage écrit portant tout particulièrement sur les éléments que devraient couvrir les lignes directrices portant sur l'AIPMB et une entrevue téléphonique dont l'objectif était d'explorer l'utilité de l'AIPMB. Les questionnaires du sondage et de l'entrevue sont présentés en annexe. Les douze participants ont répondu aux questions des deux volets du sondage.

## **Utilisation des analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments**

Les participants au sondage qui dans le cadre de leurs fonctions régulières administrent un régime d'assurance-médicaments ont dit consulter les AIPMB. La plupart s'en servent pour évaluer l'incidence que pourrait avoir l'inscription au formulaire d'un nouveau médicament sur le budget de leur régime. Dans certains cas, un Comité consultatif d'experts (CCE) se réfère à ces analyses dans le cadre de ses délibérations et, dans d'autres, le gestionnaire du régime d'assurance-médicaments l'utilise pour déterminer l'accessibilité financière du médicament après que le Comité consultatif d'experts ait formulé sa recommandation concernant l'efficacité clinique et le rapport prix-efficacité du médicament. Plusieurs répondants privilégient un processus dans le cadre duquel ils consulteraient l'AIPMB lorsque le Programme commun d'examen des médicaments formule une recommandation positive.

Un répondant souhaiterait trouver une AIPMB avec chaque demande d'inscription d'un médicament au formulaire. Tous les répondants disent passer en revue et valider les AIPMB que leur soumettent les fabricants. Lorsque le fabricant ne soumet pas une AIPMB, certains gestionnaires en font préparer une à l'interne. La disponibilité et la qualité des AIPMB des fabricants varient d'une juridiction à une autre et d'un fabricant à un autre.

Plusieurs répondants disent utiliser l'AIPMB comme point de comparaison par rapport à l'utilisation faite du médicament. Dans certaines juridictions, l'AIPMB est aussi utilisée aux fins de la négociation d'ententes avec les fabricants.

D'une façon générale, les fabricants ne suivent pas les modèles d'AIPMB que leur proposent les différentes juridictions.

## **Utilisation spécifique de l'analyse de l'incidence du prix du médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments**

Les participants au sondage ont répondu à un questionnaire dont l'objectif était de faire la lumière sur les circonstances dans lesquelles ils utilisent l'AIPMB et la façon dont ils l'utilisent. Vous trouverez dans les sections qui suivent une explication sur la façon dont l'AIPMB est utilisée et les scénarios dans lesquels elle l'est généralement.

### **Scénarios dans lesquels l'AIPMB est généralement utilisée**

Invités à évaluer l'utilité de l'AIPMB sous l'angle de différents scénarios, les répondants ont exprimé les commentaires qui suivent. Pour tous les scénarios, les répondants ont mentionné que l'accès à de l'information plus complète éclaire incontestablement le processus de prise de décisions, dans la mesure où l'information est fiable et qu'elle peut être validée. L'utilité de l'information dépend aussi de sa spécificité en termes de prévalence dans la juridiction et de sa pertinence au regard de la population assurée par le régime.

### **Incidence d'une nouvelle intervention sur le budget du formulaire et (ou) du régime de soins de santé**

Tous les répondants qui administrent un régime d'assurance-médicaments s'entendent pour dire que l'AIPMB est utile pour évaluer l'incidence que pourrait avoir une nouvelle intervention sur le budget du formulaire. Quatre répondants ont affirmé ne considérer que l'incidence sur le budget de leur régime par opposition au budget du régime de soins de santé. Bon nombre de répondants ont affirmé considérer les incidences prévues du régime de soins de

santé au-delà du budget du régime d'assurance-médicaments, mais que leur influence est limitée au-delà des dépenses en médicaments. Dans ses délibérations, le CCE pourrait discuter des économies pour l'ensemble du système.

### **Accessibilité des médicaments d'un point de vue financier et gestion du budget**

Neuf répondants considèrent que l'AIPMB est utile pour déterminer si un médicament est accessible d'un point de vue financier. Selon un répondant, l'AIPMB n'est utile que si l'information qu'elle rapporte est exacte. Deux répondants sont d'avis que l'AIPMB est utile en ce sens qu'elle permet de mieux prévoir les dépenses. Certaines juridictions ne sont pas spécifiquement assujetties à un budget et, de ce fait, accordent moins d'importance à l'accessibilité des médicaments d'un point de vue financier.

### **Incidence d'une nouvelle intervention sur les ressources des services de santé**

Sept répondants considèrent que l'AIPMB est utile en ce sens qu'elle leur permet de mieux prévoir l'incidence d'une nouvelle intervention sur les ressources des services de santé. Les payeurs des coûts additionnels varient selon le régime et selon l'existence variable de payeurs privés dans les différentes juridictions. La plupart des répondants ont affirmé que le régime qu'ils administrent est financé en silos et que, par conséquent, ne peut cumuler des économies, des avantages ou des coûts au-delà de l'incidence sur le budget du régime.

### **Considérations relatives à d'autres médicaments**

Selon un répondant, il arrive que l'AIPMB attire l'attention sur des problèmes que posent d'autres médicaments et fournit de ce fait des informations utiles pour le gestionnaire d'un régime d'assurance-médicaments. Par exemple, une AIPMB peut faire ressortir des médicaments de comparaison dont le régime posologique ou les indications ne correspondent pas aux critères d'utilisation.

### **Autres utilités possibles de l'AIPMB**

Les répondants ont identifié d'autres utilités de l'AIPMB, dont les suivantes :

- amène le fabricant à fournir des renseignements plus exacts et plus complets
- permet de faire un suivi de l'utilisation faite du médicament après son inscription sur la liste des médicaments assurés
- permet au gestionnaire du Programme de soins de santé non assurés (SSNA) d'harmoniser son programme avec les régimes provinciaux.

### **Catégories de médicaments pour lesquels l'AIPMB est effectuée**

Les répondants ont mentionné les catégories de médicaments pour lesquels une AIPMB est effectuée. De l'avis de plusieurs répondants, une AIPMB devrait être soumise avec toute demande d'inscription d'un médicament sur le formulaire de médicaments admissibles à un remboursement. Certains ont fait une distinction sur la base de l'incidence possible : l'AIPMB ne devrait pas être exigée lorsque aucune incidence sur le budget du régime d'assurance-médicaments n'est prévue. Autrement, l'AIPMB devrait être fournie lorsque le médicament est susceptible d'avoir une incidence positive ou négative sur le budget du régime.

Voici quelques commentaires des répondants concernant des catégories de médicaments :

### ***Nouvelles entités chimiques***

Les répondants ont tous reconnu l'importance de l'AIPMB pour les nouvelles entités chimiques et certains considèrent même que cette analyse est prioritaire. L'AIPMB est tout particulièrement utile pour les nouvelles entités chimiques en ce sens qu'il est plus difficile d'évaluer l'incidence du prix d'un médicament lorsqu'il n'existe pas un marché pour le médicament et qu'aucune donnée historique n'est disponible.

### ***Médicaments distribués par une source exclusive***

La plupart des répondants prennent connaissance de l'AIPMB lorsque la demande d'inscription au formulaire vise un médicament distribué par une source exclusive. Certains répondants n'ont pas fait une distinction claire entre les médicaments distribués par une source exclusive et les nouvelles entités chimiques.

### ***Nouvelles formules***

Les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments utilisent l'AIPMB lorsqu'ils sont appelés à évaluer les demandes de modification de la formule et plus particulièrement lorsque la nouvelle formule est susceptible d'avoir une incidence marquée sur le budget comme, par exemple, dans le cas d'un comprimé sublingual présenté dans la forme d'un timbre transdermique.

### ***Nouvelles indications***

La plupart des répondants utilisent l'AIPMB pour évaluer la demande d'inscription d'un médicament sous une nouvelle indication. De l'avis des répondants, l'AIPMB devait faire mention de toutes les indications possibles du médicament et non seulement des indications qui rendent le médicament admissible à un remboursement.

### ***Extension d'une gamme de produits***

La plupart des répondants consultent l'AIPMB dans le cas d'une extension d'une gamme de produits qu'ils décrivent comme de nouvelles formes posologiques de formulations existantes.

### ***Médicaments faisant l'objet d'une nouvelle demande d'inscription au formulaire***

L'AIPMB est utile dans le cas d'une nouvelle demande d'inscription au formulaire, à savoir une demande qui répond à certaines préoccupations soulevées au moment de l'examen de la demande initiale et qui font état de nouveaux éléments d'information ou de nouveaux facteurs.

### ***Médicaments distribués par des sources multiples***

Deux répondants ont indiqué que l'AIPMB est dans certains cas utilisée pour des médicaments distribués par des sources multiples. Ils ont cité l'Apo-omeprazole en exemple.

### ***Influence de l'AIPMB sur le processus de prise de décisions***

Les répondants ont discuté de scénarios dans lesquels une AIPMB aurait pu influencer le processus de prise de décisions. D'une façon générale, toute demande d'inscription d'un médicament dont le prix est susceptible d'avoir une incidence sur le budget du régime doit être étoffée par une AIPMB. Pour les cas où le prix du médicament ne devrait avoir aucune incidence, certains répondants considèrent que l'AIPMB est quand même nécessaire pour éclairer leur décision.

### ***Différentiel du rapport prix-efficacité important***

Pour la plupart des gestionnaires des régimes d'assurance-médicaments l'AIPMB est nécessaire même lorsque le médicament présente une amélioration substantielle sur le plan du rapport prix-efficacité et ce, afin d'éclairer leur décision. Dans certaines juridictions, le différentiel ne peut avoir plus de poids que l'incidence sur le budget dans le processus de prise de décisions.

### ***Crédits supplémentaires requis***

La plupart des gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments exigent une AIPMB lorsque des crédits supplémentaires doivent être obtenus aux fins du remboursement du médicament.

### ***Importance de la population de patients***

La taille de la population de patients susceptibles d'utiliser le médicament ne détermine pas nécessairement l'influence de l'AIPMB sur le processus de prise de décisions. La population couverte par le régime constitue un facteur plus pertinent et un médicament indiqué pour une petite population de patients peut avoir une incidence marquée sur le budget du régime et plus particulièrement dans le cas des petites juridictions.

### ***Importance du critère d'accessibilité d'un point de vue financier dans le processus de prise de décisions***

L'accessibilité du médicament d'un point de vue financier ne préoccupe pas toutes les juridictions. En effet, certains répondants ont affirmé que leur régime n'est pas assujéti à un budget immuable. Toutefois, pour la plupart des répondants, l'accessibilité du médicament d'un point de vue financier constitue un facteur important du processus de prise de décisions.

### ***Incidence importante sur la prestation de services de santé (par ex. incidence sur les visites au médecin, coût des tests de diagnostic)***

Pour la plupart des répondants, il s'agit du scénario dans lequel l'AIPMB est le moins susceptible d'exercer une influence sur le processus de prise de décisions. La plupart des gestionnaires de régime d'assurance-médicaments disent prendre connaissance de l'information présentée dans l'AIPMB, sans nécessairement se laisser influencer par celle-ci au moment de prendre une décision. Certains répondants estiment que l'information est souvent peu fiable.

### ***Influence de l'AIPMB sur les décisions de remboursement***

Les répondants ont été invités à décrire, d'un point de vue qualitatif, l'influence de l'AIPMB sur la décision de rendre ou non un médicament admissible à un remboursement.

#### ***Influence importante***

Dans certaines juridictions, l'AIPMB exerce une très grande influence : même une recommandation positive du PCEM et du CCE ne donnera pas nécessairement lieu à l'inscription du médicament sur le formulaire lorsque cette inscription doit entraîner une dépense supplémentaire pour le régime. Par contre, si le médicament doit donner lieu à une économie de coûts, le médicament sera inscrit au formulaire.

Selon les répondants, l'AIPMB a une influence importante :

- lorsque les données reflètent de façon fidèle la population du régime d'assurance-médicaments
- lorsque le coût du médicament est élevé et qu'il doit entraîner une augmentation marquée des dépenses
- lorsqu'il semble exister un critère clinique de limitation de l'utilisation
- lorsque l'efficacité clinique/relative est dite « équivalente », alors que l'AIPMB fait état d'une incidence plus grande sur le budget que les médicaments de comparaison.

### ***Influences concurrentes***

La valeur clinique du médicament doit être démontrée avant même que son inscription sur le formulaire puisse être considérée. Selon certains répondants, l'AIPMB est habituellement considérée en troisième lieu, soit après l'innocuité et l'efficacité clinique.

Le lobbying peut avoir plus d'influence sur le processus décisionnel que l'AIPMB.

### ***Influence quelconque***

De l'avis de certains répondants, l'AIPMB ne constitue pas un facteur important au niveau de la prise de décisions lorsque l'incidence du médicament sur le budget du régime s'annonce neutre ou peu importante. Par ailleurs, lorsque l'incidence sur le budget est relativement faible et que le médicament présente d'autres avantages, l'AIPMB fait l'objet d'un examen attentif. Dans certaines juridictions, le scepticisme vis-à-vis des hypothèses de l'AIPMB mine l'influence de l'analyse sur le processus décisionnel. L'AIPMB apparaît alors comme un bon point de départ, mais sans plus. Dans les ententes écrites, les prévisions peuvent être différentes de celles de l'AIPMB, ce qui confirme le peu de réalisme de l'AIPMB et fait augmenter le niveau de scepticisme vis-à-vis celle-ci.

### ***Variable selon le scénario***

Selon un répondant, l'importance de l'AIPMB dans le processus de prise de décisions varie selon le type de médicament : pour les médicaments constituant une découverte, l'AIPMB est considérée très importante. Pour les succédanés elle apparaît moins importante et à peu près pas importante pour les extensions d'une gamme de produits.

## **Collaboration avec le fabricant au niveau de la préparation de l'AIPMB**

Les répondants conviennent en général qu'une collaboration avec les fabricants au niveau du processus de préparation de l'AIPMB peut théoriquement se révéler avantageuse. Il est possible de préparer une AIPMB plus utile, plus fiable et plus valide. Il serait intéressant de connaître les hypothèses de base des fabricants. Plus souvent qu'autrement, les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments valident les AIPMB des fabricants avant de les utiliser dans leur province : dans de nombreux cas, ils doivent retravailler d'une façon importante l'AIPMB avant de pouvoir la valider. La collaboration avec les fabricants peut également permettre de mieux comprendre la façon dont le fabricant commercialise son médicament ainsi que les mesures qu'ils prennent pour encourager l'ordonnance de leur médicament. Enfin, l'AIPMB peut fournir des arguments aux fins de la négociation d'ententes.

Malgré ces avantages possibles, la plupart des répondants ont affirmé ne pas avoir le temps ni les ressources requises pour une telle collaboration. Plusieurs répondants ont suggéré de porter cette collaboration à un niveau national. Le modèle et les hypothèses pourraient être établis à un niveau national pendant que les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments s'occuperaient de questions telles que la prévalence et les paramètres du régime d'assurance-médicaments.

Un répondant a dit douter que les fabricants acceptent de collaborer. Selon un autre répondant, dans le scénario actuel où les fabricants doivent composer avec diverses juridictions, il n'est pas exclu qu'ils préfèrent une approche centralisée. Certaines préoccupations ont été exprimées en ce qui concerne l'optique d'une telle collaboration et le besoin d'avoir des règles de jeu équitables de manière à donner à tous les fabricants d'égales possibilités de collaboration.

Une répondante a affirmé que ce type de collaboration existe dans sa juridiction, essentiellement en début de processus sous la forme de la présentation d'information propre à la province, de médicaments de comparaison, de considérations, de taux d'indexation des coûts et d'hypothèses. Ces éléments d'information contextuelle concernant le régime ou la province semblent utiles pour le fabricant.

Un répondant a affirmé qu'il serait très utile de trouver dans la présentation le nom et les coordonnées d'une personne-ressource.

### **L'AIPMB comme outil de planification**

La plupart des juridictions utilisent l'AIPMB pour établir leurs budgets sur un horizon prévisionnel de 3 à 5 ans. L'AIPMB est toutefois limitée comme outil de planification au-delà de cet horizon prévisionnel.

L'AIPMB est également utilisée pour effectuer un suivi à la décision concernant l'inscription du médicament sur le formulaire des médicaments admissibles à un remboursement. Elle sert à évaluer le degré d'utilisation inappropriée par rapport à la situation de départ et à vérifier si les critères d'utilisation limitée donnent de bons résultats. Nombre de questionnaires de régimes d'assurance-médicaments considèrent qu'un suivi diligent exige beaucoup de ressources.

Certains répondants doutent de l'exactitude, de la validité et de la fiabilité de l'AIPMB et hésiteraient à utiliser l'AIPMB comme outil de planification.

### **L'AIPMB et les ententes de partage des risques**

La plupart des répondants n'ont pas une entente de partage des risques dans leur juridiction, mais ils estiment que dans le cas contraire l'AIPMB constituerait alors une base très utile. L'AIPMB permettrait d'évaluer le risque pour la province. Elle pourrait être plus exacte, plus fiable et plus valide si le fabricant savait que l'entente de partage des risques serait négociée à la lumière de l'AIPMB.

En ce qui concerne les répondants dont la juridiction a négocié des ententes de partage des risques, tous s'entendent pour dire que l'AIPMB constitue une référence importante en ce qui a trait à la mesure de l'utilisation. D'après leur expérience, dans les juridictions où il y a une entente de partage des risques, le fabricant fournit généralement des prévisions plus exactes. Il est courant que l'AIPMB originale doit être révisée pour l'entente de partage des risques, ce qui contribue à miner le niveau de confiance à l'égard de l'analyse initiale.

### **L'AIPMB et la négociation du niveau de prix et d'ententes prix/volume**

Aucune des juridictions participantes ne négocie d'ententes concernant les niveaux de prix ou les prix en fonction du volume. Toutefois, de l'avis des répondants, l'AIPMB constituerait un élément important si de telles ententes étaient négociées. Plusieurs répondants ont dit croire que si de telles ententes étaient négociées, les fabricants s'efforceraient de préparer des AIPMB plus exactes, plus fiables et plus valides.

## **Incidence des données économiques sur le processus de prise de décisions du régime d'assurance-médicaments**

Dans la plupart des juridictions, l'AIPMB est considérée complémentaire à l'évaluation économique. Les répondants ont utilisé des termes différents pour nommer les évaluations économiques. Entre autres termes, ils ont utilisé analyses pharmacoéconomiques, analyses de l'économie de la santé et rapport prix-efficacité, tout en exprimant le souhait que les Liges directrices portant sur la préparation d'une AIPMB contiennent des définitions claires.

Plusieurs répondants ont formulé des commentaires concernant l'utilité des recommandations du PCEM dans leur processus de prise de décisions, incluant les évaluations économiques.

Dans certaines juridictions, les décideurs évaluent en premier lieu les avantages cliniques du médicament, en deuxième lieu de son rapport prix-efficacité et, en dernier lieu, l'AIPMB. Lorsqu'un médicament cliniquement efficace se révèle plus efficient du point de vue du prix que ses médicaments de comparaison, les juridictions arrivent à trouver les fonds nécessaires pour en assumer les coûts.

Dans certaines juridictions, le comité consultatif d'experts utilise les données économiques, mais le régime d'assurance-médicaments ne le fait pas à l'interne.

Plusieurs répondants ont exprimé l'avis que les analyses économiques n'ont jamais été vraiment bien faites, ce qui explique qu'elles n'ont pas eu d'influence sur les décisions. Les études sur le rapport coût-efficacité qui se fondent sur une analyse rigoureuse et révisée par des pairs exercent de toute évidence une plus grande influence.

## **Importance relative du budget par rapport au différentiel du rapport prix-efficacité**

Dans les juridictions où les restrictions budgétaires constituent une priorité importante, l'AIPMB a plus d'influence que l'analyse économique. Autrement dit, les budgets peuvent ne pas être suffisants pour couvrir les coûts des médicaments présentant un très bon rapport coût-efficacité. D'autres juridictions arrivent à assumer les dépenses associées au remboursement des médicaments présentant un bon rapport prix-efficacité en appliquant des critères de restriction de leur utilisation et arrivent habituellement à trouver les fonds nécessaires. Dans un petit nombre de juridictions, le rapport prix-efficacité influence plus le processus de prise de décisions que ne le font les AIPMB.

Plusieurs répondants ont mentionné que la décision d'inscrire ou non un médicament sur le formulaire est avant tout une décision clinique. Les avantages cliniques sont pris en compte en premier lieu, avant le rapport prix-efficacité et l'incidence sur le budget.

Les analyses du rapport prix-efficacité n'ont pas toujours été considérées « fiables » parce que les économies et les avantages escomptés ne se sont que bien rarement matérialisés.

## **Magnitude du compromis entre le rapport prix-efficacité et les restrictions budgétaires**

Plusieurs répondants accordent de l'importance à l'équilibre entre le rapport prix-efficacité et les restrictions budgétaires. Le programme commun d'examen des médicaments (PCEM) s'est encore révélé très utile pour démontrer le rapport prix-efficacité et les avantages cliniques. Dans la plupart des juridictions, lorsque l'incidence sur le budget est importante, l'argument du rapport prix-efficacité doit être très solide pour justifier un budget supplémentaire.



Plusieurs juridictions n'hésitent pas à ajouter au formulaire des médicaments efficaces d'un point de vue clinique et tels ajouts sont alors gérés au cas par cas. Les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments peuvent compenser ces ajouts en retirant d'autres médicaments de leur formulaire et en limitant l'utilisation du nouveau médicament. Les incidences sur le budget sont bien sûr prises en considération, mais il y a peu de risque que l'accès à ces médicaments soit refusé.

Certaines autres juridictions ne font aucune concession. Même les médicaments présentant un très bon rapport prix-efficacité ne seront pas ajoutés au formulaire lorsque le régime n'a pas en caisse les fonds requis pour les payer. Une répondante a affirmé que sa province n'a pas ajouté en trois ans et demi un seul nouveau médicament qui entraînait pour le régime une dépense supplémentaire, même si le médicament démontrait un bon rapport prix-efficacité.

Les répondants ont indiqué que lorsque la validité d'une évaluation économique est douteuse et que la preuve de retombées positives est limitée, l'argument du rapport prix-efficacité ne tient plus. Une augmentation du budget constitue une quantité connue. Les régimes hésitent à inscrire un nouveau médicament à leur formulaire à la lumière de prévisions de retombées positives qui sont vagues et qui ne peuvent être validées ou quantifiées.

Plusieurs répondants ont mentionné que la décision d'inscrire ou non un médicament sur le formulaire peut être influencée par des pressions exercées par les intervenants, indépendamment de l'incidence sur le budget ou du rapport prix-efficacité.

### **Considérations sur l'utilité de Lignes directrices concernant les AIPMB**

Tous les répondants croient en l'utilité des Lignes directrices concernant les AIPMB. Voici quelques commentaires et suggestions entendus dans le cours du sondage.

#### ***Lignes directrices utiles***

De l'avis des répondants, les critères suivants pourraient contribuer à assurer l'utilité des Lignes directrices :

- elles devraient être faciles d'emploi, interactives et simples
- elles devraient constituer un outil de travail utile pour l'industrie
- elles ne devraient pas exiger des données qui ne peuvent être validées, qui ne sont pas fiables ou qui ne seront pas utilisées (par ex. données ésotériques ou tout simplement intéressantes)
- elles devraient avoir une certaine rigueur
- elles devraient être faciles à comprendre pour les décideurs
- elles devraient être disponibles en format électronique, en CD-ROM, voire même sur le site Web central dans un format interactif.

#### ***Spécificité***

La plupart des répondants ont mentionné l'importance de la spécificité. En effet, les Lignes directrices seront plus utiles si elles peuvent être adaptées aux besoins des différentes juridictions afin de refléter la prévalence, la démographie, la structure du régime d'assurance-médicaments, etc.

### **Processus centralisé de réception et d'examen des AIPMB**

Un certain nombre de répondants se sont exprimés sur les avantages d'un processus centralisé de réception et d'examen des AIPMB, lequel fonctionnerait en parallèle avec le Programme commun d'examen des médicaments (PCEM). Tel processus tiendrait compte des différences entre les régimes ainsi que du besoin de spécificité dont il a été question dans le paragraphe précédent. Il a été suggéré de confier au PCEM les analyses de haut niveau, y compris les analyses des médicaments de comparaison et des hypothèses. Le rôle des bases de données du SNIUMP dans cette approche a été souligné. Selon un des répondants, l'établissement d'un lien entre des lignes directrices portant sur la préparation de l'AIPMB et les lignes directrices économiques pourrait aider les payeurs et l'industrie. Plusieurs répondants ont fait des commentaires concernant le manque de compétences en pharmacoéconomie. Cette expertise est en effet limitée et la centralisation, lorsque possible, pourrait s'avérer utile.

### **Économie de temps et de travail**

De l'avis de la majorité des répondants, l'utilisation par les fabricants des lignes directrices portant sur la préparation de l'AIPMB donnerait lieu à une économie de temps voire même à de meilleures analyses. Une réduction du travail d'examen dans les différentes juridictions serait assurément appréciée.

### **Participation des fabricants**

Bon nombre de répondants s'interrogent sur ce qui pourrait être fait pour amener les fabricants à suivre les lignes directrices. On note à l'heure actuelle de grandes différences au niveau de la qualité des demandes d'inscription au formulaire. Quelles mesures pourraient être prises pour encourager les fabricants à suivre les lignes directrices et quelles pénalités pourraient être imposées si elles ne le font pas ? Le gestionnaire d'un régime d'assurance-médicaments pourrait-il rejeter une demande dont la qualité laisse à désirer ? Il semble que les fabricants d'une juridiction qui considèrent le modèle d'AIPMB comme une vague ligne directrice ne le suivent à peu près pas. Les répondants estiment important que les fabricants de médicaments acceptent le modèle d'AIPMB et qu'ils le suivent et qu'ils suivent également les lignes directrices portant sur sa préparation.

### **Partage entre les différentes juridictions de l'information contenue dans les AIPMB**

Certains gestionnaires de régime approuvent l'idée du partage entre les juridictions de l'information contenue dans les AIPMB. Un répondant apprécierait avoir accès à l'information fournie dans les AIPMB sous forme de tableaux ventilés par province et par territoire avec des hypothèses clairement formulées. D'autres répondants aimeraient que les AIPMB soient présentées aux autres juridictions, mais doutent de l'utilité réelle de l'information. Les différences entre les régimes rendraient difficiles les comparaisons.

### **Autres commentaires et conseils**

#### **Régimes privés d'assurance-médicaments**

Plusieurs répondants ont suggéré de mener un sondage semblable au présent sondage auprès des gestionnaires de régimes privés d'assurance-médicaments. Ils ont fait valoir les avantages de l'AIPMB pour l'ensemble de la population, avec analyse de l'incidence sur les régimes d'assurance-médicaments publics et privés.

## Composantes que les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments souhaiteraient trouver dans l'AIPMB

Les répondants ont été invités à classer sur une échelle de 1 à 5 différentes composantes de l'AIPMB, le chiffre 1 désignant une composante pas importante, 3 une composante importante et 5 une composante très importante. Les données détaillées sont présentées dans l'annexe. Les numéros de composante inscrits dans le tableau sont les mêmes que ceux de l'annexe. Vous trouverez ci-après un sommaire des composantes classées par ordre d'importance avec à l'extrême droite du tableau les commentaires des répondants.

Très important (classement de 4 ou 5 par plus de 50 % des répondants)	Peu ou pas important (classement de 3 ou moins par plus de 50 % des répondants)	Observations des répondants
<b>1.0 Perspective</b>		
<p>1.1 L'AIPMB devrait faire clairement état qu'elle s'inscrit dans la perspective du souscripteur du régime d'assurance-médicaments (100 %)</p> <p>1.2 L'AIPMB devrait présenter clairement les coûts que devra assumer le souscripteur du régime ainsi que les économies qu'il réalisera (92 %)</p> <p>1.3 La pertinence des coûts de soins de santé, des économies et des avantages doit être justifiée dans la perspective du souscripteur du régime (92 %)</p> <p>1.4 Les résultats doivent être présentés d'une façon globale et d'une façon ventilée (75 %)</p> <p>1.5 Les résultats doivent porter sur l'incidence sur le budget du régime de soins de santé dans son ensemble (65 %)</p>	<p>1.6 Les résultats doivent porter sur l'incidence sur le budget du régime de soins de santé (50 %)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Les points 1.1 – 1.3 sont les plus importants.</li> <li>• 1.1 : Cette composante est souvent prise en compte au moment d'évaluer l'utilité de l'analyse. Les fabricants posent une série d'hypothèses relatives à l'agent-payeur. Ces hypothèses ne sont pas nécessairement exactes. Elles peuvent également se fonder sur un modèle établi à la lumière de l'information sur les ventes et par la suite être adapté au modèle de l'agent-payeur.</li> <li>• 1.4 : Données présentées d'une façon globale/ventilée : le sens de cette expression n'est pas clair— les données sont-elles ventilées par groupe d'âge ou par régime d'assurance-médicaments ?</li> <li>• 1.6 : Notre régime d'assurance-médicaments ne considère que l'incidence sur le budget d'achat de médicaments étant donné que les autres coûts ne relèvent pas de sa compétence.</li> <li>• 1.6 : Information requise concernant la séparation entre les régimes couverts dans notre juridiction : ministère de la Santé versus d'autres ministères, mais il est utile de connaître l'incidence sur le ministère de la Santé.</li> <li>• 1.6 : Budget général des soins de santé : information intéressante, mais les économies sont plutôt minces.</li> </ul>
<b>2.0 Sources, fiabilité et pertinence des données</b>		
<p>2.1 Identification claire de la source (ou des sources) des données épidémiologiques : incidence (82 %)</p> <p>2.2 Identification claire de la source (ou des sources) des données épidémiologiques : Prévalence (91 %)</p> <p>2.3 Identification claire de la source (ou des sources) d'information sur les modèles actuels de prestation de soins et d'utilisation des ressources (90 %)</p> <p>2.4 Identification claire de la source (des sources) concernant l'utilisation prévue des ressources (73 %)</p> <p>2.5 Identification claire de la source (ou des sources) d'information sur les coûts prévus des ressources (64 %)</p> <p>2.6 Prévalence et incidence spécifiées pour les groupes nationaux, les juridictions et les groupes culturels (64 %)</p> <p>2.7 Formulation claire des hypothèses à défaut de données référencées (83 %)</p> <p>2.8 Pertinence de toutes les données justifiées (83 %)</p> <p>2.9 Pertinence de toutes les hypothèses justifiées (92 %)</p>	<p>2.10 Capacité de modifier les hypothèses dans un modèle interactif (59 %)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Il y aurait lieu d'expliquer clairement ce qu'on entend par pertinence et par utilisation des ressources.</li> <li>• L'identification de source n'est pertinente que si elle se rapporte à la population de patients desservie par notre programme. Autrement, l'identification ne fournit que le contexte et ne se rapporte pas directement à la population de patients touchée par les décisions d'inscrire ou non le médicament sur le formulaire.</li> <li>• Recommandation du Programme commun d'examen des médicaments – très importante.</li> <li>• Notre régime d'assurance-médicaments n'est responsable que des coûts du médicament et des ressources de la pharmacie. Les coûts des autres ressources ne relèvent pas de notre compétence.</li> <li>• 2.10 : Le modèle interactif n'est valable que si l'AIPMB se fonde sur des données de qualité.</li> </ul>

Très important (classement de 4 ou 5 par plus de 50 % des répondants)	Peu ou pas important (classement de 3 ou moins par plus de 50 % des répondants)	Observations des répondants
<b>3.0 Indications</b>		
3.1 Indications énoncées d'une façon claire et détaillée (83 %)		<ul style="list-style-type: none"> <li>• 3.2 : Il n'y a aucun problème à ce que le gestionnaire du régime limite le médicament à certaines indications.</li> </ul>
3.2 Prévisions d'utilisations non appropriées du médicament (par ex. Utilisation par une population autre que celle à laquelle le médicament est destiné, utilisation non mentionnée dans la documentation) (67 %)		<ul style="list-style-type: none"> <li>• Quelle est la différence entre une utilisation non pertinente et une utilisation inappropriée ?</li> <li>• Les indications doivent avoir un lien avec le statut de médicament admissible à un remboursement que demande le fabricant. Même si cet élément d'information est important, je doute qu'un fabricant en fasse rapport d'une façon fidèle.</li> </ul>
3.3 Prévision d'utilisations de médicaments autres que celles indiquées (67 %)		<ul style="list-style-type: none"> <li>• Il serait également intéressant de connaître l'expérience des autres juridictions – début, utilisation non appropriée, etc.</li> </ul>
<b>4.0 Populations touchées</b>		
4.1 Description claire des groupes de patients pour lesquels le médicament est indiqué (92 %)		<ul style="list-style-type: none"> <li>• Tous les médicaments comparables de la catégorie thérapeutique devraient être définis en premier lieu afin de déterminer le marché et ses caractéristiques. Les groupes de patients devraient être définis en deuxième lieu selon le médicament.</li> </ul>
4.2 Analyse de la sous-population : description des sous-populations qui sont les plus susceptibles de profiter des avantages du médicament (67 %)		<ul style="list-style-type: none"> <li>• Pour être claire, la détermination des groupes de patients devrait tenir compte des règles du régime d'assurance-médicaments de la province, dont la couverture limitée sur la base de la thérapie de deuxième ligne, etc.</li> </ul>
4.3 Prévisions d'utilisation par une population non appropriée (par ex. mauvais groupe d'âge, indication pour cette population non appuyée par les documents) (59 %)		<ul style="list-style-type: none"> <li>• Les indications devraient être associées à la population du régime d'assurance-médicaments.</li> </ul>
4.4 Prévisions de l'utilisation par un groupe de la population pour lequel le médicament n'est pas indiqué (64 %)		<ul style="list-style-type: none"> <li>• Les indications doivent avoir un lien avec le statut de médicament admissible à un remboursement que demande le fabricant. Même si cet élément d'information est important, je doute qu'un fabricant en fasse rapport d'une façon fidèle.</li> <li>• Les données sur les populations affectées sont plus utiles que les données sur les indications. Les données sur les populations fournissent de l'information sur les dépenses dans ma juridiction.</li> </ul>
<b>5.0 Taux d'adoption</b>		
5.1 Estimation des différents taux de diffusion du médicament sur un horizon de 3 à 5 ans (84 %)	5.2 Incidence prévue des mesures prises pour mousser la demande (promotion du fabricant, publicité s'adressant directement aux consommateurs, affichage d'informations sur internet et sur d'autres médias d'information) (58 %)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Les points 5.2 et 5.3 sont les plus difficiles à évaluer.</li> <li>• 5.2 : Le DTCA n'est pas légal au Canada, mais les médias de notre voisin du Sud peuvent exercer une influence sur le comportement de notre population.</li> <li>• Je n'ai jamais vu un modèle aussi détaillé. Il est presque impossible de prévoir des taux de croissance comme ceux-là.</li> </ul>
	5.3 Incidence des nouvelles technologies sur les saines habitudes de vie (65 %)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Je doute que l'on puisse quantifier avec précision les deux derniers éléments. Par conséquent, ils ne sont probablement pas utiles.</li> </ul>

Très important (classement de 4 ou 5 par plus de 50 % des répondants)	Peu ou pas important (classement de 3 ou moins par plus de 50 % des répondants)	Observations des répondants
<b>6.0 Horizon prévisionnel</b>		
6.1 Prédiction de l'incidence financière sur un horizon d'au moins deux ans après la date d'inscription du médicament sur le formulaire (58 %)		<ul style="list-style-type: none"> <li>• La plupart des médicaments atteignent leur sommet de croissance au cours de la première ou de la deuxième année.</li> </ul>
6.2 Prédiction de l'incidence financière sur un horizon d'au moins trois à cinq ans après la date d'inscription du médicament sur le formulaire (82 %)		
6.3 Prédiction de l'incidence financière annuelle jusqu'au moment où le médicament devrait atteindre le sommet de ses ventes ou une certaine stabilité au niveau de ses parts de marché (60 %)		
<b>7.0 Demandes complémentaires</b>		
7.1 Estimation de l'utilisation concomitante d'autres médicaments ainsi que des coûts (84 %)	7.2 Coût des conditions préalables à une introduction efficace d'un médicament (par ex. installations de formation, de technologie et de diagnostic) (83 %)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 7.2 : Peu de médicaments ont une telle incidence. Les fabricants assument une partie de ces coûts (par ex. centres de perfusion pour l'administration du Remicade).</li> <li>• Le coût serait adéquat s'il doit être assumé par le régime public de soins de santé.</li> </ul>
	7.3 Estimation de l'élasticité de l'approvisionnement en intrants (formation d'appoint, réutilisation) (89 %)	
<b>8.0 Substitution des traitements existants</b>		
8.1 Identification des thérapies susceptibles d'être remplacées par une nouvelle intervention (100 %)		
8.2 Description des scénarios dans lesquels les patients opteraient pour le nouveau traitement et calcul des coûts (100 %)		
8.3 Estimation des taux de substitution (90 %)		
<b>9.0 Probabilité de réaffectation des ressources</b>		
	9.1 Prédiction de la probabilité d'une réaffectation des économies de main-d'œuvre à d'autres secteurs de soins de santé (100 %)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• L'analyse doit tourner autour des économies auxquelles donne lieu le groupe référent au niveau du budget du régime d'assurance-médicaments. Les économies réalisées dans d'autres secteurs de la santé ne doivent pas être comparées sauf si elles sont importantes et démontrées, ce qui ne devrait pas être le cas pour les coûts encourus au niveau des hôpitaux.</li> </ul>
	9.2 Prédiction de la probabilité d'une réaffectation des économies en immobilisations à d'autres secteurs de soins de santé (100 %)	
	9.3 Prédiction de la façon dont seront réalisées les économies (89 %)	

Très important (classement de 4 ou 5 par plus de 50 % des répondants)	Peu ou pas important (classement de 3 ou moins par plus de 50 % des répondants)	Observations des répondants
<b>10.0 Transparence</b>		
<p>10.1 Bonne compréhension des hypothèses (92 %)</p> <p>10.2 Bonne compréhension des relations assumées entre les variables et les résultats obtenus (par ex. problèmes de santé et hospitalisations) (86 %)</p> <p>10.4 Inclusion de différents scénarios dans le modèle (57 %)</p> <p>10.5 Accès des décideurs au modèle (54 %)</p> <p>10.6 Description de la relation entre les effets thérapeutiques intermédiaires et les effets thérapeutiques à long terme (quelle sera l'incidence à long terme pour les nouveaux agents dérivés ?) (59 %)</p>	<p>10.3 Modèle de prévision aussi interactif que possible (58 %)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 10.1 : la qualité du modèle construit étant fonction de la qualité des hypothèses, on ne saurait trop insister sur l'importance des hypothèses.</li> <li>• 10.3 : Le modèle interactif pourrait être utile, mais tout dépend de la qualité de l'information fournie par l'AIPMB.</li> <li>• 10.4 : Il n'est pas utile d'inclure un trop grand nombre de scénarios. Mieux vaut se limiter à un ou deux scénarios et accorder le plus d'importance au scénario sur l'utilisation optimale/la plus appropriée.</li> <li>• 10.5 : L'accès du décideur au modèle n'est en général pas vraiment utile sauf si le créateur en donne un aperçu. Autrement, l'interprétation risque d'être fautive.</li> </ul>
<b>11.0 Analyse de l'incertitude et de la sensibilité</b>		
<p>11.1 Inclusion d'analyses de sensibilité des paramètres lorsqu'il y a incertitude ou qu'il n'y a pas d'entente (75 %)</p>		<ul style="list-style-type: none"> <li>• D'un point de vue économique, les analyses de sensibilité font systématiquement partie de toute analyse coût-avantages qui se respecte... telle analyse devrait également figurer dans l'AIPMB.</li> </ul>
<b>12.0 Rapport des résultats</b>		
<p>12.1 Coûts présentés d'une façon regroupée et d'une façon ventilée (58 %)</p> <p>12.3 Coût/Montant réclamé (55 %)</p> <p>12.4 Total des coûts de traitement (67 %)</p>	<p>12.2 Résultats exprimés en unités naturelles et en unités monétaires (unité naturelle s'entend de nombre de lits d'hôpital, temps de prestation de soins infirmiers, tests de laboratoire, équipement de diagnostic) (66 %)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 12.1 : La forme de présentation ventilée n'est importante que lorsque la méthodologie suivie est expliquée d'une façon claire et détaillée. Souvent, les hypothèses utilisées ne sont pas présentées dans l'AIPMB. Dans un tel cas, l'examen de l'information ventilée n'a pas autant de valeur.</li> <li>• 12.2 : Notre régime d'assurance-médicaments n'assume pas ces coûts.</li> </ul>

## Résultats du sondage

(n = 12)

### Section 1 : Perspective

Répondants ont été invités à exprimer leur opinion concernant les énoncés suivants (1 = pas d'accord 3 = d'accord 5 = tout à fait d'accord)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
1.1 L'AIPMB devrait faire clairement état qu'elle s'inscrit dans la perspective du souscripteur du régime d'assurance-médicaments				2	10	12
				17 %	83 %	100 %
1.2 L'AIPMB devrait présenter clairement les coûts que devra assumer le souscripteur du régime ainsi que les économies qu'il réalisera			1		11	12
			8 %		92 %	100 %
1.3 La pertinence des coûts de soins de santé, des économies et des avantages doit être justifiée dans la perspective du souscripteur du régime			1	1	10	12
			8 %	8 %	84 %	100 %
1.4 Les résultats doivent être présentés d'une façon globale et d'une façon ventilée		1	2	5	4	12
		8 %	17 %	42 %	33 %	100 %
1.5 Les résultats doivent porter sur l'incidence sur le budget du régime de soins de santé dans son ensemble	1		4	3	2	10
	10 %		40 %	30 %	20 %	100 %
1.6 Les résultats doivent porter sur l'incidence sur le budget du régime de soins de santé, et plus particulièrement en ce qui concerne les médicaments	1		3	2	6	12
	8 %		25 %	17 %	50 %	100 %

#### Observations :

- Énoncés 1 – 3 sont les plus importants
- L'AIPMB devrait faire état qu'elle s'inscrit dans la perspective du souscripteur du régime d'assurance-médicaments, mais cette mention pose souvent un problème en ce qui concerne l'utilité de ces rapports. Les fabricants formulent un certain nombre d'hypothèses concernant le souscripteur, mais celles-ci ne sont pas nécessairement exactes. Elles peuvent également se fonder sur un modèle établi à la lumière de l'information sur les ventes et par la suite être adapté au modèle de l'agent-payeur.
- Le Programme des SSNA ne peut évaluer que l'incidence sur le budget des médicaments puisque les autres coûts associés ne relèvent pas de sa compétence.
- Données présentées d'une façon globale/ventilée : le sens de cette expression n'est pas clair – les données sont-elles ventilées par groupe d'âge ou par régime d'assurance-médicaments ?
- Information requise concernant la séparation entre les régimes couverts dans notre juridiction : ministère de la Santé versus d'autres ministères, mais il est utile de connaître l'incidence sur le ministère de la Santé.
- Budget général des soins de santé : information intéressante, mais les économies sont plutôt minces.

## Section 2 : Sources des données, fiabilité des données et pertinence des données

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
2.1 Identification claire de la source (ou des sources) des données épidémiologiques : incidence			2 18 %		9 82 %	11 100 %
2.2 Identification claire de la source (ou des sources) des données épidémiologiques : Prévalence			1 9 %		10 91 %	11 100 %
2.3 Identification claire de la source (ou des sources) d'information sur les modèles actuels de prestation de soins et d'utilisation des ressources			1 10 %	1 10 %	8 80 %	10 100 %
2.4 Identification claire de la source (ou des sources) d'information sur l'utilisation prévue des ressources	1 9 %	2 18 %	3 27 %	5 46 %	11 100 %	
2.5 Identification claire de la source (ou des sources) d'information sur les coûts prévus des ressources	1 9 %	3 27 %	2 18 %	5 46 %	11 100 %	
2.6 Prévalence et incidence spécifiées pour les groupes nationaux, les juridictions et les groupes culturels	2 18 %	2 18 %	1 9 %	6 55 %	11 100 %	
2.7 Formulation claire des hypothèses à défaut de données référencées			2 17 %	1 8 %	9 75 %	12 100 %
2.8 Pertinence de toutes les données justifiées			2 17 %	2 17 %	8 66 %	12 100 %
2.9 Pertinence de toutes les hypothèses justifiées			1 8 %	1 8 %	10 84 %	12 100 %
2.10 Capacité de modifier les hypothèses dans un modèle interactif	2 17 %	5 42 %	4 33 %	1 8 %	12 100 %	

### Observations :

- Il y aurait lieu d'expliquer clairement ce qu'on entend par pertinence et par utilisation des ressources.
- L'identification de source n'est pertinente que si elle se rapporte à la population de patients desservie par notre programme. Autrement, l'identification ne fournit que le contexte et ne se rapporte pas directement à la population de patients touchée par les décisions d'inscrire ou non le médicament sur le formulaire.
- Recommandation du Programme commun d'examen des médicaments – très importante.
- Notre régime d'assurance-médicaments n'est responsable que des coûts du médicament et des honoraires du pharmacien. Les coûts des autres ressources ne relèvent pas de notre compétence.
- Le modèle interactif n'est valable que si l'AIPMB se fonde sur des données de qualité.



## Section 3 : Indications visées

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
3.1 Indications énoncées d'une façon claire et détaillée			2 17 %	3 25 %	7 58 %	12 100 %
3.2 Prévisions d'utilisations non appropriées du médicament (par ex. Utilisation par une population autre que celle à laquelle le médicament est destiné, utilisation non mentionnée dans la documentation)		1 8 %	3 25 %	2 17 %	6 50 %	12 100 %
3.3 Prévision d'utilisations de médicaments autres que celles indiquées		1 8 %	3 25 %	3 25 %	5 42 %	12 100 %

### Observations :

- 3.2 : Il n'y a aucun problème à ce que le gestionnaire du régime limite le médicament à certaines indications.
- Quelle est la différence entre une utilisation non pertinente et une utilisation inappropriée ?
- L'admissibilité au remboursement par le régime devrait être liée à l'indication du médicament.
- Les indications doivent avoir un lien avec le statut de médicament admissible à un remboursement que demande le fabricant. Même si cet élément d'information est important, je doute qu'un fabricant en fasse rapport d'une façon fidèle.
- Il serait également intéressant de connaître l'expérience des autres juridictions – début, utilisation non appropriée, etc.

## Section 4 : Populations visées

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
4.1 Description claire des groupes de patients pour lesquels le médicament est indiqué			1 8 %	1 8 %	10 84 %	12 100 %
4.2 Analyse de la sous-population : description des sous-populations qui sont les plus susceptibles de profiter des avantages du médicament			4 33 %	2 17 %	6 50 %	12 100 %
4.3 Prévisions de l'utilisation par un groupe de la population pour lequel le médicament n'est pas indiqué (par ex. mauvais groupe d'âge, indication non mentionnée dans la documentation pour cette population)		1 8 %	4 33 %	2 17 %	5 42 %	12 100 %
4.4 Prévisions de l'utilisation par un groupe de la population pour lequel le médicament n'est pas indiqué			4 36 %	3,5 32 %	3,5 32 %	11 100 %

### Observations :

- Tous les médicaments comparables de la catégorie thérapeutique devraient être définis en premier lieu afin de déterminer le marché et ses caractéristiques. Les groupes de patients devraient être définis en deuxième lieu selon le médicament.
- Pour être claire, la détermination des groupes de patients devrait tenir compte des règles du régime d'assurance-médicaments de la province, dont la couverture limitée sur la base de la thérapie de deuxième ligne, etc.
- Les indications devraient être associées à la population du régime d'assurance-médicaments.
- Les indications doivent avoir un lien avec le statut de médicament admissible à un remboursement que demande le fabricant. Même si cet élément d'information est important, je doute qu'un fabricant en fasse rapport d'une façon fidèle.
- Les données sur les populations affectées sont plus utiles que les données sur les indications. Les données sur les populations fournissent de l'information sur les dépenses dans ma juridiction.

## Section 5 : Taux d'adoption

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
5.1 Estimation des différents taux de diffusion du médicament sur un horizon de 3 à 5 ans	1 8 %	1 8 %		3 25 %	7 59 %	12 100 %
5.2 Incidence prévue des mesures prises pour mousser la demande (promotion du fabricant, publicité s'adressant directement aux consommateurs, affichage d'informations sur internet et sur d'autres médias d'information)	1 8 %	3 25 %	3 25 %	4 34 %	1 8 %	12 100 %
5.3 Incidence des nouvelles technologies sur les saines habitudes de vie	1 8 %	3 25 %	5 42 %	2 17 %	1 8 %	12 100 %

### Observations :

- Les points 5.2 et 5.3 sont les plus difficiles à évaluer
- 5.2 : Le DTCA n'est pas légal au Canada, mais les médias de notre voisin du Sud peuvent exercer une influence sur le comportement de notre population
- Je n'ai jamais vu un modèle aussi détaillé. Il est presque impossible de prévoir des taux de croissance comme ceux-là.
- Je doute que l'on puisse quantifier avec précision les deux derniers éléments. Par conséquent, ils ne sont probablement pas utiles.

## Section 6 : Horizon prévisionnel

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
6.1 Prévision de l'incidence financière sur un horizon d'au moins deux ans après la date d'inscription du médicament sur le formulaire.		1 8 %	4 33 %	4 33 %	3 25 %	12 100 %
6.2 Prévision de l'incidence financière sur un horizon d'au moins trois à cinq ans après la date d'inscription du médicament sur le formulaire.		1 9 %	1 9 %	5 45 %	4 37 %	11 100 %
6.3 Prévision de l'incidence financière annuelle jusqu'au moment où le médicament devrait atteindre le sommet de ses ventes ou une certaine stabilité au niveau de ses parts de marché stable.		2 20 %	2 20 %	3 30 %	3 30 %	10 100 %

### Observations :

- La plupart des médicaments atteignent leur sommet de croissance au cours de la première ou de la deuxième année.

## Section 7 : Demandes complémentaires

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
7.1 Estimation de l'utilisation concomitante d'autres médicaments ainsi que des coûts		1 8 %	1 8 %	1 8 %	9 76 %	12 100 %
7.2 Coût des conditions préalables à une introduction efficace d'un médicament (par ex. installations de formation, de technologie et de diagnostic)	1 8 %	5,5 46 %	3,5 29 %		2 17 %	12 100 %
7.3 Estimation de l'élasticité de l'approvisionnement en intrants (formation d'appoint, réoutillage)	1 11 %	4,5 50 %	2,5 28 %	1 11 %		9 100 %

### Observations :

- 7.2 : Peu de médicaments ont une telle incidence. Les fabricants assument une partie de ces coûts (par ex. centres de perfusion pour l'administration du Remicade)
- Le coût serait adéquat s'il doit être assumé par le régime public de soins de santé

## Section 8 : Substitution de traitements existants

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
8.1 Identification des thérapies susceptibles d'être remplacées par une nouvelle intervention				2 17 %	10 83 %	12 100 %
8.2 Description de scénarios dans lesquels les patients opteraient pour le nouveau traitement et calcul des coûts				2 17 %	10 83 %	12 100 %
8.3 Estimation des taux de substitution			1 10 %		9 90 %	10 100 %

### Observations :

## Section 9 : Probabilité de réaffectation des ressources

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
9.1 Prévision de la probabilité d'une réaffectation des économies de main-d'œuvre à d'autres secteurs de soins de santé.	3,5 32 %	4,5 41 %	3 27 %			11 100 %
9.2 Prévision de la probabilité d'une réaffectation des économies en immobilisations à d'autres secteurs de soins de santé.	3 28 %	4 36 %	4 36 %			11 100 %
9.3 Prévision de la façon dont seront réalisées les économies.		3 34 %	5 55 %	1 11 %		9 100 %

### Observations :

- L'analyse doit tourner autour des économies auxquelles donne lieu le groupe référent au niveau du budget du régime d'assurance-médicaments. Les économies réalisées dans d'autres secteurs de la santé ne doivent pas être comparées sauf si elles sont importantes et démontrées, ce qui ne devrait pas être le cas pour les coûts encourus au niveau des hôpitaux.

## Section 10 : Transparence

Les répondants ont été invités à donner l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
10.1 Bonne compréhension des hypothèses.			1 8 %	2 17 %	9 75 %	12 100 %
10.2 Bonne compréhension des relations assumées entre les variables et les résultats obtenus (par ex. problèmes de santé et hospitalisations)			1,5 14 %	1,5 14 %	8 72 %	11 100 %
10.3 Modèle de prévision aussi interactif que possible		2 17 %	5 41 %	2 17 %	3 25 %	12 100 %
10.4 Inclusion de différents scénarios dans le modèle.		1 8 %	3 25 %	3 25 %	5 42 %	12 100 %
10.5 Accès des décideurs au modèle.	1 10 %	2 18 %	2 18 %	3 27 %	3 27 %	11 100 %
10.6 Description de la relation entre les effets thérapeutiques intermédiaires et les effets thérapeutiques à long terme (quelle sera l'incidence à long terme pour les nouveaux agents dérivés ?)		1 9 %	3,5 32 %	2,5 23 %	4 36 %	11 100 %

### Observations :

- Il n'est pas utile d'inclure un trop grand nombre de scénarios. Mieux vaut se limiter à un ou deux scénarios et accorder le plus d'importance au scénario sur l'utilisation optimale/la plus appropriée.
- La qualité du modèle construit étant fonction de la qualité des hypothèses, on ne saurait trop insister sur l'importance des hypothèses.
- L'accès du décideur au modèle n'est en général pas vraiment utile sauf si le créateur en donne un aperçu. Autrement, l'interprétation risque d'être fautive.
- Le modèle interactif pourrait être utile, mais tout dépend de la qualité de l'information fournie par l'AIPMB.

## Section 11 : Analyses d'incertitude et de sensibilité

Les répondants sont invités à faire état de l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
11.1 Inclusion d'analyses de sensibilité des paramètres lorsqu'il y a incertitude ou qu'il n'y a pas d'entente.			3 25 %	4 33 %	5 42 %	12 100 %

### Observations :

- D'un point de vue économique, les analyses de sensibilité font systématiquement partie de toute analyse coût-avantages qui se respecte... telle analyse devrait également figurer dans l'AIPMB.

## Section 12 : Rapport des résultats

Les répondants sont invités à faire état de l'importance qu'ils accordent aux éléments suivants d'une AIPMB  
(1 = pas important 3 = important 5 = très important)

Composante de l'AIPMB	1	2	3	4	5	n
12.1 Coûts présentés d'une façon regroupée et d'une façon ventilée.		1 9 %	4 33 %	3 25 %	4 33 %	12 100 %
12.2 Résultats exprimés en unités naturelles et en unités monétaires (unité naturelle s'entend de nombre de lits d'hôpital, temps de prestation de soins infirmiers, tests de laboratoire, équipement de diagnostic).		3,5 29 %	4,5 37 %	2 17 %	2 17 %	12 100 %
12.3 Coût/Montant réclamé.	1 9 %	1 9 %	3 27 %	2 19 %	4 36 %	11 100 %
12.4 Total des coûts de traitement.			4 33 %		8 67 %	12 100 %

### Observations :

- La forme de présentation ventilée n'est importante que lorsque la méthodologie suivie est expliquée d'une façon claire et détaillée. Souvent, les hypothèses utilisées ne sont pas présentées dans l'AIPMB. Dans un tel cas, l'examen de l'information ventilée n'a pas autant de valeur.
- Notre régime d'assurance-médicaments n'assume pas ces coûts.

# Annexe 1.b : Questionnaire du sondage



## Questions de l'entrevue téléphonique

*“Les médicaments présentant un bon rapport prix-efficacité peuvent quand même se révéler coûteux”.*  
(A. Laupacis)

### Introduction

Le questionnaire qui suit constitue un complément au sondage sur l'importance de différentes composantes des analyses de l'incidence du prix des médicaments sur le budget du régime d'assurance-médicaments (AIPMB). Les gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments recevront le questionnaire du sondage et le présent guide d'entrevue avant l'entrevue téléphonique. Idéalement, les gestionnaires auront répondu au questionnaire du sondage avant de passer l'entrevue.

### Définitions

Aux fins du présent sondage, l'expression « Analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur le budget du régime d'assurance-médicaments » s'entend des macro-conséquences de l'inscription d'un médicament sur le formulaire des médicaments admissibles à un remboursement d'un régime provincial d'assurance-médicaments. (Orlewska and Mierzejewski, 2004). L'analyse s'intéresse à l'accessibilité du médicament d'un point de vue financier dans un contexte de restrictions budgétaires. Elle tente de prévoir l'incidence d'une nouvelle intervention sur les ressources des services de santé (Brown et Boucher, 2002)

Les évaluations économiques évaluent quant à elles le rapport prix-efficacité d'un médicament dans une perspective sociétale. Une analyse économique exhaustive compare au moins deux traitements sous l'angle des coûts et des conséquences. Elle comporte les deux éléments-clés suivants : (a) comparaison entre les différents choix possibles et (b) analyse des coûts et des conséquences (Brown, 2001, Drummond, 1997).

## Questionnaire de l'entrevue

1. Utilisez-vous les AIPMB ?
  - a. Si « oui », comment les utilisez-vous ?
  - b. Si « non », pourquoi ne les utilisez-vous pas ?
2. Parmi les utilités suivantes l'AIPMB, lesquelles vous apparaissent les plus importantes ? (veuillez identifier toutes les utilités que vous jugez importantes)
  - a. Évalue l'incidence d'une nouvelle intervention sur le formulaire ou sur le budget du régime de santé
  - b. S'intéresse à la question de l'accessibilité d'un point de vue financier et du respect des limites budgétaires
  - c. Tente de prévoir l'incidence d'une nouvelle intervention sur les ressources des services de santé
  - d. Autre – veuillez préciser.
3. Pour quels médicaments devrait-on exiger une AIPMB ?
  - a. Nouvelles substances actives
  - b. Médicaments distribués par une source exclusive
  - c. Extension d'une gamme de produits
  - d. Médicaments faisant l'objet d'une nouvelle demande d'inscription au formulaire
  - e. Autre – veuillez préciser.
4. L'AIPMB influence-t-elle votre décision dans l'un ou l'autre des scénarios suivants ?
  - a. Lorsque le différentiel prix-efficacité du médicament est assez marqué
  - b. Lorsque des crédits supplémentaires sont nécessaires
  - c. Lorsque la population de patients est importante
  - d. Importance de l'accessibilité du médicament d'un point de vue financier dans le processus décisionnel
  - e. Incidence importante sur la prestation de services (par ex. incidence sur les visites au médecin, coût des tests de diagnostic)
  - f. Autre – veuillez préciser.
5. Quelle importance accordez-vous à l'AIPMB lorsqu'une décision doit être prise relativement à l'admissibilité d'un médicament à un remboursement ?
6. Croyez-vous qu'il serait utile de collaborer avec le fabricant au niveau de l'élaboration d'une AIPMB ? Veuillez expliquer.
7. D'après vous, quelles sont les lacunes les plus courantes des AIPMB que vous soumettent les fabricants ?
8. L'AIPMB constitue-t-elle un outil de planification utile, dans les cas suivants :
  - a. Évaluation de la probabilité que soient obtenus les avantages théoriques
  - b. Évaluation du besoin de ressources additionnelles (par ex. coûts complémentaires : médicaments dont l'administration exige une formation spéciale, nouveaux tests de diagnostic)
9. Dans votre province/territoire, utilisez-vous les AIPMB pour négocier des ententes de partage des risques ?

10. Dans votre province/territoire, utilisez-vous les AIPMB pour négocier les niveaux de prix ou les ententes de prix/volume ?
11. Les données économiques ont-elles une influence sur les décisions qui sont prises par votre régime d'assurance-médicaments ?
12. Dans le processus de prise de décisions, quelle importance revêt l'incidence du prix d'un médicament sur le budget du régime d'assurance-médicaments par rapport aux augmentations des ratios prix-efficacité des médicaments ?

*(Nota : Les AIPMB et les évaluations économiques sont considérées complémentaires. L'évaluation économique génère des données sur le rapport prix-efficacité du médicament tandis que l'AIPMB génère des données sur l'accessibilité du médicament d'un point de vue financier. L'AIPMB aide à déterminer si le régime d'assurance-médicaments a les moyens financiers d'inscrire le médicament sur son formulaire de médicaments admissibles à un remboursement, même si une évaluation économique a reconnu l'efficacité du médicament. Le gestionnaire du régime d'assurance-médicaments reconnaît-il cette complémentarité ? Le Canada a des lignes directrices concernant les évaluations économiques, mais n'a pas encore de lignes directrices concernant les AIPMB.)*

13. D'après vous, quelle est l'ampleur du compromis qui est fait entre les restrictions budgétaires et le rapport prix-efficacité du médicament ?
14. Comment des lignes directrices nationales concernant une AIPMB pourraient-elles vous être utiles ? Qu'est-ce qui vous amènerait à ne pas utiliser de telles lignes directrices ?
15. Avez-vous des commentaires à ajouter à la présente conversation et (ou) au présent sondage ?

## **Analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur le budget effectuée par le CEPMB**

### **Sondage final**

#### **Introduction**

Le présent questionnaire sollicite votre opinion concernant l'importance que vous accordez aux différentes composantes d'une Analyse de l'incidence du prix d'un médicament sur le budget d'un régime d'assurance-médicaments (AIPMB). Ces composantes ont été identifiées au moyen d'une analyse documentaire. En répondant au présent sondage, vous nous aiderez à formuler des lignes directrices portant sur la préparation d'AIPMB qui tient vraiment compte des besoins de gestionnaires de régimes d'assurance-médicaments au Canada. Les entrevues téléphoniques nous permettront d'augmenter l'information recueillie au cours du présent sondage.

Nous vous saurions gré de bien vouloir répondre aux différentes questions formulées dans les sections qui suivent dans la perspective du gestionnaire d'un régime provincial ou territorial d'assurance-médicaments que vous êtes.



## **Sections du sondage :**

1. Perspective
2. Sources, fiabilité et pertinence des données
3. Indications touchées
4. Populations touchées
5. Taux d'adoption
6. Horizon prévisionnel
7. Demandes complémentaires
8. Substitution de traitements existants
9. Probabilité d'une réaffectation des ressources
10. Transparence
11. Analyses d'incertitude et de sensibilité
12. Rapport des résultats

## Section 1 : Perspective

*Veillez préciser votre point de vue à l'égard des affirmations suivantes (1 = pas d'accord 3 = d'accord 5 = tout à fait d'accord)*

• L'AIPMB devrait faire clairement état qu'elle s'inscrit dans la perspective du souscripteur du régime d'assurance-médicaments	1	2	3	4	5
• L'AIPMB devrait présenter clairement les coûts que devra assumer le souscripteur du régime ainsi que les économies qu'il réalisera	1	2	3	4	5
• La pertinence des coûts de soins de santé, des économies et des avantages doit être justifiée dans la perspective du souscripteur du régime	1	2	3	4	5
• Les résultats doivent être présentés d'une façon globale et d'une façon ventilée	1	2	3	4	5
• Les résultats doivent porter sur l'incidence sur le budget du régime de soins de santé dans son ensemble	1	2	3	4	5
• Les résultats doivent porter sur l'incidence sur le budget du régime de soins de santé, et plus particulièrement en ce qui concerne les médicaments	1	2	3	4	5
Veillez inscrire et évaluer sur une échelle de 1 à 5 toute autre composante de la présente catégorie que vous jugez utile :					
• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 2 : Sources, fiabilité et pertinence des données

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Identification claire de la source (ou des sources) des données épidémiologiques : incidence	1	2	3	4	5
• Identification claire de la source (ou des sources) des données épidémiologiques : Prévalence	1	2	3	4	5
• Identification claire de la source (ou des sources) d'information sur les modèles actuels de prestation de soins et d'utilisation des ressources	1	2	3	4	5
• Identification claire de la source (ou des sources) d'information sur l'utilisation prévue des ressources	1	2	3	4	5
• Identification claire de la source (ou des sources) d'information sur les coûts prévus des ressources	1	2	3	4	5
• Identification claire de la source (ou des sources) des autres données. Veillez inscrire ces autres données par ordre d'importance	1	2	3	4	5
–	1	2	3	4	5
–	1	2	3	4	5
–	1	2	3	4	5
–	1	2	3	4	5
• Prévalence et incidence spécifiées pour les groupes nationaux, les juridictions et les groupes culturels	1	2	3	4	5
• Formulation claire des hypothèses à défaut de données référencées	1	2	3	4	5
• Pertinence de toutes les données justifiées	1	2	3	4	5
• Pertinence de toutes les hypothèses justifiées	1	2	3	4	5
• Capacité de modifier les hypothèses dans un modèle interactif	1	2	3	4	5
Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous considérez utiles :					
• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 3 : Indications touchées

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Indications énoncées d'une façon claire et détaillée	1	2	3	4	5
• Prévisions d'utilisations non appropriées du médicament (par ex. Utilisation par une population autre que celle à laquelle le médicament est destiné, utilisation non mentionnée dans la documentation)	1	2	3	4	5
• Prévision d'utilisations de médicaments autres que celles indiquées	1	2	3	4	5

Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous jugez utiles :

• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 4 : Populations touchées

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Description claire des groupes de patients pour lesquels le médicament est indiqué	1	2	3	4	5
• Analyse de la sous-population : description des sous-populations qui sont les plus susceptibles de profiter des avantages du médicament	1	2	3	4	5
• Prévision d'utilisations de médicaments autres que celles indiquées	1	2	3	4	5
• Prévisions de l'utilisation par un groupe de la population pour lequel le médicament n'est pas recommandé	1	2	3	4	5

Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous jugez utiles :

• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 5 : Taux d'adoption

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Estimation des différents taux de diffusion du médicament sur un horizon de 3 à 5 ans	1	2	3	4	5
• Incidence prévue des mesures prises pour mousser la demande (promotion du fabricant, publicité s'adressant directement aux consommateurs, affichage d'informations sur internet et sur d'autres médias d'information)	1	2	3	4	5
• Incidence des nouvelles technologies sur les saines habitudes de vie	1	2	3	4	5

Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous considérez utiles :

• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 6 : Horizon prévisionnel

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Prévission de l'incidence financière sur un horizon d'au moins deux ans après la date d'inscription du médicament sur le formulaire.	1	2	3	4	5
• Prévission de l'incidence financière sur un horizon d'au moins trois à cinq ans après la date d'inscription du médicament sur le formulaire.	1	2	3	4	5
• Prévission de l'incidence financière annuelle jusqu'au moment où le médicament t atteindra le sommet de ses ventes ou une certaine stabilité au niveau de ses parts de marché stable.	1	2	3	4	5

*Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous considérez utiles :*

• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 7 : Demandes complémentaires

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Estimation de l'utilisation concomitante d'autres médicaments ainsi que des coûts	1	2	3	4	5
• Coût des conditions préalables à une introduction efficace d'un médicament (par ex. installations de formation, de technologie et de diagnostic)	1	2	3	4	5
• Estimation de l'élasticité de l'approvisionnement en intrants (formation d'appoint, réoutillage)	1	2	3	4	5

*Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous considérez utiles :*

• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 8 : Substitution de traitements existants

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Identification des thérapies susceptibles d'être remplacées par une nouvelle intervention					
• Description de scénarios dans lesquels les patients opteraient pour le nouveau traitement et calcul des coûts	1	2	3	4	5
• Estimation des taux de substitution	1	2	3	4	5

*Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous jugez utiles :*

• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 9 : Probabilité d'une réaffectation des ressources

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Prévion de la probabilité d'une réaffectation des économies de main-d'œuvre à d'autres secteurs de soins de santé.	1	2	3	4	5
• Prévion de la probabilité d'une réaffectation des économies en immobilisations à d'autres secteurs de soins de santé.	1	2	3	4	5
• Prévion de la façon dont seront réalisées les économies.	1	2	3	4	5

*Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous jugez utiles :*

• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 10 : Transparence

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Bonne compréhension des hypothèses.	1	2	3	4	5
• Bonne compréhension des relations assumées entre les variables et les résultats obtenus (par ex. problèmes de santé et hospitalisations)	1	2	3	4	5
• Modèle de prévision aussi interactif que possible	1	2	3	4	5
• Inclusion de différents scénarios dans le modèle	1	2	3	4	5
• Accès des décideurs au modèle	1	2	3	4	5
• Description de la relation entre les effets thérapeutiques intermédiaires et les effets thérapeutiques à long terme (quelle sera l'incidence à long terme pour les nouveaux agents dérivés ?)	1	2	3	4	5

*Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous jugez utiles :*

• Autre :	1	2	3	4	5
• Autre :	1	2	3	4	5

**Observations :**

## Section 11 : Analyses de l'incertitude et de la sensibilité

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Inclusion d'analyses de sensibilité des paramètres lorsqu'il y a incertitude ou qu'il n'y a pas d'entente.	1	2	3	4	5
--	---	---	---	---	---

*Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous jugez utiles :*

• Autre :	1	2	3	4	5
-----------	---	---	---	---	---

• Autre :	1	2	3	4	5
-----------	---	---	---	---	---

**Observations :**

---

## Section 12 : Rapport des résultats

*Veillez classer par ordre d'importance les composantes suivantes de l'AIPMB (1 = pas importante 3 = importante 5 = très importante)*

• Coûts présentés d'une façon regroupée et d'une façon ventilée.	1	2	3	4	5
--	---	---	---	---	---

• Résultats exprimés en unités naturelles et en unités monétaires (unité naturelle s'entend de nombre de lits d'hôpital, temps de prestation de soins infirmiers, tests de laboratoire, équipement de diagnostic).	1	2	3	4	5
--	---	---	---	---	---

• Coût/Montant réclamé	1	2	3	4	5
------------------------	---	---	---	---	---

• Total des coûts de traitement.	1	2	3	4	5
----------------------------------	---	---	---	---	---


*Veillez inscrire par ordre d'importance les autres composantes de cette catégorie que vous jugez utiles :*

• Autre :	1	2	3	4	5
-----------	---	---	---	---	---

• Autre :	1	2	3	4	5
-----------	---	---	---	---	---

• Autre :	1	2	3	4	5
-----------	---	---	---	---	---

**Observations :**



## Annexe 2 : Comparaison des modèles d'analyse

### Analyse comparative des modèles d'analyse publiés

**Programme de médicaments  
de l'Ontario (PMO)**

**Croix bleue de l'Alberta et Santé Manitoba**

#### Indication du médicament/ information sur sa posologie

L'AIPMB n'exige pas clairement cet élément d'information

Cet élément d'information doit être présenté dans les deux premières sections de l'AIPMB.

#### Prix du médicament

Aucune exigence précise quant au prix qui doit être utilisé dans l'AIPMB, c.-à-d. marges bénéficiaires, honoraires du pharmacien, durée de la réclamation, etc.

Tous ces éléments d'information sont exigés d'une façon claire.

#### Prévalence de la maladie

Les deux modèles prévoient l'inscription de données sur la prévalence de la maladie, c.-à-d. sur le nombre de patients de la population totale et de la population assurée par le régime atteints de la maladie pour laquelle le médicament est indiqué.

Aucune exigence précise quant à la façon dont doit être estimée la prévalence.

Il y a deux exigences :

- les données doivent porter précisément sur l'Alberta. Si une extrapolation des données nationales ou des données d'autres provinces a été faite, cette mesure doit être justifiée.
- les données sur la prévalence ne sont pas toujours disponibles et il peut être nécessaire de les extrapoler à partir des données sur les réclamations. Dans un tel cas, la justification doit être fournie et les hypothèses nécessaires doivent être clarifiées.

*Suite à la page 52*

## Programme de médicaments de l'Ontario (PMO)

## Croix bleue de l'Alberta et Santé Manitoba

### Part de marché

Tous les modèles exigent clairement la présentation des parts de marchés pour les trois premières années.

Exige des données sur la part de marché prévue pour le médicament faisant l'objet de la demande et pour les médicaments de comparaison ainsi que sur le taux de croissance des parts de marché.

Exige que les parts de marché prévues soient mentionnées tout comme le nombre de patients et de réclamations.

Exige seulement l'information sur la part de marché prévue pour le médicament faisant l'objet de la demande. Exige des indications claires concernant l'origine et la part du marché proposé, autrement dit la croissance du marché du médicament et la substitution par d'autres médicaments.

Les parts de marché prévues doivent être mentionnées tout comme le nombre de patients et le pourcentage du marché total.

### Incidence sur le budget

L'incidence nette doit être calculée sous les angles suivants :

A) dépenses du PMO sur le médicament faisant l'objet de la demande

1. coût/ réclamation
2. réclamation au PMO/année
3. Total des dépenses

B) Dépenses du PMO pour les médicaments de comparaison

1. Coût/ réclamation
2. réclamation au PMO/année
3. Total des dépenses

Incidence nette = A-B


Une section exige la présentation des coûts directs totaux du médicament faisant l'objet de la demande. Une autre section prévoit la présentation du résultat du différentiel des coûts du médicament (économies). Elles n'indiquent pas comment calculer les résultats exigés et précisent que les résultats doivent être fondés sur l'information précédemment mentionnée (prévalence de la maladie, parts de marché prévues et prix du médicament). Toutes les hypothèses et toutes les références doivent être clarifiées.

### Analyse de la sensibilité

Exige le résultat de l'intervalle de confiance (Élevée/Moyenne/Bas).

Analyses de sensibilité simples et (ou) multiples exigées. Les méthodes utilisées pour les analyses de sensibilité, les hypothèses et les références doivent être présentées.





## Annexe 3 : Analyse des AIPMB soumises aux régimes provinciaux d'assurance- médicaments

L'annexe 3 résume les approches suivies pour la préparation des analyses de l'incidence du prix d'un médicament sur les budgets des régimes d'assurance-médicaments (AIPMB) que les différentes juridictions ont soumises à l'examen du CEPMB. L'échantillonnage était constitué de 35 AIPMB : 4 de la Nouvelle-Écosse, 5 du Programme des services de santé non assurés, 10 de la Saskatchewan, 7 du Nouveau-Brunswick, 5 de Terre-Neuve et Labrador, 1 du Manitoba et 3 de la Colombie-Britannique.<sup>8</sup>

Voici un aperçu de la façon dont ces AIPMB ont traité des points suivants :

### **Horizon prévisionnel :**

Idéalement, l'horizon prévisionnel d'une AIPMB devrait s'étendre jusqu'au moment où le médicament proposé atteint un sommet de ventes ou, encore, jusqu'au moment où sa part de marché se stabilise. La plupart des juridictions demandent aux fabricants de prévoir l'incidence de leur médicament sur un horizon de trois ans.

Trente des 35 AIPMB comprenaient une estimation de l'incidence du médicament sur le budget annuel et ce, pour les trois années suivant l'inscription de leur médicament sur le formulaire de la province. Trois analyses avaient un horizon prévisionnel de 4 ans et deux, de 5 ans.

### **Population touchée :**

Aux fins de l'AIPMB, la population touchée est généralement définie en fonction des indications approuvées et du segment de la population admissible à un remboursement au titre du régime pour lequel l'AIPMB a été préparée. Aux fins du processus de prise de décisions, il est également utile de connaître les autres utilisations qui pourraient être faites du nouveau médicament.

---

8. Le nom du médicament et la raison sociale du fabricant n'ont pas été mentionnés afin de préserver la confidentialité de l'échantillonnage d'AIPMB que les différentes juridictions ont soumises au CEPMB aux fins de la présente étude.

Le nombre total de patients peut être estimé à la lumière du nombre de bénéficiaires du régime d'assurance-médicaments, des taux de prévalence et d'incidence d'une maladie et des documents pertinents.

Nous avons observé deux méthodes d'évaluation de la population touchée. 11 AIPMB avaient comme axe d'évaluation la population et les 24 autres, les réclamations. Les AIPMB ayant les réclamations comme axe d'évaluation ont établi leurs prévisions du nombre de réclamations à la lumière de la tendance historique des réclamations présentées aux régimes d'assurance-médicaments. Les changements de la taille de la population touchée étaient implicitement reflétés par le nombre de réclamations. La plupart des AIPMB ont identifié clairement la population touchée.

### **Source des données :**

Les données utilisées peuvent être divisées en cinq catégories : données relatives à l'ordonnance, données relatives au marché, données relatives aux taux de prévalence et d'incidence et données relatives à la population. Le choix des données varie selon la méthode utilisée. Aucune des AIPMB de l'échantillonnage n'a utilisé des données résultant des essais cliniques. On s'attendrait pourtant à ce que les données sur l'influence d'une nouvelle thérapie sur la morbidité, sur la progression de la maladie, sur les effets secondaires et autres données soient tirées des résultats des essais cliniques.

Au nombre des sources de données des AIPMB de l'échantillonnage, citons les régimes provinciaux d'assurance-médicaments, Statistique Canada, les bases de données des fabricants et les publications médicales.

### **Coût par ordonnance/réclamation/patient :**

Toutes les AIPMB font état des résultats en unités monétaires. Dans une même analyse, les hypothèses sur les coûts par réclamation/ordonnance/patient varient selon l'étude et même le médicament. On a relevé également des incohérences au niveau des considérations sur les marges bénéficiaires du grossiste/du pharmacien, des co-paiements et des honoraires du pharmacien. Les prix relevés dans les différentes AIPMB correspondaient au prix départ-usine, au prix départ-usine plus la marge bénéficiaire du grossiste/du pharmacien, au prix de détail, au prix de liste, au prix rajusté en fonction du co-paiement, etc. Dans certaines AIPMB, les coûts par réclamation des médicaments de comparaison et le coût du médicament proposé n'étaient pas comparables. Par exemple, dans une AIPMB, le coût par réclamation des médicaments de comparaison comprenait les marges bénéficiaires, les co-paiements et les honoraires du pharmacien. Pour le médicament proposé, il n'était pas clair si le coût par réclamation correspondait au prix départ-usine ou s'il comprenait les marges bénéficiaires du grossiste/honoraires du pharmacien.

### **Part de marché (de l'ensemble des médicaments) et sources des ventes (des médicaments de comparaison) :**

Les estimations de la part de marché et des sources *des ventes* (des nouveaux médicaments peuvent être divisées en cinq catégories :

- a) Estimation fondée sur l'expérience connue du même médicament sur le marché d'une autre province ou des États-Unis.
- b) Estimation fondée sur la tendance historique d'un produit semblable.
- c) Hypothèses arbitraires
- d) Opinions d'experts, opinions de médecins.
- e) Estimation fournie par d'autres organisations, mais sans plus de détails.

Croissance du marché : Dans le contexte de la présente étude, cette expression fait référence à l'augmentation des ventes annuelles des médicaments pour l'indication. Une AIPMB a retenu comme hypothèse que le marché n'avait enregistré aucune croissance au cours de la période de l'étude. Toutes les autres AIPMB ont considéré une croissance du marché. Deux des ces AIPMB ont associé la croissance du marché au nouveau médicament tandis que les autres n'ont fait état d'aucune croissance du marché pour le nouveau médicament.

### **Méthodes :**

Malgré des différences marquées au niveau des détails, les méthodes d'évaluation de l'incidence du prix du médicament sur le budget du régime d'assurance-médicaments peuvent être classées en deux catégories : les études fondées sur la population et les études fondées sur les réclamations. La méthode retenue dans les différentes AIPMB varie selon les données disponibles.

Méthode tenant compte de la population

- 1) Établir des prévisions sur la population admissible au régime d'assurance-médicaments pour chaque année de la période couverte par l'analyse.
- 2) Nombre total de réclamations par année = Population x taux de prévalence x Pourcentage de patients ayant besoin du traitement x Pourcentage de patients admissibles aux médicaments de cette catégorie x nombre de réclamations par patient.
- 3) Coût total **sans** le nouveau médicament = Nombre total de réclamations x coût par réclamation
- 4) Coût total **avec** le nouveau médicament = Nombre total de réclamations x part de marché du nouveau médicament x coût par réclamation pour le nouveau médicament + Nombre de réclamations pour d'autres médicaments x coût par réclamation d'autres médicaments
- 5) Incidence sur le budget = Coût total **avec** le nouveau médicament – Coût total **sans** le nouveau médicament

### **Méthode tenant compte des réclamations**

- 1) Prévoir le nombre de réclamations à la lumière de la tendance historique du nombre de réclamations. Deux AIPMB ont utilisé à cette fin la régression linéaire. Une AIPMB a utilisé un modèle de choix discrétionnaire. Les autres AIPMB ne contenaient aucun détail quant à la méthode de prévision utilisée.
- 2) Coût total **sans** le nouveau médicament = Nombre total de réclamations x coût par réclamation.
- 3) Coût total **avec** le nouveau médicament = Nombre total de réclamations x part de marché du nouveau médicament x coût par réclamation pour le nouveau médicament + Nombre de réclamations pour d'autres médicaments x coût par réclamation des autres médicaments
- 4) Incidence sur le budget = Coût total **avec** le nouveau médicament – Coût total **sans** le nouveau médicament

Aucune des AIPMB n'a justifié adéquatement les hypothèses de départ.

### ***Analyse de la sensibilité :***

L'analyse de la sensibilité est utilisée pour vérifier l'incidence de facteurs incertains sur les résultats finaux. Les publications font mention de deux sources principales d'incertitude : l'incertitude concernant les valeurs numériques réelles des paramètres utilisés comme prémisses de départ. Incertitude concernant le modèle : incertitude quant à la structure du modèle et le processus de modélisation. Considérant le niveau d'incertitude de la plupart des paramètres de départ, l'analyse de la sensibilité apparaît comme l'une des étapes les plus importantes de l'AIPMB. Des 35 AIPMB, 9 ne contenaient pas une analyse de la sensibilité, 4 contenaient une analyse de la sensibilité multidirectionnelle et les autres contenaient une analyse de la sensibilité unidirectionnelle. Les variables les plus souvent étudiées étaient la taille de la population touchée, les parts de marché, la croissance du marché, la probabilité de l'efficacité et les variations de prix. Aucune des AIPMB n'a effectué une analyse de la sensibilité sur la structure du modèle ou sur les formes fonctionnelles.

### ***Incidence possible de situations futures prévues :***

Deux AIPMB contenaient une analyse de situations futures. Une de celle-ci a considéré l'introduction possible d'une version générique d'un des médicaments de comparaison. Le prix du médicament générique a été utilisé pour refléter l'incidence réelle qui pourrait alors se produire sur le budget. L'autre AIPMB a exploré l'utilisation d'une indication non prévue dans une analyse de la sensibilité.

### ***Analyse de sous-groupes de la population :***

Les sous-groupes de la population sont souvent identifiés pour déterminer les groupes susceptibles de tirer le plus de bienfaits d'une nouvelle thérapie de manière à permettre au décideur de prioriser ou de rationaliser la disponibilité des traitements. Deux AIPMB se sont penchés sur les sous-groupes de la population.

## Références

- Josephine A Mauskopf, Stephanie Earnshaw and C Daniel Mullins. Budget Impact Analysis: review of the state of the art. *Pharmacoeconomics & Outcomes Research*. April 2005; volume 5, No 2.
- Orlewska E, Mierzejewski P. Proposal of Polish guidelines for conducting financial analysis and their comparison to existing guidance on budget impact in other countries. *Value in Health* 2004; 7 (1)
- Morgan S. Drug Spending in Canada – Recent Trends and Causes. *Medical Care* 2004; 42 (7)
- National Institute for Clinical Excellence. *Guide to the Methods of Technology Appraisal*. London, Avril 2004. Peut être consulté à l'adresse : [http://www.nice.org.uk/pdf/TAP\\_Methods.pdf](http://www.nice.org.uk/pdf/TAP_Methods.pdf)
- Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé (OCCETS) : Lignes directrices en matière de soumission au PCEM à l'intention des fabricants; Programme commun d'examen des médicaments; Juillet 2004
- Institut canadien d'information sur la santé : *Tendances nationales des dépenses en santé 1975-2004; 2004*
- Alberta Health and Wellness: Budget Impact Assessment for the Alberta Health and Wellness Drug Benefit List: Version 4, March 2004*
- Santé Manitoba: Budget Impact Assessment for the Manitoba Health; Manitoba Drug Benefits and Interchangeability Formulary; Version 1.0; 30 juillet 2003
- Survey of Pharmacoeconomic Assessment Activity in Eleven Countries: Michael Dickson, Jeremy Hurst and Stephane Jacobzone; OECD Health Working Papers No 4; Mai 2003.
- West R, Borden EK, Collet JP et al. Need for an improved submission process for listing drugs for reimbursement in Canadian provinces. *Can J Clin Pharmacol* 2003; 10 (4)
- Gafni A, Birch S. Inclusion of drugs in provincial drug benefit programs: should "reasonable decisions" lead to uncontrolled growth in expenditures? *CMAJ* 2003; 168 (7)
- Fry RN, Avey SG, Sullivan SD. The Academy of Managed Care Pharmacy Format for Formulary Submissions: An Evolving Standard-A Foundation for Managed Care Pharmacy Task Force Report. *Value in Health* 2003; 6(5): 505-521.
- M.J.C. Nuijten, J. Kosa, P. Engelfreit. Modeling the cost-effectiveness and budgetary impact for subpopulations; *The European Journal of Health Economics*, 2003. 4:70-78
- Academy of Managed Care Pharmacy. *Format for Formulary Submissions, Version 2.0*. October 2002. Ce document peut être consulté à l'adresse : [http://www.amcp.org/data/nav\\_content/formatv20.pdf](http://www.amcp.org/data/nav_content/formatv20.pdf)
- Chambers M, Hutton J, Nuijten M. Budget impact analysis for health technology appraisal: development and application within NICE appraisal process. *Journal of Clinical Excellence* 2002; 4: 203-6

- Brown A, Boucher M. Budget Impact Analysis. *Presentation to Drug Scheduling Advisory Committee Meeting*. Avril 2002
- 2002 Guidelines for the Pharmaceutical Industry on Preparation of Submissions to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC): including major submissions involving economic analyses; Department of Health and Aging, Australia
- Institut canadien d'information sur la santé, Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés : Système d'information sur l'utilisation des médicaments prescrits pour le Canada : Plan d'affaire, 2001
- Trueman P, Drummond M, Hutton H. Developing guidance for budget impact analysis. *Pharmacoeconomics* 2001; 19 (6)
- Harris A, Buxton M, O'Brien B, Rutten F, Drummond M. Using economic evidence in reimbursement decisions for health technologies: experience of four countries. *Expert Rev. Pharmacoeconomics Outcomes Res* 2001; 1 (1)
- Brown, A. Economic evaluation and budget impact analysis: Compare and contrast. *CCOHTA Research Rounds*: Août 2001.
- Cunningham S. An introduction to economic evaluation in health care. *Journal of Orthodontics* 2001: 28 (3)
- National Institute for Clinical Excellence. *Guidance for manufacturers and sponsors*. London: National Institute for Clinical Excellence, 2001.
- Ministère de la Santé et des soins de longue durée de l'Ontario : *Ontario Guideline for Drug Submission and Evaluation*, Septembre 2000
- Mauskopf, J. Prevalence-Based Economic Evaluation. *Value in Health*, 1(4):251-259. 1998
- Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé (OCCETS) *Guidelines for economic evaluation of pharmaceuticals: Canada, 2<sup>e</sup> éd.* Ottawa: OCCETS, 1997
- Langley P.; Sullivan S. *Pharmacoeconomic Evaluations: Guidelines for Drug Purchasers*. *J Managed Care Pharm* 1996; 2: 671-677.
- Ministère de la Santé et des soins de longue durée de l'Ontario : *Ontario Guidelines for Economic Analysis of Pharmaceutical Products*. Ontario, 1994.
- Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé (OCCETS) : *Guidelines for economic evaluation of pharmaceuticals: Canada, 2<sup>e</sup> édition, 1997*