

Mai 2022

Banque de connaissances

Rapport sur les médicaments d'ordonnance
en voie de développement au Canada

Aperçu des médicaments d'ordonnance et
des médicaments émergents

TABLE DES MATIÈRES

Introduction	2
Le point sur les sujets abordés dans notre dernier rapport	3
Biosimilaires	3
Maladie d'Alzheimer	3
Dans un avenir rapproché	4
Migraine	4
Dans un horizon plus lointain	5
PALFORZIA®	5
Thérapies géniques	5
Troubles sanguins	5
Conclusion	7

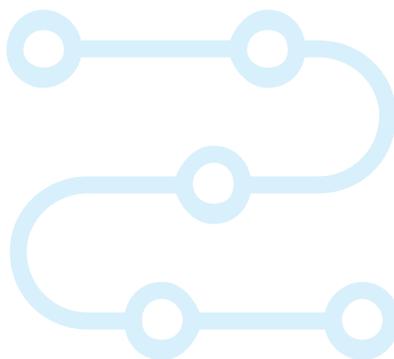
INTRODUCTION

Express Scripts Canada est heureuse de présenter son rapport trimestriel intitulé *Banque de connaissances – Rapport sur les médicaments d'ordonnance en voie de développement au Canada*. Le rapport porte sur les traitements émergents qui pourraient avoir d'importantes répercussions sur les régimes privés. Nous espérons que vous apprécierez le rapport et sa nouvelle présentation.

Dans ce premier rapport trimestriel de 2022, nous faisons le point sur les sujets abordés dans notre premier rapport, c'est-à-dire les changements importants qui sont survenus sur le plan des prix et de la disponibilité des traitements contre la démence ayant soulevé la controverse et les biosimilaires que Santé Canada examine à l'heure actuelle.

Le rapport souligne les avancées relatives à deux troubles fréquents : les traitements contre la migraine qui font l'objet d'un examen par Santé Canada et un médicament qui pourrait changer la donne pour les enfants allergiques aux arachides.

Nous suivons également l'évolution des thérapies géniques. Ces dernières ne sont pas nouvelles au Canada. Toutefois, le nombre de maladies pour lesquelles ces thérapies font l'objet de recherches continue d'augmenter. Dans le présent rapport, l'accent est mis sur les thérapies géniques qui sont à l'étude pour traiter les troubles sanguins rares.



LE POINT SUR LES SUJETS ABORDÉS DANS NOTRE DERNIER RAPPORT

Biosimilaires

Nom commun	Médicament biologique de référence	Domaine thérapeutique	Date de présentation à Santé Canada	Incidence possible sur les régimes privés ¹
énoxaparine sodique	LOVENOX®	Agents antithrombotiques	2021-12	Faible
étanercept	ENBREL®	Immunosuppresseurs	2020-02	Faible à modérée
insuline humaine (recombinée)	HUMULIN®	Médicaments utilisés en cas de diabète	2021-05	Faible à modérée
insuline glargine	LANTUS®	Médicaments utilisés en cas de diabète	2021-06	Faible à modérée
ranibizumab	LUCENTIS®	Médicaments ophtalmologiques	2021-05	Élevée
trastuzumab	HERCEPTIN®	Agents antinéoplasiques	2021-08	Faible

¹ Incidence établie en fonction du nombre de biosimilaires commercialisés, des demandes de règlement pour le médicament biologique de référence et du coût annuel des médicaments.

Source : Données de référence disponibles sur demande.

Santé Canada examine actuellement six biosimilaires. Le biosimilaire du ranibizumab figure toujours dans ce tableau et, comme nous l'avons mentionné auparavant, il pourrait réduire les dépenses relatives à LUCENTIS® et probablement à EYLEA® (aflibercept).

Maladie d'Alzheimer

Dans le [premier Rapport d'Express Scripts Canada sur les médicaments en voie de développement](#), nous mentionnons qu'un médicament de la classe des thérapies anti-amyloïdes, indiqué pour traiter la maladie d'Alzheimer, avait été approuvé aux États-Unis. Cette nouvelle classe de médicaments présente un nouveau mécanisme d'action dans le traitement de la maladie d'Alzheimer et constitue une percée après de nombreuses années de stagnation. En décembre 2021, le fabricant a annoncé une réduction de 50 % du prix d'ADUHELM® (aducanumab). Le prix sera dorénavant fixé à 28 200 \$ US.

Par suite de l'approbation de la FDA, le programme Medicare – qui couvre les médicaments pour les personnes âgées aux États-Unis – a annoncé en janvier 2022 qu'il rembourserait ce médicament. Les *Centers for Medicare and Medicaid Services* ont proposé de couvrir les thérapies anti-amyloïdes uniquement dans le cadre d'essais contrôlés à répartition aléatoire réalisés auprès de patients en consultation externe dans un milieu hospitalier. Les participants à ces essais doivent avoir reçu un diagnostic de déficience cognitive légère attribuable à la maladie d'Alzheimer ou de démence légère et présenter des plaques amyloïdes. Cette décision limite considérablement le nombre de patients admissibles, mais reflète l'incertitude relative aux données à l'appui de ce traitement. Les essais cliniques devraient permettre d'apporter davantage de données probantes relativement aux effets thérapeutiques de ces médicaments.

DANS UN AVENIR RAPPROCHÉ

Migraine

Au cours des dernières années, les dépenses globales associées aux médicaments contre la migraine ont augmenté (voir [l'édition de 2021 de notre Rapport sur les tendances en matière de médicaments](#)). Cela s'explique par l'entrée sur le marché de nouveaux inhibiteurs du CGRP injectables utilisés dans la prévention des migraines. Une autre classe de médicaments dont le mécanisme est semblable, mais qui peuvent être administrés oralement a fait son entrée sur le marché aux États-Unis. Santé Canada examine les médicaments de cette classe à l'heure actuelle.

Les inhibiteurs du CGRP injectables sont des anticorps monoclonaux qui doivent être injectés en raison de leur poids moléculaire élevé. Les gépants sont une classe d'inhibiteurs du CGRP ayant un petit poids moléculaire. C'est pourquoi ils peuvent être administrés oralement. Certains patients pourraient préférer les médicaments oraux, car ils sont pratiques et n'exigent pas d'injection. La FDA a déjà approuvé trois gépants. Nous disposerons donc d'une certaine expérience clinique au moment de l'approbation du médicament par Santé Canada.

Contrairement à la forme injectable, les gépants ont été approuvés pour la prévention et le soulagement des migraines. Les gépants présentent un avantage par rapport aux traitements utilisés habituellement en première intention, les triptans. Ils sont mieux tolérés et sont plus sécuritaires pour les patients qui souffrent d'une maladie cardiovasculaire, car ils ne causent pas de vasoconstriction.

Selon l'expérience clinique initiale, on a remarqué que certains patients ne répondaient pas de la même manière aux traitements injectables et aux traitements oraux. Contrairement aux attentes, les médicaments oraux ne présenteraient donc pas un net avantage par rapport aux médicaments injectables. Les données américaines indiquent que les ventes de la forme injectable ont plafonné. Par contre, la popularité des gépants administrés oralement est en croissance, car ces derniers peuvent traiter efficacement les épisodes de migraine.

À l'heure actuelle, aucun essai comparatif des médicaments injectables et oraux n'a été effectué. Il semble que les traitements par anticorps injectables seraient l'option privilégiée en raison d'une réponse durable et d'une administration moins fréquente. Les patients qui souffrent de crises de migraine pourraient aussi préférer les médicaments oraux, par exemple lorsqu'un traitement préventif est nécessaire en cas d'épisodes de migraine prévisibles.

Fait intéressant, aux États-Unis, le prix annuel d'un traitement préventif administré oralement est supérieur à celui d'un traitement injectable. Le prix de ces médicaments aura une forte incidence sur la décision de les couvrir ou non.

Molécule	Indication : prévention des migraines ou traitement actif d'épisodes de migraine	Fréquence d'administration
Atogépant	Prévention	Quotidienne
Rimégépant	Prévention et traitement actif	Tous les deux jours
Ubrogépant	Traitement actif	Au besoin

Le rimégépant a été le premier gépant présenté à la FDA aux fins d'approbation. Il n'a toutefois pas encore été soumis à Santé Canada. Il s'agit d'un comprimé à désintégration orale indiqué pour la prévention ou le traitement actif d'épisodes de migraine qui est plus pratique pour les patients, car ils peuvent utiliser le médicament autant pour prévenir que pour traiter les épisodes de migraine. Par ailleurs, l'atogépant et l'ubrogépant font l'objet d'un examen par Santé Canada. L'atogépant comprend plusieurs teneurs, ce qui offrira plus de souplesse aux prescripteurs.

L'atogépant et l'ubrogépant ont été présentés à Santé Canada aux fins d'examen en 2021. Ils pourraient être approuvés en 2022.

DANS UN HORIZON PLUS LOINTAIN

PALFORZIA®

Certains patients ont sans doute poussé un soupir de soulagement lorsque PALFORZIA® a été approuvé par la FDA en 2020 et par l'Agence européenne des médicaments en 2021. Il s'agit du premier traitement contre les allergies aux arachides approuvé aux États-Unis et en Europe. PALFORZIA® aide à réduire la gravité des réactions allergiques aux arachides chez les enfants âgés de 4 à 17 ans. Le médicament est présenté sous forme de poudre que l'on peut verser sur les aliments semi-solides que le patient avalera.

Les résultats d'une étude effectuée aux États-Unis, au Canada et en Europe ont montré qu'après un traitement d'entretien de six mois, près de 67 % des participants ayant reçu une dose de 600 mg de protéines d'arachides n'ont subi que des symptômes allergiques légers. La phase d'entretien du traitement peut toutefois être difficile à atteindre, car elle ne commence qu'après des mois de doses qui augmentent lentement.

PALFORZIA® pourrait faire les manchettes, car au Canada, près de 2 enfants sur 100 sont allergiques aux arachides (3,2 % des enfants âgés de 0 à 17 ans).

Thérapies géniques

Ce n'est qu'une question de temps avant que les thérapies géniques jouent un rôle majeur dans la manière dont les patients sont traités. Ces thérapies sont administrées une seule fois et peuvent changer la vie des patients. Évidemment, ces thérapies coûtent très cher, et ce, en raison des défis que posent leur fabrication et leur administration. À l'heure actuelle, seulement trois thérapies géniques ont été approuvées au Canada : LUXTURNA^{MD}, ZOLGENSMA^{MD} et KYMRIAH^{MD}.

Certaines thérapies géniques sont à l'étude aux États-Unis, mais pas encore au Canada. Il s'agit de ROCTAVIAN® (valoctocogène roxaparvec), de l'étranacogène dezaparvec, du bétibéglogène autotemcel et de LENTIGLOBIN® (lovotibéglogène autotemcel).

Troubles sanguins

Hémophilie

L'hémophilie A et l'hémophilie B sont des maladies héréditaires rares. Les patients qui souffrent de ces maladies présentent un déficit en facteur de coagulation entraînant des saignements et des problèmes de coagulation. Les thérapies géniques sont une option intéressante pour les hémophiles chez qui le gène manquant peut être introduit dans les cellules. L'organisme est ainsi en mesure de produire le facteur protéique manquant.

ROCTAVIAN® de BioMarin serait la première thérapie génique indiquée pour traiter l'hémophilie grave. En 2020, la FDA a rejeté ROCTAVIAN® et a demandé un suivi de deux années pour la phase III des essais afin d'évaluer l'efficacité et l'innocuité de la thérapie. Lorsque les résultats de ce suivi seront connus, probablement au cours des six premiers mois de 2022, BioMarin présentera de nouveau une demande d'approbation à la FDA.

uniQure, une entreprise de biotechnologie, présentera sous peu une autre thérapie génique pour traiter l'hémophilie, l'étranacogène dezaparvec. Au cours des essais de phase III, cette thérapie a montré des résultats prometteurs dans le traitement des patients atteints d'hémophilie grave. L'effet du traitement chez les patients a même duré pendant un an après l'infusion. Les essais ont toutefois été mis en veilleuse quand un patient a développé un carcinome hépatocellulaire. Par contre, une fois que la FDA a conclu qu'il était peu probable que la thérapie génique avait causé le carcinome, ils ont pu reprendre.

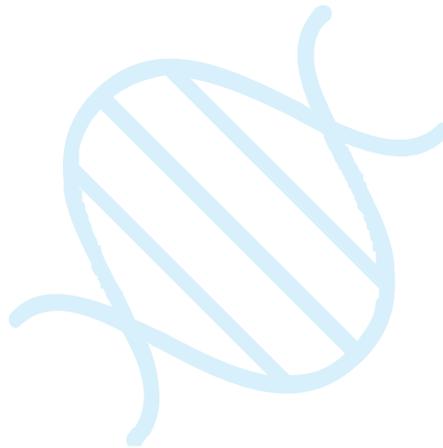
Thalassémie

La thalassémie est un problème sanguin héréditaire causé par une production réduite d'hémoglobine, ce qui entraîne une production inefficace de globules rouges, l'anémie et une surcharge en fer. À l'heure actuelle, les traitements se concentrent sur les transfusions sanguines et les transplantations de cellules hématopoïétiques.

Le bétibéglogène autotemcel de l'entreprise biotechnologique Bluebird Bio est une option prometteuse pour les patients qui souffrent de bêta-thalassémie et qui doivent recevoir régulièrement des transfusions de globules rouges. L'Agence européenne des médicaments a déjà accordé une autorisation conditionnelle de mise en marché pour les patients âgés de 12 ans ou plus. La FDA avait initialement rejeté le bétibéglogène autoemcel. Bluebird Bio a toutefois présenté une nouvelle demande d'examen à la FDA en septembre 2021. Le statut prioritaire a été octroyé à cette nouvelle demande et une décision est attendue le 20 mai 2022.

Drépanocytose

LENTIGLOBIN® de Bluebird Bio est également un médicament prometteur indiqué pour traiter la drépanocytose. Dans ce problème sanguin héréditaire, la forme irrégulière des globules rouges est causée par un défaut de l'hémoglobine. La FDA avait mis les essais relatifs à LENTIGLOBIN® en veilleuse lorsqu'un patient a développé une leucémie myéloïde aiguë et qu'un autre patient a développé un syndrome myélodysplasique. Les essais ont toutefois repris en juin 2021.



CONCLUSION

Les traitements contre la migraine continuent d'évoluer. Des traitements préventifs administrés par voie orale pourraient être des options pratiques pour les patients. Les gépants administrés oralement pour traiter la migraine pourraient remplacer les triptans pour lesquels de nombreux génériques sont offerts. Santé Canada examine encore ces traitements, mais ils ont été approuvés aux États-Unis depuis 2019, ce qui offre davantage de données et d'expérience pratique.

De nombreuses thérapies géniques indiquées pour traiter les troubles sanguins font l'objet d'un examen. Elles constituent des traitements qui changeraient réellement la vie des patients atteints de maladies héréditaires.

Les médicaments en voie de développement dont il a été question dans le présent rapport trimestriel vont des traitements additionnels pour des maladies répandues comme la migraine aux thérapies géniques indiquées pour traiter des maladies rares qui ne touchent qu'un petit nombre de Canadiens. Ces deux types de médicaments pourraient avoir d'importantes répercussions financières sur les régimes privés.



Sources : Données de référence disponibles sur demande.



[express-scripts.ca/fr](https://www.express-scripts.ca/fr)

 @ExpressRxCanada

 Express Scripts Canada

 Express Scripts Canada

© Express Scripts Canada. Tous droits réservés.