

# Congrès sur les maladies rares Automne 2024

**26 - 27  
novembre  
2024**

**Comment tirer [CY1] profit  
des 1,5 milliard de dollars de  
la Stratégie nationale visant  
les médicaments pour le  
traitement des maladies  
rares dans un plan complet  
axé sur la valeur sur les  
maladies rares**

**Delta Hotels by Marriott Montréal**  
475 Av. du Président-Kennedy  
Montréal, QC H3A 1J7



Canadian Organization  
for Rare Disorders



**Comment tirer profit des 1,5 milliard de dollars de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares dans un plan complet axé sur la valeur pour les maladies rares**

## **Ordre du jour du congrès**

Mardi 26 novembre (8h30 - 17h00)

**8h30 – 9h00**

**Inscription et déjeuner**

Salle de bal Opus

**9h00 – 9h10**

**Mots de bienvenue**

Durhane Wong-Rieger, Organisation canadienne pour les maladies rares (CORD) ;  
Jonathan Pratt, Regroupement québécois des maladies orphelines (RQMO) (10 min)

**9h10 – 9h30**

### **I. L'opportunité ET le défi (20 min)**

**Comment pouvons-nous obtenir du financement pour un plan canadien sur les maladies rares? En assurant un retour sur investissement axé sur la valeur pour les 1,5 milliard de dollars actuels!**

**Opportunité :** En février 2019, après plus d'une douzaine d'années de plaidoyer dirigé par des patients, le gouvernement canadien a annoncé une allocation de 1 milliard de dollars pour mettre en place une Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares (SMMR). L'attention du gouvernement a été détournée vers les élections fédérales qui ont suivi, et les demandes inattendues globales pour faire face aux exigences de la COVID-19 ont dominé la santé publique pendant la majeure partie de l'année suivante. L'Organisation canadienne pour les maladies rares (CORD) a reconnu que, pour les patients et leurs familles, les risques associés aux maladies rares sont souvent aussi graves, voire plus menaçants, que ceux liés à la COVID-19. Face à l'incertitude quant à la fin de la pandémie, CORD a décidé de ne pas laisser passer l'opportunité de développer une stratégie dédiée aux maladies rares. Ainsi, au cœur de la crise sanitaire, l'organisation a lancé des consultations multipartites. Au cours de l'année suivante, elle a réussi à rassembler et à consolider les recommandations de la communauté des maladies rares pour l'actualisation du SMMR.

En mars 2023, le ministre de la Santé, Jean-Yves Duclos, a annoncé un investissement de 1,5 milliard de dollars sur trois ans pour mettre en œuvre Stratégie nationale visant les

médicaments pour le traitement des maladies rares (SMMR). Ce financement comprend : a) 20 millions de dollars sur trois ans pour l'Agence des médicaments du Canada (AMC) et pour l'Institut canadien d'information sur la santé (ICIS), afin d'améliorer la collecte et l'utilisation des données et d'optimiser les registres des patients; b) 32 millions de dollars sur cinq ans destinés aux Instituts de recherche en santé du Canada (IRSC) pour soutenir un programme de recherche sur les maladies rares, axé sur le développement d'outils de diagnostic, de suivi et de réseaux d'essais cliniques; c) 16 millions de dollars sur trois ans pour établir une infrastructure nationale qui facilitera la mise en œuvre de la stratégie. La majorité de ce financement, soit 1,4 milliard de dollars, sera allouée à des ententes bilatérales avec les provinces et les territoires, visant à financer une liste « commune » de médicaments pour les maladies rares. Cela a pour objectif de mettre fin à la « loterie des codes postaux » et d'améliorer l'équité dans l'accès aux traitements.

En avril 2024, le gouvernement fédéral a annoncé, sans transparence sur les progrès des accords bilatéraux, que la période de ces accords s'étendrait d'avril 2024 à avril 2027. En juillet 2024, le gouvernement fédéral et de la Colombie-Britannique ont signé la première entente bilatérale sur le SMMR, qui alloue 194 millions de dollars à la province sur trois ans. Cet investissement vise à améliorer l'accès aux médicaments pour les maladies rares, tant nouveaux qu'existants, ainsi qu'à renforcer le diagnostic précoce et les capacités de dépistage. L'accord a mené à l'annonce des deux premiers médicaments d'une liste de 12 médicaments « courants » à financer : **Poteligeo** (pour le mycosis fongoïde ou le syndrome de Sézary) et **Oxlumo** (pour l'hyperoxalurie primaire de type 1). L'entente de la Colombie-Britannique pourrait servir de modèle pour d'autres provinces. Parmi les modalités de l'accord, la Colombie-Britannique est tenue de suivre l'utilisation des fonds, avec l'obligation que 50 % des montants soient alloués à au moins un des 12 médicaments au cours des 1 à 2 premières années. De plus, 10 % des fonds doivent être dédiés à l'amélioration du dépistage et du diagnostic. Les 40 % restants pourront être utilisés pour des thérapies émergentes et pour égaliser l'accès aux médicaments existants pour les maladies rares.

**Défi** : Le financement de 1,5 milliard de dollars pour la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares (SMMR) est prévu pour une période de trois ans, jusqu'en avril 2027. Bien que cette initiative offre une promesse significative, elle n'inclut aucune garantie de renouvellement. Cela soulève un défi majeur : l'absence de résultats clairs et articulés pour SMMR, tant au niveau fédéral que provincial ou territorial. Pour capitaliser sur cette occasion, il est crucial d'établir dès maintenant un cadre d'évaluation qui définit des résultats à court, moyen et long terme. Cela permettra de s'assurer que l'allocation des fonds soit alignée sur ces objectifs. De plus, cela offrira

la flexibilité nécessaire pour adapter les mesures ou recalibrer les résultats afin de garantir l'atteinte des objectifs d'ici la fin de la troisième année. Étant donné l'ampleur des financements engagés et la diversité des parties prenantes impliquées, il est essentiel que nous nous réunissions pour développer une proposition de valeur du point de vue de tous, y compris la communauté des maladies rares, les décideurs, les responsables du financement, l'industrie, les assureurs privés et le grand public. Cette collaboration sera déterminante pour maximiser l'impact de la stratégie et répondre aux besoins des patients.

**Cette conférence s'attaquera à la problématique de la définition d'un cadre d'évaluation permettant de mesurer le rendement du capital investi des 1,5 milliard de dollars alloués à la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares.**

Les maladies rares évoluent au sein d'un écosystème dynamique, où chaque composante influence les autres. Pour que cet écosystème prospère, il est essentiel que chaque partie prenante participe activement. Nous avons tous à gagner lorsque chacun en bénéficie. Ensemble, nous allons développer un modèle logique pour la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares, qui ira au-delà du simple remboursement des médicaments. Ce modèle visera à identifier toutes les composantes de la chaîne de valeur, y compris, mais sans s'y limiter, le parcours du patient. Voici quelques-unes des questions que nous aborderons:

1. Qui sont les intervenants de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares (SMMR)? Quelle est la proposition de valeur à réaliser à partir de la SMMR pour chacune des parties prenantes?
2. Comment alignons-nous nos valeurs, principes et résultats finaux? Où se situent les divergences ou les conflits? Quels sont nos objectifs prioritaires et comment pouvons-nous réconcilier ces divergences?
3. Quels indicateurs de résultats, à court, moyen et long terme, détermineront l'efficacité de la SMMR ? Comment démontrerons-nous la valeur d'un investissement de 1,5 milliard de dollars en termes de rendement approprié ?
4. Quels sont les résultats ou indicateurs réalisables chaque intervenant peut établir pour démontrer la valeur de la SMMR?
5. Quels éléments clés du modèle logique relient les ressources, les intrants, les extrants et les résultats, afin de définir un système intégré pour les maladies rares? Comment pouvons-nous les transformer en mesures concrètes pour orienter l'évaluation?

## II. Qui sont les acteurs clés dans cet écosystème ?

**Modérateur:** William Dempster, 3Sixty Public Affairs

**9h30 – 10h30**

**A : Processus de réglementation ? (30 min)**

Titre : Mise à jour sur la mise en œuvre de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares

Intervenant : Daniel MacDonald, Directeur général, Bureau des stratégies de gestion des produits pharmaceutiques, Direction générale des politiques de santé, Santé Canada

Description : Le gouvernement du Canada continue d'annoncer la signature d'accords bilatéraux dans le cadre de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares. Les accords visent à améliorer l'accès aux médicaments nouveaux et existants contre les maladies rares et à soutenir le diagnostic précoce et le dépistage des maladies rares. Ils s'appuient sur d'autres activités déjà en cours pour soutenir d'autres piliers de la Stratégie axés sur l'amélioration de la collecte et de l'utilisation des données probantes et faire progresser la recherche sur les maladies rares. Santé Canada parlera des objectifs qui sous-tendent la Stratégie, donnera une mise à jour sur les progrès réalisés et discutera des efforts visant à harmoniser et à renforcer d'autres activités visant à répondre aux besoins des personnes vivant avec des maladies rares au Canada.

### **Commentaires sur:**

- Examen prioritaire
- Avis de conformité avec conditions (AC-C)
- Voies d'examen accéléré pour les cas d'urgence liés aux maladies rares
- Initiatives sur les **preuves du contexte réel (RWE)**
- Soumissions continues et licences adaptatives
- Collaborations internationales

**B : Chemins et « Raccourcis » vers l'accès (30 min)**

En utilisant des études de cas comme contexte, examinons les opportunités et les défis associés au processus d'évaluation des médicaments pour les maladies rares.

Comité d'experts:

- Trish Caetano, AMC

- Mélanie Caron, INESSS
- Partenaire de l'industrie (à déterminer)

**Questions :** Quelles sont les voies actuelles qui facilitent l'examen des médicaments pour les maladies rares avant, pendant et après leur approbation? Quelles options extraordinaires sont mises en place pour répondre aux besoins urgents à chaque étape du processus d'approbation? Quels défis persistants rencontrons-nous, et quelles améliorations pourraient être envisagées? (30 min)

**Commentaires sur:**

- Accès pour des raisons humanitaires (corporatif)
- Mesure du patient d'exception du Québec
- Voie de recommandation à durée limitée de l'AMC
- Processus d'accès temporaire de l'APP (pTAP)

**PAUSE**

**10h30 – 10h45**

**10h45 – 12h00**

**III. Tenir sa promesse (partie 1)**

**Modérateur:** Durhane Wong-Rieger

**C. 12 Médicaments « courants » pour les maladies rares (45 min)**

Comment le SMMR peut-il réaliser sa promesse d'améliorer l'accès aux médicaments, tant nouveaux qu'existants, pour les maladies rares, en mettant fin à la « loterie du code postal » et en assurant un accès équitable? Quels médicaments seront inclus et quels patients en bénéficieront?

**Panel 1 : Leaders désignés**

L'annonce de la signature de l'entente bilatérale entre Santé Canada et la Colombie-Britannique a également révélé les deux premiers médicaments « courants » qui seront financés dans le cadre du SMMR.

L'accord offrait peu d'informations sur la distribution des fonds. Au cours de cette session, nous aborderons les récentes approbations, recommandations et négociations en cours avec l'Alliance pharmaceutique pancanadienne (APP). Notre défi sera d'exploiter les accords bilatéraux pour améliorer le dépistage et le diagnostic, tout en

favorisant la recherche de spécialistes pour garantir une prescription adéquate, une collecte de données efficace et une prise en charge appropriée des patients.

### **Thérapies désignées**

- **Poteligeo** (Kyowa Kirin) pour **le mycosis fongoïde ou le syndrome de Sézary**
- **Oxlumo** (Alnylam) pour **l'hyperoxalurie primaire de type 1**

### **Thérapies terminées, en cours, ou en cours de négociations**

- **Hemgenix** (CSL Behring) pour **l'hémophilie B**
- **Becvez** (Pfizer) pour **l'hémophilie B**
- **Ekveeza** (Ultragenyx) pour **l'hypercholestérolémie familiale homozygote**
- **Uplizna** (Amgen/Horizon) pour **le trouble du spectre de la neuromyéélite optique**
- **Leqvio** (Novartis) pour **l'hypercholestérolémie primaire (non familiale et hétérozygote familiale)**
- **Optune** (Novocure) for **glioblastoma** (brain cancer)

**Panel :** Scott Warren, Alnylam; Dre Jennifer Adams, Ambassadrice canadienne de la Fondation pour l'oxalose et l'hyperoxalurie; Henry Zheng, Ultragenyx; Sarah Ford, Société canadienne de l'hémophilie; Kate Jervis, Novartis

**Questions :** *Quelles sont les conditions spécifiques, les options de traitement disponibles, et quel impact a le nouveau médicament sur les patients? Comment la maladie est-elle reconnue et diagnostiquée? Quel est le nombre de Canadiens ayant reçu un diagnostic par rapport à ceux qui vivent potentiellement avec la maladie? Combien de Canadiens ont actuellement accès au médicament, et combien pourraient potentiellement y accéder? Quelles meilleures pratiques, au Canada ou à l'étranger, permettent un accès rapide et assurent un suivi des résultats pour les patients? Comment le SMMR pourrait-il contribuer à garantir une utilisation appropriée des traitements et à faciliter la collecte de données de contexte réel pour évaluer leur valeur en termes de bien-être des patients et d'impact économique?*

**Panel 2 : Pourquoi ce chien n'aboie-t-il pas ? (30 min)**

**Qui :** Fred Horne, Horne and Associates (ancien ministre de la Santé de l'Alberta); Wayne Critchley, Affaires publiques mondiales; Jida El-Hajjar, ALS Action Canada; Dre Isabelle Hardy, University of Montreal; Bob McLay, Sobi Canada

Ces thérapies ciblent des besoins non satisfaits, certains d'urgence, et répondent toutes à des conditions graves, souvent progressives, qui peuvent entraîner des conséquences dévastatrices et même potentiellement mortelles. *Alors, pourquoi les patients attendent-ils encore l'accès?*

Tous ces médicaments ont été approuvés par Santé Canada, beaucoup par le biais de procédures accélérées. Certains sont autorisés avec des conditions, nécessitant des essais cliniques supplémentaires ou une surveillance post-commercialisation et la collecte de données de contexte réel. Pourtant, ils sont déjà disponibles aux États-Unis et dans la plupart des pays européens. *Pourquoi ne sont-ils pas encore accessibles au Canada?*

Tous ces traitements bénéficient de recommandations de l'ACM et de l'INESS. De nombreux patients peuvent les obtenir grâce à des assurances médicaments privées. *Alors, pourquoi ne sont-ils pas remboursés par les régimes publics d'assurance médicaments pour l'ensemble des Canadiens?*

***Pourquoi ce chien n'aboie-t-il pas ?***

Manque-t-il encore de la sensibilisation aux maladies rares? Y a-t-il un sentiment d'urgence qui nous échappe, alors qu'un enfant meurt d'une maladie rare à toutes les 39 minutes?

Craignons-nous une perte de contrôle budgétaire, d'être submergés par les besoins de dépistage et de diagnostic, ou un manque d'expertise pour prescrire avec précision?

N'existe-t-il pas de consensus sur les résultats qui comptent ou sur l'efficacité du traitement précoce ? N'avons-nous toujours pas les preuves économiques nécessaires pour souligner l'importance de prévenir les maladies graves et de sauver des vies?

**Dîner**

**12h00 – 13h00**

**IV. Récompenser les lève-tôt**

**13h00 – 13h15**

**Opening Remarks:** Angela Behboodi, Amgen (15 min)

**13h15 – 13h45**

### **Panel 3 : Les lève-tôt (30 min)**

**Modérateur:** William Dempster, 3Sixty Public Affairs

**Groupe d'experts :** Biba Tinga, Association drépanocytaire du Canada; Max Johnson, Recordati Maladies rares Canada ; Pamela diCenzo, Acadia Pharmaceuticals ; Deanna Badiuk, Acromégalie Canada ; Susi Vander Wyk, CureSMA Canada; Dre Isabelle Hardy, University of Montreal

Certains des médicaments qui pourraient être couverts par les 40 % sans restriction des fonds bilatéraux sont des thérapies émergentes, récemment soumises à Santé Canada et à l'AMC ou en préparation pour être soumises. D'autres encore sont des médicaments approuvés existants qui ne sont pas (équitablement) accessibles partout au pays. Il s'agit notamment des éléments suivants :

- Casgevym (Vertex) pour la drépanocytose (SCD)
- Tepezza (Amgen) pour l'ophtalmopathie thyroïdienne
- Signifor LAR (Recordati) pour Acromégalie
- Trikafta (Vertex) pour la fibrose kystique – étendue à toutes les mutations
- Risdiplam (Roche) et Spinraza (Biogen) pour l'amyotrophie spinale (tous les âges)
- Daybue (Acadia) pour le traitement du syndrome de Rett

**Questions :** *Quelle est chaque condition, quelles sont les options de traitement et quel est l'impact du nouveau médicament? Comment la maladie est-elle reconnue et diagnostiquée? Combien de Canadiens ont reçu un diagnostic par rapport au nombre de personnes qui vivent potentiellement avec la maladie?*

**13h45 – 14h30**

### **Panel 4 : L'oiseau qui se lève tôt attrape le ver (45 min)**

Il s'agit de thérapies déjà approuvées par Santé Canada, dont beaucoup font l'objet d'un processus d'examen accéléré pour répondre aux besoins non satisfaits. Certains sont autorisés avec des conditions nécessitant des essais cliniques supplémentaires ou prolongés et/ou une surveillance post-commercialisation et la collecte de données du monde réel. La plupart sont disponibles aux États-Unis ainsi qu'en Europe.

De quelles façons le financement de la SMMR pourrait-il aider à fournir un accès immédiat approprié aux patients au moment de l'approbation réglementaire? Quelles

sont les options d'accès géré qui pourraient être conçues pour permettre la collecte de données dans le monde réel afin de surveiller la sécurité et les efficacités?

**Modérateur:** Durhane Wong-Rieger

**Groupe d'experts:**

- Ententes novatrices: Sang-Mi Lee, Morse Consulting
- Defining and Developing Real-World Outcome Measures. Deborah Marshall, University of Calgary (virtual)
- Recherche et identification des patients : Rebeccah Marsh, Institut d'économie de la santé
- Répondre aux besoins non satisfaits : Lisa McCoy, vaincre Duchenne Canada

**V. Focus sur les maladies rares du Québec**

**14h30 – 15h30**

**Modérateur:** Jonathan Pratt, RQMO

**Groupe d'experts 1 : Plan national des maladies rares du Québec (20 min)**

- Jade Falardeau, Ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS)

**Panel 2 : Groupe de recherche sur les maladies rares du Québec (20 min)**

- Michelle Marquis, Institut de recherche du Centre universitaire de santé McGill
- Dr Philippe Campeau, Centre de recherche du CHU Sainte-Justine
- Dr Nicolas Pilon, UQAM - Université du Québec à Montréal

**Panel 3 : Diagnostic et soins au Québec (20 min)**

- Dr Vincent Mooser, Université McGill (génomique)
- Dre Angela Genge, Neuro (SLA)
- Catherine Boivin, CORD

**PAUSE 15h30 -15h45**

**15h45 – 16h30**

**VI. Initiatives révolutionnaires à travers le monde - Moonshots Across the Globe (45 min)**

**Modératrice :** Durhane Wong-Rieger

Plusieurs pays ont lancé leurs propres « Initiatives révolutionnaires pour les maladies rares » avec des plans nationaux qui peuvent servir de feuilles de route (chemins spatiaux?) et d'inspiration pour le Système canadien des maladies rares. Ceux-ci varient considérablement et démontrent qu'il n'y a pas de bonne façon unique de « faire rare ».

D'autres pays offrent des programmes multisectoriels intégrés et complets grâce au financement et au soutien du gouvernement fédéral ; d'autres sont régionalisées ou décentralisées pour desservir les populations désignées ; et d'autres encore sont des centres multidisciplinaires de maladies rares couvrant la recherche, l'éducation, la formation, le diagnostic, les soins spécialisés, le soutien familial et le suivi.

Un groupe de représentants de partout dans le monde et de partout au Canada donnera un aperçu de leurs programmes respectifs, avec des leçons clés, des facteurs de réussite et des recommandations pour l'avenir. Elle sera suivie d'une discussion interactive entre les panélistes et avec les participants.

#### **A. Programmes mondiaux sur les maladies rares**

- Royaume-Uni: Programme national complet
- Arabie saoudite/Émirats arabes unis/Qatar: focus sur la génomique
- Chine: Programme hospitalier spécialisé multiseins
- Brésil: Centre d'excellence complet d'évaluation et de gestion des DR (Casa dos Raros)
- Barcelone: Centre d'expertise de l'hôpital pour enfants
- République tchèque: MCDA pour les médicaments pour les maladies rares

#### **B. Reflection Panel (16h30 – 17h00)**

**Panel:** François Bernier, University of Calgary; Kim Steele, Cystic Fibrosis Canada; Alison Oliver, Cencora; Peter Brenders, Beigene

**16h45 – 17h00**

### **VII. Journée de récapitulation 1**

**17h00 - 19h00**

**Réception de réseautage – Opus Foyer**

\* Tous les participants à la conférence sont invités à y assister.

Mercredi 27 novembre (8h30 - 15h30)

## *Leadership à partir de zéro*

**8h30 – 9h00**

**Déjeuner**

Salle de bal Opus

**9h00 - 9h15**

**Leçons tirées du jour 1** (15 min) Durhane Wong-Rieger

Le jour 1 a fourni une corne d'abondance éblouissante de possibilités de maladies rares provenant de partout dans le monde et dans de multiples secteurs au Canada. Comment l'écosystème canadien des maladies rares a-t-il évolué au cours de la dernière décennie? Qu'est-ce que nous faisons bien et que devrions-nous améliorer? Quelles sont les principales leçons tirées de partout dans le monde que nous pouvons appliquer pour accélérer le développement de notre système ici au Canada?

**I. Infrastructure canadienne des maladies rares pour un accès optimal aux thérapies**

Comment l'infrastructure canadienne des maladies rares peut-elle être optimisée pour tenir la promesse d'un accès accéléré et équitable à des thérapies novatrices? Quels sont les éléments essentiels qui peuvent alimenter le parcours d'accès des patients atteints de maladies rares? Un groupe d'experts et d'utilisateurs participera à la présentation et à la discussion.

**9h15 – 10h45**

**A. Présentations en groupe et discussion** (75 min)

**Modérateur:** Walter Robinson, CORD

• **Canada Rare Disease Centres and Network**

**Panel:**

- François Bernier, Canadian Rare Disease Network
- Dre Leanne Ward, CHEO, Research Chair Rare Bone Health (virtual)
- Ian Stedman, York University
- Cathy Evanochko, CORD/Tuberous Sclerosis Canada
- **Dépistage et au-delà** : Quelles sont les stratégies et les outils, y compris l'IA, pour le dépistage et l'identification des patients potentiellement admissibles au traitement financé le plus tôt possible? (15 min)
  - Targeting Rare Patients in Primary Care: Don Watts, Khure Santé
  - Point de vue de l'aidant : Lindsay Williamson, CORD

- **Tests génétiques et génomiques** : Comment peut-on utiliser des stratégies génétiques et génomiques ciblées et à l'échelle de la population pour diagnostiquer avec précision et efficacité les patients et les familles élargies touchés par des maladies rares? Comment pouvons-nous faire passer le séquençage génomique des utilisations expérimentales et de recherche à l'utilisation clinique dans le monde réel pour accélérer l'accès aux soins et aux traitements? (10 min)
  - AllforOne : Camille Varin-Tremblay, Centre de recherche du CHU Sainte-Justine
- **Centres des maladies rares et réseaux élargis** : Comment les centres des maladies rares et les centres spécialisés peuvent-ils optimiser un diagnostic précis et opportun, prescrire des soins et des traitements optimaux, tenir des registres de patients, fournir un soutien pour la prise en charge continue des patients à l'échelle locale et fournir une prise en charge et un soutien à long terme? Quels sont les rôles des centres des maladies rares pour élaborer ou appuyer des lignes directrices sur les pratiques exemplaires, participer à des initiatives de formation et de mentorat, collaborer avec d'autres centres des maladies rares, appuyer les essais cliniques, les innovations thérapeutiques et d'autres initiatives de recherche. (20 min)
- **Impact socioéconomique** : Comment la SMMR peut-elle appuyer les études d'impact socioéconomique pour déterminer l'impact des maladies rares sur les personnes, les familles et la société et, surtout, la valeur de l'intervention thérapeutique, en particulier les médicaments novateurs financés par la SMMR. Quelles sont les études et les outils actuellement utilisés? ce qui peut être adapté à travers les maladies ; qu'est-ce qui doit être personnalisé? Qui dirigera et qui sera propriétaire des résultats? (20 min)
  - Étude sur l'hypertension artérielle pulmonaire : Jamie Myrah, PHA Canada
  - Comprehensive Approach to Measuring RD Outcomes and Impacts: Dr. Francois Bernier, University of Calgary
  - Rebeccah Marsh, Institute of Health Economics
  - Carla Chabot, CORD

## **B. Questions et réponses interactives (10 min)**

**10h45 – 11h00**

**PAUSE**

**11h00 – 12h00**

- II. Réduire les iniquités d'accès aux médicaments novateurs pour les maladies rares ... Ce que le financement de la SMMR pourrait faire (60 min)**

**Modérateur :** William Dempster

**Panel :**

- Durhane Wong-Rieger, CORD: Design of CRA survey and application to Canada
- Karen Heim, Astra Zeneca/Alexion: Key findings re: health equity; value of early diagnosis
- Lindy Forte, EVERSANA: The economics of investing (and not-investing) in rare disease medicines
- Rebeccah Marsh, Institute of Health Economics: Relevance for Canada's Rare Disease Drug Strategy and value-based therapeutics  
Tara Cowling, Medlior: Data and support for managed access

**12h00 – 13h00**

**DÎNER**

**13h00 – 13h15**

**Building plans for rare diseases in the provinces – the “Alberta Advantage”**

Jenny Buckley, Innovative Medicines Canada; Jean-Philippe D'Aoust, Merck Canada

**13h15 - 14h15**

**Proposition d'un modèle pour le fondement d'un cadre d'évaluation pour mesurer les résultats et l'impact de la Stratégie nationale pour les maladies rares (60 min)**

**Modératrice :** Durhane Wong-Rieger, CORD; Rebeccah Marsh, IHE

**Table ronde :** Bennett Lee, Sanofi Canada ; Maureen Smith, INFORM RARE/RareKids-CAN; Dr François Bernier, Université de Calgary ; Ian Stedman, Université York, Fred Horne, Horne and Associates (ancien ministre de la Santé de l'Alberta)

L'événement phare (À NE PAS MANQUER) est une session interactive intense qui engage tous les participants vers l'articulation d'un modèle logique intégrant toutes les composantes du Réseau des maladies rares. Les volets parallèles se concentreront sur (1) le parcours du patient, de l'identification au diagnostic, en passant par l'accès aux soins et aux traitements, en passant par le suivi et (2) le cycle de vie des médicaments, des essais cliniques à l'approbation réglementaire et à l'évaluation de l'ETS, en passant par les négociations et l'accès des plans publics à l'évaluation de la valeur après la mise en marché. L'objectif est d'obtenir un consensus sur les résultats souhaités à court, à moyen et à long terme, les extrants correspondants dans tous les secteurs, ainsi que les intrants essentiels et les ressources de facilitation en plus de l'engagement de 1,5 milliard de dollars de la Stratégie nationale sur les médicaments pour les maladies rares. Ce modèle logique précisera clairement les composantes et les processus essentiels d'un Plan

pancanadien sur les maladies rares nécessaires pour atteindre les résultats souhaités et le rendement du capital investi fondé sur la valeur.

**14h15 – 14h45**

**III. Analyse des lacunes : ce qu'il faut pour réussir (30 min)**

**14h45 – 15h00**

**Conclusions et prochaines étapes**

## Commanditaires de la conférence

Nous reconnaissons la contribution de tous nos partenaires commerciaux à l'amélioration de la vie des patients et des familles atteints de maladies rares. La conférence d'automne sur les maladies rares 2024 est rendue possible grâce au généreux soutien des entreprises suivantes :

### Premier



### Lead



### Partner



### Friend

