

Corny J¹, candidate au Pharm.D, **Pelletier E¹**, B.Pharm, M.Sc., **Bussières JF^{1,2}**, B.Pharm, M.Sc, MBA, FCSHP

¹Département de pharmacie et Unité de recherche en pratique pharmaceutique (URPP), CHU Sainte-Justine, Montréal, Québec, Canada.

²Faculté de pharmacie, Université de Montréal, Montréal, Québec, Canada.

INTRODUCTION

De nombreuses thérapies coûteuses émergentes ont vu le jour au cours des dernières décennies, prenant une part de plus en plus importante dans le budget des hôpitaux. En centre hospitalier universitaire, l'utilisation de ces thérapies a été permise sans forcément tenir compte des approbations des instances fédérale ou provinciale. Depuis 2014, nous avons instauré une démarche d'encadrement des thérapies émergentes au sein de notre centre hospitalier universitaire mère-enfant.

OBJECTIFS

Élaborer un outil d'aide à la décision pour la prise en charge des thérapies coûteuses émergentes dans un centre universitaire mère-enfant.

MÉTHODOLOGIE

- Revue de littérature et étude descriptive
- Nous avons défini les caractéristiques de chaque médicament coûteux émergent :
 - approbations (date, critères) par les autorités gouvernementales canadienne (Santé-Canada), québécoise (Institut national d'excellence en santé et services sociaux - INESSS), américaine (Food and Drug Administration - FDA) et européenne (European medicines Agency - EMA)
 - statut local (au formulaire avec/sans règle d'utilisation et avec/sans particularités, hors-formulaire)
 - niveau de preuve ayant permis son approbation (nombre d'études, nombre de patients)
 - évaluation du comité de pharmacologie réalisée
 - règle d'utilisation rédigée
 - coût par unité/traitement
 - remboursement selon le lieu (hôpital - budget ou non alloué à l'établissement vs. domicile - Régie d'assurance maladie du Québec (RAMQ) ou assurances privées)
- L'outil d'aide à la décision élaboré permet de comparer la décision prise dans notre centre par rapport aux approbations des autres instances; il assure une cohésion et une uniformité des recommandations du comité de pharmacologie et des décisions du chef de département de pharmacie et du Conseil des médecins, dentistes et pharmaciens.

RÉSULTATS

- Vingt-deux médicaments ont été intégrés à l'outil d'aide à la décision (24 indications)
- Aucun des médicaments n'était inscrit à notre liste locale (formulaire)

Nom Générique (commercial)	Besoin du plateau technologique CHUSJ	Indication	Approbation par les instances gouvernementales				Statut CHUSJ	Niveau de preuve	Éval. comité pharmaco	RU	Coût par unité	Statut rembours.	Décision CHUSJ
			Santé Canada	INESSS	FDA	EMA							
	Oui/Non	Une ligne par indication					F, FR, FRP, HF	#EC/# total patients inclus	Oui (Année) / Non	Oui (Année) / Non	Coût/jour/pt de 20kg Durée moyenne de traitement	RAMQ, assurance privée, MSSS/AGENCE	
Idursulfase (Elaforce)		MPS II (syndrome de Hunter)	AC (2007)	Non (2008)	AC (2006), Orphelin	AC, Orphelin (2007)	HF	1 (96)	Oui (2007)	Non	3800 \$ / 6 mg 6 300 \$ q 7 jours à vie	RAMQ: non Privé: Inconnu MSSS/AGENCE: Oui	PEC selon budget alloué Rx émergent
Alpha-glucosidase (Myozyme)		Maladie de Pompe (déficit en alpha-glucosidase)	AC (2006)	Oui (2009) Critères forme infantile (ou évolution rapide); symptôme apparus avant 12 mois	AC (2006), Orphelin	AC, Orphelin (2006)	HF	3 (129)	Oui (2014)	Oui (2014)	840 \$ / 50 mg 6 720 \$ q 14 jours à vie	RAMQ: oui si critères INESSS remplis Privé: oui MSSS/AGENCE: Oui	PEC selon budget alloué Rx émergent

Figure 1—Extrait de l'outil d'aide à la décision pour la prise en charge des thérapies coûteuses émergentes développé au CHU Sainte-Justine

Légende : CHUSJ—Centre Hospitalier Universitaire Sainte-Justine; Éval.—évaluation; RU—règle d'utilisation; AC—avis de conformité; F—au formulaire; FR—au formulaire avec règle d'utilisation; FRP—au formulaire avec règle d'utilisation et particularités; HF—hors-formulaire; EC : essais cliniques; pt : patient; MSSS—ministère de la santé et des services sociaux; PEC—prise en charge; MPS—mucopolysaccharidose

Tableau 1—Caractéristiques des médicaments inclus dans l'outil d'aide à la décision pour la prise en charge des thérapies coûteuses émergentes

	n Indications (%)
Approbations	
• Santé-Canada	10 (41,7%)
• INESSS	1 (4,2%)
• FDA	13 (54,2%)
• EMA	14 (58,3%)
Statut orphelin	
• FDA	8 (33,3%)
• EMA	9 (37,5%)
Niveaux de preuve	
• Nombre moyen d'essais cliniques	2,75 ± 1,22
• Range du nombre de patients inclus	56-1722
Coût moyen par unité d'achat	3 184 \$
Statut de remboursement	
• Hôpital — Aucun financement dédié	Financé par le budget de l'hôpital
• Domicile—RAMQ	2 (8,3%)

Légende : INESSS—Institut national d'excellence en santé et services sociaux, FDA—Food and Drug Administration, EMA—European medicines Agency, RAMQ—Régie d'assurance maladie du Québec

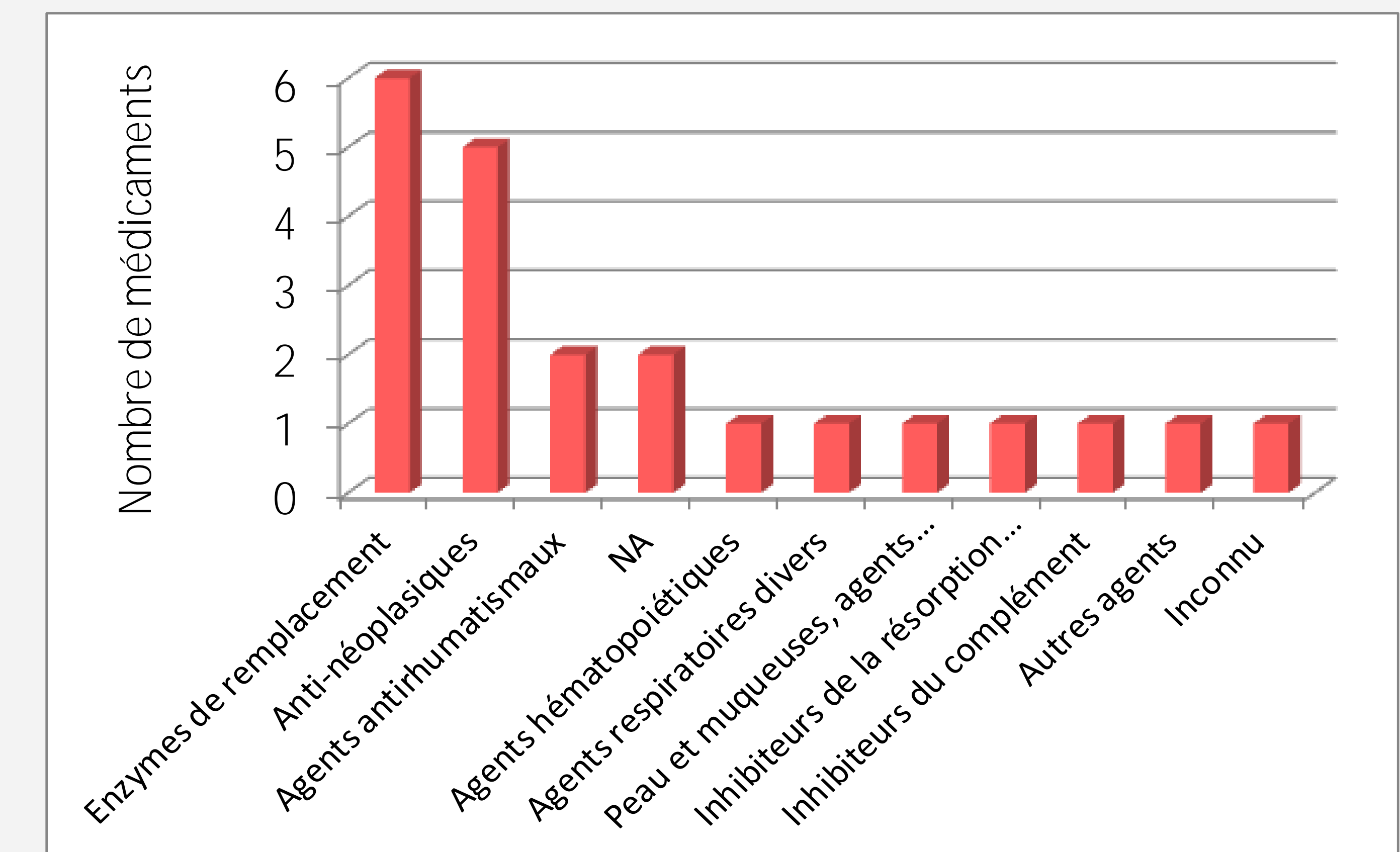


Figure 2—Répartition des classes de médicaments selon l'American Hospital Formulary Service

Légende : NA—Non applicable

CONCLUSION

Notre outil d'aide à la décision pour la prise en charge des thérapies coûteuses émergentes fait partie intégrante du processus d'encadrement de ces médicaments. Regroupant l'ensemble des données relatives aux approbations et coûts de ces thérapies et mis à jour à chaque nouvelle demande, il constitue un guide précieux pour leur prise en charge dans notre centre, de manière transparente et organisée.