



Nouvelles-éclair sur la santé

Maladie de Fabry



*Optimiser la
valeur des
régimes
d'assurance
médicaments
et dentaires*

Au cours des derniers mois, de nouvelles pharmacothérapies coûteuses visant des maladies rares mais dégénératives ont été approuvées par la Direction des produits thérapeutiques de Santé Canada. Bien que leur prévalence soit faible au Canada, ces maladies nécessitent des médicaments qui pourraient avoir des répercussions importantes sur les régimes de médicaments privés couvrant des personnes qui en sont atteintes. Le présent numéro traite de l'une de ces maladies, la maladie de Fabry.

Maladie de Fabry

La maladie de Fabry est un trouble héréditaire rare causé par un gène défectueux entraînant la déficience de l'enzyme alpha-galactosidase A. Celle-ci sert à décomposer les lipides (gras), lesquels s'accumulent dans les veines avec le temps, portant atteinte aux reins et au cœur. Ce trouble touche davantage les hommes que les femmes, la prévalence étant estimée à 1 personne sur 250 000 au Canada. Il y a actuellement 260 personnes atteintes de la maladie de Fabry au Canada. Les personnes touchées par la maladie survivent habituellement jusqu'à l'âge adulte, mais présentent un plus grand risque d'accidents cardiovasculaires, de crises cardiaques et d'atteintes aux reins.

Traitements actuels de la maladie de Fabry

Auparavant, le traitement se limitait au contrôle des symptômes. Or, l'avènement récent de traitements enzymatiques substitutifs (TES) permet maintenant de maîtriser, voire de faire régresser, l'évolution de nombreuses complications de la maladie. Le TES sert à remplacer l'enzyme insuffisante par perfusion (voie intraveineuse). Fabrazyme et Replagal sont deux médicaments de TES dernièrement approuvés par Santé Canada pour le traitement de la maladie de Fabry.

Traitement enzymatique substitutif

Fabrazyme et Replagal sont administrés par perfusion toutes les deux semaines. Fabrazyme entraîne une incidence plus élevée d'effets secondaires, en comparaison de Replagal (p. ex., fièvre, grelottements ou tremblements et hypertension). En raison de ces réactions et du suivi obligatoire du patient, Fabrazyme doit être administré exclusivement à l'hôpital, tandis que Replagal peut être administré à l'hôpital ou à la maison. Basé sur le traitement d'un individu de 70 kg, le coût annuel total des médicaments s'élève environ à 263 000 \$ et à 290 000 \$ pour Replagal et Fabrazyme, respectivement.

Derniers développements

Fabrazyme

Fabrazyme, fabriqué par Genzyme Canada Inc., a reçu son Avis de conformité de Santé Canada le 23 janvier 2004. Avant cette date, Fabrazyme était offert aux patients par l'intermédiaire du Programme d'accès spécial (PAS) de Santé Canada. Le PAS permet aux médecins qui traitent des personnes atteintes de maladies graves ou mortelles d'accéder à des médicaments n'existant pas sur le marché. Souvent, les fabricants pharmaceutiques fournissent les médicaments sans frais. Habituellement, un médicament accessible par l'intermédiaire du PAS cesse d'être accessible dès que le produit est mis en marché au Canada. D'ici à ce que les gouvernements provinciaux décident s'ils couvriront Fabrazyme, le fabricant fournit ce médicament sans frais aux hôpitaux.

Les gouvernements provinciaux attendent les recommandations du Processus commun d'examen des médicaments (PCEM), qui devrait avoir lieu en juillet 2004. Selon Genzyme Canada, quatre provinces sur cinq comptant des résidents atteints de la maladie de Fabry ont accepté de couvrir Fabrazyme advenant une recommandation favorable quant à la prise en charge des frais; au nombre de ces provinces figurent l'Alberta, la Nouvelle-Écosse, l'Ontario et le Québec. À la date de parution de ce bulletin, la Colombie-Britannique n'a pas encore tranché à ce sujet.

Étant donné que Fabrazyme est administré à l'hôpital, les régimes de médicaments privés qui utilisent le Programme de médicaments administrés en milieu hospitalier (PMAMH) de ESI Canada ne seront pas touchés, puisqu'ils ne couvriront pas le médicament. Toutefois, il se peut que des frais engagés pour Fabrazyme soient remboursables au titre des régimes n'utilisant pas le PMAMH.

Volume 6
N° 10

21 juillet
2004



ESI CANADA®

www.esi-canada.com



Nouvelles-éclair sur la santé

Maladie de Fabry

page 2



Replagal

Replagal, fabriqué par Transkaryotic Therapies Inc., a reçu son Avis de conformité conditionnel (ACC) le 6 février 2004. Un ACC est une autorisation accordée à un produit, sur la base de résultats prometteurs quant à son efficacité clinique dans le traitement d'une maladie grave, mortelle ou gravement dégénérative. Santé Canada a accordé un ACC à Replagal, à la condition que le fabricant poursuive ses recherches cliniques afin de trouver le meilleur dosage. Avant de recevoir son ACC, Replagal était également offert par l'intermédiaire du PAS de Santé Canada. Selon le fabricant, les patients inscrits au PAS avant l'émission de l'ACC continueront de recevoir Replagal gratuitement. Comme dans le cas de Fabrazyme, les gouvernements provinciaux attendent les recommandations du PCEM quant à la couverture de Replagal, également attendues pour juillet 2004.

*Optimiser la
valeur des
régimes
d'assurance
médicaments
et dentaires*

Replagal entraîne moins de réactions causées par la perfusion que Fabrazyme; il peut donc être administré en soins ambulatoires. Ainsi, le fabricant a introduit Replagal dans les pharmacies de vente au détail. Selon le fabricant, environ la moitié des patients au Canada qui souffrent de la maladie de Fabry pourraient être traités à l'aide de Replagal. Donc, lorsque le PAS prend fin, les régimes de médicaments privés pourraient commencer à recevoir des demandes de règlement portant sur Replagal. Il serait prudent d'inclure ce médicament sur la liste du programme d'autorisation préalable compte tenu du fait que certains de ces patients seront traités à l'hôpital et que les médicaments seront financés à même les budgets des hôpitaux.

Conclusion

La disponibilité récente des TES pour les personnes touchées par la maladie de Fabry leur a donné un nouvel espoir d'améliorer grandement leur qualité de vie. Bien que ces traitements soient essentiels au maintien de la vie, leur prix inabordable aura nécessairement des répercussions importantes sur les régimes de médicaments publics et privés.

Auteurs : Rajib Ghatak, Étudiant en pharmacie
Johnny Ma, BSc.Phm.

Rédacteur en chef : Steven Semelman, Pharm.D.

Volume 6
N° 10

21 juillet
2004