

Health Canada's response to a request for information made by the Standing Senate Committee on National Finance on May 1, 2024

Question

Senator Kingston: Among the rare diseases, how rare do you have to be to be considered a rare disease? What would be the number of people in Canada affected, for instance, by a rare disease that would put them in that category?

Ms. Voisin: I don't have the exact definition of a rare disease in front of me. I can say the discussion of that list of drugs is really taking place among the provinces and territories. It's quite sensitive. As you can imagine, there are business interests at stake, et cetera, in developing that list, as well as pricing negotiations. So we can't talk about what the list is. In terms of a rare disease, I would have to get back to you to get a sense of what definition they are using in terms of that conversation.

Senator Kingston: That would be great.

Response

There is no common internationally or even nationally accepted definition of what a rare disease is. Many international definitions focus on prevalence, and typically define a rare disease as a condition that affects less than about 1 in 2,000. For example, the United States Food and Drug Administration defines a rare disease as a condition that affects less than 200,000 people in the United States, the European Medicines Agency defines it as a prevalence of not more than 5 in 10,000, and the World Health Organization definition includes conditions affecting less than 65 out of 100,000 individuals. In addition to the prevalence of the disease, however, other criteria such as disease severity, lack of alternative treatment, difficulty in diagnosis, and the hereditary nature of the disease are also used to characterize these diseases. Additionally, terminologies such as "drugs for rare disease", "orphan drugs", and "ultra-orphan drugs" are commonly used to identify the drugs used to treat rare disease.

While definitions vary, it's estimated that one to three million people in Canada live with a rare disease and up to 75% manifest in childhood. Others estimate that one out of twelve Canadians has a rare disease.

Given there are many existing definitions of rare diseases and drugs for rare diseases, the National Strategy for Drugs for Rare Diseases is guided by this work but has not explicitly adopted a specific definition. Health Canada has not explicitly defined rare diseases or drugs for rare diseases to allow for the most flexible approach possible in how provinces and territories approach this work, and how it will support patients and the varying circumstances they face.

As part of the National Strategy, the federal government will provide funding of up to \$1.4 billion over three years to provinces and territories via bilateral funding agreements and \$33 million over three years to the Non-Insured Health Benefits Program, delivered

by Indigenous Services Canada. This approach will cost share the coverage of an agreed upon, common, small set of new and emerging drugs for rare diseases, while also enabling provinces and territories to enhance coverage for other drugs for rare diseases and support improvements in screening and diagnostics for rare diseases.

Health Canada is now working with provinces and territories towards the development of bilateral agreements, which will help increase access and improve affordability of effective drugs for rare diseases to improve the health of patients across Canada. A broad definition will allow our partners to address the specific and unique circumstances of each jurisdiction.

Réponse de Santé Canada à une demande de renseignements présentée par le Comité sénatorial permanent des finances nationales le 1 mai 2024

Question

Transcription officielle non disponible.

Réponse

Il n'existe pas de définition commune acceptée à l'échelle internationale ou même nationale de ce qu'est une maladie rare. De nombreuses définitions internationales se concentrent sur la prévalence et définissent généralement une maladie rare comme une affection qui touche moins de 1 personne sur 2 000. Par exemple, la Food and Drug Administration des États-Unis définit une maladie rare comme une affection qui touche moins de 200 000 personnes aux États-Unis, l'Agence européenne des médicaments l'associe à une prévalence ne dépassant pas 5 sur 10 000, et la définition de l'Organisation mondiale de la Santé inclut les affections qui touchent moins de 65 personnes sur 100 000. Outre la prévalence de la maladie, d'autres critères tels que la gravité de la maladie, l'absence de traitement de deuxième intention, la difficulté d'établir un diagnostic et la nature héréditaire de la maladie sont également utilisés pour caractériser ces maladies. En outre, des termes tels que « médicaments pour le traitement des maladies rares », « médicaments orphelins » et « médicaments ultra orphelins » sont couramment utilisés pour identifier les médicaments utilisés pour traiter les maladies rares.

Bien que les définitions varient, on estime qu'entre 1 et 3 millions de personnes au Canada sont atteintes d'une maladie rare et qu'un pourcentage d'entre elles pouvant s'élever à 75 % se manifestent pendant l'enfance. D'autres estiment que 1 Canadien sur 12 est atteint d'une maladie rare.

Étant donné qu'il existe de nombreuses définitions des maladies rares et des médicaments pour le traitement des maladies rares, la stratégie nationale sur les médicaments pour le traitement des maladies rares s'inspire de ces travaux, mais n'a pas explicitement adopté de définition particulière. Santé Canada n'a pas défini explicitement les maladies rares ou les médicaments pour le traitement des maladies rares de manière à permettre une approche aussi souple que possible de la méthode utilisée par les provinces et les territoires dans ce travail, et de la façon dont ils soutiendront les patients et les différentes circonstances auxquelles ceux-ci sont confrontés.

Dans le cadre de la stratégie nationale, le gouvernement fédéral fournira un financement pouvant atteindre 1,4 milliard de dollars sur 3 ans aux provinces et aux territoires par l'intermédiaire d'ententes de financement bilatérales, ainsi que 33 millions de dollars sur 3 ans au Programme des services de santé non assurés, mis en œuvre par Services aux Autochtones Canada. Cette approche permettra de partager les coûts de la couverture d'un ensemble restreint, commun et convenu de médicaments

nouveaux et émergents pour le traitement des maladies rares, tout en permettant aux provinces et aux territoires d'améliorer la couverture d'autres médicaments pour le traitement des maladies rares et de soutenir l'amélioration du dépistage et du diagnostic de ces maladies.

Santé Canada travaille actuellement avec les provinces et les territoires à l'élaboration d'ententes bilatérales qui permettront d'accroître l'accès à des médicaments efficaces pour le traitement des maladies rares et de les rendre plus abordables, en vue d'améliorer la santé des patients dans tout le Canada. Une définition large permettra à nos partenaires de tenir compte des circonstances particulières et uniques de chaque compétence.