

Recommandation en vue du remboursement

Exagamglogène Autotemcel (Casgevy)

Indication : Dans le traitement de la drépanocytose chez les patients de 12 ans et plus ayant des crises vasoocclusives récurrentes.

Promoteur : Vertex Pharmaceuticals (Canada)

Recommandation finale : Rembourser sous réserve de conditions.

Résumé

Quelle est notre recommandation concernant le remboursement de Casgevy?

L'Agence des médicaments du Canada (CDA-AMC) recommande aux régimes d'assurance médicaments publics de rembourser Casgevy dans le traitement de la drépanocytose en cas de crises vasoocclusives récurrentes, sous réserve de certaines conditions.

Quels sont les patients admissibles?

Casgevy ne doit être remboursé que chez les patients âgés de 12 ans et plus ayant reçu un diagnostic de drépanocytose grave (définie par la présence confirmée d'un génotype associé à une drépanocytose grave et la survenue d'au moins deux crises vasoocclusives graves au cours de chacune des deux dernières années). Les personnes âgées de 12 à 16 ans doivent présenter une vitesse circulatoire normale au Doppler transcrânien de l'artère cérébrale moyenne et l'artère carotide interne. Les personnes âgées de 12 à 18 ans ne doivent pas avoir obtenu deux résultats anormaux ou plus au Doppler transcrânien. En outre, les personnes admissibles doivent répondre à des critères précis en matière d'indice fonctionnel, être admissibles à une greffe autologue de cellules souches, ne pas disposer d'un donneur apparenté parfaitement compatible (HLA 10/10) et ne jamais avoir reçu de greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques ou de thérapie génique. Sont par ailleurs exclues les personnes ayant des antécédents de cancer ou présentant des troubles immunitaires importants.

Quelles sont les conditions de remboursement?

Casgevy ne doit être remboursé que s'il est prescrit par un hématologue possédant une expertise de la drépanocytose, s'il ne s'agit pas d'une reprise de traitement (Casgevy s'administre une seule fois), et si son coût est réduit.

Pourquoi CDA-AMC formule-t-elle cette recommandation?

- La caractéristique clinique principale de la drépanocytose est la présence de crises vasoocclusives, qui sont des épisodes de douleur subite et intense. Un besoin est à combler en matière de traitements efficaces chez les personnes atteintes de drépanocytose grave qui, souvent, connaissent des crises vasoocclusives récurrentes.
- Les données probantes issues d'un essai clinique montrent que la plupart des patients ne subissent aucune crise vasoocclusive grave pendant au moins 12 mois. Dans un essai de suivi à long terme, la plupart de ces patients sont toujours exempts de crises vasoocclusives

Résumé

graves. En outre, les patients mentionnent une amélioration de leur qualité de vie liée à la santé (QVLS).

- À la lumière de l'évaluation menée par CDA-AMC sur les données d'économie de la santé, Casgevy ne représente pas une bonne valeur pour le système de santé au prix courant accessible au public. Une réduction du prix est donc requise.
- Si l'on se fie aux prix courants accessibles au public, Casgevy devrait coûter aux régimes d'assurance médicaments publics environ 59 millions de dollars au cours des trois prochaines années. Toutefois, le véritable impact budgétaire dépendra du nombre de patients traités par Casgevy, lequel sera influencé par le nombre de centres de traitement et la capacité en lits.

Autres renseignements

Qu'est-ce que la drépanocytose?

La drépanocytose est une maladie génétique rare causée par des mutations du gène codant pour la bêta-globine, entraînant la production d'érythrocytes en forme de faucille. Ces cellules peuvent bloquer le flux sanguin des petits vaisseaux, provoquant des crises douloureuses appelées crises vasoocclusives. Les personnes éprouvent souvent une douleur intense et peuvent subir des lésions organiques persistantes ou présenter des besoins accrus en matière de soins de santé et une mortalité accrue. Cela entraîne des répercussions sur leur vie quotidienne et celle des personnes aidantes. Au Canada, la drépanocytose touche environ 1 personne sur 4 200.

Besoins non comblés en contexte de drépanocytose

Un besoin est à combler en matière de traitements efficaces qui diminuent les complications de la drépanocytose grave, allègent le fardeau du traitement à long terme et améliorent la QVLS.

Combien coûte Casgevy?

On s'attend à ce que le traitement par Casgevy coûte environ 2 800 000 \$ par patient.

Recommandation

Le Comité canadien d'expertise sur les médicaments (CCEM) recommande le remboursement de l'exagamglogène autotemcel dans le traitement de la drépanocytose chez le patient de 12 ans ou plus ayant des crises vasoocclusives récurrentes, sous réserve des conditions énoncées au [tableau 1](#).

Justification

La drépanocytose est une maladie génétique chronique rare causée par des mutations du gène codant pour la bêta-globine, entraînant une production accrue d'hémoglobine drépanocytaire. La survenue de crises vasoocclusives est la caractéristique clinique principale de la drépanocytose; ces crises entraînent l'apparition subite d'une douleur intense, aiguë et invalidante. Un besoin est à combler en matière de traitements efficaces chez les personnes présentant des manifestations graves de la drépanocytose, caractérisées généralement par des crises vasoocclusives récurrentes, lesquelles sont associées à des lésions organiques persistantes, à une forte utilisation des soins de santé et à la mortalité.

Un essai de phase I, II et III multicentrique, à un seul groupe de traitement, en mode ouvert et à dose unique, l'essai CLIMB-121 (N = 63 patients recrutés et 30 patients analysés), évalue l'efficacité et l'innocuité d'une perfusion intraveineuse unique d'exagamglogène autotemcel après une mobilisation et un conditionnement myéloablatif chez des patients âgés de 12 à 35 ans atteints de drépanocytose grave et ayant des crises vasoocclusives récurrentes (définies dans le protocole comme étant au moins deux crises vasoocclusives graves au cours de chacune des deux années précédant l'admission à l'essai). Les résultats de l'analyse intermédiaire montrent qu'une majorité de patients (96,7 %; intervalle de confiance [IC] à 95 % de 82,8 % à 99,9 %) n'ont subi aucune crise vasoocclusive grave pendant au moins 12 mois consécutifs au cours du suivi. En outre, aucun des 30 patients de l'analyse n'a été hospitalisé en raison de crises vasoocclusives graves au cours d'une période d'au moins 12 mois consécutifs. Les résultats de l'essai de prolongation à long terme CLIMB-131 — auquel participent les patients ayant terminé l'essai CLIMB-121 — indiquent qu'à la date limite de collecte des données (14 juin 2023), chez les 29 patients qui n'ont subi aucune crise vasoocclusive grave pendant au moins 12 mois consécutifs, la durée moyenne sans crises vasoocclusives est de 22,4 mois (écart-type [ÉT] = 7,2; étendue de 14,8 mois à 45,5 mois); une personne qui n'a subi aucune crise vasoocclusive grave pendant au moins 12 mois consécutifs en avait subi une seule au cours de l'essai CLIMB-121, soit environ 20,2 mois après la perfusion d'exagamglogène autotemcel. Les données probantes concernant les répercussions sur la qualité de vie liée à la santé (QVLS) issues de l'outil de mesure ASCQ-Me (*Adult Sickle Cell Quality of Life Measurement Information System*) indiquent que l'ampleur de la variation constatée entre le début de l'essai et le 24^e mois après la prise d'exagamglogène autotemcel serait jugée d'importance clinique pour les sous-échelles de répercussions sur les émotions, la douleur, le fonctionnement social et la raideur, de même que pour celle de la fréquence des épisodes de douleur.

Il ressort des observations des patients que chez les personnes présentant des manifestations graves de la drépanocytose et qui ne sont pas admissibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH)

ou chez celles qui ne répondent pas aux traitements offerts actuellement, y sont intolérantes ou ont du mal à y accéder, un besoin est à combler en matière de traitements efficaces qui diminuent les complications de la maladie, allègent le fardeau du traitement à long terme et améliorent la QVLS. Malgré les limites inhérentes au fait que l'essai ne comporte qu'un seul groupe de traitement, le CCEM conclut que l'exagamglogène autotemcel pourrait combler les besoins soulevés par les patients.

Si l'on se fie au prix soumis par le promoteur pour l'exagamglogène autotemcel et aux prix accessibles au public pour les autres médicaments, le rapport cout/efficacité différentiel (RCED) du produit à l'étude est de 116 300 \$ l'année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ) gagnée comparativement au traitement usuel. À ce RCED, l'exagamglogène autotemcel n'est pas rentable à un seuil de disposition à payer de 50 000 \$ l'AVAQ gagnée chez les patients de 12 ans et plus atteints de drépanocytose et connaissant des crises vasoocclusives récurrentes. Une réduction de prix est donc nécessaire pour que l'exagamglogène autotemcel soit considéré comme rentable au seuil établi.

Tableau 1 : Conditions de remboursement et justification

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
Amorce du traitement		
<p>1. Les patients sont âgés de 12 ans et plus et ont reçu un diagnostic de drépanocytose grave, définie comme suit :</p> <p>1.1. présence confirmée d'un génotype associé à une drépanocytose grave (bêtaS/bêtaS, bêtaS/bêta0 ou bêtaS/bêta+);</p> <p>1.2. survenue de ≥ 2 crises vasoocclusives graves au cours de chacune des deux dernières années.</p>	<p>L'essai CLIMB-121 recrute des patients âgés de 12 à 35 ans ayant reçu un diagnostic de drépanocytose grave.</p> <p>Les cliniciens experts consultés par le CCEM estiment qu'il ne devrait y avoir aucune limite supérieure d'âge pour le remboursement de l'exagamglogène autotemcel chez les patients atteints de drépanocytose. L'indication approuvée par Santé Canada vise les patients âgés de 12 ans ou plus atteints de drépanocytose.</p>	<p>Dans l'essai CLIMB-121, une crise vasoocclusive grave est définie comme étant la survenue de l'un des événements suivants, pendant que la personne reçoit un traitement symptomatique approprié (p. ex., plan de gestion de la douleur, hydroxyurée si indiquée) :</p> <ul style="list-style-type: none"> • douleur aiguë nécessitant une consultation dans un établissement de soins de santé et l'administration d'antidouleurs (opioïdes ou antiinflammatoires non stéroïdiens par voie intraveineuse) ou une transfusion de globules rouges; • syndrome thoracique aigu; • priapisme durant > 2 heures et nécessitant une consultation dans un établissement de soins de santé; • séquestration splénique.
<p>2. Les personnes âgées de 12 à 16 ans doivent présenter une vitesse circulatoire normale au Doppler transcrânien de l'artère cérébrale moyenne et l'artère carotide interne.</p>	<p>Pour la tranche d'âge de 12 à 16 ans, l'essai CLIMB-121 recrute les patients présentant une vitesse circulatoire normale au Doppler transcrânien de l'artère cérébrale moyenne et l'artère carotide interne.</p>	—
<p>3. Les personnes âgées de 12 à 18 ans n'ont pas obtenu deux résultats anormaux ou plus au Doppler transcrânien,</p>	<p>Les personnes âgées de 12 à 18 ans ayant des antécédents de résultats anormaux au Doppler transcrânien (MTVM ≥ 200 cm/s pour le Doppler transcrânien sans</p>	—

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
où une lecture anormale est définie comme étant une MTVM ≥ 200 cm/s pour le Doppler transcrânien sans imagerie et ≥ 185 cm/s pour le Doppler transcrânien avec imagerie.	imagerie et ≥ 185 cm/s pour le Doppler transcrânien avec imagerie) sont exclues de l'essai CLIMB-121. Les cliniciens experts mentionnent que le Doppler transcrânien fait partie des soins usuels chez les personnes atteintes de drépanocytose, et que certains patients pourraient obtenir un résultat anormal isolé à un moment ou l'autre de leur vie, mais que cette situation serait probablement réglée par une thérapeutique transfusionnelle et ne serait plus détectée lors des examens ultérieurs.	
4. Les personnes âgées de 16 ans ou plus ont un indice fonctionnel de Karnofsky ≥ 80 % et celles âgées de moins de 16 ans ont un indice fonctionnel de Lansky ≥ 80 %.	L'essai CLIMB-121 recrute des patients qui ont un indice fonctionnel de Karnofsky ≥ 80 % pour ceux âgés de 16 ans ou plus ou un indice fonctionnel de Lansky ≥ 80 % pour ceux âgés de moins de 16 ans.	—
5. Les patients sont admissibles à une greffe autologue de cellules souches, selon le jugement du médecin traitant.	L'essai CLIMB-121 recrute des patients atteints de drépanocytose qui sont admissibles à une greffe autologue de cellules souches, selon le jugement du médecin traitant.	—
6. Les patients ne disposent pas d'un donneur apparenté parfaitement compatible (HLA 10/10).	L'essai CLIMB-121 exclut les patients disposant d'un donneur apparenté parfaitement compatible (HLA 10/10).	—
7. Les patients n'ont pas d'antécédents de cancer, de troubles myéloprolifératifs ou de déficit immunitaire important.	L'essai CLIMB-121 exclut les patients atteints de l'une de ces affections comorbides.	Le protocole de l'essai CLIMB-121 ne définit pas de façon précise le « déficit immunitaire important », et ce critère d'exclusion repose sur le jugement clinique du professionnel de la santé. Les cliniciens experts mentionnent que le « déficit immunitaire important » pourrait comprendre tout trouble important de l'immunité acquise ou innée (p. ex., déficit immunitaire commun variable, déficit en <i>GATA2</i> , granulomatose chronique familiale).
8. Les patients n'ont jamais reçu l'un des traitements suivants : 8.1. GCSH allogénique; 8.2. thérapie ou produit d'édition génique.	Aucune donnée probante n'appuie l'utilisation de l'exagamglogène autotemcel chez les patients qui ont déjà reçu une GCSH allogénique ou une thérapie ou un produit d'édition génique.	—

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
Prescription		
9. L'exagamglogène autotemcel n'est prescrit que par un hématologue possédant une expertise de la drépanocytose.	Cette condition vise à veiller à ce que le traitement n'est prescrit qu'aux personnes chez qui il est approprié et que les événements indésirables sont maîtrisés de façon optimale et rapide.	L'exagamglogène autotemcel est administré dans des centres spécialisés dotés des infrastructures, des ressources et de l'expertise nécessaire à l'administration de thérapies d'édition génique employant le système CRISPR-Cas9. Le processus de traitement exige une mobilisation et un conditionnement myéloablatif avant la perfusion, ce qui pourrait nécessiter du soutien supplémentaire.
10. Le traitement par l'exagamglogène autotemcel ne s'administre qu'une fois.	À l'heure actuelle, l'administration d'un deuxième traitement par l'exagamglogène autotemcel ne constitue pas une stratégie efficace établie et ne fait pas partie des normes de traitement.	—
Prix		
11. Le prix est réduit.	<p>Selon l'analyse du promoteur, le RCED de l'exagamglogène autotemcel est de 116 300 \$ l'AVAQ gagnée comparativement au traitement usuel.</p> <p>Pour que le traitement soit jugé rentable à un seuil de disposition à payer de 50 000 \$ l'AVAQ gagnée, une réduction du prix d'au moins 39 % serait nécessaire. Cette réduction de prix estimée est assortie d'une incertitude considérable compte tenu des limites du modèle économique qui n'ont pu être palliées.</p> <p>Il se peut qu'une réduction de prix supplémentaire soit nécessaire pour atteindre la rentabilité si la diminution du nombre de crises vasoocclusives et des complications liées à la drépanocytose n'est pas maintenue indéfiniment, et en raison des coûts d'infrastructure associés à l'établissement de centres de traitement spécialisés.</p>	—
Faisabilité de l'adoption		
12. La faisabilité économique de l'adoption de l'exagamglogène autotemcel est examinée.	Au prix indiqué, on s'attend à ce que l'impact budgétaire différentiel du traitement à l'étude soit supérieur à 40 000 000 \$ la troisième année.	—
13. La faisabilité pour les organisations est prise en compte afin que les autorités sanitaires aient en place les infrastructures nécessaires pour offrir le	Le CCEM reconnaît qu'il faudra se pencher sur l'obstacle que constitue la disponibilité de centres spécialisés dotés des infrastructures et des ressources nécessaires à l'administration du traitement	—

Condition de remboursement	Justification	Conseils de mise en œuvre
traitement par l'exagamglogène autotemcel.	par l'exagamglogène autotemcel au Canada. En effet, les centres de greffe auront probablement besoin de ressources supplémentaires pour accueillir les patients atteints de drépanocytose.	

AVAQ = année de vie ajustée en fonction de la qualité; CCEM = Comité canadien d'expertise sur les médicaments; GATA2 = guanine-adenine-thymine-adenine binding protein 2; GCSH = greffe de cellules souches hématopoïétiques; HLA = antigène leucocytaire humain; MTVM = moyenne dans le temps de la vitesse maximale; RCED = rapport cout/efficacité différentiel

Points de discussion

- Les critères portant sur l'importance des besoins non comblés sont remplis :** Les données probantes comparatives et l'essai à un seul groupe de traitement comportent des limites, entraînant un degré de certitude très faible des données probantes. Étant donné l'incertitude minant les données probantes cliniques, le Comité se penche sur le cas de l'exagamglogène autotemcel en tenant compte des critères portant sur l'importance des besoins non comblés décrits à la section 9.3.1 des [Procédures relatives aux examens en vue du remboursement](#) (en anglais). Bien que l'évaluation de tous les critères d'évaluation par l'approche GRADE (*Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation*) révèle un degré de certitude très faible attribuable à l'absence d'un groupe comparateur, le Comité conclut que, étant donné la rareté et la gravité de la drépanocytose et l'absence d'autres options efficaces sur le plan clinique qui répondent au besoin non comblé de prévenir les crises vasoocclusives, la possibilité que l'exagamglogène autotemcel réduise la morbidité et la mortalité associées à cette maladie est raisonnablement fondée, sur la base des données probantes disponibles.
- Besoin de nouveaux traitements pour répondre aux besoins non comblés :** Les cliniciens experts mentionnent que les patients présentant des manifestations graves de la drépanocytose connaissent généralement des crises douloureuses récurrentes et des lésions organiques persistantes et ont énormément recours aux soins de santé; il s'ensuit des répercussions importantes sur leur quotidien et celui de leurs personnes aidantes. L'évolution naturelle de la maladie est généralement mauvaise, et il est peu probable que l'état des patients s'améliore spontanément. La drépanocytose a une incidence négative importante sur l'espérance de vie. De plus, l'offre d'options thérapeutiques efficaces est limitée, et il faut un engagement thérapeutique constant pour obtenir un bénéfice continu. Les traitements de deuxième intention et des intentions ultérieures comprennent la GCSH, qui est l'option thérapeutique privilégiée chez les jeunes patients qui disposent d'un donneur compatible de la fratrie admissible et volontaire. Toutefois, les cliniciens experts soulignent qu'environ 10 % de leurs patients seulement disposent d'un tel donneur; on ne peut donc pas considérer la GCSH comme une option largement répandue et accessible. De plus, la GCSH réalisée à partir de cellules d'un donneur non apparenté est encore jugée expérimentale et ne devrait s'effectuer que dans le cadre d'un essai clinique. À la lumière de ces renseignements, le CCEM conclut qu'un chevauchement important est peu probable entre les patients atteints de drépanocytose admissibles

à la GCSH allogénique et ceux atteints de drépanocytose admissibles à l'exagamglogène autotemcel, sauf dans des cas précis.

- **Généralisabilité** : Il est question de la généralisabilité des résultats de l'essai CLIMB-121 à un seul groupe de traitement pour ce qui est de l'âge des patients admissibles au traitement. L'indication approuvée par Santé Canada ne précise aucune limite supérieure d'âge. Les cliniciens experts consultés par le CCEM sont d'accord avec la limite inférieure d'âge, insistant toutefois sur le fait qu'il ne devrait pas y avoir de limite supérieure d'âge, mais plutôt une admissibilité au traitement évaluée au cas par cas. Comme l'essai CLIMB-121 ne recrute que des patients âgés de 12 à 35 ans, on ignore l'efficacité du traitement chez ceux âgés de plus de 35 ans; cependant, le CCEM est d'avis que les patients âgés de plus de 35 ans qui, autrement, seraient admissibles au traitement devraient pouvoir recevoir l'exagamglogène autotemcel.
- **Traitement usuel dans l'essai CLIMB-121** : Il manque de renseignements concernant les traitements reçus au cours des deux années précédant le recrutement (période de référence), de sorte qu'il est impossible de confirmer si les patients recrutés ont fait un essai adéquat des traitements de première intention avant de recevoir l'exagamglogène autotemcel. On ignore donc si le traitement usuel a été optimisé dans l'essai CLIMB-121.
- **Coûts de la prise en charge de la drépanocytose** : Il est question de l'incertitude des coûts du traitement des crises vasoocclusives et des complications liées à la drépanocytose. D'après l'analyse du promoteur, les patients connaîtront environ 100 crises vasoocclusives de moins au cours de leur vie, ce qui entraînerait des économies de coûts qui compenseront en partie le coût d'acquisition de l'exagamglogène autotemcel. L'analyse du promoteur part du principe que toutes les crises vasoocclusives et les complications sont traitées en milieu hospitalier; toutefois, la rétroaction des cliniciens experts reçue par CDA-AMC indique que certains événements peuvent être traités à domicile ou en consultation externe. Le fait que le modèle utilise exclusivement des coûts de prise en charge en milieu hospitalier pour les événements liés à la drépanocytose pourrait donner lieu à une surestimation des coûts liés au traitement usuel, et ainsi introduire un biais dans les résultats à l'avantage de l'exagamglogène autotemcel.
- **Réduction de prix** : L'analyse économique est teintée d'incertitude en raison, notamment, de l'absence de données à long terme et de comparaisons solides au traitement usuel. Le rapport coût/efficacité estimé est fortement influencé par le gain considérable prévu en années de vie et en AVAQ chez les patients traités par l'exagamglogène autotemcel comparativement à ceux recevant le traitement usuel. Il manque de données probantes comparatives solides et à long terme pour appuyer la durée supposée de la diminution du nombre de crises vasoocclusives et les changements qui en découlent en ce qui a trait à l'utilisation des ressources, à la survie et aux AVAQ. En effet, le modèle du promoteur pourrait surestimer les bénéfices différentiels de l'exagamglogène autotemcel par rapport au traitement usuel (étant donné que 99 % du gain d'AVAQ reposent sur une extrapolation). La réduction de prix estimée d'au moins 39 % est donc associée à un degré d'incertitude élevé en raison des limites des données probantes cliniques ayant servi à établir le

modèle économique et qui n'ont pu être palliées; ainsi, une réduction de prix supplémentaire pourrait être nécessaire.

- **Coûts totaux pour le système de santé** : Les coûts prévus de démarrage associés à l'établissement de centres de traitement spécialisés pouvant administrer l'exagamglogène autotemcel sont considérables. Ces coûts ne sont pas pris en compte dans l'évaluation économique ni dans l'analyse d'impact budgétaire. Les répercussions économiques globales du remboursement de l'exagamglogène autotemcel seront influencées par ces coûts, et les coûts totaux pour le système de santé seront plus élevés. Des réductions de prix supplémentaires qui tiennent compte de ces coûts pourraient être nécessaires pour atteindre la rentabilité.
- **Impact budgétaire** : L'impact budgétaire estimé du remboursement de l'exagamglogène autotemcel dans le traitement de la drépanocytose chez les patients âgés de 12 ans ou plus ayant des crises vasoocclusives récurrentes est teinté d'incertitude. En effet, il est très sensible au nombre de patients traités par l'exagamglogène autotemcel et ce nombre sera influencé par le nombre de centres de traitement, la capacité en lits et la pénétration du marché de l'exagamglogène autotemcel. Si le nombre de patients traités par l'exagamglogène autotemcel est plus élevé que ce qu'a prévu le promoteur, l'impact budgétaire du remboursement de ce traitement sera plus élevé que celui attendu.
- **Considérations en matière d'éthique et d'équité** : Il est question des répercussions de la drépanocytose sur les patients et des limites des traitements existants. Le CCEM reconnaît le potentiel de l'exagamglogène autotemcel à combler les besoins des personnes atteintes de drépanocytose, une affection qui touche de façon disproportionnée les groupes qui subissent des iniquités en santé (notamment les personnes racisées — le plus souvent les personnes noires — et les immigrants). Il est également question des répercussions possibles du traitement par l'exagamglogène autotemcel en matière d'innocuité (dont les effets du conditionnement myéloablatif sur la fertilité). En outre, il est important d'avoir des conversations sérieuses avec les patients dans le cadre du processus de consentement afin de s'assurer qu'ils comprennent l'incertitude des bénéfices à long terme et les risques connus et théoriques, et que leurs attentes sont réalistes par rapport au traitement (p. ex., il se peut que le médicament ne guérisse pas la drépanocytose et ne répare pas les lésions organiques). Il faut également s'efforcer d'éliminer les éventuels obstacles intersectionnels liés à la géographie, aux coûts et au racisme systémique pour permettre l'accès équitable à des centres de traitement spécialisés, à des hospitalisations prolongées et à la préservation de la fertilité.
- **Considérations en matière d'éthique et d'équité concernant les systèmes de santé et la mise en œuvre** : Le coût élevé de l'exagamglogène autotemcel soulève des préoccupations concernant la durabilité des systèmes de santé, étant donné le contexte de ressources limitées et l'absence de données probantes à long terme. Il faut assurer un suivi des patients tout au long de leur vie et recueillir des données sur l'innocuité et l'efficacité à long terme, mais pour ce faire, il faudrait obtenir davantage de renseignements épidémiologiques et de données de registres sur la drépanocytose au Canada. La mise en œuvre de l'utilisation de l'exagamglogène autotemcel sera complexe et exigera beaucoup de ressources, surtout compte tenu de l'exigence en matière de ressources accréditées dans les centres de greffe (personnel formé et capacité en lits permettant de longs

séjours à l'hôpital). On s'attend à ce que les contraintes de capacité des systèmes de santé limitent considérablement le nombre de patients pouvant être traités chaque année. On ignore si les centres de greffe ont le personnel et les lits d'hospitalisation supplémentaires nécessaires pour accueillir les patients admissibles au traitement par l'exagamglogène autotemcel. Il sera important d'établir des processus de priorisation justes, uniformes et défendables sur le plan éthique, de même que des ententes au sein de chaque province et territoire et entre ceux-ci pour assurer un accès équitable au traitement.

Pour connaître le contenu des sections **Contexte**, **Sources d'information utilisées par le Comité**, **Considérations éthiques**, **Points de vue des parties prenantes**, **Données probantes cliniques** et **Données probantes économiques**, veuillez consulter la recommandation anglaise.

Comité canadien d'expertise sur les médicaments

Membres du Comité

Les D^s Peter Jamieson (président), Sally Bean, Trudy Huyghebaert, Dennis Ko, Christine Leong, Kerry Mansell, Alicia McCallum, Srinivas Murthy, Nicholas Myers, Krishnan Ramanathan, Marco Solmi, Edward Xie et Peter Zed, et MM. Daryl Bell, Dan Dunsky et Morris Joseph.

Date de la réunion : Le 23 octobre 2024

Absences : Cinq membres sont absents.

Conflits d'intérêts : Un membre ne participe pas en raison d'un conflit d'intérêts.



Canada's Drug Agency
L'Agence des médicaments du Canada
Drugs, Health Technologies and Systems. Médicaments, technologies de la santé et systèmes.

ISSN : 2563-6596

L'Agence des médicaments du Canada (CDA-AMC) est une organisation pancanadienne de la santé. Créés et financés par les gouvernements fédéral, provinciaux et territoriaux, nous sommes chargés d'améliorer la coordination, l'harmonisation et la valeur publique au sein du paysage des médicaments et des technologies de la santé au pays. Nous fournissons aux dirigeants des systèmes de santé des données probantes et des conseils indépendants pour les aider à prendre des décisions éclairées sur les médicaments, les technologies de la santé et les systèmes de santé, et nous collaborons avec des partenaires nationaux et internationaux afin de renforcer notre influence collective.

Avis de non-responsabilité : Bien que CDA-AMC ait tout mis en œuvre pour veiller à l'exactitude, à l'exhaustivité et à l'actualité du contenu au moment de la publication, elle décline toute responsabilité à cet égard. L'utilisation de ces renseignements est soumise au présent avis et aux modalités d'utilisation disponibles au cda-amc.ca/fr.

L'information que renferme le présent document est rendue accessible à titre informatif et éducatif seulement, et ne saurait tenir lieu de l'avis ou de l'opinion en bonne et due forme d'un médecin, du discernement ou du jugement du clinicien dans la prise en charge chez un patient en particulier ni d'un autre jugement professionnel dans un contexte de prise de décisions. Vous acceptez l'entière responsabilité de l'utilisation des renseignements et vous vous y fiez à vos propres risques.

CDA-AMC n'appuie ou ne promeut aucune information ou thérapie, ni aucun médicament, traitement, produit, processus ou service. Les points de vue et les opinions de tiers figurant dans le présent document ne représentent pas forcément ceux de CDA-AMC. L'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (en activité sous le nom de CDA-AMC) et ses concédants de licence sont les détenteurs du droit d'auteur et des autres droits de propriété intellectuelle relatifs au document.

Toute question ou demande d'information sur ce rapport peut être adressée à demandes@cda-amc.ca.