



Consultations prébudgétaires du Québec 2026-2027
Présenté au ministère des Finances du Québec

Février 2026

À propos du Forum RAREi

Le Forum canadien des innovateurs spécialisés dans les maladies rares (Forum RAREi) est un réseau d'entreprises biopharmaceutiques canadiennes vouées à améliorer la vie des patients atteints de maladies orphelines. Ce réseau comprend les membres suivants : Alexion AstraZeneca Rare Disease, Amgen Canada Inc., Amicus Therapeutics Canada Inc., argenx Canada Inc., Biogen Canada Inc., BioMarin Pharmaceutical (Canada) Inc., Ipsen Biopharmaceuticals Canada Inc., Johnson & Johnson Innovative Medicine, Medison Pharma Canada Inc., PTC Therapeutics ULC, Recordati Rare Diseases Canada Inc., Sanofi-Aventis Canada Inc., Sobi Canada Inc., Tanabe Pharma Canada Inc., Ultragenyx Pharmaceutical Inc., Vertex Pharmaceuticals (Canada) Inc. et UCB Canada Inc. Pour en savoir plus, visitez fr.rarei.ca

Introduction et sommaire des recommandations

Dans un contexte d'incertitude économique, marqué notamment par les politiques tarifaires et commerciales internationales, pour demeurer compétitif, le Québec doit redoubler d'efforts pour consolider les secteurs clés de son économie. Le secteur des sciences de la vie, et plus particulièrement le créneau des maladies rares, représente à cet égard un levier stratégique important. L'adoption de mesures concrètes dans ce domaine constitue non seulement une nécessité pour répondre aux besoins des patients, mais également un moteur de prospérité économique et d'intégration de l'innovation au Québec.

C'est dans cette perspective que le Forum RAREi soumet les recommandations suivantes dans le cadre du budget du Québec 2026, afin de renforcer le soutien aux personnes atteintes de maladies rares tout en favorisant la compétitivité et le dynamisme du secteur des sciences de la vie, en mettant l'accent sur le créneau des maladies rares :

1. Mettre en place des mesures concrètes visant à accélérer le remboursement public des médicaments, y compris ceux pour les maladies rares, afin d'améliorer la santé des Québécois, renforcer la productivité de la main-d'œuvre et créer un environnement plus attrayant pour les investissements en santé, stimulant ainsi la croissance du secteur biopharmaceutique au Québec.
2. Reconduire le *Plan d'action québécois sur les maladies rares (2023-27)*, assorti d'objectifs clés mesurables, d'un échéancier défini et d'un financement adéquat, afin de renforcer l'offre de soins et de traitements pour les Québécois atteints d'une maladie rare.

Domaine des maladies rares : un créneau porteur pour l'économie et la santé

Le domaine des maladies rares se distingue par son fort potentiel économique et social. Il contribue d'abord à renforcer l'économie québécoise en générant des investissements significatifs en recherche et en créant des emplois hautement qualifiés. La nouvelle *Stratégie québécoise des sciences de la vie (SQSV) 2025-2028* reconnaît d'ailleurs son fort potentiel en le qualifiant de « nouveau créneau

porteur », ciblé et priorisé pour des investissements et un appui gouvernemental¹. Il s'agit d'un secteur de pointe en forte croissance : plus de 1 100 médicaments destinés au traitement des maladies rares sont actuellement en développement, et près de 200 pourraient être lancés au Canada au cours des dix prochaines années². Ce secteur occupe également une place de premier plan au Québec, les maladies rares représentant 25 % de la production scientifique canadienne et 33 % du financement public en recherche. La province compte par ailleurs 66 entreprises œuvrant dans le diagnostic et/ou les thérapies liées aux maladies rares, dont 41 petites et moyennes entreprises actives dans ce domaine³.

Au-delà de son potentiel économique, le domaine des maladies rares contribue de manière significative à l'amélioration de la santé, de la qualité de vie et de la productivité des quelque 700 000 Québécois touchés par ces conditions⁴, ainsi que de leurs proches aidants. Il permet à plusieurs d'entre eux de participer plus pleinement à la vie sociale et économique. Ce secteur contribue également à améliorer l'efficacité du système de santé et à en réduire les coûts en offrant des médicaments innovants susceptibles de diminuer le recours à d'autres interventions plus coûteuses, notamment les hospitalisations, les procédures chirurgicales et les séjours prolongés à l'hôpital.

À titre d'exemple, des données canadiennes démontrent clairement les retombées positives associées aux traitements pour les maladies rares, comme le médicament innovant pour la fibrose kystique, Trikafta. Dans l'année suivant le début de traitement avec ce médicament, les hospitalisations ont diminué de 65 %, les visites à l'urgence de 20 % et l'utilisation d'antibiotiques pour les infections aiguës de 58 %, traduisant une réduction marquée du recours aux soins de courte durée⁵.

Étant donné ces bénéfices, il apparaît nécessaire d'opérer un changement de paradigme au sein du gouvernement quant à la manière dont les médicaments, y compris ceux destinés aux maladies rares, sont perçus. À l'heure actuelle, ces traitements sont trop souvent considérés uniquement comme un coût, sans que soient pleinement reconnus ni comptabilisés les impacts positifs qu'ils génèrent sur l'économie, la société et le système de santé du Québec. Afin de tirer parti du plein potentiel de ces innovations et du secteur des maladies rares, un changement de perspective s'impose : le remboursement public des médicaments ne devrait pas être perçu comme un risque budgétaire, mais bien comme un investissement stratégique aux retombées multiples et durables.

Dans ce contexte, il convient également de souligner que la part des médicaments sous ordonnance dans l'ensemble des coûts publics totaux en santé au Québec est en diminution depuis les 25 dernières années⁶. Les dépenses publiques directes nettes associées aux médicaments novateurs sous brevet représentent environ que 1 % de l'ensemble des dépenses publiques en santé, une proportion qui tient compte des ristournes substantielles consenties aux gouvernements canadiens, y compris celui du

¹ Gouvernement du Québec, [Stratégie québécoise des sciences de la vie 2025-2028](#), ministère de l'Économie, de l'Innovation et de l'Énergie, 2025

² Takeda, [Enhancing Diagnosis, Access, Care and Treatment: Recommendations for Health System Readiness for Rare Diseases in Canada](#), 2024

³ Montréal InVivo, [Le Plan d'action sur les maladies rares du MSSS](#), consulté en février 2026

⁴ Gouvernement du Québec, [Politique québécoise pour les maladies rares](#), ministère de la Santé et des Services Sociaux, 2022

⁵ Institut canadien d'information sur la santé (ICIS), [Incidence de Trikafta sur les personnes atteintes de fibrose kystique](#), 2023

⁶ Institut canadien d'information sur la santé (ICIS), [Tendances des dépenses nationales de santé](#), 2025

Québec, dans le cadre des négociations de prix menées par l'Alliance pharmaceutique pancanadienne (APP)⁷. Au Québec, seulement pour l'année 2024-2025, les ententes d'inscription conclues avec les compagnies pharmaceutiques ont généré près de 2 milliards de dollars en ristournes pour le gouvernement⁸.

À la lumière de ces constats, le budget du Québec 2026 constitue une occasion d'améliorer l'accès aux médicaments novateurs pour les maladies rares et d'optimiser les soins prodigués aux Québécois atteints de ces conditions afin de maximiser les retombées sur la santé des Québécois, la performance du système de santé et l'attractivité économique du Québec.

Première recommandation

Nous recommandons au gouvernement de mettre en place des mesures concrètes visant à accélérer le remboursement public des médicaments, y compris ceux pour les maladies rares, afin d'améliorer la santé des Québécois, renforcer la productivité de la main-d'œuvre et créer un environnement plus attrayant pour les investissements en santé, stimulant ainsi la croissance du secteur biopharmaceutique au Québec.

L'accélération du remboursement public des médicaments constitue un levier essentiel pour améliorer la santé des Québécois, soutenir la productivité de la main-d'œuvre et renforcer l'attractivité du Québec comme pôle d'investissement en sciences de la vie. Actuellement, le Québec affiche un délai moyen de plus d'un an entre l'approbation d'un médicament par Santé Canada et son remboursement public⁹. Ce délai est plus long pour les médicaments pour les maladies rares, atteignant en moyenne 19,6 mois¹⁰.

Bien que le Québec soit généralement plus rapide que les autres provinces canadiennes à rembourser les médicaments une fois les négociations complétées avec l'APP¹¹, il accuse un retard notable par rapport à plusieurs pays comparables de l'Organisation de coopération et de développement économiques (OCDE)¹². Cette situation nuit non seulement à la santé des patients québécois, mais affaiblit également la capacité du Québec à attirer des investissements en recherche clinique et en développement biopharmaceutique. Elle est d'autant plus préoccupante dans un contexte où certaines provinces, notamment l'Ontario, ont clairement prioriser la réduction des délais d'accès aux médicaments en adoptant une nouvelle initiative qui permet un accès précoce à certains médicaments oncologiques suivant une recommandation positive de l'Agence des médicaments du Canada (AMC)¹³.

⁷ Brett Skinner, [Net direct expenditure on patented medicines by public drug plans in 10 Canadian provinces in 2023](#), Canadian Health Policy Journal, 2025

⁸ Institut national d'excellence en santé et services sociaux (INESSS), [Coûts des médicaments – Suivi des tendances des dépenses en médicaments au Québec de 2020 à 2025](#), janvier 2026

⁹ IQVIA, Canadian Market Access Advisor, novembre 2025

¹⁰ Ward et al., [An international comparative analysis of public reimbursement of orphan drugs in Canadian provinces compared to European countries](#), Orphanet Journal of Rare Diseases, 2022

¹¹ L'APP négocie les prix des médicaments au nom de tous les régimes publics d'assurance médicaments au Canada, y compris celui du Québec

¹² Emmanuelle Faubert, [L'importance de ne pas pénaliser l'innovation pharmaceutique et de privilégier un accès rapide aux nouveaux médicaments](#), Institut économique de Montréal, janvier 2026

¹³ Gouvernement de l'Ontario, [Communiqué de presse](#), octobre 2025

Nous saluons les efforts récents du gouvernement du Québec visant à accélérer l'accès aux médicaments, notamment sa décision de se joindre au processus de négociation précoce de APP, qui s'applique à certains médicaments oncologiques¹⁴. Bien qu'il s'agisse d'un signal positif, cette initiative demeure toutefois limitée dans sa portée et ne permet pas, à elle seule, de conférer au Québec un avantage concurrentiel distinctif susceptible d'accroître son attractivité pour le lancement de nouveaux médicaments et les investissements en santé. À cet égard, nous sommes encouragés de constater que la nouvelle SQSV prévoit un engagement à examiner le parcours de remboursement des médicaments afin d'identifier des mesures additionnelles permettant de réduire les délais de remboursement public¹⁵.

Dans cette optique, nous recommandons que le Québec mette en place les mesures suivantes pour améliorer l'accès à tous les nouveaux médicaments, y compris ceux pour les maladies rares :

- Mettre en place un processus accéléré de remboursement pour tous les médicaments, y compris ceux pour les maladies rares, qui permette l'accès à un médicament dès la reconnaissance de sa valeur thérapeutique par l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS).
- Assurer un meilleur arrimage avec le réseau de la santé. L'accès ne doit pas se limiter à une inscription sur la Liste des médicaments : il doit se traduire par une capacité réelle pour les patients de recevoir le traitement. Cela implique une meilleure préparation du réseau pour intégrer rapidement les innovations thérapeutiques, le développement de nouvelles trajectoires de soins, ainsi qu'un accès adéquat aux plateaux techniques, aux experts et aux ressources spécialisées.
- Accorder à l'INESSS les ressources additionnelles nécessaires afin de résorber les retards actuels dans l'évaluation des médicaments et de lui permettre d'adapter ses processus aux nouveaux traitements spécialisés, notamment ceux destinés aux maladies rares. La performance de l'INESSS est essentielle sur le plan économique, puisque ses évaluations influencent l'accès et la commercialisation de nouveaux médicaments au Québec. Or, l'Institut émet proportionnellement davantage de recommandations négatives que son homologue pancanadien, l'AMC, en particulier pour les médicaments destinés aux maladies rares, ce qui a pour effet de restreindre ou de retarder l'accès à ces traitements¹⁶. Le processus d'évaluation de l'INESSS devrait donc être modernisé afin de mieux tenir compte des particularités des traitements pour les maladies rares et de s'aligner sur les meilleures pratiques nationales et internationales en évaluation des technologies de la santé. Il importe aussi de préserver et de renforcer le mandat d'évaluation des médicaments de l'INESSS dans le cadre d'une éventuelle fusion avec l'Institut national de santé publique du Québec.

¹⁴ Gouvernement du Québec, [Pour le patient - Vers une accélération de la négociation et de l'inscription des médicaments pour le Québec](#), ministère de la Santé et des Services Sociaux, octobre 2025

¹⁵ Gouvernement du Québec, [Stratégie québécoise des sciences de la vie 2025-2028](#), ministère de l'Économie, de l'Innovation et de l'Énergie, 2025

¹⁶ Ward et al., [An international comparative analysis of public reimbursement of orphan drugs in Canadian provinces compared to European countries](#), Orphanet Journal of Rare Diseases, 2022

Un meilleur accès aux médicaments pour les maladies rares permettrait au Québec de se positionner comme un pôle d'innovation attractif pour les investissements en santé, de stimuler la création d'emplois hautement qualifiés et de répondre à des besoins de santé importants et encore largement insatisfaits.

Deuxième recommandation

Reconduire le *Plan d'action québécois sur les maladies rares (2023-27)*, assorti d'objectifs clés mesurables, d'un échéancier défini et d'un financement adéquat, afin de renforcer l'offre de soins et de traitements pour les Québécois atteints d'une maladie rare.

Le gouvernement du Québec définit une maladie rare comme une condition affectant moins d'une personne sur 2 000¹⁷, mais il est à noter qu'environ 700 000 Québécois sont touchés par ces pathologies. Parmi celles-ci, 80 % sont de nature génétique, et 50% des patients concernés sont des enfants¹⁸. Les personnes atteintes de maladies rares, souvent débilitantes et mortelles, font face à de nombreux obstacles pour obtenir les soins dont elles ont besoin.

Un récent sondage national mené par Ipsos pour l'Organisation canadienne des maladies rares met en lumière l'ampleur de ces enjeux : les répondants ont rapporté avoir consulté en moyenne 14 médecins généralistes et spécialistes avant d'obtenir un diagnostic précis¹⁹. De plus, un patient sur quatre (25 %) a été hospitalisé au moins une fois au cours de la dernière année, illustrant la lourde charge clinique et humaine associée aux maladies rares.

Afin de répondre à ces défis, le Québec s'est doté d'une *Politique pour les maladies rares*²⁰, accompagnée du *Plan d'action québécois sur les maladies rares (2023-2027)*²¹, reconnaissant explicitement les besoins particuliers de cette population. Dans ce cadre, le gouvernement a amorcé certains chantiers, dont la mise en place du réseau de navigation clinique NAVI-NAT, une initiative visant à orienter plus efficacement les patients sans diagnostic vers les ressources appropriées et à réduire les délais diagnostiques²².

Alors que la fin du plan d'action approche rapidement (mars 2027), il est essentiel d'en assurer la reconduction afin de préserver la continuité et l'efficacité des efforts déployés au cours des dernières années. Plusieurs objectifs du plan demeurent à atteindre et plusieurs chantiers clés n'ont pas encore été complétés. Nous recommandons donc au gouvernement de renouveler le *Plan d'action québécois sur les maladies rares*, tout en ciblant sur des mesures concrètes pour améliorer le dépistage, le diagnostic précoce et l'accès équitable aux médicaments innovants et aux essais cliniques.

¹⁷ Gouvernement du Québec, [Politique québécoise pour les maladies rares](#), ministère de la Santé et des Services Sociaux, 2022

¹⁸ Gouvernement du Québec, [Politique québécoise pour les maladies rares](#), ministère de la Santé et des Services Sociaux, 2022

¹⁹ Organisation canadienne pour les maladies rares, [Communiqué de presse – Événement à Ottawa](#), novembre 2025

²⁰ Gouvernement du Québec, [Politique québécoise pour les maladies rares](#), ministère de la Santé et des Services Sociaux, 2022

²¹ Gouvernement du Québec, [Plan d'action québécois sur les maladies rares 2023-2027](#), ministère de la Santé et des Services Sociaux, 2023

²² Gouvernement du Québec, [Mise en place d'un réseau national de navigation clinique en maladies rares](#), Cabinet de la ministre de la Santé, ministre responsable des Aînés et des Proches aidants, ministre responsable des Services sociaux et ministre responsable de la région des Laurentides, janvier 2026

Afin d'assurer le succès de la mise en œuvre du plan reconduit, nous recommandons l'adoption des mesures suivantes :

- Allouer les ressources humaines, financières et organisationnelles nécessaires au ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS) afin de soutenir la mise en œuvre efficace du plan d'action. À cet égard, nous encourageons le gouvernement du Québec à tirer pleinement parti des plus de 300 millions de dollars accordés par le gouvernement fédéral pour améliorer l'accès aux soins et aux traitements pour les maladies rares²³.
- Encourager le MSSS à établir des objectifs de rendement clairs et mesurables, à assurer un suivi rigoureux des progrès réalisés et à publier régulièrement les résultats, dans un souci de transparence et de reddition de comptes envers les intervenants de la communauté des maladies rares.
- Renforcer la collaboration avec l'ensemble des acteurs de l'écosystème des maladies rares, incluant les groupes de patients, les cliniciens, les chercheurs, les associations telles que le Forum RAREi, ainsi que les entreprises biopharmaceutiques. L'intégration de ces parties prenantes au sein des groupes de travail responsables de la mise en œuvre du plan favoriserait une approche plus inclusive et efficace, au bénéfice des personnes vivant avec une maladie rare au Québec.

²³ Santé Canada, [Le gouvernement du Canada signe une entente bilatérale avec le Québec concernant les médicaments pour les maladies rares](#), communiqué de presse, 21 mars 2025