



Prix actuels versus coûts minimaux de production des modulateurs de CFTR

Authors:

Jonathan Guo¹, Junzheng Wang¹, Jingchun Zhang², Joseph Fortunak³, Andrew Hill⁴

Affiliations:

¹ School of Public Health, Faculty of Medicine, Imperial College London, United Kingdom

² Department of Biomedical Engineering, University of North Dakota, United States of America

³ Chemistry and Pharmaceutical Sciences, Howard University, United States of America

⁴ Department of Pharmacology and Therapeutics, University of Liverpool, United Kingdom

Quelle était votre question de recherche ?

Quels sont les coûts les plus bas possibles de production des modulateurs de CFTR et sont-ils beaucoup plus bas que les prix actuels ?

Pourquoi est-ce important ?

Le développement des modulateurs de CFTR a considérablement amélioré la vie des personnes atteintes de mucoviscidose. Cependant, en raison de leur prix élevé, ces médicaments ne sont disponibles que dans les pays les plus riches de la planète, créant deux niveaux de prise en charge. Précédemment, les prix d'autres types de médicaments ont décru de 90% dès qu'ils ont pu être produit comme médicaments génériques sans le nom de la marque, permettant ainsi à des millions de personnes d'avoir accès à des médicaments vitaux. Nous avons donc voulu estimer le coût minimal de production des modulateurs de CFTR et les comparer aux prix du marché à travers le monde, pour voir si des stratégies similaires sont envisageables afin d'en faciliter l'accès.

Qu'avez-vous fait ?

Nous avons utilisé une méthode éprouvée et testée de calcul du coût de production fondée sur les prix des ingrédients de base des composants pharmaceutiques. Nous avons obtenu les coûts par kilogramme de chaque principe actif sur la base des coûts des expéditions depuis une base de données

internationale d'import/export avec un historique de cinq ans. Nous en avons ensuite calculé, les coûts d'achat d'une quantité suffisante pour un an de chaque substance active pour chacun des composants de chacun des modulateurs de CFTR. Nous avons aussi calculé les coûts de fabrication de ces principes actifs en comprimés disposés en plaquettes, en prenant aussi en compte les taxes et les bénéfices. Nous avons aussi effectué des recherches dans diverses bases de données nationales sur les prix des médicaments, afin de calculer les prix d'un an de traitement de chacun des modulateurs de CFTR, à des fins de comparaison.

Qu'avez-vous trouvé ?

Notre analyse a permis d'estimer le coût de 9 659\$ pour produire un an de traitement d'Orkambi®, de 3 943\$ pour Symdeko®* et 5 676\$ pour Trikafta®**. En comparaison, les prix catalogue commerciaux de ces médicaments pour un an étaient respectivement aux USA de \$284 800 pour Orkambi® (29 fois plus élevé que notre estimation des prix de production), \$305 000 pour Symdeko® (78 fois plus élevé) et \$325 300 pour Trikafta® (57 fois plus élevé). Pour chacun de ces produits le prix le plus élevé au niveau international était le prix commercial de pharmacies américaines, et le moins élevé était en Argentine. Cela est principalement dû au fait qu'en Argentine les modulateurs de CFTR ne sont actuellement pas protégés par un brevet et que des génériques sont donc disponibles. Dans tous les cas, les prix commerciaux à travers le monde étaient bien plus élevés que les coûts de production estimés par notre modèle.

Qu'est-ce que cela signifie et des raisons de prudence ?

Nos résultats montrent que les coûts de production des modulateurs de CFTR pourraient être bien plus bas que leurs prix de vente actuels. Bien que les coûts de recherche et développement de ces médicaments sont assez importants, les profits générés par leur vente à des prix si élevés semblent excessifs. Les modulateurs de CFTR ne sont pas accessibles à chacun à travers le monde à cause d'une large marge de profit ; ainsi, si des mesures ne sont pas prises de toute urgence pour remédier à leurs prix prohibitifs, des dizaines de milliers de personnes atteintes de mucoviscidose dans le monde seront laissées pour compte car elles n'y ont pas accès.

Nos estimations représentent les plus basses estimations de coûts de production de cette catégorie de médicaments. Bien que ces calculs aient été testés sur beaucoup d'autres types de médicaments, ils sont une indication des prix possibles plus qu'une prévision définitive. De plus, comme ces médicaments sont nouveaux, nous avons des informations réduites quant aux coûts d'expédition des principes actifs, ce qui limite la pertinence de nos estimations.

Quelle est la prochaine étape ?

Dans le passé, l'accès à d'autres médicaments a été significativement amélioré grâce à l'utilisation de licences issues du médicament original. Cela autorise des compagnies spécifiques dans des pays identifiés à produire un médicament, si la compagnie titulaire du brevet choisit de ne pas le fabriquer elle-même. Nous pensons que cela serait un moyen pratique et faisable d'améliorer l'accès mondial à ces thérapies innovantes.

Original manuscript citation in PubMed

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35440408/>

***En Europe Symdeko® = SYMKEVI® + KALYDECO®**

**** En Europe Trikafta® = KAFTRIO® + KALYDECO®**