



RÉSEAU DE
CELLULES SOUCHES

L'avenir de la santé est ici.

À la une

INNOVATIONS EN MÉDECINE RÉGÉNÉRATIVE DANS LE SECTEUR DE LA SANTÉ

Les cellules souches et la médecine régénérative offrent une myriade de possibilités en ce qui concerne les maladies chroniques au Canada, lesquelles pourraient réduire le fardeau des soins de santé et accroître la productivité. Depuis 2001, le Réseau de cellules souches a joué un rôle central dans l'avancement de la recherche en vue de la mise en marché de nouveaux produits et de nouvelles thérapies.

Grâce à l'engagement de plus de 170 groupes de recherche et de 115 membres et partenaires, le Réseau de cellules souches a fait en sorte que les découvertes et innovations canadiennes en matière de cellules souches soient à l'avant-scène du paysage mondial concurrentiel.

APERÇU DU RÉSEAU DE CELLULES SOUCHES

118 M\$

pour la recherche, la formation
et la sensibilisation



879 demandes de brevet

115 brevets délivrés

94 licences

116 M\$

en partenariats



3,067

stagiaires et PHQ appuyés

200 projets de recherche
translationnelle appuyés



19 essais cliniques

170 groupes de recherche

21 entreprises de biotech en MR

En cours de réalisation

Neurobioencres

La bioimpression 3D peut générer des constructions tissulaires techniques en livrant des cellules dans une bioencres de soutien qui favorise leur croissance et leur différenciation et en formant des structures physiologiquement appropriées et pertinentes. Les cellules souches pluripotentes humaines et leurs dérivés ont tendance à être plus sensibles aux conditions d'impression que les cellules matures, ce qui les rend plus difficiles à bioimprimer tout en assurant une bonne viabilité et différenciation. Stephanie Willerth, de l'Université de Victoria, est un chef de file dans ce domaine et a mis au point une nouvelle neurobioencres capable d'imprimer des cellules neurales dérivées des CSPi qui maintiennent un niveau élevé de viabilité cellulaire. En dépit de la demande démontrée, il n'existe actuellement pas de bioencres similaires sur le marché ni d'équivalent émergent. Les avantages de la neurobioencres du laboratoire Willerth sont entre autres les suivants :

- compatible avec plusieurs systèmes de bioimpression;
- génère des constructions stables pendant plus d'un mois;
- moins de main-d'œuvre, moins d'étapes de production;
- reproductibilité accrue;
- favorise la différenciation neuronale;
- compatibilité haut débit.



< BERNARD THÉBAUD,
Ottawa Hospital

STEPHANIE WILLERTH,
University of Victoria >



Le génie génétique à la rescousse

Les maladies pulmonaires monogéniques (celles causées par une mutation d'un seul gène) comprennent divers troubles, comme la fibrose kystique et les carences en protéines tensioactives, qui causent des maladies pulmonaires chroniques, sont souvent mortelles et ont peu de traitements ciblés. Bernard Thébaud, de l'Hôpital d'Ottawa, a mis au point une thérapie génique utilisant un virus adéno-associé (AAV) qui pourrait aider à guérir des maladies monogéniques. Des études précliniques ont montré que la plateforme AAVenger (AAV ENgineered GENE Rescue) améliore considérablement l'expression génique, la fonction pulmonaire et la survie dans les modèles murins de carence en protéine B tensioactives, une maladie pulmonaire mortelle du nouveau-né. Compte tenu de l'efficacité de transduction pulmonaire sans précédent de ce vecteur, les travaux futurs comprennent l'expansion de la plateforme AAV afin de permettre l'utilisation des applications thérapeutiques pour diverses maladies pulmonaires monogéniques. Ce vecteur AAV conçu de manière rationnelle possède un certain nombre d'attributs bénéfiques, notamment les suivants :

- effet thérapeutique rapide;
- réduction des coûts de production des vecteurs;
- capacités améliorées de transfert de gènes pulmonaires;
- ciblage préférentiel des cellules exprimant la protéine défectueuse;
- potentiel d'application pour le remplacement et la correction de gènes à grande échelle.

Tissu pancréatique bioimprimé

La thérapie à base de tissu pour le diabète de type 1 a un marché potentiel de près de 10 milliards de dollars en Amérique du Nord. Timothy Kieffer, éminent chercheur sur le diabète de l'Université de la Colombie-Britannique, s'est associé à Aspect Biosystems de Vancouver pour mettre au point une technologie exclusive de bioimpression afin de créer des timbres tissulaires implantables qui imitent la fonction des îlots pancréatiques. Cette technologie incorpore des cellules bêta dérivées de cellules souches pluripotentes humaines dans des tissus imprimés en 3D qui peuvent être récupérés, mais qui sont également susceptibles d'avoir une viabilité à long terme et d'échapper de façon durable au système immunitaire. L'optimisation in vitro de la conception d'implants tissulaires bioimprimés est complétée par la validation sur des modèles animaux afin d'obtenir un ensemble de données précliniques solides menant aux premières études chez l'humain. La mise en œuvre du tissu pancréatique bioimprimé pour les patients atteints de diabète de type 1 se fera très probablement par l'intermédiaire d'une installation de fabrication centralisée qui fonctionne selon les normes BPF et par l'octroi de licences pour la technologie de bio-impression d'Aspect. En tant que traitement potentiel du diabète de type 1, le timbre tissulaire bioimprimé pourrait transformer la vie des personnes atteintes de cette maladie ainsi que celle de leur famille.



< **TIMOTHY KIEFFER,**
University of British Columbia

Entreprises à surveiller : chefs de file émergents



Aspect Biosystems est une société de biotechnologie privée à la pointe de la bioimpression 3D et de l'ingénierie tissulaire. Cette société s'appuie sur plus de 10 ans de recherche et de développement et est le fruit d'une collaboration entre des groupes de recherche de calibre mondial en génie et en médecine à l'Université de la Colombie-Britannique. Dirigée par Tamer Mohamed, cofondateur et PDG d'Aspect, la plateforme technologique exclusive Lab-on-a-PrinterMC d'Aspect permet de faire progresser la compréhension de la biologie fondamentale, la recherche sur les maladies, le développement de nouvelles thérapies et la médecine régénérative. Aspect se concentre sur des partenariats stratégiques avec des sociétés pharmaceutiques et biotechnologiques, ainsi qu'avec des chercheurs universitaires, afin de créer des tissus physiologiquement et commercialement pertinents. Ces tissus sont utilisés pour faire avancer et accélérer la découverte et le développement de médicaments, et permettre la création de thérapies tissulaires de pointe pour l'avenir. aspectbiosystems.com



ExCellThera, dont le siège social est à Montréal, est à l'avant-scène des efforts mondiaux visant à accroître la qualité et la quantité de cellules souches sanguines saines disponibles pour traiter les personnes atteintes d'hémopathies malignes. Cette société privée est dirigée par Guy Sauvageau, cofondateur et chef de la direction, dont l'équipe a découvert la molécule UM171, qui peut augmenter considérablement le nombre de cellules souches et immunitaires à des fins thérapeutiques. L'utilisation de cette molécule en combinaison avec le système de culture optimisé d'ExCellThera signifie que les cellules peuvent être prêtes en aussi peu que sept jours - trois fois plus rapidement que la concurrence - ce qui peut être crucial pour les patients. De plus, les résultats des premiers essais cliniques montrent que la technologie réduit significativement les complications associées à la transplantation, ce qui permet une meilleure récupération et une hospitalisation moins longue. Grâce au soutien du Réseau de cellules souches, la société ExCellThera est devenue une réussite canadienne en matière de commercialisation et elle étend maintenant sa portée aux États-Unis et en Europe. excellthera.com

Entreprises à surveiller : entreprises en démarrage



La ville de Montréal est devenue un foyer d'entreprises en démarrage en biotechnologie au cours des dernières années, et l'une des plus récentes sociétés créées est Morphocell Technologies, une société fondée par Massimiliano Paganelli et Claudia Raggi en 2018 pour développer et commercialiser des thérapies à base de cellules souches et de tissus d'ingénierie destinés à traiter les maladies du foie. Les subventions du Réseau de cellules souches ont permis au Dr Paganelli et à son équipe de mettre au point de minuscules organoïdes hépatiques dérivés de cellules souches, qui sont encapsulés dans un biomatériau spécial pour former un tissu qui fonctionne comme un foie humain. Lorsqu'il est transplanté chez un patient, ce tissu, ReLiver^{MC}, remplace les fonctions vitales clés du foie malade, tout en accélérant sa régénération et sa guérison. Cette technologie a le potentiel de prévenir jusqu'à 80 % des greffes de foie en cas d'insuffisance hépatique aiguë. Cette technologie s'est révélée très prometteuse sur des modèles animaux pour restaurer la fonction hépatique en cas d'insuffisance hépatique aiguë sévère, et elle a amélioré de façon significative la survie et la prévention/traitement de l'encéphalopathie hépatique. La société cherche à lancer des essais cliniques sur des sujets humains dans les deux prochaines années. De plus, Morphocell développe ReLiver^{MC} pour le traitement de l'insuffisance hépatique aiguë à chronique et chronique. morphocell.com



Michael Rudnicki, éminent chercheur sur les cellules souches et directeur scientifique du RCS, a une vision audacieuse pour régénérer plus efficacement les tissus musculaires, ce qui a donné l'élan à la création de Satellos. La réparation musculaire efficace exige que les cellules souches résidentes réussissent à équilibrer la production de nouveaux tissus musculaires avec la reconstitution d'un bassin de cellules souches. Cependant, ce processus peut se déséquilibrer par une blessure, une maladie chronique, la maladie ou le vieillissement, ce qui nuit efficacement à la régénération et au fonctionnement des muscles. La nouvelle plateforme de Satellos utilise une approche pharmacologique pour rétablir cet équilibre afin d'améliorer la réparation et la guérison musculaire. Cette technologie canadienne a le potentiel d'améliorer la régénération pour le traitement d'une gamme de maladies neuromusculaires. La société a inventé de nouveaux médicaments potentiels, a mis sur pied une solide équipe de gestion et est à la recherche de financement de série A pour poursuivre le développement de son approche unique en matière de réparation et de régénération tissulaire. satellos.com



StemAxon™

Gilbert Bernier, chef de la direction et cofondateur de StemAxon, est un autre chercheur du Réseau de cellules souches qui a lancé une entreprise biotechnologique prometteuse au Québec. La société StemAxon réalise des percées dans le domaine des maladies neurodégénératives comme la maladie d'Alzheimer et les maladies de la rétine, et elle pourrait devenir un chef de file mondial dans l'utilisation de la transplantation de cellules neurales pour traiter ces deux maladies. La société fournit une plateforme innovante pour tester directement des composés contre la maladie d'Alzheimer, ce qui accélère la découverte de nouveaux traitements potentiels. Grâce à StemAxon, et avec le soutien du RCS, le Dr Bernier explore également comment la greffe de cellules neurales peut traiter la dégénérescence maculaire et d'autres affections de la rétine qui entraînent la cécité. Ayant découvert comment cultiver les cellules souches pour en faire les photorécepteurs coniques nécessaires à la vision fonctionnelle, le Dr Bernier et l'équipe de StemAxon sont maintenant en voie d'appliquer leurs découvertes en clinique. stemaxon.com