



Évaluation du niveau de maturité technologique

INTRODUCTION

Les principaux obstacles à la commercialisation sont souvent les suivants : une mauvaise détermination de la pertinence commerciale d'une technologie (utilisation idéale de l'invention, avantages concurrentiels, nouveauté); une compréhension incomplète des possibilités commerciales (p. ex. population de patients, utilisation clinique, possibilité de remboursement); l'absence d'une position solide en matière de propriété intellectuelle (PI); et le manque de données précliniques permettant d'attirer des investissements externes en vue d'un développement plus poussé et d'une adoption en milieu clinique.

Le document **Évaluation du niveau de maturité technologique** a été créé pour l'usage personnel d'un chercheur, afin de l'aider à envisager la commercialisation de son invention. Plus précisément, il sert à faire prendre conscience du stade actuel de maturité d'une technologie ainsi que des questions à prendre en compte pour transformer une technologie en un produit commercial. Il aborde les obstacles potentiels sous la forme d'une grille de notation. Il est normal que le chercheur n'ait pas de réponses claires à toutes les questions de la grille. Il est donc encouragé à s'adresser à son bureau de transfert de technologie (BTT) et à d'autres experts qui l'aideront dans cette voie. Ce document fournit également un exemple de la manière d'utiliser la grille d'évaluation pour évaluer une technologie de thérapie cellulaire issue de la recherche universitaire, qui en est à un stade initial de développement (globules rouges dérivés de cellules souches), en vue d'établir sa viabilité commerciale et ses possibilités de développement futur.

GUIDE D'UTILISATION DE L'ÉVALUATION DU NIVEAU DE MATURITÉ TECHNOLOGIQUE

1. Chaque question se voit attribuer une note de 1, 3 ou 5 points.
2. L'évaluation est divisée en trois catégories : technologie, application clinique potentielle et possibilités commerciales. Pour les premiers stades de développement, la technologie et les possibilités commerciales ont une plus grande importance. De plus, les questions d'une même catégorie sont pondérées en fonction de leur importance pour la commercialisation d'une technologie en phase initiale de développement.
3. Choisissez la note la plus appropriée dans le menu déroulant. Une fois le questionnaire rempli, une note totale sera générée pour chaque section. Ne soyez pas surpris si les catégories « Technologie » et « Possibilités commerciales » obtiennent individuellement une note plus élevée que la catégorie « Application clinique potentielle ». Cela est normal à un stade initial du développement préclinique. En outre, il pourrait être avantageux d'évaluer de nouveau votre technologie à un stade plus avancé de son parcours de développement : les notes devraient alors être globalement améliorées.
4. Veuillez consulter l'étude de cas ci-dessous pour un exemple pratique d'utilisation de cette évaluation.
5. **Quelle que soit la note obtenue par votre technologie à chaque section, veuillez à contacter votre BTT pour discuter des points forts et des points faibles cernés par l'évaluation.** Le BTT sera en mesure de vous aider à définir les prochaines étapes de manière plus détaillée (veuillez consulter le document *Inventions et collaboration avec votre bureau de transfert de technologie : questions fréquemment posées* pour de plus amples informations).

ÉVALUATION DU NIVEAU DE MATURITÉ TECHNOLOGIQUE

	PRIORITÉ	NOTE (1 À 5)
TECHNOLOGIE		
T1. Dans quelle mesure cette technologie est-elle perturbatrice ou révolutionnaire?	Élevée	
T2. À quel stade de développement se trouve la technologie?	Élevée	
T3. Des brevets ont-ils été déposés pour protéger cette technologie?	Faible	
T4. Dans quelle mesure sera-t-il techniquement difficile de réaliser les prochaines expériences critiques qui permettront de faire progresser substantiellement le développement de la technologie ?	Moyenne	
		NOTE TOTALE : /20
APPLICATION CLINIQUE POTENTIELLE		
A1. Comprenez-vous le besoin clinique et les activités de développement nécessaires pour atteindre le stade de l'application clinique?	Moyenne	
A2. À quel stade de fabrication le produit en est-il rendu?	Moyenne	
A3. Existe-t-il des obstacles évidents à la mise à disposition des patients du produit (par exemple, une maladie sous-diagnostiquée, des difficultés à recruter des patients pour les essais cliniques, des traitements actuels efficaces et/ou peu coûteux, une thérapie et/ou un mode d'administration complexes)? Dans l'affirmative, une stratégie a-t-elle été mise en place?	Faible	
A4. Avez-vous les fonds nécessaires pour mener les prochaines expériences cruciales?	Élevée	
		NOTE TOTALE : /20
POSSIBILITÉS COMMERCIALES		
P1. Quelle est la taille de la population de patients potentielle?	Élevée	
P2. D'autres entreprises développent-elles des produits similaires et, le cas échéant, à quel stade de développement ces produits sont-ils rendus?	Élevée	
P3. L'industrie et/ou des investisseurs ont-ils manifesté de l'intérêt pour vos recherches? Existe-t-il des partenaires industriels évidents?	Moyenne	
P4. Dans quelle mesure ce domaine technologique (p. ex. thérapie cellulaire, édition génomique) est-il susceptible d'attirer des investisseurs?	Moyenne	
		NOTE TOTALE : /20

ÉTUDE DE CAS EN MÉDECINE RÉGÉNÉRATRICE

L'étude de cas ci-dessous vise à familiariser le lecteur avec les considérations qui sont importantes avant ou peu après la divulgation d'une invention à son BTT. Elle décrit une situation dans laquelle un chercheur travaille au développement initial d'une technologie de médecine régénératrice dans un laboratoire universitaire. Dans le cas présenté, le chercheur a mis au point une thérapie cellulaire non optimisée qui pourrait être utilisée pour remplacer les transfusions sanguines. La grande majorité des technologies qui sont divulguées à un BTT se situent à ce stade de développement. Pour une introduction sur les considérations relatives à la commercialisation des technologies et sur la manière de se préparer à une discussion avec le BTT, veuillez consulter les documents « Considérations initiales en matière de commercialisation » et « Inventions et collaboration avec votre bureau de transfert de technologie : questions fréquemment posées », respectivement.

« Le chercheur X, professeur à l'Université Provinciale, est un expert reconnu dans l'étude de l'érythropoïèse de la souris. Il a plus de 100 publications primaires à son actif. Récemment, son laboratoire a mis au point un protocole de différenciation permettant de produire des globules rouges matures énucléés à partir de cellules souches pluripotentes induites (CSPi) de souris. Le protocole de différenciation in vitro et sa caractérisation ultérieure ont été publiés dans plusieurs revues réputées. Au cours des dernières années, la chercheuse postdoctorale Y, qui travaille dans le laboratoire du chercheur X, tente depuis un certain temps de transposer le protocole aux cellules humaines. Cette entreprise représente tout un défi, mais Y est très enthousiaste à l'égard de certains résultats récents, qu'elle a récemment présentés sous forme d'affiche lors d'un congrès international. Elle a comme vision de générer un grand nombre de globules rouges qui pourraient être utilisés en remplacement des transfusions sanguines, et elle est très désireuse de commercialiser cette technologie.

Bref, le protocole d'Y est le suivant : des CSPi indifférenciées sont formées en agrégats et traitées avec un cocktail de cytokines pour favoriser la différenciation du mésoderme. Après quatre jours de différenciation, un second cocktail de cytokines est administré pour favoriser le développement

des cellules progénitrices hématopoïétiques, et au jour 9 ou 10 de la différenciation, les cellules CD34⁺ sont isolées par tri cellulaire. Les cellules obtenues sont ensuite placées dans un milieu de différenciation érythroïde pendant 18 jours supplémentaires pour la maturation érythroïde. La différenciation des CSPi est amorcée dans une seule plaque à 6 puits, et une expansion de l'ordre de 500 fois se produit pendant la différenciation érythroïde réalisée à partir des cellules CD34⁺ isolées. On estime que ~10⁸ cellules pourraient être générées au cours de chaque cycle de production. Les cellules au stade de la différenciation terminale sont analysées par cytométrie de flux et on observe qu'elles sont composées à de 44 à 58 % de CD71⁺/CD235⁺.

Le chercheur X s'est entretenu avec un collègue ayant une expertise clinique dans ce domaine. Ce dernier indique que cette technologie pourrait répondre à un important besoin clinique non satisfait en matière de produits de remplacement du sang. Il a également indiqué à X que 300 millions de procédures de transfusion sanguine étaient effectuées chaque année et que la demande était en constante croissance en raison de l'augmentation du nombre de troubles sanguins et d'interventions chirurgicales.

Les chercheurs X et Y sont très enthousiastes quant au potentiel de cette technologie et souhaitent déposer une demande de brevet pour protéger leurs travaux. Ils bénéficient également d'une subvention qui leur permettra de poursuivre cette recherche, mais seulement pendant une année encore. Ils ont l'intention de s'adresser au BTT affilié à leur établissement pour déterminer les possibilités commerciales, la brevetabilité et les prochaines étapes du processus de commercialisation de leur technologie. De plus, les chercheurs X et Y ont trouvé le document *Évaluation du niveau de maturité technologique* en ligne. Bien que cette évaluation ne fasse pas partie du processus de commercialisation défini par leur établissement et qu'elle ne soit pas exigée par leur BTT, ils ont l'intention de soumettre leur technologie à cette évaluation facultative pour déterminer sa viabilité commerciale et son potentiel de développement futur.

ÉVALUATION DE LA TECHNOLOGIE DE L'ÉTUDE DE CAS

Veillez vous reporter à notre justification de ces notes dans la section suivante

	PRIORITÉ	NOTE (1 À 5)
TECHNOLOGIE		
T1. Dans quelle mesure cette technologie est-elle perturbatrice ou révolutionnaire?	Élevée	3 : Nouvelle technologie pour un marché existant ou nouveau
T2. À quel stade de développement se trouve la technologie?	Élevée	5 : Données générées pour un modèle in vivo et/ou des cellules humaines in vitro
T3. Des brevets ont-ils été déposés pour protéger cette technologie?	Faible	1 : La demande de brevet n'a pas été déposée
T4. Dans quelle mesure sera-t-il techniquement difficile de réaliser les prochaines expériences critiques qui permettront de faire progresser substantiellement le développement de la technologie ?	Moyenne	3 : Modéré; un certain risque
NOTE TOTALE : 12/20		
APPLICATION CLINIQUE POTENTIELLE		
A1. Comprenez-vous le besoin clinique et les activités de développement nécessaires pour atteindre le stade de l'application clinique?	Moyenne	3 : Une certaine compréhension; discussions antérieures avec des cliniciens
A2. À quel stade de fabrication le produit en est-il rendu?	Moyenne	1 : Synthétisé à l'échelle du laboratoire
A3. Existe-t-il des obstacles évidents à la mise à disposition des patients du produit (par exemple, une maladie sous-diagnostiquée, des difficultés à recruter des patients pour les essais cliniques, des traitements actuels efficaces et/ou peu coûteux, une thérapie et/ou un mode d'administration complexes)? Dans l'affirmative, une stratégie a-t-elle été mise en place?	Faible	1 : >1 obstacle, aucune stratégie
A4. Avez-vous les fonds nécessaires pour mener les prochaines expériences cruciales?	Élevée	3. Financement limité permettant de réaliser certaines expériences
NOTE TOTALE : 8/20		
POSSIBILITÉS COMMERCIALES		
P1. Quelle est la taille de la population de patients potentielle?	Élevée	5 : Vaste marché (<10K >100K patients/année dans le monde)
P2. D'autres entreprises développent-elles des produits similaires et, le cas échéant, à quel stade de développement ces produits sont-ils rendus?	Élevée	3 : Les concurrents sont au stade du développement préclinique
P3. L'industrie et/ou des investisseurs ont-ils manifesté de l'intérêt pour vos recherches? Existe-t-il des partenaires industriels évidents?	Moyenne	1 : Aucun intérêt
P4. Dans quelle mesure ce domaine technologique (p. ex. thérapie cellulaire, édition génomique) est-il susceptible d'attirer des investisseurs?	Moyenne	5 : Attrayant – produits comparables viables et le domaine intéressent des investisseurs
NOTE TOTALE : 14/20		

JUSTIFICATION DES NOTES

Technologie

- T1.** Note de « 3 » : Au moment de la notation, X pense que ce produit ne pourra être utilisé que comme produit sanguin en remplacement des transfusions. Cependant, après une discussion avec son BTT, il détermine que ce produit pourrait avoir d'autres applications, par exemple : i) une nouvelle méthode d'administration de médicaments ; ii) des globules rouges thérapeutiques édités/modifiés ; et iii) un outil de dépistage ou de recherche pour étudier la régulation des gènes. Ces applications futures supplémentaires pourraient faire passer la note à « 5 » puisque la technologie pourrait représenter une technologie de plateforme si des données peuvent être générées pour ces autres applications.
- T2.** Note de « 5 » : Les inventeurs ont testé des cellules humaines CD34⁺ in vitro.
- T3.** Note de « 1 » : Les inventeurs souhaitent déposer une demande de brevet.
- T4.** Note de « 3 » : Les prochaines étapes expérimentales nécessiteront une augmentation de la production de cellules (ce qui pourrait exiger la culture de cellules dans un bioréacteur et donc d'éventuelles modifications du protocole existant) et une plus grande pureté de la population différenciée terminale.

Application clinique potentielle

- A1.** Note de « 3 » : Les inventeurs ont discuté avec un collègue clinicien et ont maintenant une certaine compréhension des limites des méthodes actuelles de transfusion sanguine et des considérations cliniques futures.
- A2.** Note de « 1 » : Les inventeurs ont généré des cellules au stade de la différenciation terminale, mais leur viabilité était faible. La mise à l'échelle n'est pas terminée et on reconnaît à la fois la nécessité d'une expansion ainsi que de la production d'une énorme quantité totale de globules rouges pour les applications transfusionnelles.

- A3.** Note de « 1 » : Les inventeurs doivent démontrer un solide avantage comparatif pour supplanter les décennies d'expérience clinique acquise avec les produits du don de sang (c'est-à-dire le traitement actuel), car ces produits sont relativement peu coûteux et simples par rapport au coût potentiel et à la complexité de la nouvelle approche (si l'on se fonde sur les thérapies cellulaires actuellement approuvées). En outre, il existe des technologies de thérapie cellulaire concurrentes, telles que celles que développe actuellement Rubius Therapeutics.
- A4.** Note de « 3 » : Les inventeurs disposent actuellement d'une subvention de recherche qui leur permet de poursuivre ces travaux pendant l'année à venir.

Possibilités commerciales

- P1.** Note de « 5 » : Un collègue industriel a indiqué qu'il s'effectuait 300 millions de procédures de transfusion sanguine dans le monde chaque année.
- P2.** Note de « 3 » : Le chercheur X a effectué une recherche rapide sur Google et a constaté que la plupart des concurrents n'en étaient qu'au stade du développement préclinique (par exemple, Rubius Therapeutics).
- P3.** Note de « 1 » : L'industrie n'a pas manifesté d'intérêt préalable pour les recherches des inventeurs.
- P4.** Note de « 5 » : Il existe un besoin important non satisfait pour un produit sanguin de remplacement et le marché potentiel est vaste. La technologie devrait donc être attrayante pour les investisseurs.

CONCLUSION

Le chercheur X est heureux de constater que sa technologie a obtenu une note élevée dans les sections « Technologie » (60 %) et « Possibilités commerciales » (70 %). Cependant, il a noté qu'elle avait obtenu une note faible dans la catégorie « Application clinique potentielle » (33 %). Il ne s'agit pas d'un problème majeur, car l'optimisation de sa technologie et une meilleure compréhension du chemin vers le marché pourraient subséquemment améliorer l'évaluation de cette catégorie. Après avoir utilisé la grille d'évaluation, il a suivi les étapes suivantes recommandées par son BTT (et généralement décrites dans le document *Inventions et collaboration avec votre bureau de transfert de technologie : questions fréquemment posées*). Son BTT a effectué une brève étude du marché et des principaux acteurs de la concurrence dans ce domaine. Il a également mis le chercheur X en contact avec un agent de brevets agréé qui a confirmé que la technologie pourrait être utilisée pour de multiples concepts de produits (comme il est décrit ci-dessus), augmentant ainsi son applicabilité sur le marché en tant que technologie de plateforme.

L'une des principales préoccupations concerne la nécessité d'optimiser la fabrication future. Il en a parlé à son BTT, qui lui a recommandé de discuter de ces questions avec des experts en fabrication de cellules et de thérapies génétiques.

Futurs points à considérer :

- Démontrer une meilleure pureté des cellules matures et résoudre les problèmes de mise à l'échelle; le nombre de cellules est une estimation
- Présenter des données fonctionnelles montrant que les cellules générées sont des phénotypes érythrocytaires
- Déterminer la persistance in vivo en comparaison avec les cellules des donneurs
- Comprendre le coût potentiel de la thérapie proposée et des approbations réglementaires requises par rapport aux produits sanguins conventionnels

C'est le début de la commercialisation et les chercheurs auront de nombreux partenaires en cours de route, tels que leur BTT, des réseaux de financement, comme le Réseau de cellules souches, et des experts en fabrication, comme le CCRM. Ces partenaires travailleront en étroite collaboration avec les chercheurs pour aider à accélérer le développement des technologies basées sur la médecine régénératrice et les thérapies cellulaires et géniques.

ANNEXE

La section suivante développe les critères d'évaluation technologique présentés dans le tableau de bord. Son but est de fournir des explications et des liens supplémentaires qui pourraient être utiles aux inventeurs et qu'ils pourraient considérer dans le contexte d'un plan de commercialisation technologique.

Commercialisation : le processus de mise sur le marché d'une invention ou d'une découverte scientifique.

Avantage concurrentiel : la [proposition de vente unique](#) d'une invention, c'est-à-dire en quoi ce produit est meilleur que ce qui existe actuellement sur le marché ou que ce qui est en cours de développement.

Bonnes pratiques de fabrication (BPF) : un système de pratiques qui garantit que les produits thérapeutiques sont contrôlés et produits de manière constante conformément à des normes de qualité.

Utilisateur final : la personne qui utilise un produit ou un service (par exemple, un médecin, un chirurgien, un patient) au terme du processus de développement.

Propriété intellectuelle : création de l'esprit utilisée dans le commerce, comme une invention, une œuvre littéraire ou artistique, un dessin, un symbole, un nom ou une image.

Investisseur : un individu ou une entité qui investit de l'argent dans une autre entité, telle qu'une entreprise, en vue d'un rendement financier basé sur des [critères clés d'évaluation de l'investissement](#).

Licence : type d'accord juridique conclu entre le titulaire d'un brevet et un tiers pour donner à ce dernier le droit d'utiliser commercialement la technologie brevetée.

Brevet : un monopole limité dans le temps sur les droits d'une invention dans un pays ou une région administrative (par exemple, les droits de fabriquer, d'utiliser ou de vendre une technologie). Un brevet est généralement déposé avec l'aide du BTT d'un établissement et/ou d'un agent de brevets. Il doit comprendre une description complète de l'invention et les revendications détaillées qui définissent les limites de la protection à accorder.

Technologie de plateforme : une technologie qui peut générer plusieurs produits ou thérapies pour un certain nombre de maladies différentes. Ces technologies sont généralement plus attrayantes pour les investisseurs, car elles peuvent générer des revenus plus élevés une fois l'entreprise établie.

Marché cible : les personnes qui utiliseront votre produit ou service.

CLAUSE DE NON-RESPONSABILITÉ

Le présent document est fourni à titre d'information uniquement, et ce, sans représentation ni garantie d'aucune sorte. Ce document ne vise pas à fournir de conseils juridiques ou réglementaires sur une technologie ou un programme. Le CCRM et le Réseau de cellules souches n'assument aucune responsabilité découlant de l'utilisation de l'information contenue dans ce document ou de ses résultats.