

RENFORCER L'ÉCOSYSTÈME DE LA MÉDECINE RÉGÉNÉRATRICE DU CANADA

Une voie de fabrication au Canada
pour les thérapies innovantes au
service de petits groupes de patients

En partenariat avec



Soutenu par



INTRODUCTION

La médecine régénératrice offre de nouvelles possibilités aux patients atteints de maladies rares et ultra-rares, de blessures graves et de maladies auparavant intraitables. Les thérapies cellulaires et géniques, les thérapies d'ingénierie tissulaire, les thérapies d'oligonucléotides antisens et d'autres approches émergentes ne sont plus des concepts scientifiques lointains; elles évoluent vers les essais cliniques, les milieux hospitaliers spécialisés et, dans certains cas, les soins aux patients.

Le Canada dispose de la science, de l'expertise clinique et des infrastructures émergentes pour guider ce changement. Des institutions et des chercheurs canadiens contribuent à des thérapies et à des essais qui pourraient transformer des vies, notamment une thérapie génique par virus adénoassocié (VAA) pour une maladie pulmonaire néonatale mortelle, un substitut cutané autoassemblé (SCAA) de génie tissulaire pour les brûlures graves, et une thérapie d'oligonucléotides antisens (OAS) pour un trouble neurodéveloppemental pédiatrique.

Mais la voie entre la découverte et l'accès des patients ne suit pas le rythme des découvertes. Pour les thérapies desservant de très petits groupes de patients, le modèle conventionnel — découverte universitaire, parrainage commercial, grands essais cliniques, approbation réglementaire, évaluation des technologies de santé, négociation des prix, remboursement et prestation courante des services — est souvent en échec. Les exigences en matière de données probantes, de fabrication, de qualité, de financement et de prestation restent élevées, tandis que le nombre de patients est peu élevé et que les rendements commerciaux conventionnels peuvent être limités.

Ces facteurs sont tous importants de nos jours. Dans un environnement mondial plus compétitif et plus incertain que jamais, les pays cherchent à renforcer leur capacité nationale dans les domaines des sciences de la vie, de la sécurité de la santé, de la

biofabrication et de la commercialisation. Si le Canada ne peut pas connecter ses systèmes de recherche, de réglementation, de fabrication, de remboursement et d'adoption de manière plus réfléchie, les thérapies prometteuses pourraient progresser ailleurs pendant que les patients canadiens demeurent en attente.

La science est solide. Le Canada doit maintenant faire en sorte que ses systèmes de réglementation, d'accès et d'adoption sont prêts à agir.

MESSAGE PRINCIPAL

Le Canada dispose d'une science de la médecine régénératrice, d'une expertise clinique, d'infrastructures de biofabrication émergentes et de talents de calibre mondial. Ce qui nous manque, c'est une voie coordonnée qui aide les thérapies innovantes prometteuses à passer de la découverte à la preuve clinique, puis à la fabrication, à l'autorisation, au remboursement, à l'adoption et à l'accès des patients au Canada. Cette voie nous permettrait de conserver ici davantage de propriété intellectuelle, d'essais, d'installations de fabrication, d'entreprises et d'investissements.

Note terminologique : Ce rapport utilise les termes « médecine régénératrice » pour décrire le champ plus large soutenu par le RCS et « thérapies innovantes » comme terme générique pour les thérapies cellulaires et géniques, les thérapies tissulaires, les thérapies d'oligonucléotides antisens et les approches émergentes connexes abordées lors de l'atelier. Des termes spécifiques sont utilisés lorsque cela est nécessaire pour refléter une étude de cas, une voie réglementaire ou une discussion d'atelier.

À PROPOS DE L'ATELIER DE JUIN 2026

Les 18 et 19 juin 2026, le Réseau de cellules souches a organisé un atelier national à Ottawa pour examiner une question pratique : que faudrait-il pour acheminer les médicaments régénératifs canadiens prometteurs du laboratoire aux petits groupes de patients? L'objectif était d'élaborer des recommandations concrètes qui renforcent la capacité du Canada à transformer rapidement et équitablement la recherche et l'innovation en possibilités d'accès et d'adoption.

Ce processus a été conçu pour surmonter les barrières du catalogage. Les participants ont été invités à indiquer les changements qui devraient être apportés à la voie d'acheminement des thérapies

innovantes, y compris celles développées au Canada, pour qu'elles puissent atteindre les patients tout en maintenant une plus grande valeur au Canada sur le plan de la santé, de la science et de l'économie.

PROCESSUS DE L'ATELIER ET PARTICIPANTS

PARTICIPANTS	Près de 50 chefs de file ont participé à l'atelier. Il s'agissait entre autres de chercheurs et de cliniciens; de patients partenaires et d'associations de santé; de représentants de l'industrie, de fabricants et d'organisations à but non lucratif; de représentants d'organismes de réglementation; de représentants d'organismes d'évaluation des technologies de santé (ETS) et de remboursement; ainsi que de responsables politiques. Ensemble, ils ont présenté les perspectives des secteurs de la recherche, des soins cliniques, des représentants des patients et des leaders communautaires, de la fabrication, de la réglementation, du remboursement, de l'accès et des politiques publiques.
DÉROULEMENT DE L'ATELIER	Une enquête préalable à l'atelier a guidé la discussion. Les participants ont ensuite utilisé trois études de cas canadiennes — notamment sur une thérapie génique par virus adénoassocié (VAA) pour une maladie pulmonaire néonatale rare, sur un substitut cutané autoassemblé (SCAA) de génie tissulaire pour les brûlures graves, et sur une thérapie d'oligonucléotides antisens (OAS) pour un trouble neurodéveloppemental pédiatrique — pour tester les obstacles dans trois domaines : clinique/réglementaire/ETS; fabrication et production; et accès et adoption. Des discussions plénières, des travaux en groupe et des rapports ont été utilisés pour définir des solutions pratiques.
PROCESSUS DE SYNTHÈSE DES RÉSULTATS ET RECOMMANDATIONS	Les résultats et recommandations de ce rapport reflètent les thèmes communs qui ont émergé dans l'enquête, les trois études de cas et les discussions des ateliers. Ils sont destinés à constituer une synthèse au niveau de l'écosystème et ils ne constituent pas la perspective d'une seule thérapie, d'une seule organisation ou d'un seul participant.

POURQUOI LA PORTÉE DES MALADIES RARES EST-ELLE IMPORTANTE?

Les maladies rares touchent collectivement des millions de Canadiens, pourtant il n'existe encore aucun traitement efficace pour la plupart des affections. L'atelier a utilisé cette portée pour présenter l'urgence. Les thérapies innovantes peuvent créer des options pour de très petits groupes de patients, mais seulement si le développement, la fabrication, les données probantes, le financement et les systèmes de prestation peuvent les soutenir.

Plus de **7 000** *maladies rares sont connues*

1 sur 12 *Canadien est atteint d'une maladie rare*

Moins de **10 %** *des maladies rares bénéficient d'un traitement approuvé à l'échelle mondiale*

VOIX DES PATIENTS ET DES AIDANTS



L'accès à la thérapie génique a complètement changé la vie de mes enfants. »

Lors de l'atelier, Charmain Brown, porte-parole des aidants et membre du Comité des patients du RCS, a partagé l'expérience de sa famille dans la gestion du diagnostic, des essais cliniques, de la sensibilisation et de l'accès à la thérapie génique pour ses deux enfants. Tous deux ont reçu un diagnostic de rétinite pigmentaire, une maladie qui fait partie d'un groupe de maladies génétiques oculaires héréditaires rares provoquant la dégradation progressive des cellules de la rétine qui sont sensibles à la lumière, ce qui entraîne une perte progressive de la vision.

Son histoire a jeté les bases de l'atelier et a illustré les conséquences d'un accès différé

aux traitements pour les patients et leurs familles. Même si une thérapie existait, qu'elle avait été approuvée et que son efficacité avait été démontrée, sa famille a fait face à des années d'incertitude avant que les décisions de remboursement et d'accès aient été réglées. Pendant cette période, ses enfants et sa famille ont dû mener des efforts de sensibilisation publique sur l'accès à un traitement pouvant freiner toute perte de vision supplémentaire.

L'expérience de Charmain Brown a renforcé trois messages véhiculés tout au long de l'atelier :

1. Les patients et leurs familles portent souvent le fardeau de se retrouver dans le système.
2. L'approbation sans financement en temps opportun ne constitue pas un véritable accès.
3. L'accès équitable doit prendre en compte la géographie, les déplacements, le diagnostic, l'information, la capacité de la famille et les réalités liées à la vie avec une maladie rare.

Son message aux participants était clair : les efforts qui doivent être menés pour établir de meilleures voies ne sont pas abstraits. Ils déterminent si le progrès scientifique atteint les personnes qu'il est censé aider.

Trois études de cas sur l'état de préparation du Canada aux thérapies innovantes

L'atelier reposait sur trois études de cas portant sur la recherche, l'expertise clinique, les infrastructures et les défis liés à l'accès des patients au Canada. Ces études

ont servi à déterminer si les systèmes actuels du Canada soutiennent — ou ne soutiennent pas — les thérapies innovantes pour les petits groupes de patients.

THÉRAPIE	STADE	BESOIN NON COMBLÉ	IMPACT POTENTIEL
Thérapie génique VAA pour les maladies pulmonaires néonatales rares Chercheur principal : Dr Bernard Thébaud, Hôpital d'Ottawa	Préclinique	Maladies tensio-actives génétiques rares chez les nouveau-nés; le traitement actuel est limité à la greffe pulmonaire.	Traitement potentiel unique qui sauve des vies si l'intervention est précoce.
Thérapie tissulaire SCAA pour brûlures graves Chercheuses principales : Dre Lucie Germain et Dre Véronique Moulin, Université Laval	Essai clinique de phase I/II (prolongé)	Les soins actuels reposent sur des greffes de peau autologues douloureuses, des interventions chirurgicales répétées, des cicatrices et une récupération prolongée.	Remplacement cutané permanent à deux couches et réduction du rejet des greffons et des cicatrices.
Thérapie OAS pour un trouble neurodéveloppemental pédiatrique rare Chercheurs principaux : Dr Gregory Costain et Dre Eriskay Liston, Hôpital pour enfants de Toronto	Étude active sur un seul patient au Canada	Trouble neurodéveloppemental PACS1 sans traitement modificateur de la maladie.	Amélioration potentielle des symptômes fondamentaux, y compris le développement de la communication.



CE QUE LES TROIS CAS ONT TESTÉ DANS LA VOIE D'AVANCEMENT DES INNOVATIONS

Les trois cas étaient délibérément différents au niveau du stade de développement, du modèle de fabrication, du cadre de traitement, de la voie d'administration et du processus de financement. Ces différences ont permis aux participants de vérifier si les mêmes obstacles systémiques se manifestent dans les types très différents de développement, d'administration et d'accès aux thérapies innovantes.

ÉTUDE DE CAS

PRINCIPAUX ENJEUX TESTÉS DANS LA VOIE D'AVANCEMENT

Thérapie génique VAA pour les maladies pulmonaires rares

La thérapie est une approche de remplacement génique in vivo médiée par VAA pour les troubles génétiques rares du métabolisme des protéines tensio-actives chez les nouveau-nés. Elle est préclinique, probablement à dose unique, et nécessiterait une administration et une surveillance dans des unités spécialisées de soins intensifs néonataux. L'atelier l'a utilisée pour tester le diagnostic rapide et le dépistage d'admissibilité, l'alignement réglementaire/CFC précoce, l'accès à la fabrication spécialisée de vecteurs, l'état de préparation et la formation dans les hôpitaux, le financement public pour une thérapie unique potentiellement coûteuse, et un suivi coordonné à long terme. Le cas a également mis en lumière l'importance d'un traitement précoce lorsque les délais peuvent restreindre la fenêtre thérapeutique.

Thérapie tissulaire SCAA pour brûlures graves

Le substitut cutané autoassemblé (SCAA) est une thérapie cutanée autologue de génie tissulaire pour les brûlures graves de deuxième et troisième degré, y compris les patients pédiatriques avec une peau donneuse limitée. Cette thérapie s'inscrit dans un programme clinique prolongé de phase I/II et repose sur la fabrication en milieu hospitalier ou universitaire. Le cas a testé la période de fabrication d'environ deux mois, la capacité de production cellulaire spécialisée, le transport et la manipulation, la coordination avec les unités de brûlés et la greffe chirurgicale, la rééducation et la surveillance à long terme, ainsi que le défi de financer à la fois la production et la durée plus grande des soins. Il a également illustré à quel point la capacité de fabrication à faible volume peut être essentielle même lorsque le marché commercial conventionnel est limité.

Thérapie OAS pour un trouble neurodéveloppemental pédiatrique rare

La thérapie par oligonucléotides antisens PACS1 est mise en œuvre dans le cadre d'une étude active sur un seul patient au Canada, utilisant un modèle de fabrication à but non lucratif. Le traitement nécessite une administration intrathécale dans un hôpital pédiatrique spécialisé, des procédures d'anesthésie générale/guidées par imagerie, un dosage répété environ toutes les 12 semaines et un suivi à long terme. L'atelier l'a utilisée pour exposer l'infrastructure de type commanditaire nécessaire à une thérapie pour un seul patient : stratégie réglementaire, éthique, CFC et fabrication, démarrage sur le site clinique, collecte de données, financement, réévaluation et planification de ce qui se passe au-delà du premier patient.

CE QUI A ÉTÉ DÉCOUVERT PENDANT L'ATELIER

Six résultats communs ont été révélés par l'enquête, les études de cas et les discussions de l'atelier. Ensemble, ils pointent vers un problème systémique plutôt qu'un obstacle unique lié à la réglementation, à la fabrication ou au remboursement.

PROBLÈME	CE QUI SE PASSE	CE QUI EST REQUIS
La voie est fragmentée.	Les innovateurs se heurtent à des portes d'accès en matière de réglementation, de données probantes, de fabrication, de financement et d'accès de manière séquentielle et trop tardive.	Une voie coordonnée qui réunit les décideurs plus tôt.
Les petits groupes de patients mettent à rude épreuve le modèle de rentabilité.	Une thérapie peut être scientifiquement viable et cliniquement importante en dehors du marché commercial conventionnel.	Nouveaux modèles de développement, de financement, de gestion responsable et d'accès.
La fabrication est un obstacle fondamental.	Une production à faible volume, spécifique au patient ou intermittente entraîne des fardeaux disproportionnés en termes de chimie, de fabrication et de contrôle (CFC), de bonnes pratiques de fabrication (BPF) et d'assurance qualité/contrôle qualité (AQ/CQ).	Soutien à la préparation à la fabrication, cartographie des actifs, capacité stable et exigences proportionnelles.
Les approches pour un seul patient sont contraignantes.	Le groupe visé peut être limité à un seul patient, mais le fardeau lié à l'infrastructure est à l'échelle du parrainage.	Une voie qui réduit les réinventions répétées tout en préservant la sécurité et la qualité des données probantes.
L'approbation ne garantit pas l'accès.	Les patients peuvent encore être bloqués par des voies de soins non financés, un état de préparation inégal en termes de site, les déplacements, le diagnostic et le suivi.	Financement complet des voies de soins, d'accès géré et de planification coordonnée de l'adoption.
Le Canada dispose d'actifs, mais non d'un modèle opérationnel connecté.	La recherche, les outils réglementaires, la capacité de fabrication, l'expertise en évaluation des technologies de santé (ETS) et les mécanismes d'accès existent, mais ne sont pas systématiquement organisés autour des thérapies développées au Canada.	Une voie prioritaire pour les innovations fabriquées au Canada qui relie ces capacités de manière rapide et intentionnelle.

Ce que les cas ont démontré ensemble

Bien que les thérapies diffèrent considérablement, chaque cas dépend d'une coordination bien au-delà de l'approbation réglementaire. L'état de préparation en termes de fabrication, d'infrastructure clinique spécialisée, de planification des données probantes, de remboursement, d'adoption en milieu hospitalier et de suivi à long terme doit être pris en compte tôt. Les cas ont également montré pourquoi un modèle conventionnel ou commercial unique ne fonctionnerait pas pour l'ensemble des thérapies innovantes pour de petits groupes de patients.

Ce que cela signifie en termes de politique

Le problème, ce n'est pas que les normes sont insuffisantes. Ce sont plutôt le manque de coordination, les attentes en matière de données probantes adaptées à l'usage, la réduction des risques liés à la fabrication et la planification de l'accès aux thérapies qui ne correspondent pas aux modèles conventionnels fondés sur la taille des groupes de patients et les aspects liés au commerce, aux essais ou au remboursement.

Ensemble, ces résultats illustrent que le défi n'est pas lié au mauvais fonctionnement d'une seule porte. C'est

l'absence d'un modèle opérationnel coordonné qui tient compte des données probantes, de la fabrication, de la planification réglementaire, du remboursement, de l'adoption et de la gestion suffisamment tôt pour que les thérapies offertes aux petits groupes de patients puissent circuler dans le système.

POURQUOI CELA COMPTE-T-IL MAINTENANT?

D'autres pays progressent rapidement pour aligner la réglementation, la production de données probantes, la fabrication et l'accès aux thérapies innovantes. Sans une voie mieux coordonnée, les innovations canadiennes prometteuses risquent de passer à des systèmes plus rapides ou mieux organisés, tandis que les patients canadiens attendront plus longtemps pour bénéficier de thérapies développées grâce à la science canadienne.



POURQUOI EST-IL IMPORTANT D'AVOIR UNE VOIE D'AVANCEMENT DES INNOVATIONS FABRIQUÉES AU CANADA?

Le concept des innovations fabriquées au Canada ne vise pas à abaisser les normes ou à créer un raccourci quant aux décisions indépendantes en matière de réglementation, d'ETS ou de remboursement. Il s'agit d'organiser les capacités canadiennes existantes pour que les thérapies prometteuses développées au Canada puissent progresser dans le système de manière plus prévisible, stratégique et efficace.

Le soutien doit être fondé sur des critères et axé sur des thérapies scientifiquement viables, un besoin significatif des patients, une préparation au développement, une valeur potentielle pour le système de santé et une valeur stratégique pour le Canada. La valeur stratégique inclut la possibilité de conserver la propriété intellectuelle, les essais cliniques, la capacité de fabrication, les entreprises, les talents et l'investissement au Canada — pour qu'ils offrent à la fois des bénéfices aux patients et pour que le rendement économique et stratégique de l'investissement public soit assuré.

Concrètement, une voie d'avancement pour les innovations fabriquées au Canada nous permettrait d'identifier tôt les thérapies innovantes prometteuses développées ou dirigées par le Canada pour les connecter aux bons outils de soutien : conseils réglementaires, CFC et expertise en fabrication, financement translationnel, planification des essais cliniques, ETS et engagement des payeurs, orientation vers la commercialisation, planification de l'adoption et participation des patients partenaires.

BÉNÉFICES POUR LE PATIENT

Les patients canadiens et leurs familles bénéficient d'une voie plus claire vers les thérapies issues de la science canadienne. Une coordination plus précoce peut réduire les retards évitables et faire en sorte que la planification de l'accès comprenne le diagnostic, les facteurs géographiques, l'accessibilité, la préparation du site, le fardeau pour la famille et le suivi à long terme.

RENDEMENT ÉCONOMIQUE ET STRATÉGIQUE

Le Canada tire plus de valeur de la recherche publique et des investissements dans les infrastructures. Plus de propriété intellectuelle, d'essais, d'installations de fabrication, de talents, d'entreprises et d'investissements peuvent rester et croître au Canada plutôt que de se déplacer dans des pays qui progressent plus rapidement ou qui sont mieux coordonnés.

Le Canada ne part pas de zéro

Le Canada a déjà réalisé des progrès significatifs en termes d'accélération de l'examen réglementaire, de prise de décision pour les remboursements et d'accès des patients aux thérapies innovantes. L'atelier a identifié plusieurs outils existants qui jettent les bases d'une voie plus coordonnée pour les thérapies innovantes desservant de petits groupes de patients.

Examen harmonisé — Santé Canada peut partager des informations avec les organismes d'évaluation des technologies de la santé afin de réduire la répétition des tâches et les délais entre l'examen réglementaire et celui des remboursements.

Cadre des produits thérapeutiques innovants (PTI)

— Le Canada dispose déjà d'un cadre réglementaire flexible et basé sur les risques qui est destiné aux produits innovants qui ne se prêtent pas bien aux règles conventionnelles; nous avons la possibilité de le mettre en œuvre pour les thérapies innovantes appropriées.

Modernisation des essais cliniques — Santé Canada a proposé un cadre d'essais cliniques plus axé sur le risque, destiné à soutenir des modèles d'essais innovants et à réduire les fardeaux inutiles.

Cible zéro — Les initiatives de l'Agence des médicaments du Canada visent à réduire les délais entre l'autorisation de Santé Canada et la recommandation de remboursement.

Mécanismes d'accès temporaire de l'Alliance pharmaceutique pancanadienne (APP) —

Les approches d'accès temporaire peuvent soutenir des médicaments prometteurs pendant que les données probantes continuent d'être développées et que des dispositifs de remboursement à plus long terme sont élaborés.

INCIDENCES POUR LE CANADA

La tâche n'est pas d'inventer un système entièrement nouveau. Il s'agit de connecter et d'adapter les outils que possède déjà le Canada afin qu'ils fonctionnent de manière cohérente pour les thérapies innovantes liées aux petits groupes de patients — surtout lorsque les données probantes, la fabrication et les modèles commerciaux ne sont pas adaptés aux voies conventionnelles.



LEÇONS TIRÉES D'AUTRES PAYS

Les participants de l'atelier ont examiné des approches d'autres pays qui adaptent déjà leur réglementation, leur production de données probantes, leur fabrication et accès aux thérapies innovantes pour les maladies rares. Aucun pays à lui seul ne fournit un modèle complet pour le Canada, mais plusieurs caractéristiques de conception récurrentes sont pertinentes.

Effectuer une coordination précoce et dans l'ensemble de la voie d'avancement des innovations.

Le programme ILAP (Innovative Licensing and Access Pathway) du Royaume-Uni, la stratégie SAKIGAKE du Japon, ainsi que les programmes RMA et Fast Track de la FDA des États-Unis soulignent tous la valeur d'un engagement précoce structuré, d'un point de contact clair et de mécanismes qui relient le développement à la réglementation et à la planification de l'accès par rapport au traitement de chaque porte d'accès de manière séquentielle.

Utiliser des désignations formelles pour déclencher un accompagnement personnalisé. Les modèles de médicaments pour maladies orphelines et de voies prioritaires illustrent la façon dont les désignations formelles peuvent reconnaître les thérapies qui ne se prêtent pas aux modèles de développement conventionnels et offrir un point d'entrée plus clair pour que les attentes soient proportionnelles en matière de données probantes, pour que des conseils plus précoces soient fournis et pour qu'une planification coordonnée soit assurée.

Permettre aux données probantes de se développer après l'accès initial. Les registres de patients européens, les approches d'accès géré NICE au Royaume-Uni, et l'utilisation par l'Espagne de données probantes réelles démontrent la façon dont les données structurées post-autorisation peuvent soutenir le suivi de la sécurité, l'évaluation des avantages-risques, les décisions de remboursement et l'accès continu lorsque les données probantes sont limitées au lancement.

Traiter la capacité de fabrication en tant qu'élément faisant partie de la solution d'accès. Les approches de fabrication décentralisées, modulaires, publiques

ou universitaires d'autres pays sont pertinentes pour les thérapies canadiennes à faible volume qui peuvent ne pas être attrayantes pour la fabrication commerciale conventionnelle, mais qui nécessitent néanmoins une approche CFC (chimie, fabrication et contrôle) stable, de bonnes pratiques de fabrication et une bonne capacité en matière de qualité.

Adapter les modèles de paiement à l'incertitude et aux petits groupes de patients. L'accès géré du Royaume-Uni et les approches de paiement échelonné et basé sur les résultats de l'Espagne montrent que l'accès n'a pas besoin d'être une décision (oui ou non) ponctuelle. Les mécanismes de paiement et d'accès peuvent être conçus pour abaisser les barrières financières, géographiques et de données probantes et pour permettre la collecte de données supplémentaires.

INCIDENCES POUR LE CANADA

Le Canada peut adapter et combiner ces leçons : un point d'entrée précoce pour les innovations fabriquées au Canada/ orphelines, des conseils coordonnés d'évaluation réglementaire et d'évaluation des technologies de santé, l'utilisation pratique de la voie des produits thérapeutiques innovants, des données probantes proportionnelles pendant le cycle de vie, du soutien à la fabrication et, le cas échéant, le financement d'accès géré ou basé sur les résultats.

PRIORITÉS D'ACTION

Les priorités ci-dessous répondent directement aux obstacles définis par les études de cas : voies fragmentées, modèles commerciaux faibles pour les petits groupes de patients, fardeau manufacturier disproportionné, complexité des thérapies pour un seul patient, voies de prestation de soins non financées et nécessité de connecter les actifs canadiens existants.

01 CRÉER UNE VOIE PRIORITAIRE POUR LES INNOVATIONS FABRIQUÉES AU CANADA.

Identifier les thérapies innovantes à fort potentiel développées au Canada et les connecter rapidement aux conseils réglementaires, à l'expertise en fabrication, au financement translationnel, au soutien aux essais cliniques, à la planification des données probantes et de l'ETS, au financement, ainsi qu'à l'aide à la commercialisation et au soutien à l'adoption.

02 ÉTABLIR UNE DÉSIGNATION POUR MALADIES ORPHELINES/ULTRA-RARES.

Définir l'admissibilité aux thérapies lorsque la prévalence, la gravité de la maladie, les besoins non satisfaits et la faisabilité du développement conventionnel nécessitent des approches d'accès et des données probantes proportionnelles. La désignation doit soutenir une coordination précoce, la planification des données probantes pendant le cycle de vie et des conseils réglementaires adaptés tout en assurant la préservation de normes rigoureuses.

03 OPÉRATIONALISER LES PTI VIA DES THÉRAPIES PILOTES CANADIENNES.

Utiliser des projets pilotes réels canadiens pour clarifier l'admissibilité des PTI, les délais, les attentes en matière de données probantes, les responsabilités d'autorisation, la collecte de données post-access et les engagements au cours du cycle de vie — ainsi que pour établir des précédents que les futures thérapies canadiennes pourront utiliser.

04 SOUTENIR LA PRODUCTION À FAIBLE VOLUME COMME INFRASTRUCTURE.

Traiter la fabrication de thérapies innovantes à faible volume en tant qu'infrastructure nationale de santé et d'innovation. Utiliser la cartographie des actifs nationaux, le financement de la préparation, le soutien CFC, l'aide au transfert de technologie et les approches proportionnelles BPF/AQ-CQ pour stabiliser la capacité canadienne entre les projets sporadiques et maintenir la fabrication des innovations canadiennes aux pays.

05 FOURNIR UN SERVICE D'ORIENTATION NEUTRE ET UN SOUTIEN DE TYPE PARRAINAGE.

Les innovateurs universitaires et les entreprises de biotechnologie canadiennes en phase de démarrage ont besoin d'aide pour s'orienter en ce qui concerne la stratégie réglementaire, les exigences CFC, les BPF, l'ETS, les attentes des payeurs, le financement, la commercialisation et l'adoption. Une fonction neutre, comme un service de conciergerie à but non lucratif, devrait aider les innovateurs à engager tôt les bonnes instances, à concevoir en pensant au but final et à réduire les réinventions répétées.

06 CONSTRUIRE DES MÉCANISMES DURABLES DE DONNÉES PROBANTES, DE FINANCEMENT ET D'ACCÈS.

L'approbation seule ne garantit pas l'accès. Le Canada a besoin de modèles de données probantes pendant le cycle de vie, d'accès géré, de partage des risques, d'approvisionnement, de gestion et de financement complet des voies de prestation de soins qui prennent en compte les diagnostics, la prestation des services, la préparation en milieu hospitalier, la surveillance, les déplacements, le suivi à long terme et les thérapies sans parrainage commercial conventionnel.

Qui doit être à la table de discussion

Santé Canada et ISDE peuvent fournir un leadership fédéral conjoint. Les provinces et territoires doivent être des partenaires à part entière dans l'adoption, le remboursement et la prestation des services. Les organismes de réglementation, les organismes d'ETS, l'APP, les fabricants, les sites cliniques, les patients, les innovateurs et les plateformes nationales telles que le RCS devraient collaborer rapidement afin que le Canada puisse passer de décisions fragmentées au cas par cas à une action nationale concertée.

L'épreuve de la réussite

La réussite ne devrait pas se mesurer uniquement par la voie décrite. Elle devrait se mesurer par la capacité des thérapies canadiennes à progresser de façon plus prévisible sur cette voie; par le traitement précoce des exigences CFC, de la planification des données probantes, de la réglementation, de l'ETS, des payeurs et de l'adoption; par l'établissement de voies d'accès plus claires pour les patients; et par le maintien au Canada de plus de propriété intellectuelle, de talents, d'installations de fabrication, d'entreprises et d'investissements.

CONCLUSION

Le Canada n'a pas besoin de construire ce système de A à Z. Il doit adapter, activer et étendre les capacités dont il dispose déjà.

Cela permettrait aux thérapies innovantes développées au Canada de passer de façon plus prévisible de la découverte à l'accès des patients, tout en permettant le maintien au Canada de plus de propriété intellectuelle, d'essais, d'installations de fabrication, d'entreprises, de talents et d'investissements.

