

Assurer la santé et l'avenir économique du Canada par la médecine régénératrice

À une époque de volatilité des échanges commerciaux, de concurrence intense pour l'investissement et de pression pour réduire les dépendances stratégiques, le Canada ne peut pas se permettre de financer les premiers stades de l'innovation pour ensuite perdre les découvertes de la recherche qui en résultent, la propriété intellectuelle, les entreprises, les essais cliniques, l'activité manufacturière, les emplois qualifiés et les recettes fiscales au profit d'autres pays. De plus, les patients canadiens ne devraient pas à avoir attendre que les thérapies développées grâce à l'investissement public canadien atteignent d'abord les marchés étrangers. **Il est temps que nous nous rendions compte que la réglementation moderne est un avantage concurrentiel et un impératif économique.**

Le Canada a déjà créé les outils réglementaires dont il a besoin; il est maintenant temps de les utiliser. Le Cadre des produits thérapeutiques innovants (cadre PTI) a été rendu possible grâce à des amendements à la *Loi sur les aliments et drogues* en 2019. Ces amendements ont permis l'adoption d'exigences adaptées, flexibles et fondées sur les risques pour les produits innovants qui ne se prêtent pas bien aux règles sur les médicaments ou dispositifs conventionnels. Pourtant, ces amendements n'ont jamais été pleinement déployés. Le moment est venu de les utiliser pour soutenir les innovations fabriquées au Canada, renforcer les entreprises canadiennes, attirer des capitaux privés et mettre en place l'accès des patients, tout en maintenant des normes rigoureuses de sécurité, d'efficacité et de qualité.

Pour les médicaments régénératifs – y compris les thérapies cellulaires et géniques, les produits tissulaires et les traitements personnalisés ou au point de prise en charge – cette souplesse est importante. La thérapie, les procédés de fabrication, le modèle de prestation et la planification basée sur les données probantes sont profondément interconnectés. En exigeant que les produits passent par des cadres rigides conçus pour les médicaments ou dispositifs conventionnels, nous pouvons créer de l'incertitude et engendrer des coûts et des retards supplémentaires. C'est la raison pour laquelle Santé Canada doit commencer à utiliser activement le cadre PTI.

La fenêtre d'action se rétrécit. Les pays qui sont nos compétiteurs progressent rapidement pour attirer de nouvelles thérapies innovantes, des entreprises, des essais cliniques, des investissements et des installations de fabrication. Si le système réglementaire canadien continue d'être perçu comme un obstacle, cela augmentera la probabilité que les innovations canadiennes et les avantages économiques qui en découlent se déplacent ailleurs.

Recommandation

Le budget 2026 devrait ordonner à Santé Canada de mettre en œuvre les priorités réglementaires liées aux innovations fabriquées au Canada et lui fournir les ressources requises pour le faire, en commençant par les médicaments régénératifs et autres traitements innovants. Cela devrait inclure l'utilisation active du cadre PTI existant lorsque les cadres utilisés pour les médicaments ou dispositifs conventionnels ne répondent pas bien aux besoins, l'utilisation et l'examen en temps opportun de la réglementation à prioriser, ainsi que le service gratuit de conciergerie à guichet unique que Santé Canada avait initialement envisagé.

Cela devrait être accompagné d'une stratégie industrielle nationale des sciences de la vie entièrement dotée des ressources requises, incluant 75 millions de dollars sur quatre ans pour l'ATIAP, afin de réduire les risques liés aux innovations canadiennes et de construire le pipeline clinique, manufacturier, commercial et de main-d'œuvre nécessaire pour conserver davantage de propriété intellectuelle, d'investissements, d'entreprises et d'emplois au Canada, tout en offrant aux patients canadiens un accès plus rapide aux innovations développées ici.

Une stratégie, deux mémoires complémentaires

Le défi du Canada dans le secteur des sciences de la vie comporte deux facettes : les innovations prometteuses ont besoin d'aide pour être prêtes au développement, et le système réglementaire a besoin d'une souplesse et d'une navigabilité suffisantes pour que les nouveaux produits canadiens soient efficacement acheminés aux patients. Le travail demeurera inachevé si on ne s'attaque qu'à une seule de ces facettes. Ainsi, le Réseau de cellules souches préconise que le Budget 2026 apporte du soutien sur deux fronts : la modernisation du système de réglementation et d'accès du Canada, comme nous l'expliquons dans le présent mémoire; et le financement d'une stratégie industrielle des sciences de la vie soutenue par une plateforme nationale pipeline-production qui est décrite dans un deuxième mémoire pré-budgétaire des partenaires de l'ATIAP (Advanced Therapeutics Industrial Acceleration Partnership). Aucune des deux propositions ne peut produire son plein impact économique complet à elle seule.

1. MODERNISER LA VOIE RÉGLEMENTAIRE

Privilégier les innovations prometteuses fabriquées au Canada, utiliser activement le cadre PTI lorsque les règles conventionnelles ne répondent pas aux besoins, et mettre en place un service gratuit de conciergerie à guichet unique.

2. CONSTRUIRE LE PIPELINE

Le mémoire complémentaire de l'ATIAP recommande un financement de 75 millions de dollars sur quatre ans pour une plateforme nationale pipeline-production qui réduira les risques liés aux innovations canadiennes et aux entreprises biotechnologiques en phase précoce afin qu'elles puissent attirer des capitaux privés, fabriquer des produits innovants et se développer au Canada.

La réduction des risques industriels sans une voie réglementaire canadienne efficace et prévisible continuera d'encourager les entreprises à développer et mener des essais cliniques et à fabriquer leurs produits ailleurs. La modernisation réglementaire sans un pipeline canadien plus solide d'innovations canadiennes prêtes au développement aura un impact économique limité. Ensemble, l'ATIAP et un cadre PTI plus actif offrent une voie pratique pour que les innovations canadiennes soient mises en œuvre au Canada.

L'ATIAP (Advanced Therapeutics Industrial Acceleration Partnership) est une réponse clé en main. Quatre organisations canadiennes bien établies (Réseau de cellules souches, Capital BioVentures, OBIO et CASTL) sont prêtes à s'associer et à intégrer leurs capacités existantes dans un seul pipeline national reposant sur des jalons préétablis. Aucune autre institution ni infrastructure n'est nécessaire. L'ATIAP soutiendrait les innovations canadiennes à fort potentiel en médecine régénératrice dans le milieu universitaire et biotechnologique par la préparation clinique, les premiers essais, la préparation à la fabrication, la commercialisation, la préparation à la capitalisation et le développement de la main-d'œuvre. De plus amples renseignements sur cette proposition sont présentés dans le mémoire pré-budgétaire de l'ATIAP.

Priorisation des produits fabriqués au Canada pour les thérapies innovantes

La médecine régénératrice est un moteur principal du domaine des thérapies innovantes et elle comprend les thérapies à base de cellules souches, les thérapies cellulaires et géniques, ainsi que les produits d'ingénierie tissulaire. Bon nombre de ces thérapies se démarquent de la médecine conventionnelle : elles peuvent être vivantes, personnalisées, fabriquées en petits lots ou au point de soins, administrées une seule fois, dispensées par des hôpitaux spécialisés, ou destinées à de

très petits groupes de patients. Elles peuvent aussi être fabriquées en grandes quantités pour traiter une maladie ou un trouble chronique et proposées pour une large commercialisation à l'étranger.

Autres caractéristiques uniques de ces thérapies :

- **Le produit et le procédé peuvent être indissociables.** Les changements dans la fabrication peuvent modifier la thérapie elle-même.
- **Les données probantes peuvent être différentes.** Les petites populations, les questions sur la durabilité et le suivi à long terme nécessitent souvent des stratégies de données probantes pendant tout le cycle de vie.
- **La prestation peut faire partie du produit.** Des sites spécialisés, des diagnostics, de la logistique, des équipes formées et la surveillance peuvent être essentiels pour que l'utilisation demeure sécuritaire.
- **Les modèles commerciaux ne sont pas toujours possibles.** Des thérapies scientifiquement viables pour des conditions rares ou ultra-rares peuvent ne pas se prêter à l'économie de développement conventionnelle.

En 2025 et 2026, le Réseau de cellules souches a organisé des ateliers nationaux sur l'avancement des thérapies de médecine régénératrice en clinique et sur le marché. Les participants aux deux ateliers sont parvenus à la même conclusion pour les cas d'utilisation fondés sur de grands groupes et de petits groupes d'usagers : le Canada dispose d'une science solide et des nombreux outils nécessaires, mais le chemin de l'innovation qui passe par la réglementation, la fabrication, le remboursement et l'adoption reste fragmenté.

Le coût économique de la fragmentation

6 % → 4 %

Part du Canada dans l'activité mondiale des essais cliniques

2,5 milliards de dollars

Estimation des dépenses annuelles perdues pour les essais cliniques, plus environ 20 000 emplois connexes

76 %

Pourcentage des investisseurs de l'international dans les sommes investies au Canada dans les sciences de la vie à un stade plus avancé et de plus de 50 millions de dollars

Source : gouvernement du Canada, rapport du Groupe de travail sur le secteur des produits pharmaceutiques et des sciences de la vie (2026), résumé dans le mémoire pré-budgétaire du RCS.

De plus, on évalue que le marché mondial de la médecine régénératrice se situe entre 50 et 60 milliards de dollars américains et qu'il devrait atteindre environ 150 milliards de dollars d'ici le milieu des années 2030. L'Amérique du Nord représente la plus grande part de ce marché, ce qui offre au Canada une occasion significative.

Si le Canada capte de 5 à 10 % du marché nord-américain, il pourrait générer entre 7 et 15 milliards de dollars par an en activité économique, assurant par le fait même des emplois à forte valeur, la capacité de biofabrication et la croissance de la productivité à long terme. Pour atteindre cette croissance, nous avons besoin de systèmes réglementaires, d'évaluation et d'adoption transparents, opportuns, flexibles et prêts à s'adapter à la médecine du futur.

Activer le cadre PTI que le Canada possède déjà

En 2019, le Parlement a modifié la *Loi sur les aliments et drogues* pour créer des pouvoirs pour les produits thérapeutiques innovants (PTI). Santé Canada décrit les PTI comme des produits si uniques, complexes et distincts qu'ils font face à un obstacle important en vertu de la réglementation

existante. Le cadre permet à Santé Canada d'établir des exigences d'autorisation adaptées, d'appliquer des modalités et d'adapter les exigences au fil du temps à mesure que les données probantes et l'expérience se développent. Malheureusement, le cadre et les voies n'ont pas été suffisamment déployés ni utilisés comme il avait été prévu à l'origine.

LE CHANGEMENT DE POLITIQUE REQUIS

Faire en sorte que les PTI, qui représentent une option réglementaire rarement déployée, deviennent un outil activement envisagé pour la médecine régénératrice canadienne qui nécessite agilité et souplesse en raison de sa conception et de ses besoins uniques.

Le Canada ne part pas de zéro. Santé Canada dispose de pouvoirs en matière de PTI, de mécanismes d'examen réglementaires/d'ETS alignés, d'initiatives de modernisation des essais cliniques et d'outils de confiance à l'international. La CDA-AMC et l'APP développent également des mécanismes d'accès plus rapides et plus flexibles. La tâche politique ne constitue donc pas la construction d'un nouveau système. Il s'agit plutôt de connecter et d'utiliser les capacités déjà financées par le Canada au bénéfice des innovations et entreprises canadiennes.

S'engager à accorder la priorité aux innovations fabriquées au Canada : un moteur de la santé et de la croissance économique

En accordant la priorité aux innovations en santé fabriquées au Canada dans le système réglementaire canadien, en commençant par des thérapies innovantes, nous pourrions renforcer le secteur des sciences de la vie de notre pays et rentabiliser l'investissement public en recherche et innovation.

Le Canada investit des milliards de dollars des contribuables dans la recherche, les talents, les infrastructures et le soutien à la commercialisation. Pourtant, trop souvent, les technologies, entreprises, essais cliniques et bénéfices économiques et sanitaires qui en résultent migrent ailleurs avant d'atteindre les patients canadiens. Une approche claire de priorisation réglementaire pour les innovations d'origine canadienne, avec un engagement précoce, des directives coordonnées et des examens prioritaires rapides, aiderait les technologies prometteuses à passer plus efficacement des laboratoires et entreprises du Canada au développement clinique et au marché canadien.

Cela réduirait l'incertitude pour les innovateurs et les investisseurs, renforcerait l'attrait du Canada comme lieu de création et de croissance d'entreprises dans les sciences de la vie, et contribuerait à la conservation de la propriété intellectuelle, des emplois hautement qualifiés, de l'activité manufacturière et des investissements futurs au Canada. Plus important encore, cela augmenterait la probabilité que les Canadiens soient parmi les premiers patients à bénéficier de thérapies et technologies développées grâce à l'expertise canadienne et au financement public, ce qui renforcerait le lien entre l'investissement des contribuables, la croissance économique et l'amélioration des résultats en santé.

L'établissement d'une voie prioritaire ne sera efficace que si Santé Canada dispose de l'expertise spécialisée et de la capacité d'examen suffisantes pour s'engager tôt et de manière continue avec les innovateurs. Les thérapies innovantes soulèvent des questions complexes sur la fabrication, les systèmes de qualité, les petits groupes de patients, les produits individualisés et les données probantes à long terme. Un accès prévisible à des conseils réglementaires spécialisés peut éviter des erreurs de développement coûteuses, raccourcir les délais de mise en marché et faire du Canada un pays plus attrayant pour les essais et les investissements.

Construire le service de conciergerie déjà envisagé par Santé Canada

Un service de conciergerie faisait partie du concept initial de mise en œuvre du cadre PTI de Santé Canada. Lors de sa consultation de 2019, Santé Canada a reconnu que les innovateurs auraient besoin de conseils pour naviguer dans le nouveau cadre et a proposé un service spécialisé de conciergerie. Ce concept devrait désormais être mis en œuvre sous forme de guichet unique gratuit, accessible et à échelle humaine, en particulier pour les équipes universitaires et les entreprises canadiennes émergentes qui ne disposent pas des ressources réglementaires des grandes industries.

Le service de conciergerie devrait livrer trois éléments

UNE SEULE PORTE D'ENTRÉE	Point d'entrée unique gratuit avec contact humain désigné pour les innovateurs universitaires, les entreprises biotechnologiques émergentes et d'autres commanditaires au Canada.
CONSEILS D'EXPERTS PRÉCOCES	Accès précoce à la grande expertise de Santé Canada pour identifier la voie appropriée, les adaptations offertes et les besoins clés en matière de données probantes.
CONNEXION DANS L'ENSEMBLE DU SYSTÈME	Navigation vers l'accès au marché pertinent, les soutiens cliniques et gouvernementaux; aide supplémentaire aux innovateurs dont la capacité interne est limitée en matière de réglementation.

Le service de conciergerie devrait être un service d'*orientation réglementaire*, et non un substitut d'organisme de réglementation ou de programme de financement. Son objectif doit être simple : faciliter la navigation dans le système, offrir la bonne expertise plus rapidement et aider les innovations canadiennes prometteuses à trouver la voie la plus appropriée vers les patients et le marché.

Décision budgétaire de 2026

Le Canada n'a pas besoin d'une autre stratégie complètement nouvelle. Il doit activer les actifs déjà payés par les contribuables et transformer la science canadienne en un avantage pour le Canada sur le plan économique et de la santé. Nous disposons de recherches, de talents et d'une capacité de biofabrication de niveau mondial, d'un cadre législatif sur les produits thérapeutiques innovants, ainsi que de la base requise pour un service spécialisé de conciergerie réglementaire. **Le budget 2026 devrait mettre ces outils à profit en priorisant les innovations fabriquées au Canada et en associant la souplesse réglementaire à une stratégie industrielle nationale des sciences de la vie soutenue par l'ATIAP.**

En termes pratiques, nous devons utiliser la voie offerte, ouvrir la porte d'entrée et placer la science canadienne au premier rang. Nous aiderons ainsi les innovations canadiennes à progresser plus rapidement, à attirer de meilleurs capitaux offrant des modalités plus intéressantes, à créer plus d'activité clinique, de demande manufacturière et d'emplois qualifiés, et à donner aux Canadiens un accès plus rapide aux thérapies développées ici.

Le choix est clair : le Canada peut continuer à investir dans la recherche en acceptant que la propriété intellectuelle, les entreprises et la valeur économique quittent le pays, ou il peut utiliser le budget de 2026 pour faire en sorte que l'investissement public canadien génère des bénéfices durables pour les Canadiens.

À propos du Réseau de cellules souches

Le Réseau de cellules souches (RCS) est un organisme sans but lucratif qui a pour mission de réunir des chercheurs, des cliniciens, des chefs de file de l'industrie et des défenseurs de la santé qui souhaitent transformer des vies grâce à la médecine régénératrice. En tant que seule organisation nationale du Canada entièrement vouée à ce domaine, le RCS est particulièrement bien placé pour faire progresser la lutte contre les maladies et stimuler l'économie canadienne par la création d'entreprises et le développement de chefs de file de demain.

Le RCS favorise l'établissement de liens et l'investissement dans une communauté pancanadienne composée de chercheurs, cliniciens, stagiaires, partenaires patients, chefs de file du système de santé et entreprises de biotechnologie. Grâce au financement stratégique de la recherche, au développement des talents, au soutien à la commercialisation et à la coordination nationale, le RCS contribue à transformer la recherche canadienne en nouvelles thérapies, nouvelles entreprises, nouveaux emplois hautement qualifiés et meilleurs résultats de santé.

Depuis sa création, le RCS a investi plus de 162 millions de dollars dans des travaux de recherche liées à la médecine régénératrice au Canada, auxquels s'ajoutent les 176 millions de dollars supplémentaires recueillis auprès de partenaires. Ces fonds ont permis au Canada de se positionner comme un chef de file mondial de la médecine régénératrice en cultivant une expertise de calibre mondial, en catalysant des entreprises biotechnologiques innovantes et en soutenant des essais cliniques de pointe qui ont changé la vie de nombreux patients.