



Groupe d'action sur le déploiement des
**thérapies cellulaires
et géniques**

Valeur des thérapies cellulaires et géniques

Les thérapies cellulaires et géniques repoussent les limites des possibilités thérapeutiques, et tous les Canadiens devraient pouvoir profiter de ces innovations à même de changer et de sauver des vies. Ensemble, nous pouvons y arriver.

Les thérapies cellulaires et géniques (TCG) apportent une grande valeur aux patients, à leurs familles et à l'ensemble du système de soins de santé. Ces traitements innovateurs s'avèrent très prometteurs et, dans bien des cas, ils apportent des bienfaits déterminants, changent le cours de la maladie traitée et améliorent les résultats cliniques ainsi que la qualité de vie des patients dans des domaines thérapeutiques variés. On trouve ci-dessous certains exemples précis de TCG et de leur valeur, à la fois pour les patients et la société en général.

Une thérapie génique dont la mise au point a débuté il y a plus de 30 ans est devenue un traitement transformateur pour des personnes atteintes d'une forme particulière de maladie rétinienne héréditaire entraînant une perte de vision importante.

En 2020, on a approuvé le voretigène néparavec-rzyl (Luxturna^{MD}) pour traiter les patients ayant une perte de vision due à une dystrophie rétinienne héréditaire causée par des mutations du gène RPE65. L'accès à ce traitement a permis à des patients présentant une déficience visuelle de **retrouver la vue**, souvent très rapidement¹.

Traiter ou prévenir la cécité comporte des avantages tant individuels que sociétaux en améliorant la capacité des patients de travailler et de contribuer plus largement à la vie familiale et à la société.



Les thérapies par lymphocytes T à récepteur antigénique chimérique (thérapies CAR-T) sont un exemple de thérapies cellulaires offrant une option de traitement potentiellement curatif et salvateur aux patients atteints de certains types de cancer du sang, qui auparavant n'auraient eu accès qu'à une chimiothérapie de rattrapage² ou à des soins palliatifs. Comme l'indique un rapport canadien récent³, des cliniciens considèrent que les thérapies CAR-T permettent de **prolonger la vie** et de donner au patient une **chance de guérison ou de réponse complète**, ce que n'offrent pas les traitements actuels utilisés pour bon nombre de ces maladies.

Des thérapies géniques récemment approuvées ont le potentiel de guérir des patients atteints d'hémophilie A ou B grâce au transfert d'un gène fonctionnel qui produit le facteur VIII ou le facteur IX dans les cellules hépatiques d'une personne pour remplacer le gène défectueux de celle-ci⁴. Lorsque le traitement réussit, le patient est en mesure de produire ses propres facteurs de coagulation, ce qui réduit ou élimine la nécessité de recevoir des perfusions IV fréquentes dans le cadre du traitement par facteur de remplacement. Il en résulte une amélioration notable de la **qualité de vie** des patients et une réduction des **coûts pour le système de santé**⁵.

En raison de la nature novatrice et hautement technique des TCG, les systèmes de santé pourraient devoir adapter leurs méthodes de soins et de prestation afin de tirer parti des nouveaux traitements. Étant donné l'étendue du pipeline de TCG, il est essentiel que les responsables des soins de santé au Canada se montrent proactifs pour régler ou atténuer les difficultés de mise en œuvre de manière à assurer un accès rapide et durable aux TCG pour les patients concernés.

La préparation du système est primordiale pour réaliser la valeur et le potentiel des TCG. Les décideurs en santé doivent s'assurer que le Canada dispose des mécanismes de financement et de réglementation, de la capacité du système de santé et de l'expertise clinique nécessaires pour fournir rapidement à la population un accès à cette nouvelle génération de thérapies.

¹ Daley J., *Four Success Stories in Gene Therapy*, Nature, 26 octobre 2021. <https://www.nature.com/articles/d41586-021-02737-7>

² Traitement administré pour un cancer qui n'a pas répondu aux traitements de chimiothérapie standard et qui peut inclure des médicaments expérimentaux.

³ Longwoods, *Understanding the Feasibility of Implementing CAR T-Cell Therapies from a Canadian Perspective*, Healthcare Policy, février 2021.

<https://www.longwoods.com/content/26430/healthcare-policy/understanding-the-feasibility-of-implementing-car-t-cell-therapies-from-a-canadian-perspective>.

⁴ Amit C. Nathwani, *Gene therapy for hemophilia*, Hematology Am Soc Hematol Educ Program 2019; 2019 (1) : 1-8. DOI : <https://doi.org/10.1182/hematology.2019000007>

⁵ Société canadienne de l'hémophilie, *Tout sur la thérapie génique pour l'hémophilie - Guide à l'intention des patients et de leurs aidants*, juillet 2024.

<https://www.hemophilia.ca/wp-content/uploads/2024/07/Tout-sur-la-therapie-genique-pour-lhemophilie.pdf>