

# Pistes d'actions pour le déploiement des thérapies cellulaires et géniques au Québec

Sommaire d'atelier de discussion organisé par  
le Groupe d'action sur le déploiement des  
thérapies cellulaires et géniques

Juin 2025



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

Pistes d'actions pour le déploiement  
des thérapies cellulaires et géniques  
au Québec

## **Sommaire exécutif et introduction**

## Sommaire exécutif

Le Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques (TCG) a organisé un premier événement au Québec le 6 février 2025 en partenariat avec BIOQuébec. Cette initiative, intitulée « Panel d'experts et réflexion sur les thérapies cellulaires et géniques », a rassemblé près de 50 acteurs clés de l'écosystème québécois de la santé, incluant des chercheurs, des cliniciens, des représentants de l'industrie, des décideurs gouvernementaux et des groupes de patients, afin de discuter des défis et des opportunités liés au déploiement des thérapies cellulaires et géniques (TCG) au Québec.

Le Dr Stéphane Bergeron, sous-ministre adjoint – santé physique et pharmaceutique au ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS), a ouvert l'événement en présentant la vision du MSSS pour les TCG. Un panel d'experts, composé de Ghislain Bérard, Dr Jean-Sébastien Delisle, Jessy Ranger et Dr Denis-Claude Roy, a ensuite partagé ses perspectives sur les enjeux et les solutions potentielles.

L'événement s'est poursuivi avec un atelier de discussion auquel l'ensemble des participants ont pris part. De ces échanges ont émergé trois grandes pistes d'actions interdépendantes, formant un continuum pour optimiser le déploiement des TCG au Québec. Ces pistes, qui se renforcent mutuellement, sont les suivantes :

### **Piste d'action 1 : Stimuler et augmenter l'attractivité de l'écosystème de la recherche**

- Diversifier les sources de financement
- Accélérer et simplifier les processus d'approbation
- Favoriser la collaboration entre les différents acteurs de l'écosystème

### **Piste d'action 2 : Anticiper, planifier et répondre aux besoins pour améliorer la capacité de l'écosystème à bénéficier des TCG**

- Investir dans des infrastructures dédiées aux TCG
- Renforcer les compétences du personnel de la santé
- Améliorer l'accessibilité géographique aux traitements

### **Piste d'action 3 : Valoriser l'accès et le déploiement dans le réseau de la santé**

- Démontrer la valeur des TCG
- Améliorer l'accès aux données relatives à leur utilisation
- Mettre en place des mécanismes de remboursement adaptés
- Sensibiliser le public et les professionnels de la santé aux avantages des TCG

Une condition de réussite essentielle, identifiée par les participants comme un préalable au succès des trois pistes d'actions, est la mise en place d'un forum intersectoriel réunissant tous les acteurs de l'écosystème de la santé et le ministère de l'Économie, de l'Innovation et de l'Énergie (MEIE).

## Introduction

Malgré le potentiel révolutionnaire des TCG pour le traitement de certaines maladies, plusieurs défis freinent encore leur déploiement rapide et à grande échelle au Québec, limitant l'accès des patients à ces innovations prometteuses. C'est dans ce contexte que le Groupe d'action a réuni des acteurs clés de l'écosystème afin d'identifier des pistes d'actions communes pour accélérer leur mise en œuvre.

## Approche consultative

Le Groupe d'action a organisé un premier événement au Québec le 6 février 2025, au Centre Phi de Montréal, en partenariat avec BIOQuébec. Cette activité consultative et collaborative réunissait différentes parties prenantes afin de discuter des opportunités et des barrières et d'identifier des pistes d'actions pour faciliter et accélérer le déploiement des TCG.

L'événement regroupait près d'une cinquantaine de participants provenant de différents secteurs, dont des professionnels de la santé, des représentants des ministères de la Santé et des Services sociaux (MSSS) et de l'Économie, de l'Innovation et de l'Énergie (MEIE), de l'Institut national d'excellence en santé et services sociaux (INESSS), des regroupements de patients, d'associations industrielles et scientifiques, et les membres québécois du groupe d'action sur le déploiement des TCG.

Considérant la richesse des conversations, ce rapport résume seulement les principales pistes d'actions identifiées; il ne s'agit donc pas d'une liste exhaustive de toutes les suggestions discutées.

Pistes d'actions pour le déploiement  
des thérapies cellulaires et géniques  
au Québec

## L'événement

## Déroulement de l'événement

L'événement d'une durée de trois heures a débuté par une présentation du Dr Stéphane Bergeron, sous-ministre adjoint – santé physique et pharmaceutique au ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS), qui a présenté la vision du ministère quant aux TCG. Par la suite, un panel a offert quatre perspectives complémentaires :

**Ghislain Bérard**, pharmacien et coordonnateur du Programme de gestion thérapeutique des médicaments (PGTM) au CIUSSS de l'Estrie – CHUS

**Dr Jean-Sébastien Delisle**, directeur scientifique du Réseau de thérapie cellulaire et tissulaire (ThéCell) et professeur titulaire de médecine à l'Université de Montréal

**Jessy Ranger**, directrice, politiques de santé, défense des droits et services aux patients pour Myélome Canada

**Dr Denis-Claude Roy**, directeur général de CellCAN et professeur titulaire de médecine à l'Université de Montréal

Finalement, les participants ont échangé lors d'un atelier d'une heure sur l'avenir des TCG avec en toile de fond la question suivante :

*Quelles actions concrètes permettraient au Québec de tirer pleinement profit du potentiel des thérapies cellulaires et géniques ?*

L'événement s'est conclu par un partage et la mise en commun des discussions tenues à chacune des tables de travail.



## Résumé des interventions

Tous les intervenants ont relevé le potentiel considérable des TCG pour les patients. Plusieurs d'entre eux ont constaté, dans leur pratique, l'impact direct de ces thérapies sur la trajectoire de la maladie des personnes traitées.

### Présentation sur l'état des lieux des TCG au Québec

#### **Dr Stéphane Bergeron, sous-ministre adjoint – santé physique et pharmaceutique, ministère de la Santé et des Services sociaux**

Dr Bergeron a ouvert l'événement avec une allocation sur le rôle du ministère de la Santé et des Services sociaux pour assurer le déploiement des TCG.

« Le MSSS est au rendez-vous et est en action pour définir les trajectoires de soins afin d'éviter l'errance diagnostique et assurer une prise en charge efficace des patients. »

Il a soulevé les nombreux engagements pris par la province pour adresser les enjeux vécus par les personnes atteintes de maladies rares, par exemple la mise en place d'une Politique québécoise pour les maladies rares en 2021 et du plan d'action<sup>2</sup> qui en découle en 2023.

Dr Bergeron a souligné les succès passés du Québec avec les TCG, l'adaptation du système de santé, la nécessité d'identifier des centres de traitement et d'en augmenter les capacités et d'accroître le dépistage. Il a insisté sur l'importance d'analyser les bénéfices réels des TCG, compte tenu de leurs coûts, et de démontrer leurs avantages à long terme.

Dr Bergeron a conclu en réitérant que le MSSS souhaite être au rendez-vous pour assurer l'accès aux TCG, car elles sont porteuses d'avenir.



## Résumé des interventions

### Panel d'experts

#### **Ghislain Bérard, pharmacien et coordonnateur du Programme de gestion thérapeutique des médicaments (PGTM), CIUSSS de l'Estrie – CHUS**

M. Bérard a indiqué que les départements de pharmacie des CHU avaient demandé au PGTM3 une analyse de ce qui serait requis afin de pouvoir offrir les thérapies géniques dans les pharmacies d'établissements. Il a relevé que le parcours de gestion des médicaments de thérapie génique est encore récent. L'objectif de ces traitements est la modification de la trajectoire naturelle de la maladie, allant jusqu'à la guérison. Cette nouveauté offre une opportunité pour élaborer un cadre qui soutient efficacement le déploiement des TCG. En tant que pharmacien, M. Bérard a porté une attention particulière au besoin de disposer d'installations permettant de préparer et d'administrer les TCG aux patients de façon sécuritaire, autant pour les patients que pour leurs familles et le personnel des établissements de santé, ainsi que d'effectuer les suivis. Il souligne que les dépenses nécessaires pour les infrastructures hospitalières devront être gérées de manière responsable, les précautions à prendre avec les médicaments de thérapie génique étant variables et dépendant du risque biologique associé au vecteur (viable ou non-viable) employé, ainsi que le type et la nature du vecteur (type de virus, par ex. : adénovirus, rétrovirus, lentivirus, etc.). Dans la littérature, il y a 4 niveaux de précaution et de confinement en lien avec 4 niveaux de risque biologique des vecteurs pouvant être employés. La plupart des centres pourront faire préparer et administrer des médicaments de risque 1 ou 2 (à la condition de respecter les exigences et installations pour ces niveaux de risque), mais les aménagements en lien avec les médicaments de risque 3 ou 4 sont plus importants et ceux-ci ne devraient être faits qu'à quelques endroits choisis (1 ou 2 centres pour le Québec).

Mr Bérard a souligné que les obstacles au déploiement sont : les coûts, la priorisation des patients et l'évaluation de la toxicité à court et long terme. Il a mentionné qu'il serait important que l'Ordre des pharmaciens du Québec développe des normes et que les besoins en installations et infrastructures soient comblés.

## Résumé des interventions

### Panel d'experts

#### **Dr Jean-Sébastien Delisle, directeur scientifique du Réseau de thérapie cellulaire et tissulaire (ThéCell) et professeur titulaire de médecine à l'Université de Montréal**

Dr Delisle a soulevé que le Québec pourrait jouer un rôle historique en matière de TCG étant donné sa population et l'expertise universitaire au sein de la province. L'objectif du réseau ThéCell est de développer les premières preuves cliniques. Puisque les TCG sont une technologie en plein développement, il est important d'analyser l'effet du traitement, du laboratoire jusqu'aux patients, afin de continuer à l'améliorer. Selon lui, le principal frein au déploiement des TCG est la culture hospitalière actuelle, plus spécifiquement le manque de valorisation de la recherche et de l'innovation. Il suggère d'investir dans des centres désignés et des infrastructures de recherche clinique dédiés aux TCG afin d'assurer le développement d'une industrie locale qui pourraient alors soutenir les besoins des patients plus rapidement. Il a aussi exprimé le besoin d'avoir un chef d'orchestre, semblable à ce qui a été fait pour l'ARN au Québec.

Dr Delisle a souligné qu'il serait important d'anticiper plutôt que de réagir et qu'il y a un besoin d'augmenter les capacités et l'efficacité. Il a mentionné que la recherche clinique est une façon de faire de l'anticipation. Il a aussi soulevé qu'il sera important de prévoir l'arrivée des biosimilaires, d'améliorer la logistique et le cadre réglementaire et législatif ainsi que d'augmenter la capacité du Québec sur l'ensemble de la chaîne de valeur des TCG.

#### **Jessy Ranger, directrice, politiques de santé, défense des droits et services aux patients pour Myélome Canada**

Mme Ranger a débuté son intervention en soulignant que les TCG sont une priorité pour son organisation et en mettant en lumière que celles-ci ont grandement évoluées au cours des dernières années, transformant positivement le discours entourant les cancers du sang. L'arrivée des thérapies CAR-T en particulier a ouvert des portes vers la guérison autrefois inespérée. Mme Ranger a souligné aussi qu'une grande différence dans les options de traitements contre les cancers du sang est que les TCG présentent peu d'effets secondaires. Cependant, plusieurs obstacles freinent encore le déploiement plus large de ces thérapies. Parmi ceux-ci, les difficultés d'accès liées au faible nombre d'institutions accréditées, à leur concentration dans les centres urbains, ainsi qu'à d'autres facteurs personnels, culturels et linguistiques.

Mme Ranger a aussi mentionné qu'il est important de réfléchir à comment il sera possible de répondre à la demande. Par ailleurs, il existe de nouvelles molécules en développement dans les universités, mais le processus réglementaire est actuellement trop lourd pour que les patients puissent y avoir accès rapidement. Une planification concertée et rigoureuse est donc essentielle pour surmonter ces défis.

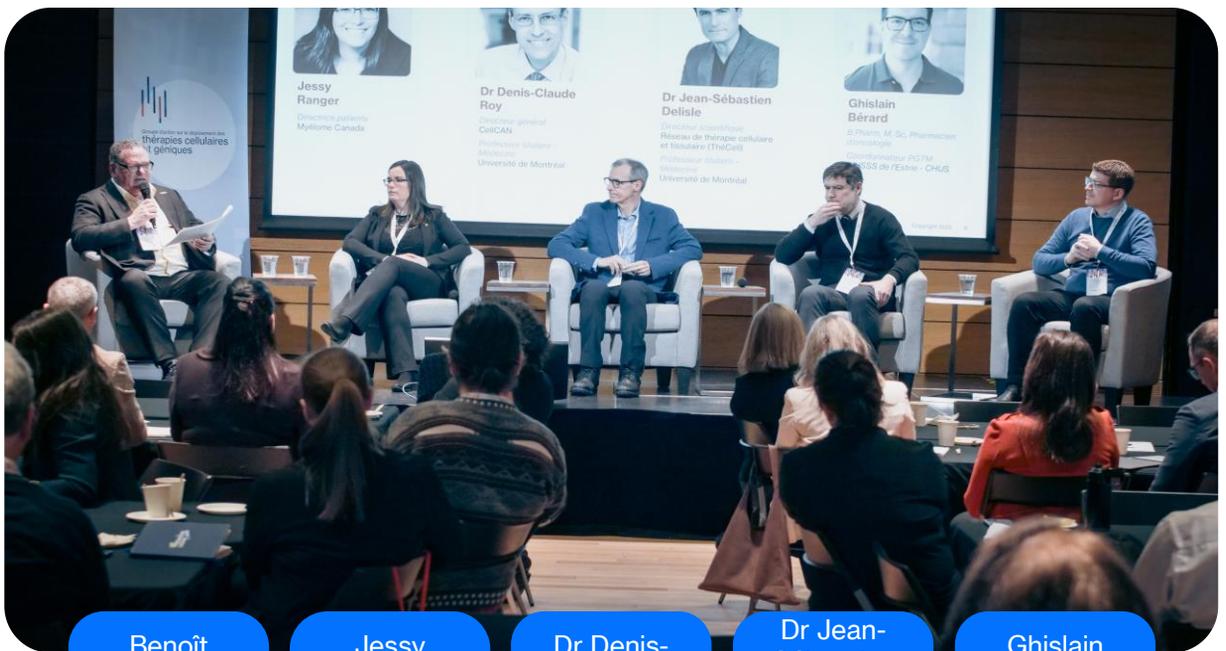
## Résumé des interventions

### Panel d'experts

#### Dr Denis-Claude Roy, directeur général de CellCAN et professeur titulaire de médecine à l'Université de Montréal

Le Dr Roy a mentionné des exemples de succès qui vont de la découverte à la création de compagnies québécoises. Il a prôné une collaboration accrue entre les différents acteurs de l'écosystème, tels que les instituts de recherche, le gouvernement, l'industrie biopharmaceutique et les autres parties prenantes clés. Une telle collaboration permettrait de réduire les délais actuellement excessifs avant que les patients n'aient accès aux thérapies innovantes. De nombreuses recherches prometteuses sont en cours au Québec et à l'étranger, mais le Dr Roy constate qu'elles peinent à se traduire en applications concrètes. Pour le Dr Roy, l'avenir des TCG repose donc sur le décloisonnement et la collaboration.

Dr Roy a indiqué qu'il serait important que le Québec travaille davantage et mieux avec l'industrie biopharmaceutique afin que le Québec soit plus attractif au niveau clinique, car les TCG sont un nouveau paradigme de soins.



Benoit  
Larose

Jessy  
Ranger

Dr Denis-  
Claude Roy

Dr Jean-  
Sébastien  
Delisle

Ghislain  
Bérard

## Ce que nous avons entendu des participants

Après les présentations du sous-ministre adjoint et des panélistes, les participants ont échangé dans le cadre d'un atelier de discussion afin de proposer des pistes d'action concrètes pour favoriser et accélérer le déploiement des TCG au Québec.

### Condition de réussite : Mettre en place un forum intersectoriel de discussion

Avant même d'aborder les pistes d'action, les participants ont unanimement identifié la mise en place d'un forum intersectoriel de discussion comme condition essentielle et préalable indispensable au succès du déploiement des TCG au Québec. L'atelier a révélé un besoin urgent de dépasser les cloisonnements actuels et de favoriser une collaboration dynamique entre les instances gouvernementales, les centres de recherche, les cliniciens, les groupes de patients et l'industrie biopharmaceutique. Un tel forum permettrait de transformer les échanges ponctuels en une plateforme de collaboration permanente, grâce à des rencontres périodiques et des comités multisectoriels.

Ce forum ne serait pas simplement un lieu d'échange, mais un véritable catalyseur pour

- Briser les silos afin de favoriser la collaboration et faciliter la mise en commun d'expertise et de ressources;
- Valoriser la recherche et bonifier l'écosystème de la recherche clinique;
- Accélérer l'accès aux innovations et augmenter le nombre de patients pouvant bénéficier des TCG en anticipant plus adéquatement et précocement les besoins.

Les exemples des consortiums américains Bespoke4 et BioMaP5 illustrent ce type de coopération entre le gouvernement, l'industrie et la recherche. Ces consortiums sont des exemples de collaboration entre l'industrie biopharmaceutique et le gouvernement américain, BioMaP incluant également des institutions de recherche universitaire.

### Pistes d'actions proposées

Lors de l'atelier de discussion, les participants ont mis en évidence la grande force du Québec en matière de recherche. Cependant, ils ont également constaté que cette dernière, incluant la recherche clinique, peine à se traduire en traitements accessibles pour les patients. Par ailleurs, le déploiement des traitements approuvés demeure également un défi, car celui-ci est limité, en partie, par la capacité du réseau de santé à offrir les TCG.

La présente section décrit les trois principales pistes d'actions identifiées qui visent à offrir des solutions pour surmonter les obstacles identifiés par les participants. Ces pistes, interdépendantes et complémentaires, forment un continuum. Elles convergent toutes vers un objectif commun : optimiser le déploiement des TCG au Québec.

### Piste d'action 1 :

## Stimuler et augmenter l'attractivité de l'écosystème de la recherche

Considérant les coûts élevés de la recherche et de la production des TCG, les participants jugent nécessaire d'avoir accès à des sources plus diversifiées de financement. Des partenariats public-privé ou de cofinancement, des fonds d'investissement dédiés aux TCG ou des enveloppes dédiées au sein des fonds de recherche biomédicale existants, ou des incitatifs pour les entreprises investissant dans la recherche et le développement des TCG sont quelques exemples de solutions évoquées.

L'accélération et la simplification des processus d'approbation représentent un autre défi majeur pour développer l'écosystème de la recherche en TCG. Les processus d'approbation, d'évaluation et de remboursement, souvent longs et complexes, représentent un défi de taille pour le milieu de la recherche clinique. Il est toutefois essentiel de maintenir des normes de sécurité strictes et d'évaluer rigoureusement l'efficacité des traitements.

Il est aussi impératif de favoriser la collaboration entre les différents acteurs de l'écosystème afin de partager les connaissances, de mutualiser les ressources et de maximiser les impacts provinciaux, nationaux et internationaux des projets financés.

## Piste d'action 2 :

### Anticiper, planifier et répondre aux besoins pour améliorer la capacité de l'écosystème à bénéficier des TCG

Les TCG requièrent des infrastructures particulières, ce qui limite actuellement l'accès à ces traitements à quelques hôpitaux et à un nombre restreint de patients. Afin d'élargir l'accès, il est essentiel d'anticiper, de planifier et de répondre aux besoins croissants liés aux TCG en investissant dans des infrastructures dédiées. Les participants ont souligné la nécessité d'allouer, et ce de façon prioritaire, des fonds à l'amélioration et à l'acquisition des infrastructures nécessaires aux TCG et d'équiper un plus grand nombre d'hôpitaux. À ce sujet, la désignation et l'accréditation des centres par le gouvernement devraient être accélérées et simplifiées. L'accès aux lits et aux ressources pour les tests et les traitements demeure également problématique, même dans les hôpitaux déjà équipés. Il a donc été suggéré de dédier aux TCG des lits et des ressources pour les tests requis pour le traitement et les suivis.

Étant donné le caractère relativement émergent du domaine, il serait important de renforcer les compétences du personnel de la santé en offrant davantage de formations et en partageant les connaissances, et ce, afin de soutenir les équipes de recherche clinique et celles offrant les thérapies commercialisées. La complexité du parcours de soins exige une expertise précise sur le traitement et le suivi des patients. En aidant les professionnels à se familiariser avec ces thérapies, leur efficacité serait maximisée.

Enfin, la recherche clinique et l'offre des TCG issus de l'industrie biopharmaceutique se concentrent dans les grands pôles urbains, ce qui limite l'accès aux thérapies pour les personnes résidant dans les régions éloignées. Outre l'hôpital virtuel, d'autres solutions ont été proposées, telles que la création de centres satellites dans des hôpitaux régionaux reliés par un réseau de communication régulier avec les centres métropolitains, afin d'assurer le suivi des patients, et ce, afin d'améliorer l'accessibilité géographique aux traitements.

### Piste d'action 3 :

## Valoriser l'accès et le déploiement dans le réseau de la santé

Démontrer la valeur des TCG est une étape cruciale pour optimiser les bénéfices de ces dernières au Québec. L'ensemble des participants s'accordent sur les retombées économiques potentielles importantes des TCG pour le système de santé et la société québécoise. La réduction des hospitalisations prolongées ou répétées permettrait potentiellement aux personnes atteintes de maladies complexes et traitées avec des TCG d'avoir une meilleure qualité de vie, une prolongation de cette dernière ou même une guérison. Cela leur permettrait, ainsi qu'à leurs proches aidants, de contribuer davantage à la société en plus de désengorger le système de santé. Ainsi, malgré l'investissement initial, tous s'accordent à dire que les TCG constituent une solution financièrement viable à long terme.

Pour démontrer la valeur des TCG, il est crucial d'améliorer l'accès aux données relatives à leur utilisation. Les participants ont suggéré plusieurs idées pour centraliser ces données, tels qu'une base de données commune ou, comme mentionné précédemment, un forum de discussion intersectoriel entre les chercheurs, les cliniciens et les autres parties prenantes. Ces données devraient être utilisées pour mesurer les avantages cliniques et économiques des TCG, afin de justifier les investissements nécessaires à leur déploiement et d'optimiser leur utilisation.

De plus, pour assurer un accès équitable aux TCG, il est essentiel de mettre en place des mécanismes de remboursement adaptés. Le modèle de remboursement actuel, qui est le même pour les TCG et les autres médicaments, ne tient pas compte de l'impact significatif de ces thérapies sur les budgets des départements de pharmacie des hôpitaux. Un modèle d'amortissement, incluant le coût d'acquisition des traitements et de l'épisode de soin, mériterait donc d'être examiné plus en détail. Les TCG ont des avantages économiques potentiellement importants au long terme en réduisant la demande de soins et en améliorant la santé et la qualité de vie. Avec un amortissement des coûts d'acquisition, l'investissement nécessaire pour offrir les TCG serait donc plus facile à gérer au long terme.

Enfin, il est important de sensibiliser le public et les professionnels de la santé aux avantages des TCG. Une meilleure compréhension de ces thérapies et de leur potentiel pourrait favoriser leur adoption et leur utilisation. Des campagnes d'information et de formation pourraient être mises en place à cet effet.

Pistes d'actions pour le déploiement  
des thérapies cellulaires et géniques  
au Québec

## Conclusion

## Conclusion

Le Québec possède déjà les atouts nécessaires pour se positionner comme un acteur majeur dans le domaine des TCG au Canada. L'atelier a révélé un enthousiasme palpable et une volonté commune parmi les participants de transformer cette ambition en réalité. Pour y parvenir, une action concertée et une détermination à surmonter les obstacles organisationnels et opérationnels sont indispensables.

L'atelier a mis en lumière plusieurs besoins essentiels, mais a surtout confirmé le potentiel immense du Québec en ce qui a trait aux TCG. Il est crucial de multiplier les échanges entre toutes les parties prenantes, de décroisonner et de mutualiser les ressources (notamment le financement de la recherche et le personnel), de mettre en place des infrastructures dédiées aux TCG, d'améliorer l'accessibilité aux traitements, d'adopter une plus grande flexibilité réglementaire, et de sensibiliser le public à l'existence et aux avantages des TCG.

Toutes ces mesures, portées par un esprit de collaboration et d'innovation, visent à offrir aux patients un plus large éventail d'options thérapeutiques, afin d'améliorer leur qualité de vie et leur pronostic. Forts de cette dynamique positive et de la conviction partagée du potentiel considérable des TCG pour traiter certaines maladies sévères, la communauté exprime qu'il est temps de traduire les constats identifiés en actions concrètes et de faire du Québec un modèle d'excellence dans le domaine des thérapies cellulaires et géniques.

### À propos du Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques

Le Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques (TCG), formé en 2024, réunit des entreprises pharmaceutiques et de biotechnologies innovatrices canadiennes qui se mobilisent pour faire progresser la recherche et l'analyse stratégique afin de soutenir un accès plus équitable aux TCG pour les patients canadiens.

Notre vision est un Canada où les maladies chroniques, invalidantes, ou même mortelles sont chose du passé grâce aux TCG novatrices. Notre mission est de promouvoir un système de soins de santé dans lequel un plus grand nombre de Canadiens bénéficient d'un accès équitable et rapide à ces thérapies ayant le potentiel de changer, voire de sauver des vies.



# Pistes d'actions pour le déploiement des thérapies cellulaires et géniques au Québec

Juin 2025