

Ce Que Nous Avons Entendu

Le 30 septembre 2024, le Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques a tenu une table ronde virtuelle exclusivement axée sur les groupes de patients au Québec. Regroupés autour d'un objectif commun, des organismes de patients ont partagé leurs principales attentes en termes d'information, de formation et d'accompagnement. Ils ont illustré les conséquences réelles que peuvent avoir les retards d'accès aux traitements, dévoilé les défis systémiques – comme le manque de capacité du réseau et les inégalités interprovinciales – et avancé des propositions concrètes pour améliorer la prise en charge des TCG.

Cette table ronde virtuelle a représenté un moment clé pour intégrer la voix des patients dans la réflexion stratégique entourant le déploiement des TCG au Québec. Les objectifs étant :

1. **D'identifier les besoins prioritaires** en matière d'information, de formation et de soutien aux patients.
2. **De recueillir des témoignages directs** sur les impacts concrets des retards d'accès aux TCG.
3. **De mettre en évidence les enjeux structurels** du système de santé québécois, notamment la capacité limitée du réseau et les disparités interprovinciales.
4. **De proposer des pistes d'action** adaptées à la réalité des patients, allant de la réforme des processus d'évaluation à la création de centres satellites pour améliorer l'accessibilité géographique.

Voici la liste des organismes qui ont participé à la table ronde virtuelle :

- Best Myeloma Canada
- Association de la neurofibromatose du Québec (ANFQ)
- Association de l'anémie falciforme du Québec
- Sickle Cell Disease Association of Canada
- Canadian Organization for Rare Disorders (CORD)
- Canadian Hemophilia Society (SCHQ)
- Regroupement québécois des maladies orphelines (RQMO)
- MS Canada
- Lupus Canada (CIAN)
- Parkinson Québec

L'avenir est porteur d'espoir

1. Les thérapies cellulaires et géniques, en particulier pour les cancers du sang et certaines maladies rares, suscitent un optimisme tangible dans la communauté médicale et chez les patients grâce à des résultats cliniques déjà probants. Ces avancées médicales représentent non seulement un changement de paradigme dans le traitement mais aussi un espoir de guérison ou d'amélioration majeure de la qualité de vie, ce qui nourrit un fort engagement des groupes de patients à promouvoir leur déploiement.
2. Les organisations de patients insistent sur la nécessité d'investissements durables dans les infrastructures et la recherche pour donner suite à ces succès précoces. Elles soulignent que des collaborations concrètes entre cliniciens, chercheurs, industrie et instances gouvernementales ont déjà porté leurs fruits, mais que celles-ci doivent être renforcées et systématisées.
3. Un constat récurrent est le décalage entre la vitesse à laquelle la science évolue et la lenteur des processus réglementaires d'évaluations (comme AMC et INESSS), de négociations et de remboursement. Ce retard risque de positionner le Canada « en bas de la liste » des territoires où les nouvelles thérapies sont introduites, ce qui inquiète fortement les patients et les cliniciens.
4. Certains traitements, comme les thérapies CAR-T qui sont déjà accessibles et routinisés aux États-Unis ou en Europe, demeurent indisponibles ici à cause de négociations interrompues ou d'obstacles administratifs. Ces blocages sont vécus comme un déni d'accès à des soins vitaux pour des patients qui, parfois, n'ont plus d'autres options thérapeutiques.
5. Faute d'expertise spécifique, les processus d'évaluation actuels ne semblent pas toujours adaptés à l'innovation que représentent ces thérapies. Les recommandations issues des premières évaluations peuvent paraître incohérentes par rapport aux données internationales, réduisant la confiance des patients envers le système.
6. L'espoir demeure fort, mais il est perçu comme étant fragile. Les intervenants reconnaissent qu'il repose sur la capacité du système à s'adapter plus rapidement, à être financé de façon adéquate et à accroître le nombre de ressources humaines aptes à œuvrer au niveau des CGT.

1. Les associations de patients jouent un rôle central d'intermédiaire entre l'information médicale complexe et la compréhension des patients, familles et communauté. Elles traduisent les protocoles, les bénéfices et les risques en langage clair, afin de permettre aux personnes de prendre des décisions éclairées face à des thérapies qui peuvent transformer leur vie.
2. Ce travail de vulgarisation se heurte à un manque de transparence des institutions. Lorsque les décisions et les justifications ne sont pas communiquées, il devient difficile pour les associations d'expliquer aux patients pourquoi un traitement est accessible dans tel pays ou province mais pas chez eux, entraînant ainsi de l'incertitude et de l'anxiété.
3. L'éducation doit également viser l'ensemble des professionnels de la santé, notamment ceux qui ne sont pas spécialistes, qui peuvent être amenés à prescrire ou référer. Une formation sur les corridors de service, les diagnostics et les options thérapeutiques est jugée cruciale, car un déficit de connaissance médicale dans ces domaines impacte directement l'accès.
4. Le rôle des patients partenaires est jugé positif, mais il est inégalement valorisé. En effet, si dans certaines démarches ils sont pleinement intégrés, dans d'autres, ils servent surtout à « cocher une case » sans avoir une réelle influence sur les décisions, ce qui limite la portée éducative et collaborative de leur contribution.
5. Les ressources limitées des associations représentant les patients constituent une barrière majeure à des programmes éducatifs continus. Beaucoup n'organisent que des événements ponctuels faute de financement, et ils souhaitent que le gouvernement investisse davantage dans des initiatives éducatives directement liées à l'adoption de nouvelles thérapies.
6. L'intégration de l'éducation dès les essais cliniques – à la fois pour les équipes médicales et pour les patients – est vue comme une bonne pratique pour préparer le terrain à l'implantation future de ces thérapies. Cela permet en amont d'identifier les défis opérationnels et de renforcer la confiance des parties prenantes.

L'accès est enjeu

1. Le processus réglementaire canadien, du dépôt d'un dossier auprès de Santé Canada à l'inscription provinciale, est jugé excessivement long et complexe. Bien que cette rigueur vise la sécurité, elle retarde l'arrivée de traitements parfois déjà considérés comme un standard ailleurs, et met en péril la santé des patients en situation de besoins urgents.
2. Les coûts élevés des thérapies cellulaires et géniques, ainsi que les critères restrictifs de remboursement constituent des barrières majeures à leur utilisation. Le manque de volonté d'explorer des modèles alternatifs de remboursement, tels que le paiement échelonné ou le partage de risque basé sur les résultats cliniques, freine l'accès.
3. Les disparités géographiques amplifient les obstacles. Les patients vivant en région doivent souvent se rendre dans des centres urbains pour recevoir un traitement, entraînant ainsi des frais de déplacement, d'hébergement et des pertes de revenu. Pour certaines personnes ces obstacles rendent l'accès aux traitements irréalisables.
4. Des blocages inattendus surviennent dans les hôpitaux lors du choix du traitement ou de la thérapie. Faute d'avoir accès à de l'information sur les tarifs réels, les budgets internes des établissements (ex. département de pharmacie) peuvent contraindre l'usage de certaines thérapies, bien que ces dernières soient pourtant négociées à prix réduit avec le gouvernement.
5. L'absence de dialogue lors des négociations (avec l'APP) exclut les patients des discussions cruciales impactant l'accès. Les associations réclament une transparence accrue des processus afin qu'ils puissent informer leurs membres des dernières avancées, éviter les rumeurs et mieux guider les choix de traitement.

Il faut accroître la **capacité** du réseau

1. La capacité limitée du réseau et des établissements (nombre restreint de lits, de professionnels formés et d'équipements) conduit à prioriser certains patients au détriment d'autres, créant ainsi des dilemmes éthiques. Les cliniciens ne veulent pas être les seuls à trancher la question suivante : qui bénéficiera du traitement alors que tous ont un besoin vital ?
2. La capacité du réseau à absorber le volume ou la complexité des traitements pourrait constituer une cause de non-inscription des thérapies et expliquer que certaines négociations soient infructueuses. Faute d'expansion des moyens humains et matériels, l'accès à ces innovations pourrait demeurer limité.
3. Pour éviter que les choix reposent sur le seul jugement des cliniciens, les intervenants suggèrent de concevoir des critères de priorisation transparents, co-construits entre les patients, les médecins et les décideurs, afin de déterminer l'accès aux traitements lorsque la capacité du réseau est insuffisante.
4. La formation pratique du personnel, lors d'essais cliniques multicentriques, est présentée comme indispensable. Tester la procédure dans un cadre contrôlé permet aux équipes d'acquérir l'expertise et d'identifier les ajustements nécessaires bien avant le déploiement des thérapies à grande échelle.
5. Une approche intégrée du parcours de soins, de la détection précoce à la réhabilitation post-traitement, doit remplacer les silos actuels. Cela inclut des suivis virtuels, des dispositifs pouvant être utilisés au domicile et une coordination renforcée entre les centres urbains et les milieux ruraux.
6. Les participants insistent sur la nécessité de planifier, dès maintenant, l'arrivée massive de nouvelles thérapies avec un modèle de financement et de logistique adapté. Il faut à tout prix réduire les sources limitant l'accès et exacerber les inégalités existantes.

À retenir

Ce rapport, reflétant la voix des groupes de patients, confirme les constats précédents et souligne que l'équité en santé, interprovinciale comme intraprovinciale, reste un enjeu incontournable. Les priorités se résument à trois axes : garantir un accès uniforme aux thérapies innovantes partout au Québec, réduire les délais d'évaluation et de mise en œuvre, et renforcer la capacité du réseau pour accueillir les nouvelles thérapies. Il appelle à agir rapidement pour que l'équité et l'accès deviennent des acquis réels pour toute la population.

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

Formé en 2022, le Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires est un groupe d'entreprises pharmaceutiques innovatrices canadiennes de premier plan qui se mobilisent pour l'avenir de l'innovation en santé. Nous travaillons ensemble pour faire progresser la discussion au sujet de l'accès équitable aux thérapies cellulaires et géniques susceptibles de changer, voire de sauver la vie des patients canadiens. Les membres du Groupe d'action qui appuient ce travail comprennent :

