

# La promesse d'une vie meilleure; un moment déterminant pour notre pays

Ce que nous avons entendu  
au symposium de Toronto sur l'accès  
aux thérapies cellulaires et géniques

Décembre 2025

La promesse d'une vie meilleure;  
un moment déterminant pour notre pays

## **Sommaire**

## Sommaire

Le Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques est un regroupement d'entreprises pharmaceutiques innovatrices qui travaillent à favoriser au sein du système de santé un dialogue sur le potentiel des thérapies cellulaires et géniques (TCG) et sur ce que le Canada doit faire pour assurer un accès rapide et équitable à celles-ci. Fort du succès de l'atelier de discussion tenu à Montréal au début de l'année 2025, le Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques a collaboré avec Life Sciences Ontario (LSO) pour organiser un événement d'une demi-journée à Toronto le 30 octobre 2025. Ce symposium sur l'accès aux TCG a réuni des intervenants clés du système de santé canadien, dont des représentants des patients, des cliniciens, des chercheurs, des représentants de l'industrie et des responsables gouvernementaux.

L'événement a permis d'entendre des dirigeants du système de santé, soit Garrett Tone (Investissements Ontario), Cate Murray (Réseau de cellules souches), Alison Symington, Ph.D. (Life Sciences Ontario), Rob Annan, Ph.D. (Génome Canada), Stéphanie Michaud, Ph.D. (BioCanRx) et Kim Hanson (Percée DT1). Par la suite, plus de 80 personnes ont participé à un atelier axé sur le potentiel des TCG et sur la façon de se préparer à aller là où la science nous mène. Voici les appels à l'action issus de cet atelier :

**1. Réformer les modèles d'évaluation des technologies de la santé (ETS) et de financement :** mobiliser les intervenants en amont; développer des parcours dédiés aux TCG; établir des exigences adaptées en matière de données probantes; et mettre en place des ententes fondées sur les résultats.

**2. Veiller à ce que les patients aient un accès équitable aux thérapies :** adopter une approche nationale en matière d'accès aux TCG; offrir une formation ciblée aux cliniciens; et soutenir l'éducation des patients.

**3. Renforcer la recherche, la fabrication et le partage de données à l'échelle nationale :** investir pour appuyer la recherche et la commercialisation; simplifier les processus réglementaires pour les installations; et investir dans une meilleure infrastructure de données.

Le rapport qui suit explore ces thèmes plus en détail et présente un résumé détaillé des propos des orateurs et des participants à l'atelier de discussion. Les perspectives énoncées, y compris les appels à l'action, sont issues de multiples conversations et ne reflètent pas nécessairement la diversité des points de vue de tous les participants à l'événement ou membres du Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques.



La promesse d'une vie meilleure;  
un moment déterminant pour notre pays

## **Introduction**

## Introduction

Les TCG sont très prometteuses pour des milliers de Canadiens atteints de maladies et troubles chroniques, ainsi que pour les personnes qui les aiment et en prennent soin. Ces thérapies ont le potentiel de prévenir, de traiter, voire de guérir bon nombre de maladies et troubles, dont certains pour lesquels il n'existe actuellement aucune option de traitement efficace.

L'innovation progresse rapidement, et les patients, cliniciens et innovateurs canadiens ont une occasion d'être à l'avant-garde – si le Canada est en mesure de se préparer.

Le **Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques** est un regroupement d'entreprises pharmaceutiques novatrices qui travaillent ensemble afin de soutenir un accès plus équitable à ces thérapies au Canada. Ces entreprises comprennent **Alexion, Ferring Pharmaceuticals, Johnson & Johnson Innovative Medicines, Vertex Pharmaceuticals, Pfizer, Novo Nordisk** et **Ultragenyx**.

Pour aider à préparer le terrain, le Groupe d'action, en partenariat avec Life Sciences Ontario et avec l'aide des commanditaires **Merck, AstraZeneca, Gilead et Innovative Medicines Canada**, a organisé le symposium sur l'accès aux TCG au MaRS Discovery District, à Toronto, le 30 octobre 2025. Puisque la mise en œuvre réussie des TCG exige une collaboration entre tous les acteurs du continuum de soins, l'événement a réuni plus de 80 cliniciens, chercheurs, représentants de l'industrie, ainsi que des responsables gouvernementaux venus de Vancouver, de Montréal et d'autres villes canadiennes. Ensemble, ils ont pris part à des discussions constructives en vue d'explorer les possibilités, d'analyser les obstacles et de proposer des solutions.

Le présent rapport résume les principaux thèmes et recommandations ayant émergé de ces échanges. Comme mentionné plus tôt, les idées et recommandations présentées dans ce rapport sont issues de multiples conversations impliquant des personnes et organisations aux points de vue variés et ne reflètent pas nécessairement la position de chaque participant ou membre du Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques.

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

Établi en 2023, le Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques est un regroupement d'entreprises pharmaceutiques innovatrices canadiennes qui travaillent en collaboration dans le but d'améliorer les résultats pour les patients et de veiller à ce que les Canadiens aient un accès équitable aux nouvelles thérapies. Notre vision est un Canada où les maladies chroniques, invalidantes, ou même mortelles, deviennent choses du passé grâce aux TCG novatrices. Nous avons pour mission de promouvoir un système de soins de santé dans lequel un plus grand nombre de Canadiens bénéficient d'un accès équitable et rapide à des TCG ayant le potentiel de changer, voire de sauver des vies.

Les membres du Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques comprennent :



Merci à notre partenaire pour l'événement, Life Sciences Ontario, et à nos généreux commanditaires qui ont permis de faire du symposium une réussite.

Partenaire présentateur :



Commanditaire argent :



Commanditaires bronze :





La promesse d'une vie meilleure;  
un moment déterminant pour notre pays

## **Sommaire de l'événement**

## L'événement en bref

L'événement d'une demi-journée a d'abord fait entendre des experts qui ont jeté les bases de l'atelier de discussion subséquent. Le symposium a débuté par un message vidéo de la vice-première ministre et ministre de la Santé de l'Ontario, l'**honorable Sylvia Jones**, suivi d'un mot d'ouverture du directeur général du secteur des sciences de la vie d'Investissements Ontario, **Garrett Tone**. Les participants ont ensuite assisté à la conférence principale par la présidente et chef de la direction du Réseau de cellules souches, **Cate Murray**, qui a présenté la voie à suivre pour faire du Canada un chef de file de l'innovation et des soins en matière de TCG.

Par la suite, un panel d'experts a permis un examen plus approfondi des enjeux clés, mettant à l'avant-plan une riche expérience et des perspectives distinctes. Animé par la présidente de LSO, Alison Symington, Ph.D., le panel regroupait les experts suivants :

**Rob Annan, Ph.D.**, président et chef de la direction, Génome Canada

**Stéphanie Michaud, Ph.D.**, présidente et chef de la direction, BioCanRx

**Kim Hanson**, chef des relations externes, Percée DT1

Les participants se sont ensuite réunis en petits groupes de six personnes pour une période de discussions de 70 minutes, suivie de comptes rendus en plénière. L'atelier tournait autour des deux questions suivantes :

**Qu'est-ce qui vous semble le plus prometteur en ce qui concerne les TCG?**

**Que faut-il pour assurer un accès équitable aux TCG au Canada?**

L'événement s'est terminé par un récapitulatif des échanges.



## Sommaire des présentations

Nos experts ont abordé plusieurs thèmes clés servant de cadre à l'atelier qui a suivi.

### Le potentiel des TCG : une occasion à saisir pour le Canada

La conférencière principale, Cate Murray, a exposé les opportunités et les défis pour le Canada : « Nous sommes à l'aube d'une nouvelle ère de la médecine, mais les choix que nous faisons aujourd'hui détermineront comment, et à quelle vitesse, nous mettrons en œuvre des solutions de santé durables et les traitements de demain. » [traduction]

Les panélistes ont souligné le potentiel transformateur des TCG, en mettant l'accent sur l'urgence de fournir des traitements étant donné les besoins non-comblés des patients. Garrett Tone a parlé du travail fait par le gouvernement de l'Ontario et Investissements Ontario pour exploiter les avantages économiques de ces innovations. Cate Murray a établi un lien avec l'histoire des avancées de la recherche canadienne – l'insuline, l'ARNm, le GLP-1, les cellules souches –, en nous exhortant à mener à terme ce que nous avons commencé avec « des thérapies découvertes, développées, produites et mises en œuvre ici, chez nous » [traduction].

### Possibilités

**Recherche et innovation :** Le leadership historique du Canada en matière de thérapies cellulaires et les solides réseaux de recherche établissent une excellente base pour poursuivre l'innovation, tandis que les avancées dans la collecte de données, les capacités analytiques et les outils de précision tels que CRISPR ouvrent la voie à une période florissante en recherche biomédicale.

**Progrès fondé sur les données :** L'intégration d'essais cliniques aux soins courants et les données génomiques à grande échelle peuvent fournir des données probantes réelles cruciales pour la prise de décisions et le développement de thérapies.

**Soins améliorés :** Les TCG ne font pas que traiter des maladies, elles rétablissent la santé grâce à la restauration d'organes et à la régénération de tissus, permettant ainsi à des Canadiens de mieux vieillir tout en transformant et en allégeant le fardeau des systèmes de santé.



## Défis

**Accès et équité :** Les TCG sont souvent concentrées dans des centres urbains limités, ce qui crée des iniquités systémiques, exacerbées par la vaste étendue du territoire canadien. Les TCG sont complexes, et si certaines sont évolutives, d'autres sont conçues sur mesure et produites de manière décentralisée, ce qui fait en sorte qu'il est difficile pour notre système de les rendre disponibles partout tout en maintenant leur standardisation et leur sécurité.

**Évaluation et coûts :** Les thérapies sont considérées comme coûteuses à développer, à acquérir et à fournir, et un manque de données probantes à long terme entrave les décisions d'inscription. Le statu quo reflète un ancien paradigme de médicaments à petites molécules soutenus par les grands fabricants. Les longues négociations de remboursement à l'échelon provincial peuvent significativement retarder l'accès, et les coûts associés à notre système sont prohibitifs pour de nombreux innovateurs canadiens. Cette situation contribue à la diminution des investissements et freine la commercialisation.

**Gouvernance et partage des données :** Des défis persistent en matière de gouvernance des données, de partage sécurisé et de mise en place d'ensembles de données représentatifs pour la recherche et l'utilisation clinique. Le cloisonnement des données dans les provinces restreint davantage l'accès, particulièrement pour les petits territoires de compétence et les régions rurales. L'accent mis par les patients et les instances politiques sur la confidentialité des données rend encore plus complexe le partage des celles-ci.

**Fragmentation des systèmes et des administrations :** Le manque d'alignement des leviers entre les paliers de gouvernement, ainsi que le cloisonnement au sein et entre les provinces, nuit à une action coordonnée.

## Solutions

**Préparation du cadre réglementaire et du système :** Mettre en place des parcours réglementaires simplifiés qui tiennent compte des complexités des TCG, notamment une voie prioritaire pour les TCG canadiennes, tout en préparant le système de santé à la mise en œuvre de ces thérapies. Cela comprend les investissements nécessaires dans les capacités humaines, cliniques et infrastructurelles.

**Réforme des modèles de remboursement :** Mettre l'accent sur la nécessité d'établir des modèles de remboursement fondés sur les résultats qui s'appuient sur des données probantes réelles, assortis de processus simplifiés parallèlement aux autorisations réglementaires. Miser sur des initiatives telles que le programme pilote FAST pour le financement accéléré de traitements spécifiques (en Ontario) et favoriser un environnement plus propice aux essais, aux investissements et à la commercialisation.

**Partage de données amélioré :** Développer des actifs de données à l'échelle du Canada (tels que l'Initiative canadienne de soins de santé de précision de Genome Canada) et intégrer la recherche à la prestation de soins courants afin de générer des données probantes réelles qui serviront à l'établissement de diagnostics et à la détermination de nouvelles thérapies. Ce faisant, gérer les considérations éthiques liées au consentement.

**Collaboration interprovinciale :** S'inspirer de modèles performants (comme la gestion de la COVID-19) dans lesquels on a surmonté des obstacles et instaurer une culture favorisant une action concertée. Celle-ci permettrait d'éliminer la fragmentation et de tirer profit des forces collectives, par exemple grâce à un meilleur partage des données et à une meilleure coordination pour les patients qui traversent les frontières provinciales.

La promesse d'une vie meilleure;  
un moment déterminant pour notre pays

## Ce que nous avons entendu : perspectives issues de l'atelier

## Ce que nous avons entendu des participants

Après les présentations des experts, les participants ont pris part, en petits groupes, à des échanges axés sur les solutions en ce qui a trait aux TCG au Canada. Les perspectives issues de cette séance de travail sont présentées ci-dessous.

### Le potentiel des TCG

Les participants ont imaginé un monde dans lequel il existe un traitement ciblé pour chaque maladie. Ils ont vu une occasion pour le Canada de jouer un rôle de leader mondial, ce qu'ils ont qualifié de moment déterminant pour notre pays. Un large consensus régnait sur le fait que la promesse d'améliorer significativement la vie de milliers de Canadiens constituait l'aspect le plus important.

De nombreux participants ont fait remarquer que ces thérapies potentiellement curatives peuvent s'attaquer efficacement aux maladies plus tôt dans la vie, voire avant l'apparition des symptômes si elles sont associées au dépistage génétique. Ces thérapies représentent un espoir d'une vie meilleure, plus longue et plus épanouie, qui permettrait d'éviter le système de santé ainsi que le fardeau physique, émotionnel et financier qu'un traitement à vie impose aux patients et à leurs proches. Une vie quotidienne moins perturbée, où les patients s'absentent moins du travail ou de l'école et dépendent moins des réseaux de soutien.

Les participants ont également été portés par la possibilité de positionner le Canada comme un chef de file en matière d'innovation mondiale, s'appuyant sur ses solides réseaux de recherche et sa capacité de production croissante. Grâce à des événements comme ce symposium, la conversation est mise à l'avant-plan à un moment où le Canada cherche à stimuler l'innovation locale. Le secteur des TCG peut contribuer à la croissance économique en attirant des investissements et en retenant des talents au pays.

Bon nombre de participants ont fait valoir l'occasion d'apprendre de l'innovation actuelle pour bâtir la révolution des soins de santé de demain. Chaque découverte ouvre de nouvelles pistes d'exploration de thérapies, et les innovateurs mettent tout en œuvre pour développer des solutions prêtes à l'emploi et générer des gains d'efficacité qui contribueront à réduire les coûts et à élargir l'accès.

### Ce qu'il faut faire

#### Planifier la mise en œuvre

La mise en œuvre des TCG est complexe et hautement spécialisée, ce qui veut dire qu'il faut avoir les bonnes ressources et l'expertise clinique en place. Ces besoins ont une incidence sur les budgets gouvernementaux au-delà du coût des remboursements. Le gouvernement doit commencer à réfléchir à la manière de financer et de mettre en œuvre une thérapie bien avant que l'évaluation des technologies de la santé (ETS) soit terminée.

Il importe que les responsables gouvernementaux mobilisent l'industrie rapidement pour obtenir de l'information sur le pipeline, et que d'autres voix importantes soient présentes à la table. Ainsi, un **engagement précoce et structuré des gouvernements et des organismes de réglementation auprès des groupes de patients, des chercheurs, des cliniciens et de l'industrie** est essentiel lorsqu'une TCG est en cours de préparation pour le marché canadien. À l'interne, les décideurs devraient adopter une approche pangouvernementale afin de mieux comprendre les besoins en ressources et les économies potentielles pour le système de santé, ce qui devrait ensuite guider les décisions en matière de remboursement (voir ci-dessous). De plus, le gouvernement pourrait assurer un meilleur suivi des développements et de l'innovation à l'échelle mondiale afin de comprendre les thérapies en développement bien avant que celles-ci ne soient introduites au Canada.

Le fait d'évaluer rapidement les coûts et les avantages de la mise en œuvre d'une thérapie, tout en veillant à ce que les ressources adéquates du système de santé soient en place pour celle-ci, accélérera la prise de décisions et fera en sorte qu'une thérapie puisse être fournie avec succès après son inscription.

### Mettre en place un parcours adapté pour l'évaluation et le remboursement des TCG

Les TCG représentent des investissements majeurs et à long terme qui comportent à la fois un risque élevé et un fort potentiel; cet aspect doit être pris en considération dans l'évaluation et les négociations. Les innovateurs et l'industrie assument des risques et des investissements considérables pour développer des TCG et en faire l'essai.

Bon nombre de ces traitements, par exemple les thérapies sur mesure ou ciblant des maladies et des affections oncologiques rares, ne permettent pas la réalisation d'essais randomisés en raison de la taille de la population ou de questions éthiques, et il n'existe pas de données à long terme sur les résultats en raison de leur nouveauté. Par ailleurs, les processus existants sont orientés vers l'oncologie, même si un nombre croissant de thérapies dans le pipeline ne sont pas oncologiques, certaines visant des maladies chroniques courantes. Les TCG nécessitent beaucoup de ressources, mais elles peuvent entraîner une réduction des coûts à long terme. Comme les gouvernements se concentrent sur des horizons de trois à cinq ans et utilisent des budgets de médicaments distincts des autres budgets de santé, ils ont du mal à saisir les coûts et les avantages à long terme des TCG, ce qui renforce leur tendance à privilégier la certitude budgétaire plutôt que les économies potentielles dans l'avenir.

Globalement, cette complexité contribue à la lenteur du processus décisionnel et retarde l'accès pour les patients dans le besoin. Il est nécessaire d'adopter un autre type d'approche reposant sur des évaluations de valeur différentes et s'appuyant sur des données probantes réelles afin de mieux évaluer la valeur des TCG et de les rendre disponibles plus rapidement aux patients et aux familles qui en ont besoin. Cette approche doit par ailleurs être jumelée à des approches novatrices en matière de remboursement qui reflètent un partage des risques entre les parties.

**Un parcours dédié aux TCG, au-delà du processus d'évaluation complexe actuel, est requis** pour tenir compte des enjeux uniques propres à ces thérapies. Ce parcours doit englober les organismes responsables de l'ETS, les organismes de réglementation du système de santé, l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) et les gestionnaires des régimes publics d'assurance-médicaments. Il doit aussi inclure des **exigences adaptées en matière de données probantes** (par exemple, des essais à bras unique et des données probantes réelles) et des échéanciers. Comme mentionné précédemment, les tables de négociation devraient être élargies pour inclure des intervenants au sein du gouvernement afin de prendre pleinement en compte les coûts de mise en œuvre et les économies ultérieures et ainsi orienter des **ententes fondées sur les résultats**. Le programme FAST récemment annoncé en Ontario constitue un bon modèle à élargir et à reproduire ailleurs.

## Veiller à ce que les patients susceptibles de profiter le plus des thérapies puissent y accéder

Il est dans l'intérêt commun des patients, des cliniciens, du gouvernement et de l'industrie de veiller à ce que les patients les plus susceptibles de profiter des thérapies aient accès à celles-ci. Pour ce faire, il faut adopter une **approche nationale en matière d'accès aux TCG s'appuyant sur une meilleure collaboration interprovinciale**. La complexité de la prestation des TCG limite le nombre de centres pouvant les offrir. Cette limitation assure une qualité supérieure des soins et une expertise clinique, mais complique l'accès et oblige certains patients à déménager ou à parcourir de longues distances pour accéder aux soins, parfois dans une autre province. Un modèle en étoile, intégrant des centres d'excellence et des soins de suivi locaux, doit être établi.

Étant donné les ressources limitées du système de santé, les provinces ayant des centres régionaux fournissant des TCG sont incitées à traiter leurs propres patients d'abord. Pour certaines thérapies qui ont une incidence disproportionnée sur une communauté donnée, une ou deux provinces pourraient assumer la majorité des coûts des soins. De plus, les initiatives provinciales comme le programme FAST profitent à certains Canadiens, mais pas à tous.

Que les patients doivent se déplacer dans leur province ou dans une autre province pour recevoir des TCG, le gouvernement doit leur **fournir des mesures de soutien appropriées**. Ces mesures doivent couvrir l'ensemble de la démarche des patients, y compris les dépenses avant et après une thérapie, inclure du soutien aux familles ou aux aidants s'il y a lieu et être facilement accessibles. L'accès aux soins et la formation des cliniciens sont particulièrement importants dans les régions rurales afin que les patients puissent être ciblés et orientés vers les mesures de soutien appropriées.

**Diverses populations doivent être incluses dans les essais cliniques et les ensembles de données de santé** afin de permettre une meilleure compréhension de la diversité génomique et de l'incidence des thérapies sur différentes communautés. La prise de décisions au sujet des voies d'accès et des patients les plus susceptibles de profiter des thérapies doit également tenir compte du statut socio-économique des patients, de l'appartenance à un groupe privé d'équité, du soutien informel aux aidants naturels et du bien-être mental.

Finalement, les participants ont aussi abordé le potentiel de la production au point de soins et des thérapies prêtes à l'emploi pour progressivement rapprocher les TCG des patients partout au Canada. Ils ont reconnu toutefois les difficultés techniques et financières pouvant retarder la concrétisation de cette possibilité. Pour faciliter l'accès et uniformiser les conditions à l'échelle nationale, certains ont proposé un réseau de centres d'excellence. Ces centres seraient dotés de protocoles harmonisés et d'ententes d'aiguillage interprovinciales, assortis d'un service de navigation centralisé disposant d'un point d'entrée unique et d'une voix politique unifiée.

## Soutenir la sensibilisation et la formation

La **formation clinique** est importante. Les médecins doivent être formés adéquatement (et le Canada doit avoir la bonne combinaison de spécialistes) pour bien diriger les patients vers les TCG et assurer la prestation de celles-ci. Les communautés de pratique peuvent appuyer le partage de connaissances et la mise en place de pratiques exemplaires. De plus, les communications avec les cliniciens doivent particulièrement inclure les prestataires de soins en régions rurales.

Nous devons également accroître les **efforts de sensibilisation et d'information des patients et des aidants** et lutter contre la mésinformation. Ces efforts doivent inclure une formation à l'intention des décideurs et du public sur la valeur des TCG. Les associations de patients à vocation caritative ont un rôle essentiel à jouer; l'industrie et le gouvernement peuvent en faire plus pour les aider afin qu'elles puissent mieux informer leurs patients et les mobiliser. Une attention spéciale doit être accordée aux communautés privées d'équité, plusieurs ayant vécu des expériences difficiles avec le système de soins de santé. De meilleures ressources aideront également les organismes de patients à faire participer leurs communautés plus tôt et plus largement au processus d'ETS.

## Favoriser l'innovation et la production au Canada

Le Canada possède un solide écosystème de recherche, mais il doit être un meilleur endroit où investir dans les technologies de santé émergentes, sans quoi il risque de perdre des talents et de l'innovation au profit de pays plus concurrentiels sur le plan scientifique. **Tous les ordres de gouvernement doivent accroître l'investissement de façon ambitieuse pour soutenir la recherche et la commercialisation des TCG** de manière à contribuer à la croissance de ce secteur en expansion. La simplification des processus d'évaluation et de remboursement contribuera également à cette croissance. Nous favoriserons ainsi la croissance économique tout en conservant et en attirant des talents du monde entier.

Une occasion se présente de **réduire le fardeau administratif qui limite notre aptitude à bâtir notre capacité de production et de recherche au Canada**. Les processus d'autorisation et la bureaucratie ralentissent l'expansion de la production nationale; la réglementation et les exigences doivent être revues et ajustées afin d'éviter d'entraver inutilement la croissance et l'innovation. Le gouvernement devrait explorer d'autres façons de réduire les coûts de production, par exemple en appuyant la mise en place de pratiques exemplaires pouvant contribuer à accroître l'efficacité et la fiabilité.

Enfin, tel qu'abordé par Cate Murray, il y a d'importantes différences entre les thérapies pouvant être produites à grande échelle commerciale et celles à petite échelle. Ces dernières peuvent être difficiles à exploiter et à évaluer. Le Canada doit développer un **parcours national pour les TCG sur mesure au point de soins qui ne bénéficient pas de commanditaires traditionnels au sein de l'industrie**.

## Investir dans des systèmes de partage de données modernes

Le Canada doit **investir dans une meilleure infrastructure de données tout en éliminant les obstacles au partage de celles-ci**. Cela exige une gouvernance réfléchie, attentive aux risques et aux enjeux tels que la cybersécurité, la confidentialité et la souveraineté des données autochtones.

Des données plus robustes et plus transparentes sont à la base de bon nombre des solutions énoncées précédemment. Un flux de données plus continu permettra de mieux déterminer les patients qui bénéficieront davantage des TCG. Une meilleure collecte de données probantes réelles appuiera la recherche et l'innovation au Canada tout en contribuant à guider les décideurs dans l'évaluation des thérapies ainsi qu'à assurer un suivi des résultats une fois les thérapies adoptées.

L'idéal serait une plateforme nationale de données, soit un portail assurant un accès aux patients quel que soit leur lieu de résidence et permettant aux cliniciens de poser des diagnostics, d'inscrire, de suivre et d'accompagner les patients, ce qui aiderait à bâtir et à soutenir des voies d'accès aux TCG pour les patients.

Une autre idée soulevée aux nombreuses tables est la nécessité de créer un **forum national regroupant tous les intervenants clés** (industrie, patients, cliniciens, chercheurs et dirigeants d'hôpitaux) pour dialoguer avec le gouvernement de manière coordonnée. L'expérience des patients doit être au cœur des préoccupations, et les cliniciens ont un rôle important à jouer dans l'analyse des enjeux et des répercussions.



# Appels à l'action

Ensemble, ces thèmes suggèrent les appels à l'action suivants :

## Appel à l'action 1

### Réformer les modèles d'évaluation des technologies de la santé (ETS) et de financement

**Mobiliser les intervenants en amont :** Il faut un engagement précoce et structuré du gouvernement et des organismes de réglementation auprès des groupes de patients, des chercheurs, des cliniciens et de l'industrie lorsqu'une thérapie cellulaire ou génique est en cours de préparation pour le marché canadien. Un délai d'exécution supplémentaire aidera à la mise en place des ressources du système de santé en vue de la mise en œuvre des TCG.

**Créer des parcours dédiés aux TCG :** Créer des voies distinctes et agiles, adaptées aux caractéristiques uniques des TCG, à suivre au sein des organismes d'ETS (Comité canadien d'expertise sur les médicaments [CCEM])/Institut national d'excellence en santé et en services sociaux [INESSS] et lors des négociations de prix (APP), au lieu des cadres actuels conçus pour les produits pharmaceutiques traditionnels. Adopter une approche pangouvernementale afin de comprendre les coûts et les économies à long terme associés aux TCG.

**Établir des exigences adaptées en matière de données probantes :** Accepter et intégrer diverses formes de données probantes, comme des essais à bras unique, des données probantes réelles et des résultats déclarés par les patients, particulièrement dans le cas des maladies rares pour lesquelles des essais cliniques randomisés sont souvent impossibles.

**Mettre en place des ententes fondées sur les résultats :** Structurer des modèles de paiement dans lesquels le coût complet ou une partie importante du paiement dépend de l'atteinte des résultats cliniques prédéfinis de la thérapie pendant une période donnée, de manière à ce que le risque soit partagé entre les fabricants et les payeurs.

## Appel à l'action 2

### Veiller à ce que les patients aient un accès équitable aux thérapies

**Adopter une approche nationale en matière d'accès aux TCG :** Mettre l'accent sur une meilleure collaboration interprovinciale pour s'assurer que les patients ont accès aux TCG peu importe où ils habitent. Cette approche devrait comprendre des soutiens financiers plus solides pour les patients et les familles qui doivent voyager ou déménager afin de recevoir ces thérapies.

**Fournir une formation ciblée aux cliniciens :** Mettre en place une formation spécialisée et des programmes de formation continue à l'intention des professionnels de santé de diverses disciplines afin d'améliorer leur compréhension des indications des TCG, des voies d'aiguillage et du suivi après traitement. Veiller à ce que les prestataires de soins des régions rurales soient inclus dans ces initiatives.

**Soutenir l'éducation des patients :** Créer et diffuser du matériel éducatif clair et accessible à l'intention du grand public, des patients et des aidants afin de contrer la mésinformation, de gérer les attentes et de bâtir la confiance à l'égard des TCG. Mieux soutenir les associations de patients à vocation caritative qui contribuent à la compréhension et à la mobilisation au sein de leurs communautés.

## Appel à l'action 3

### Renforcer la recherche, la production et le partage de données au pays

**Investir pour soutenir la recherche et la commercialisation :** Inclure un financement ciblé et du soutien pour l'établissement et l'expansion d'installations conformes aux bonnes pratiques de fabrication (BPF) au sein des centres médicaux universitaires et des hôpitaux spécialisés, tout en créant un parcours national pour les thérapies dont la commercialisation n'est pas viable.

**Simplifier les processus de réglementation pour les installations :** Réduire les obstacles bureaucratiques et optimiser les processus d'autorisation pour l'établissement et l'exploitation d'installations de recherche et de production de TCG afin d'accélérer la croissance de la capacité.

**Investir dans une meilleure infrastructure de données :** Éliminer les obstacles au partage de données et veiller à ce que les populations diverses soient représentées dans les ensembles de données. Une meilleure infrastructure de données facilitera bon nombre des propositions énoncées précédemment en vue de mieux évaluer la valeur des TCG, de cerner les personnes les plus susceptibles d'en profiter et d'assurer un suivi des résultats pour les patients.



La promesse d'une vie meilleure;  
un moment déterminant pour notre pays

## **Conclusion**

## Conclusion

Le Canada possède une longue tradition d'innovation médicale et une solide infrastructure de recherche, et a maintenant l'occasion de devenir un leader mondial de la prochaine révolution des soins de santé. Grâce à une collaboration judicieuse, à des investissements et à une bonne dose de flexibilité, nous pouvons bâtir l'infrastructure dont nous avons besoin pour déployer les TCG dans notre pays, ainsi que l'expertise et la capacité nécessaires, tout en créant un environnement favorable à l'innovation et à la production dans notre territoire.

Ce projet est déterminant pour notre pays. Son succès mènera à des thérapies révolutionnaires pour des milliers de Canadiens. Le temps est venu de passer à l'action, et nous devons bien faire les choses.





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

## **La promesse d'une vie meilleure; un moment déterminant pour notre pays**

Ce que nous avons entendu au symposium de Toronto  
sur l'accès aux thérapies cellulaires et géniques

Décembre 2025