

**Mémoire prébudgétaire du
Réseau de cellules souches au
Comité permanent des finances
de la Chambre des communes**

D^r Michael Rudnicki, directeur
scientifique de
la médecine du travail et chef de la
direction
Cate Murray, directrice générale et chef
de l'exploitation
Réseau de cellules souches

Le Réseau de cellules souches (RCS) aimerait remercier le Comité permanent des finances de la Chambre des communes de lui avoir donné l'occasion de contribuer au processus budgétaire et d'aborder le thème « *La croissance économique, gage de la compétitivité du Canada* ».

Le RCS recommande que le gouvernement du Canada accorde un financement stable et prévisible au Réseau de cellules souches afin qu'il puisse maintenir ses opérations après le 31 mars 2019.

Introduction

Le hockey est le sport national canadien, et les cellules souches en sont l'équivalent scientifique. Le leadership du Canada en matière de recherche sur les cellules souches remonte au début des années 1960, lorsque le domaine a été défini par les Drs Jim Till et Ernest McCulloch à l'hôpital Princess Margaret de Toronto. Depuis près de 60 ans, les chercheurs canadiens sont à l'avant-garde des efforts internationaux visant à transformer les découvertes en traitements ou en remèdes. Aujourd'hui, c'est un domaine mondial compétitif, les pays de l'OCDE effectuant des investissements stratégiques qui auront

Le Canada parraine de la recherche de pointe et des essais cliniques sur les cellules souches qui ont pour but de

Maladies auto-immunes et insuffisance rénale

Troubles sanguins

Lésion cérébrale

Diabète de type 1

Sclérose en plaques

Arthrose

Septicémie

des retombées positives sur la santé et l'économie à long terme. Le Canada est bien positionné dans cette course mondiale alors que des gains de productivité peuvent être réalisés. Cependant, cela nécessite un engagement soutenu et des investissements dans le domaine de la médecine régénératrice, un secteur émergent et innovant dans l'économie du savoir de notre pays.

L'impératif sanitaire et économique

La recherche sur les cellules souches stimule la médecine régénératrice et offre de l'espoir à des millions de personnes atteintes de maladies chroniques. « L'attrait de la médecine régénératrice réside dans son approche curative, qui consiste à traiter les causes d'une série de conditions en ciblant la réparation des tissus ou des organes eux-mêmes endommagés¹. »

Des pays comme le Japon, le Royaume-Uni et les États-Unis poursuivent activement la recherche et le développement sur les cellules souches dans l'espoir de prendre la tête du peloton dans le monde. Ils reconnaissent que la recherche potentielle sur les cellules souches pourrait permettre de réduire les coûts associés aux maladies chroniques, qu'on chiffre à 190 milliards de dollars chaque année au Canada seulement. En développant et en commercialisant des traitements à l'intérieur de nos frontières, le Canada peut réduire ces coûts tout en stimulant la productivité.

Selon les estimations actuelles, le marché mondial de médecine régénératrice atteindra 66 milliards de dollars d'ici 2022. Il s'agit d'un marché où le Canada est bien placé pour jouer un rôle important, s'il agit délibérément et rapidement. Les

¹ Mettre à profit les forces du Canada en médecine régénératrice, mars 2017, rapport du CAC.

éléments fondamentaux sont déjà en place, y compris une culture scientifique forte et collaborative, des institutions de recherche de classe mondiale, un environnement réglementaire réactif, une main-d'œuvre hautement qualifiée et un environnement d'affaires ouvert. Le défi consiste à maintenir cette base afin que ces bonnes conditions continuent d'exister et à encourager la croissance des entreprises qui s'appuient sur une recherche scientifique de haute qualité.

**Création d'entreprise catalysante de RCS :
ExCellThera**

ExCellThera de Montréal est une entreprise en démarrage canadienne utilisant un protocole d'expansion cellulaire breveté pour fournir de meilleurs résultats aux patients atteints de maladies sanguines. Il a été mis au point grâce à plus de 9 millions de dollars de financement de recherche provenant du RCS entre 2003 et 2018. Récemment, ce soutien a débouché sur des résultats initiaux positifs au premier essai clinique de l'entreprise, ce qui a permis à ExCellThera de connaître du succès sur un marché mondial concurrentiel.

Notre position concurrentielle s'appuie sur une base scientifique solide et la vision de leaders capables de l'acheminer le long du

pipeline translationnel. Les innovations que nous commercialisons en 2018 sont le fruit des travaux menés au cours des trois dernières décennies. Cependant, les nouvelles thérapies et les technologies de rupture qui profiteront à toute la société ne progresseront que si un soutien continu est en place. Un financement stable et prévisible est nécessaire pour permettre à la recherche de passer du « labo au chevet du patient » et de stimuler l'innovation commerciale. Cela ne peut être fait qu'avec les bons outils en place. Le RCS, en tant que *seul* réseau national et organisme donateur pour la recherche sur les cellules souches, a fait ses preuves en faisant passer les découvertes par le pipeline jusqu'à la clinique. Avec ses partenaires de l'industrie, les secteurs de la bienfaisance et de la recherche, le RCS est bien placé pour fournir des thérapies de cellules souches pour des maladies telles que le diabète de type 1, la septicémie, l'insuffisance cardiaque et la dégénérescence rétinienne.

L'écosystème de la médecine régénératrice

Depuis sa création en 2001, le RCS a dirigé et construit la communauté de recherche sur les cellules souches au Canada. L'entreprise a stimulé la croissance des organisations régionales, des réseaux de recherche et des activités qui ont pour but commun d'améliorer la santé et le bien-être économique des Canadiens. Sans le RCS, une approche nationale pour le développement du secteur sera perdue.

Le RCS et ses 17 années de succès font partie du tissu qui constitue l'économie du savoir au Canada, moteur de la croissance au XXI^e siècle. Le RCS a soutenu 169 groupes de recherche canadiens ou 5 000 employés à temps plein hautement qualifiés, investi plus de 100 millions de dollars dans la recherche transformative, mobilisé près de 100 millions de dollars en contributions de partenaires, et catalysé 18 essais cliniques et 17 entreprises en démarrage de biotechnologie. De plus, le RCS a offert de la formation à des milliers de chercheurs en début de carrière partout au Canada. **Aujourd'hui, le RCS a des engagements écrits de 60 millions de dollars de la part de partenaires pour soutenir des projets de recherche à fort potentiel au cours des cinq prochaines années.** Ceci est une indication claire du fort potentiel du domaine et une reconnaissance du rôle de leadership central que joue le RCS dans le secteur de la médecine régénératrice.

La force scientifique du Canada

L'économie du savoir au Canada comprend les meilleurs et les plus brillants chercheurs en médecine régénératrice d'un océan à l'autre. Ils élaborent de nouvelles thérapies au bénéfice des Canadiens et des peuples du monde entier, et ils sont en mesure de le faire parce que le gouvernement du Canada a fourni un financement ciblé pour le RCS. Le RCS est fier d'avoir mis à profit cette initiative pour soutenir le travail de chercheurs de renommée internationale tels que :

La **D^{re} Freda Miller**, biologiste spécialisée dans les cellules souches à l'hôpital SickKids. Ses recherches visent à tirer parti de sa découverte qu'un médicament commun contre le diabète, la méformine, stimule la production de nouvelles cellules cérébrales chez les enfants qui ont subi un traitement contre les tumeurs cérébrales. Le RCS soutient sa recherche pour lancer des essais similaires chez les enfants et les adolescents atteints de sclérose en plaques et de paralysie cérébrale.

La **D^{re} Lucie Germain**, une spécialiste de l'ingénierie tissulaire de l'Université Laval. Le RCS soutient son travail utilisant des cellules souches pour créer des organes et des tissus de remplacement ou reconstruits pour la peau et les yeux. Ses recherches ont donné lieu à deux essais cliniques novateurs au Canada. Le premier utilise de la cornée cultivée en laboratoire pour traiter les déficits des cellules souches dans l'œil. La seconde utilise une peau bicouche reconstruite pour les patients gravement brûlés.

Le **D^r Tim Kieffer** de l'Université de la Colombie-Britannique et le **D^r James Shapiro** de l'Université de l'Alberta ont mis au point des méthodes complémentaires pour remplacer les cellules bêta déficientes du pancréas responsables du diabète de type 1. Les deux approches impliquent l'utilisation d'un dispositif d'encapsulation implanté sous la peau pour fournir une barrière sûre aux cellules de remplacement afin de produire l'insuline nécessaire. Le RCS parraine des essais cliniques pour les deux chercheurs.

Secteur de la biotechnologie régénératrice

Le Canada abrite un secteur commercial florissant dans le domaine de la médecine régénératrice avec des sociétés biotechnologiques actives dans tout le pays. Un grand nombre d'entre elles ont été fondées grâce au travail scientifique de pointe mené par des chercheurs canadiens, et certaines, comme BlueRock Therapeutics, choisissent le Canada comme lieu d'implantation de bureaux à l'échelle mondiale. Cela est dû à la solide réputation et à l'infrastructure scientifique que nous avons mises en place dans ce pays, que le RCS a contribué à promouvoir par le biais de partenariats actifs et de soutien à la

Faire du Canada un aimant pour la biotechnologie

Le soutien du RCS a contribué à faire de Toronto l'un des principaux centres de biotechnologie, avec plus de 75 entreprises de ce type dans la région. En 2016, soutenue par un capital de risque de 225 millions de dollars, BlueRock a établi des bureaux importants à Toronto. D'autres entreprises récentes dans la ville incluent le premier incubateur international JLABS de Johnson & Johnson et les entreprises en démarrage PanCella et Sartorius. Les efforts pancanadiens du RCS ont également semé les graines d'une croissance similaire du secteur à Vancouver, Montréal et Ottawa.

recherche ciblée. Les partenariats de RCS comprennent des entreprises plus importantes telles que STEMCELL Technologies, de Vancouver, un fournisseur international d'outils et de technologies employant plus de 1 000 personnes à l'échelle mondiale, et de plus petites entreprises à la fine pointe de

la technologie telles qu'Aspect Biosystems, une entreprise primée spécialisée dans la bio-impression et l'ingénierie tissulaire.

À l'occasion d'un sommet d'une journée organisé par le RCS en juin 2017, un investisseur en capital de risque du domaine des sciences biologiques a fait remarquer que les investisseurs se tournent de plus en plus vers le Canada pour y trouver de nouvelles possibilités, en raison de notre capacité à faire passer la recherche « du labo au chevet du client » et du cadre compétitif pour des essais cliniques qui font du pays une option d'investissement attrayante.

Le Canada sera bien placé pour être concurrentiel dans cet environnement s'il incube beaucoup plus d'entreprises et de technologies liées aux cellules souches et à la médecine régénératrice, mais seulement s'il existe un écosystème de soutien capable de faire passer la recherche par le pipeline jusqu'à la clinique et au marché. Cet écosystème doit inclure un soutien pour les essais cliniques et la formation pour le personnel hautement qualifié.

Former la main-d'œuvre hautement qualifiée du Canada

La compétitivité future dans une économie de plus en plus fondée sur le savoir dépendra des compétences et de l'expertise de la prochaine génération. Le RCS et ses partenaires offrent une formation spécialisée qui assure que les chercheurs en début de carrière sont bien placés pour faire face à la concurrence dans l'économie du savoir du Canada.

Une étude récente portant sur 10 000 titulaires d'un doctorat a révélé que de plus en plus de titulaires d'un doctorat en sciences biologiques (21 %) trouvaient un emploi dans le secteur privé et que les principaux employeurs se situaient dans les domaines biotechnologique et pharmaceutique. Cette tendance devrait se poursuivre dans le domaine de la médecine régénératrice, car des sociétés telles que STEMCELL Technologies prévoient augmenter leurs effectifs à plus de 3 000 employés (une augmentation de 2 000 personnes) au cours des prochaines années. Les stagiaires en médecine régénératrice possèdent les compétences de pointe essentielles en science, en technologie, en ingénierie et en mathématiques pour innover dans un monde où la science et la technologie sont maintenant dominantes. Depuis 2001, le RCS a offert plus de 7 000 possibilités de formation à environ 2 500 personnes de partout au Canada. Les stagiaires de RCS comme Nika Shakiba et Ben Paylor (voir encadré) font une différence importante aujourd'hui et seront des contributeurs essentiels dans les années à venir. Il est important de noter que sans le RCS en place, une formation avancée et ciblée serait perdue, car aucune autre organisation du secteur n'a de mandat national pour la formation du personnel hautement qualifié.

L'avantage du stagiaire de RCS

Ben Paylor a quitté le milieu universitaire pour le secteur des entreprises après avoir obtenu son doctorat en biologie des cellules souches. Il est un entrepreneur spécialisé en communication scientifique et consultant en affaires. Il attribue à la formation de RCS son exposition à une grande variété de possibilités de résolution de problèmes, à des postes de direction et à un vaste réseau de chercheurs, tous indispensables à son succès actuel.

« C'est en raison de mon expérience de stagiaire de RCS que j'ai pu acquérir des compétences techniques utiles pour travailler dans un laboratoire et établir un réseau de pairs de partout au Canada et à l'étranger avec lesquels je peux collaborer et apprendre. » – Nika Shakiba, ancienne stagiaire de RCS en génie biomédical

Essais cliniques

Les essais cliniques sont une étape essentielle, mais coûteuse sur la voie de la commercialisation. Ils permettent de s'assurer que les nouveaux traitements et les nouvelles thérapies et technologies sont sécuritaires et efficaces avant qu'ils ne soient offerts au grand public. Néanmoins, il existe des obstacles pour les chercheurs universitaires qui veulent poursuivre un essai clinique, y compris le manque de financement et d'expertise dans les essais cliniques de phase précoce, ce qui peut mettre sur la touche des développements prometteurs. Le RCS s'est imposé comme un intermédiaire essentiel en soutenant les chercheurs dans les étapes clés de la recherche translationnelle et en fournissant un financement ciblé pour les essais cliniques en phase précoce.

L'objectif du RCS est de construire une base de soutien pour permettre aux essais cliniques prêts à démarrer d'aller de l'avant, mais aussi de créer un environnement qui aidera à accélérer et à augmenter leur taux de réussite. Ce soutien comprend des prix novateurs et l'accès à des recommandations des responsables de la réglementation, du capital de risque, du remboursement et des patients sur les comités du RCS. Sans ce type d'environnement d'essais cliniques solide, l'avantage clinique concurrentiel du Canada sera entravé et les Canadiens chercheront des soins dans d'autres pays où l'accès à de nouveaux traitements est facilement disponible, mais où les normes de sécurité varient.

Conclusion

Une économie de la connaissance compétitive dépend d'une entreprise scientifique et technologique solide, où les travailleurs hautement qualifiés sont capables de générer les connaissances, les découvertes, les technologies et les autres innovations. Aujourd'hui, il est clair que les investissements stratégiques réalisés par le RCS dans le domaine de la recherche sur les cellules souches et la médecine régénératrice portent leurs fruits.

Le Canada est à un tournant critique. Sans financement stable et prévisible pour la recherche sur les cellules souches, nous devons nous incliner devant des pays plus ambitieux. Ils seront ceux qui captureront la part de marché globale et développeront des technologies de soutien. Ce seront les personnes qui bénéficieront d'abord de nouvelles et meilleures options de soins de santé. Il est maintenant temps de « double la mise » sur les investissements déjà réalisés et de s'engager pour l'avenir de la recherche sur les cellules souches. Le soutien continu du Réseau de cellules souches profitera à l'économie du savoir et à la compétitivité du Canada sur la scène mondiale, tout en améliorant la santé et le bien-être de ses citoyens.