



Professeur Aled Edwards
Directeur général
Consortium de génomique structurale

Le 17 octobre 2018

**Objet : Étude M-132 du Comité permanent de la santé
Note d'information du Consortium en génomique structurale : Recommandations
stratégiques particulières**

Mesdames et messieurs les membres du Comité permanent de la santé,

Lors de notre comparution devant le Comité permanent le 16 octobre 2018, nous avons parlé de la façon dont le Consortium de génomique structurale (CGS) (<https://www.thesgc.org/>) a réussi à utiliser la science ouverte pour accélérer la découverte de médicaments en aval. Son succès est tel qu'il a l'appui d'un grand nombre des plus grandes sociétés pharmaceutiques du monde, qui ont investi plus de 200 millions de dollars dans le CGS depuis sa création. Plus nous avons entrepris des projets de science ouverte, plus les entreprises ont décidé de nous appuyer.

Toutefois, nous devons en faire plus pour créer de nouveaux médicaments *abordables*. Le modèle dominant de la transposition de la science financée par les fonds publics en produits pharmaceutiques commerciaux au Canada et ailleurs repose en grande partie sur les brevets, le secret et les investissements privés à l'appui de la découverte de médicaments. Néanmoins, ce modèle rend très difficile la collaboration à grande échelle et crée plutôt des silos de recherche qui empêchent chacun de connaître les réussites et les échecs des autres, souvent pendant de nombreuses années. Cela provoque une très forte redondance, qui non seulement multiplie les coûts à de nombreuses reprises, mais expose un bien trop grand nombre de participants aux essais cliniques à des risques inutiles. En même temps, le modèle met à l'écart de nombreuses pistes parmi les plus prometteuses en ce qui concerne la découverte et le développement, car elles sont jugées trop risquées ou insuffisamment lucratives. Ce qui en résulte, c'est que chaque dollar investi dans la recherche conduit à la création de moins en moins de médicaments approuvés et que les prix des médicaments qui arrivent sur le marché sont de plus en plus insoutenables.

Pour faire simple, il est évident que des changements sont nécessaires. Nous avons donc expliqué au Comité permanent comment la science ouverte peut aussi produire des résultats en matière de découverte de médicaments, en éliminant les obstacles à la circulation des connaissances et à la collaboration, en évitant les redondances coûteuses, en rassemblant des compétences et des ressources divergentes, en motivant la participation et le financement pour le bien public, et en améliorant la qualité de la science par la transparence.

Pour tracer la voie au Canada, nous avons fondé à la fin de 2017 M4K Pharma Inc. (M4K) (<https://m4kpharma.com/>), un acronyme pour Medicines for Kids, la première société de découverte de médicaments en science ouverte au monde. Nous avons expliqué au Comité permanent comment le

projet M4K a attiré des millions de dollars en financement et en contributions en nature de divers collaborateurs de l'industrie, du milieu universitaire et de philanthropes jusqu'à maintenant. Nous avons également parlé au Comité permanent de la façon dont le projet M4K a déjà cerné un candidat prometteur de médicament de pointe pour un cancer mortel du cerveau chez les enfants appelé gliome pontique intrinsèque diffus (DIPG), grâce à ces contributions.

Nous ne demandons toutefois pas au Comité permanent de simplement nous croire sur parole. Même si nous sommes des chefs de file au Canada, la promesse d'une science ouverte permettant d'offrir efficacement des innovations abordables en santé est de plus en plus reconnue par un grand nombre d'autres intervenants dans le monde. Le National Institutes of Health (NIH) aux États-Unis a récemment lancé un vaste programme de financement pour un consortium ouvert sur la découverte de médicaments pour la maladie d'Alzheimer¹. L'UCL Institute for Innovation and Public Purpose au Royaume-Uni vient de publier un rapport détaillé appelant à la mise en place de nouveaux modèles d'affaires pour transposer la recherche en santé financée par des fonds publics qui reposent sur le partage de connaissances et un engagement pour un tarif abordable². La Bill and Melinda Gates Foundation a organisé l'Open Science Leadership Forum en octobre 2017 à Washington DC, lequel a rassemblé des représentants du CGS, des gouvernements, des agences scientifiques, des organismes de financement, d'organisations philanthropiques, d'associations de patients et des industries pharmaceutiques et biotechnologiques pour discuter de la façon dont la science ouverte peut faire progresser la recherche et l'innovation, et notamment mener au développement de nouveaux produits³. Enfin, en 2016, l'Institut neurologique de Montréal (INM), l'un des plus éminents centres de recherche sur le cerveau au monde, s'est complètement engagé dans la science ouverte afin d'accélérer la découverte de nouvelles thérapies pour traiter les patients atteints de maladies neurologiques⁴.

Recommandations stratégiques

Nous présentons ce mémoire écrit à la suite de notre témoignage afin de présenter des recommandations stratégiques précises au Comité permanent. En quelques mots, ce que nous disons, c'est que le Canada devrait modifier son cadre de financement et de réglementation afin d'offrir des occasions et des mesures incitatives aux entreprises comme M4K Pharma afin qu'elles puissent mettre au point des médicaments en science ouverte ici au Canada. Cela contribuerait à ce que le Canada demeure à l'avant-garde de ce nouveau modèle, qui pourrait offrir des avantages considérables pour la santé humaine.

Voici quatre propositions pour y parvenir :

Premièrement, le Canada devrait s'assurer que les programmes publics qui appuient la transposition des découvertes biomédicales en nouveaux médicaments ne se concentrent pas exclusivement sur les modèles d'affaires exclusifs axés sur la propriété intellectuelle. Il faudrait plutôt créer un espace afin que d'autres modèles de science ouverte soient concurrentiels en regard des possibilités de financement de transposition au Canada.

Deuxièmement, Santé Canada devrait offrir une désignation de « développement ouvert de médicaments » pour inciter les entreprises à adopter un modèle de science ouverte et à s'engager à établir des prix abordables pour les médicaments.

¹ <https://grants.nih.gov/grants/guide/notice-files/NOT-AG-18-025.html>

² UCL Institute for Innovation and Public Purpose (2018), « The people's prescription: Re-imagining health innovation to deliver public value », *Rapport stratégique de l'IIPP*, 2018-10. Londres : IIPP, Global Justice Now, Just Treatment, STOPAIDS, <https://www.ucl.ac.uk/bartlett/public-purpose/wp2018-10>

³ Ali-Khan S.E., Jean A., MacDonald E. et Gold E.R. Defining Success in Open Science [version 2; répondants : 2 approuvés]. INM Ressource ouverte 2018, 2:2 (doi : 10.12688/mniopenres.12780.2).

⁴ <https://www.mcgill.ca/neuro/fr/propos-de-science-ouverte>.

Cette désignation fonctionnerait de la même façon que le statut des médicaments orphelins pour les maladies rares aux États-Unis et dans l'UE, en ce sens qu'elle rendrait les sociétés pharmaceutiques ouvertes admissibles à des mesures incitatives de développement commercialement intéressantes, comme l'aide à la conception d'essais cliniques de Santé Canada, l'exonération des frais de demande de Santé Canada, les crédits d'impôt pour les coûts de développement, l'examen accéléré des produits développés de façon ouverte par Santé Canada et les subventions publiques pour appuyer les essais cliniques ouverts.

Les désignations de médicaments orphelins aux États-Unis et dans l'UE ont entraîné des augmentations spectaculaires du développement de médicaments pour les maladies rares et des homologations de produits dans ces marchés⁵, mais les prix qui en résultent sont exorbitants. Une désignation canadienne de « développement ouvert de médicaments » pourrait également stimuler la création de nouveaux médicaments, mais elle pourrait le faire de façon à garantir leur abordabilité.

Troisièmement, le Canada devrait investir dans l'infrastructure numérique pour la découverte de médicaments en libre accès.

Plus précisément, nous avons besoin d'un référentiel de données ouvertes pour aider les entreprises qui souhaitent partager publiquement leurs données précliniques et cliniques pendant le processus de développement des médicaments, c'est-à-dire avant que leurs demandes réglementaires définitives ne soient présentées à Santé Canada. Comme l'UE l'a déjà fait, Santé Canada met actuellement en œuvre un système obligatoire de diffusion publique des données des essais cliniques après examen réglementaire. Il s'agit d'une initiative louable, mais elle retardera les avantages des données ouvertes pendant des années dans la plupart des cas.

Les entreprises de science ouverte comme M4K Pharma ont besoin d'une infrastructure pour une diffusion volontaire des données beaucoup plus tôt, mais rien n'existe actuellement. Le Canada pourrait ouvrir la voie en la créant. Santé Canada pourrait encourager les entreprises à communiquer leurs données dans ce nouveau référentiel au cours du développement en offrant une période de protection pour les jeux de données déposés. Au cours de cette période, les concurrents ne pourraient pas utiliser les données contenues dans une soumission réglementaire dans le but d'outrepasser la demande de commercialisation du déposant.

Enfin, et le plus important selon nous, Santé Canada devrait offrir une prolongation « science ouverte » du statut de drogue innovante en modifiant l'article C.08.004.1 du *Règlement sur les aliments et drogues*.

Comme nous l'avons décrit au cours de notre témoignage, les médicaments contenant de nouveaux ingrédients actifs, qui sont désignés comme des « drogues innovantes » par Santé Canada, sont admissibles à huit années de protection contre la concurrence des médicaments génériques au Canada (bientôt dix ans pour une catégorie de produits thérapeutiques complexes appelés produits biologiques, grâce à l'AEUMC). Cette période d'exclusivité sur le marché est un puissant incitatif au développement de médicaments qui est complètement distinct de la protection des brevets. De plus, contrairement aux brevets, elle est tout à fait conforme à la science ouverte, ce qui en fait une mesure incitative particulièrement cruciale pour les développeurs de médicaments ouverts comme M4K.

En fait, Santé Canada offre déjà une prolongation de six mois du statut de drogue innovante afin de

⁵ Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (2016), « Médicaments contre les maladies rares : évolution des tendances en matière de réglementation et d'évaluation des technologies de la santé », Ottawa, ACMTS (Analyse de l'environnement; numéro 42), <https://www.cadth.ca/fr/medicaments-contre-les-maladies-rares-evolution-des-tendances-en-matiere-de-reglementation-et>.

créer des mesures incitatives pour les études en pédiatrie en vertu du paragraphe C.08.004.1(3) du *Règlement sur les aliments et drogues*. Nous devrions créer une autre forme de prolongation pour le développement de médicaments en science ouverte, une forme beaucoup plus longue étant donné que les entreprises qui utilisent la science ouverte n'auront pas de protection simultanée des brevets pour empêcher la concurrence. Cette prolongation de l'exclusivité ne devrait être offerte qu'à une entreprise qui peut répondre à trois critères :

1. Elle peut établir qu'elle a déposé ouvertement ses données dans le référentiel de Santé Canada que nous recommandons de créer ci-dessus ou dans une base de données ouverte comparable.
2. Elle atteste qu'elle n'a pas demandé de brevet pour son produit, ce qui la rend inadmissible à l'inscription des brevets au registre des brevets de Santé Canada (qui est un outil important pour les sociétés pharmaceutiques afin de faire respecter leurs brevets).
3. Elle conclut une entente avec Santé Canada sur un prix abordable pour son médicament au Canada, qu'elle devra respecter pour conserver son exclusivité. Un organisme comme l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) pourrait être engagé pour contribuer à établir les échelles de prix appropriées à négocier dans ces ententes.

Les quatre recommandations stratégiques que nous formulons ici ont l'avantage important d'être des programmes volontaires qui laisseraient parfaitement intact le système d'exclusivité actuel fondé sur les brevets. En même temps, ces initiatives pourraient contribuer à orienter certaines ressources du système vers un moyen plus efficace et plus rentable de créer des médicaments abordables, à savoir la science ouverte. Nous pensons que le Canada pourrait en faire l'essai en ciblant d'abord ces mécanismes de financement et d'incitation pour des maladies qui sont actuellement ignorées ou mal desservies par les efforts industriels, par exemple, la neurodégénérescence, les maladies infectieuses, les maladies tropicales, les maladies pédiatriques et les troubles génétiques rares. Lorsque les données s'accumuleront pour appuyer le modèle ouvert, ces initiatives pourraient être élargies.


Nous remercions le Comité permanent de réfléchir à nos recommandations et nous vous invitons à poser toute question complémentaire que les membres du Comité pourraient avoir.

Je vous prie d'agréer l'expression de mes sentiments distingués,



Aled Edwards Ph. D.

Directeur général, CGS
Professeur de biophysique médicale, Université de Toronto
Professeur auxiliaire de neurologie et de neurochirurgie, Université McGill
Professeur invité de biologie chimique, Université d'Oxford



Max Morgan, JD, LL.M.

Directeur des politiques et avocat-conseil
Consortium de génomique structurelle