



Les thérapies cellulaires et géniques : réflexions pour un déploiement optimal

Le développement des thérapies cellulaires et géniques s'est fortement accéléré au cours de la dernière décennie. En agissant sur l'information génétique ou en utilisant des cellules vivantes comme vecteurs thérapeutiques, ces thérapies offrent de nouvelles options pour des pathologies associées à des besoins de santé importants, notamment des maladies rares et des cancers de stades avancés. Leur mode de fabrication les distingue des traitements conventionnels produits en série et visant un traitement symptomatique des maladies. En effet, les thérapies cellulaires et géniques sont souvent produites à la demande et sur mesure et peuvent viser un effet curatif en une seule administration. Ces particularités peuvent entraîner des défis réglementaires, organisationnels et économiques à différentes étapes de leur cycle de vie. Certains pays ont engagé des initiatives visant à mitiger ces défis pour faciliter l'intégration de ces thérapies dans les systèmes de santé.

Cet état des connaissances vise à faire une revue exploratoire de la réglementation, de la production, de la gestion des coûts et des modalités de remboursement des thérapies cellulaires et géniques. Il s'inscrit en continuité avec de [précédents travaux](#) publiés par l'INESSS portant sur les thérapies bispécifiques et les thérapies par lymphocytes T infiltrant la tumeur. Il permettra d'alimenter la réflexion sur la préparation du système de santé québécois à leur intégration, dans un contexte où certaines de ces thérapies ont déjà été introduites, mais où la capacité à accueillir l'ensemble de ces innovations demeure en développement.

La méthodologie est présentée à l'[annexe A](#).

Cet état des connaissances présente :

1

[Aperçu des thérapies
cellulaires et géniques](#)

2

[Expériences internationales](#)

3

[Considérations :
opportunités et défis pour le
Québec](#)

Mots-clés

Thérapie cellulaire et génique, réglementation, production, remboursement, accès, initiatives internationales

FAITS SAILLANTS

La nature rapide des travaux et les faits saillants qui en découlent ne reposent pas sur une revue de la littérature exhaustive ou sur un processus de consultation élaboré.

- Le nombre de thérapies cellulaires et géniques approuvées à l'échelle mondiale, estimé à 87 en 2025, a presque quadruplé au cours des dix dernières années. Le volume élevé d'essais cliniques en cours laisse présager une croissance continue dans les années à venir.
- L'arrivée à grande échelle de ces thérapies exercera une pression sur les soins et les services et sur certaines composantes des systèmes de santé et des services sociaux, avec des impacts potentiels sur l'accès des patients.
- Les défis touchent notamment l'encadrement réglementaire, la fabrication, l'organisation des soins, la priorisation des indications, la disponibilité de l'expertise spécialisée et la capacité financière du système.
- Plusieurs juridictions ont amorcé des transformations structurantes pour répondre à certains défis, offrant des pistes de solutions susceptibles d'inspirer le Québec.
- Le Québec dispose d'atouts en innovation, notamment dans le milieu universitaire, favorable au développement de solutions québécoises en matière de production.
- Une gouvernance coordonnée entre réglementation, production, financement et organisation des soins, apparaît comme un levier central. La mobilisation actuelle des acteurs concernés au Québec et dans d'autres juridictions, les initiatives internationales et celles en cours à Santé Canada, ouvrent une fenêtre d'opportunité stratégique pour agir de manière anticipée.

1 APERÇU DES THÉRAPIES CELLULAIRES ET GÉNIQUES

Les thérapies évoluent progressivement, passant de traitements moléculaires non spécifiques, standardisés pour de grandes populations (p. ex. chimiothérapies, antibiotiques, hormones synthétiques ou antiviraux), à des interventions plus ciblées (p. ex. immunothérapie) et, plus récemment, vers des thérapies cellulaires et géniques qui peuvent être personnalisées pour chaque patient.

Bien que les définitions et les critères de classification des thérapies cellulaires et géniques puissent présenter certaines nuances selon les sources consultées, leurs principes biologiques et cliniques sous-jacents demeurent communs (OMS, 2023). Dans ce contexte, les définitions retenues pour cet état des connaissances sont les suivantes (Chancellor *et al.*, 2023; GroupeactionTCG, 2025b) :

- Thérapie cellulaire : consiste à transplanter des cellules vivantes du patient (autologue) ou d'un donneur sain (allogénique) pour remplacer ou réparer des tissus endommagés, ou moduler des fonctions biologiques pour traiter une maladie (p. ex. transplantation de cellules souches hématopoïétiques, de lymphocytes T infiltrant les tumeurs ou de feuillets de peau produits *in vitro*).

- Thérapie génique : consiste à introduire de l'ADN, parfois à l'aide de vecteurs viraux, dans les cellules du patient pour modifier l'expression d'un gène, pour corriger une anomalie génétique ou pour conférer une nouvelle fonction thérapeutique. Les thérapies de type ARN (p. ex. ARN interférents, oligonucléotides antisens) ne sont pas incluses dans cette définition.

Les thérapies cellulaires s'inscrivent dans la continuité du principe des greffes qui consiste à utiliser des cellules humaines pour traiter une maladie. Toutefois, elles s'en distinguent par l'ajout de manipulations génétiques, pharmacologiques ou technologiques qui modifient les capacités des cellules et leurs mécanismes d'action (Chancellor *et al.*, 2023; OMS, 2023).

Plusieurs thérapies cellulaires et géniques, incluant les thérapies par cellules T à récepteur antigénique chimérique (*chimeric antigen receptor*, CAR), combinent une approche à la fois cellulaire et génique dans laquelle les cellules sont extraites du patient, modifiées génétiquement en laboratoire puis réadministrées au patient (Holland *et al.*, 2024).

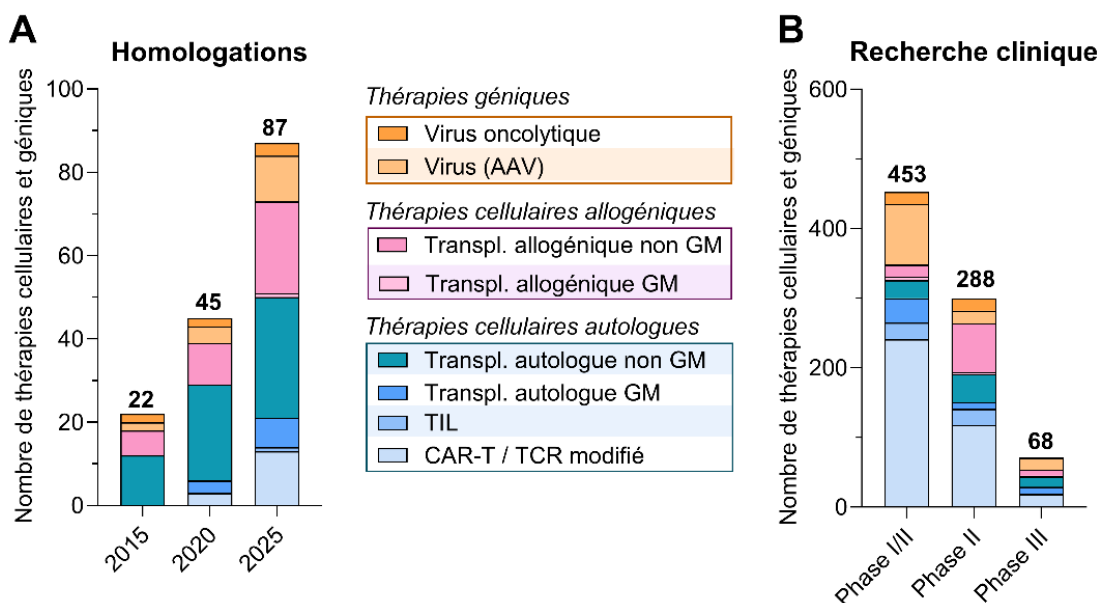
Le présent document fournit des éléments concernant la réglementation, la production, la gestion des coûts et le remboursement des thérapies cellulaires et géniques. Toutefois, les informations retenues et les considérations présentées à travers le document ne s'appliquent pas systématiquement aux deux types de thérapies et peuvent varier selon les cas.

1.1 Le cycle de vie des thérapies cellulaires et géniques

1.1.1 Recherche et développement

Le nombre de thérapies cellulaires et géniques approuvées à l'échelle mondiale a été multiplié par 4 au cours de la dernière décennie ([Figure 1A](#)) (ASGCT, 2026; ISCGT, 2025). Cette tendance à la hausse devrait se poursuivre dans les prochaines années aux vues du nombre élevé d'essais cliniques en cours ([Figure 1B](#)). Les thérapies cellulaires et géniques actuellement approuvées sont indiquées dans un large éventail de pathologies souvent associé à un besoin de santé important. Celles-ci incluent des maladies rares ou ultra-rares, des cancers hématologiques ou des tumeurs solides récurrentes, ou des conditions nécessitant la réparation de tissus lésés par une maladie dégénérative, chronique ou à la suite d'un trauma.

Figure 1 Thérapies cellulaires et géniques homologuées et en recherche clinique



Sources : thérapies cellulaires et géniques homologuées dans le monde [ASGCT, 2026; ISCGT, 2025] et en phase active de développement clinique (clinical.trial.gov en date de décembre 2025). Abréviations : AAV : adénovirus associé (*adeno-associated virus*); CAR : récepteur antigénique chimérique (*chimeric antigen receptor*); GM: génétiquement modifié; TIL : lymphocyte infiltrant la tumeur (*tumor infiltrating lymphocyte*); TCR : récepteur des lymphocytes T (*T-cell receptor*).

Au Québec, une expertise en recherche et développement des thérapies cellulaires et géniques s’est consolidée au cours des dernières années au sein de plusieurs centres de recherche (Delisle *et al.*, 2025). Dans ce contexte, le réseau [ThéCell](#) exerce un rôle structurant en matière de recherche translationnelle et de mobilisation de l’écosystème. À l’échelle nationale, [BioCanRx](#) contribue également à cet effort, notamment en finançant et en soutenant la recherche, la formation et le développement de plateformes de production en immunothérapie. Par ailleurs, la stratégie québécoise des sciences de la vie (2025-2028) contribue à attirer les investissements de l’industrie pharmaceutique et à soutenir le déploiement d’essais cliniques, comme en témoigne le [Registre public des essais cliniques du Québec](#) (Gouvernement du Québec, 2025).

1.1.2 Encadrement réglementaire

Au Québec, comme ailleurs au Canada, les thérapies cellulaires et géniques sont habituellement réglementées en tant que drogues ([matériel d’origine biologique](#)) et les 3 règlements qui peuvent s’appliquer sont alors : le règlement sur les aliments et drogues ([RAD](#)), le règlement sur les cellules, tissus et organes ([CTO](#)) et le règlement sur les instruments médicaux ([RIM](#)).

Santé Canada a modifié en 2019 la *Loi sur les aliments et drogues* pour permettre, à terme, un nouveau cadre pour les produits thérapeutiques innovants ([PTI](#)). Ce cadre n’est pas encore opérationnel, mais [un plan](#) de modernisation de la réglementation des essais cliniques est en cours. L’agence annonce sur son site vouloir accompagner les innovateurs avec un « [service de guide-expert](#) » spécialisé pour les thérapies cellulaires et géniques. Des lignes directrices sur la gestion [des présentations et des demandes de drogues](#) et pour l’utilisation des thérapies [dans des essais cliniques](#) font partie des outils d’accompagnements actuels offerts par Santé Canada pour guider les innovateurs.

1.1.3 Remboursement et accès

Les données probantes soumises à l'INESSS pour l'évaluation de la valeur thérapeutique des thérapies cellulaires et géniques ont fréquemment un caractère exploratoire et sont empreintes d'incertitudes quant à leur efficacité et à leur innocuité à long terme (Jadlowsky *et al.*, 2025). Cette incertitude entourant la durabilité des bénéfices cliniques (potentiel curatif) peut par ailleurs complexifier l'analyse de leur efficience. Dans ce contexte, et conjuguée au prix unitaire élevé de ces traitements, souvent administrés en dose unique, les recommandations de remboursement sont souvent assorties de conditions d'accès strictes, de suivis prolongés et de mesures visant à atténuer le fardeau économique.

Au Québec, 6 thérapies cellulaires et géniques commerciales sont actuellement inscrites aux Listes des médicaments couverts par le régime de l'assurance maladie du Québec (RAMQ). Depuis 2015, 11 thérapies cellulaires et géniques ont été évaluées par l'INESSS, et 9 ont reçu un avis favorable pour le remboursement ([Tableau 1](#)).

Tableau 1 Thérapies cellulaires et géniques évaluées par l'INESSS

Nom commercial	Dénomination commune	Indications	Recommandation de l'INESSS [#] (date)	Date inscription
Thérapies géniques – virus AAV				
Luxturna	Voretigene neparvovec	Dystrophie rétinienne	Inscrire (12/2020)	10/2022
Zolgensma	Onasemnogene abeparvovec	Amyotrophie spinale 5q	Inscrire (01/2021)	10/2021
Hemgenix	Etranacogene dezaparvovec	Hémophilie B	Refus VT (07/2024) En cours	s.o.
Beqvez	Fidanacogene elaparvovec	Hémophilie B	Refus VT (06/2024)	s.o.
Thérapies cellulaires – thérapies par cellules CAR-T				
Kymriah	Tisagenlecleucel	LGCB, LLA	Inscrire (01/2019)	09/2019
Yescarta	Axicabtagene ciloleucel	LGCB	Inscrire (08/2019)	12/2020
		LF	Refus (12/2023)	09/2024
Tecartus	Brexucabtagene autoleucel	LCM LLA	Inscrire (07/2021) Inscrire (08/2023)	12/2022 12/2023
Breyanzi	Lisocabtagene maraleucel	LGCB	Inscrire (06/2022)	08/2024
Abecma	Idecabtagene vicleucel	MMRR	Refus (09/2021) Inscrire (11/2023)	En sursis
Carvykti	Idecabtagene vicleucel	MMRR	Inscrire (11/2023)	En sursis
Thérapies cellulaires – transplantation de cellules autologues génétiquement modifiées				
Casgevy	Exagamglogene autotemcel	Anémie falciforme Béta-thalassémie	Inscrire (12/2024)	En sursis

Abréviations : LLA : leucémie lymphoblastique aiguë ; LGCB : lymphome à grande cellule B ; LCM : lymphome des cellules du manteau ; LF : lymphome folliculaire, MMRR : myélome multiple réfractaire récidivant ; S.O. : sans objet ; VT : valeur thérapeutique.

[#] Toutes les recommandations favorables de l'INESSS pour les thérapies cellulaires et géniques listées dans ce tableau sont assorties de conditions incluant la réduction du fardeau économique et la désignation de médicament d'exception.

[°] les thérapies listées dans le tableau sont inscrites sur la Liste des médicaments fournis en établissement seulement.

† Retiré de la Liste des médicaments fournis en établissement et de la Liste générale en mai et août 2025, respectivement.

1.1.4 Déploiement

La logistique nécessaire au déploiement des thérapies cellulaires et géniques peut varier selon leur nature (cellulaire ou génique). Elle ne se limite pas à la mise à disposition du traitement dans les circuits conventionnels du médicament, tels que les réseaux de pharmacie d'établissement. Dans le cas des thérapies cellulaires autologues, le patient occupe une place centrale tout au long de la trajectoire thérapeutique puisqu'il n'est pas seulement le bénéficiaire du traitement, mais en constitue également le point de départ.

Au Québec, le déploiement des thérapies par cellules CAR-T commerciales se traduit actuellement par un va-et-vient transfrontalier des échantillons des patients entre les 4 centres hospitaliers¹ désignés pour le prélèvement et l'administration de ces thérapies (3 à Montréal et 1 à Québec) et le centre de production situé aux États-Unis. Au total, le délai entre le prélèvement et l'administration du traitement au patient (aussi appelé délai veine à veine) est d'environ 6 semaines². Pour d'autres thérapies cellulaires, telles que la transplantation de cellules souches autologues ou les greffes de peau, l'ensemble du processus de fabrication (prélèvement, multiplication des cellules, contrôle qualité et réinjection au patient) peut être réalisé au Québec. Plusieurs établissements hospitaliers disposent de salles blanches (p. ex. [Santé Québec – CHU de Québec – Université Laval](#), [hôpital de l'Enfant-Jésus](#), [hôpital général Juif](#), [hôpital Sainte-Justine](#), [Santé Québec – Centre hospitalier de l'Université de Montréal](#)), permettant une manipulation de cellules ou tissus humains pour des fins thérapeutiques.

Depuis 2024, le [C3i](#), composante commerciale du centre d'excellence en thérapie cellulaire ([CETC](#)), combine des salles blanches certifiées selon les bonnes pratiques de fabrication (BPF) et une autorisation de Santé Canada pour la production commerciale de thérapies cellulaires et géniques. Ses installations sont également conformes aux exigences réglementaires de l'agence européenne des médicaments. Selon des personnes consultées, la production de vecteurs viraux est réalisée à petite échelle, avec une augmentation de capacité prévue en 2026 dans le cadre d'un agrandissement et de la création d'une unité spécialisée en thérapie génique.

Le gouvernement du Québec a lancé plusieurs initiatives pour accroître la production locale de médicaments, notamment la création de [Médicament Québec](#) en 2021, et vise dans sa stratégie des sciences de la vie (2025-2028) à mobiliser d'ici 2028 des investissements privés pour renforcer les capacités québécoises, en particulier en thérapies personnalisées et en médicaments essentiels (Gouvernement du Québec, 2025). En oncologie, le Québec dispose d'une structure organisée, avec plusieurs comités nationaux et locaux qui priorisent les patients et améliorent le diagnostic et le traitement (MSSS, 2017; MSSS, 2023a). Dans le domaine des maladies rares, certains comités ou regroupements existent également (MSSS, 2023b). Ces deux écosystèmes, qui reposent sur des expertises spécialisées et des instances de concertation distinctes, seront appelés à être mobilisés afin de prioriser les thérapies cellulaires et géniques, de collaborer et de partager les ressources dans une approche globale.

¹ Site du gouvernement du Québec : <https://www.quebec.ca/sante/problemes-de-sante/cancer/therapie-immunocellulaire-car-t-cell-contre-les-cancers-hematologiques>

² Description des étapes du protocole de la thérapie par cellules CAR-T disponible sur le site de Lymphome Canada : CAR-T Protocol Overview et sur le site de Santé Québec – CHU de Québec – Université Laval : <https://www.chudequebec.ca/chudequebec.ca/files/93/933aaf97-1c6e-4a49-b8d8-333946c2ecc7.pdf>

2 EXPÉRIENCES INTERNATIONALES

Le déploiement des thérapies cellulaires et géniques s'accompagne de besoins d'adaptations des systèmes de santé à plusieurs niveaux, notamment sur les plans réglementaires, de la production, de la gestion des coûts et des modalités de remboursement. Des initiatives internationales repérées dans la littérature décrivent certaines stratégies mises en place pour encadrer ou optimiser leur déploiement.

2.1 Les cadres réglementaires

Les cadres réglementaires applicables aux thérapies cellulaires et géniques diffèrent entre les juridictions (IPRP, 2025; CDA-AMC, 2018). Certaines, comme l'Union européenne, disposent depuis 2007 d'un cadre dédié aux médicaments de thérapies innovantes (règlement (CE) no 1394/2007). D'autres sont en pleine transformation, à l'image du Royaume-Uni qui a récemment adopté un cadre réglementaire permettant la fabrication décentralisée au point de soins (*Point-of-care*, POC), ou des États-Unis et de la Chine, dont les approches évoluent de manière continue (Shi *et al.*, 2024). Bien que fondés sur des principes communs liés au risque et aux données cliniques, ces cadres peuvent se distinguer notamment par la classification des produits et par l'existence de voies d'autorisation accélérées ou adaptées (Ausali, 2026).

2.1.1 Des méthodes de classification variables selon les pays

Le mode de classification des thérapies cellulaires et géniques varie selon les pays (IPRP, 2025). Certaines juridictions utilisent des catégories définies dans leur règlement, comme l'[Union européenne](#) avec les médicaments de thérapie innovantes, tandis que d'autres s'appuient sur des critères de risque, comme [Singapour](#), ou sur le degré de manipulation et l'usage prévu, comme les [États-Unis](#) ou le [Japon](#) (Tan *et al.*, 2025).

Certaines autorités réglementaires rendent, par ailleurs, leurs décisions de classification accessibles au public. Par exemple, en Europe, l'European Medicines Agency ([EMA](#)) publie les rapports de classification des thérapies. Au Japon et aux États-Unis, le Pharmaceuticals and Medical Devices Agency ([PMDA](#)) et la Food and Drug Administration ([FDA](#)), respectivement, diffusent également leurs listes de thérapies approuvées. Certaines agences, comme la Health Sciences Authority ([HSA](#)) à Singapour, offrent des outils en ligne pour aider les innovateurs à déterminer la catégorie applicable à leur produit.

2.1.2 Des voies réglementaires adaptées aux thérapies individualisées ou ciblant des maladies rares

Il n'existe pas de définition harmonisée d'une maladie rare. Au Canada et dans l'Union européenne, une maladie rare est généralement définie comme touchant moins d'une personne sur 2 000, tandis qu'aux États-Unis, elle concerne moins de 200 000 personnes (Gouvernement du Canada, 2021; The Lancet Global Health, 2024). La prise en charge des maladies rares est souvent limitée par le manque de thérapies, lié notamment au faible nombre de patients et à un intérêt commercial restreint (Chaudhary, 2025). Les [médicaments orphelins](#) désignent ainsi des traitements destinés aux maladies rares et peuvent bénéficier de mesures réglementaires incitatives visant à rendre leur développement économiquement viable.

En février 2026, la FDA a publié un projet de lignes directrices ([Plausible Mechanism Framework](#)) pour faciliter l'approbation de thérapies individualisées (gène unique, mutation unique, maladie ultra-rare), lorsque peu de données cliniques, provenant d'un petit nombre de patients, sont disponibles pour appuyer l'innocuité ou l'efficacité du traitement.

En Europe et aux États-Unis, l'obtention d'une désignation de médicament orphelin en amont du processus réglementaire permet aux thérapies cellulaires et géniques de bénéficier de voies d'examens accélérées et de modalités d'accompagnement avec les agences réglementaires (Ausali, 2026; Foba *et al.*; Tandulje *et al.*, 2025). Près de 74 % des 27 médicaments de thérapie innovante approuvés par l'EMA ont reçu un statut de [médicament orphelin](#) et 52 % ont bénéficié de la voie accélérée PRiority MEDicines (PRIME) (Alaburde *et al.*, 2025).

2.1.3 Une soumission réglementaire pour des thérapies ciblant différentes maladies et utilisant une même plateforme technologique

En 2024, la FDA a publié une version préliminaire de lignes directrices visant à mettre en place un programme de désignation de plateformes technologiques ([Platform Technology Designation Program](#)). Ce programme a pour objectif de permettre la réutilisation de données et de procédés déjà validés dans le cadre d'un médicament approuvé, afin d'accélérer le développement de produits ultérieurs utilisant la même technologie (p. ex. CRISPR) (Barrett *et al.*, 2025).

2.1.4 Un cadre réglementaire qui distingue les voies d'accès clinique à celles de mise en marché

Depuis 2017, en Chine, la National Medical Products Administration (NMPA) a mis en place un cadre réglementaire à double voie pour les thérapies cellulaires, favorisant le développement à la fois des essais initiés par les chercheurs (*investigator-initiated trials*) et des essais commandités par l'industrie (*industry-sponsored trials*) (Du *et al.*, 2024). Ce système conduit à une prédominance des essais initiés par les chercheurs, qui représentent aujourd'hui la majorité des essais chinois en thérapies cellulaires et géniques. Il constitue un levier structurant de génération de données cliniques et de développement de l'expertise hospitalière (Shi *et al.*, 2024).

2.2 La tendance vers un modèle de production en milieu universitaire

Dans plusieurs pays, les centres hospitaliers universitaires constituent souvent le point de départ du développement des thérapies cellulaires et géniques, en particulier pour des indications rares ou peu attractives pour l'industrie pharmaceutique (von der Leyen *et al.*, 2025). Certaines thérapies, comme les thérapies par cellules CAR-T, initialement développées en milieu universitaire, sont ensuite reprises par l'industrie pharmaceutique pour leur développement clinique, leur autorisation réglementaire et leur déploiement à grande échelle (Urbano-Ispizua *et al.*, 2024).

Une tendance croissante vers des modèles de production au point de soins (*point-of-care*, PoC) se dessine. Dans certains pays, cette évolution est soutenue par l'adaptation des cadres réglementaires et par la mise en place de structures de coordination et de plateformes technologiques partagées (Olesti *et al.*, 2024; von der Leyen *et al.*, 2025).

2.2.1 Des voies réglementaires pour encadrer la production au point de soin

Les deux exemples présentés ci-dessous illustrent des évolutions réglementaires.

- Au sein de l'Union européenne, le régime d'exemption hospitalière autorise, à titre exceptionnel, la fabrication non industrielle de médicaments de thérapie innovante au niveau national, en dehors de la procédure centralisée de l'EMA, pour des produits préparés de façon ponctuelle et destinés à des patients identifiés ([Article 28](#), Règlement (CE) no 1394/2007). L'hôpital Clinic-IDIBAPS de Barcelone est un exemple de production entièrement universitaire de thérapies par cellules CAR-T sous exemption hospitalière (Juan *et al.*, 2021; Oliver-Caldes *et al.*, 2023; Ortiz-Maldonado *et al.*, 2021; Perez-Amill *et al.*, 2021; Urbano-Ispizua *et al.*, 2024).
- Au Royaume-Uni, la MHRA a récemment introduit un [cadre réglementaire](#), autorisant la fabrication de traitements médicaux personnalisés au point de soin – à l'hôpital, en clinique ou à domicile – selon un modèle « [hub and spokes](#) » (von der Leyen *et al.*, 2025). Le site de contrôle (*hub*) assure la coordination réglementaire et la supervision de la conformité. Les sites (*spokes*), principalement des hôpitaux du NHS et, dans certains cas, des unités de fabrication externes ou mobiles, réalisent la production et l'administration. Selon ce cadre, une demande de fabrication au point de soin peut être évaluée en 60 jours (Mahase, 2025).

Certaines évolutions réglementaires ont également concerné des thérapies produites de longue date en milieu hospitalier, reclassées comme médicaments de thérapie innovante. En France, par exemple, avant l'adoption du règlement européen de 2007, des thérapies cellulaires étaient déjà fabriquées et utilisées à petite échelle au sein d'établissements de santé ou de structures publiques spécialisées. Leur requalification en médicaments de thérapie innovante a entraîné l'application d'exigences réglementaires renforcées en matière de production, de contrôle et de distribution, tout en maintenant leur fabrication au sein de ces structures (Chabannon, 2014).

2.2.2 Mutualisation des expertises pour soutenir la production en milieu universitaire des thérapies cellulaires et géniques

Une tendance croissante à la mutualisation des expertises vise à renforcer la capacité, le développement et la production universitaire de thérapies cellulaires et géniques (Mackall *et al.*, 2024; von der Leyen *et al.*, 2025).

Des réseaux et consortiums d'acteurs visent à faciliter le partage des connaissances et des expertises scientifiques et l'alignement des pratiques (Fox et Booth, 2024). Les initiatives telles qu'Access to Gene Therapies for Rare Diseases ([AGORA](#)), le Consortium AMP Bespoke Gene Therapy ([AMP-BGTC](#)) ou l'European consortium for communicating Gene and Cell Therapy information ([EuroGCT](#)) sont des exemples (Brooks *et al.*, 2024).

À un niveau plus opérationnel, certaines initiatives ciblent le partage de savoir-faire technologique, notamment autour de plateformes de production de vecteurs, telles que le programme pilote *Platform Vector Gene Therapy* ([PaVe-GT](#)) du National Institutes of Health (NIH). Des infrastructures de production peuvent également être mutualisées afin d'augmenter les capacités disponibles et de réduire les coûts. Le [centre GMP d'ETH Zurich](#) en Suisse et [NECSTGEN](#) aux Pays-Bas sont des exemples.

Dans certains pays, ces formes de mutualisation évoluent vers des initiatives plus intégrées à l'échelle du territoire, combinant activités de coordination nationale, harmonisation des pratiques et partage d'infrastructures. Le Dutch Infrastructure for Cancer-specific Advanced Therapy Medicinal Products Research ([DARE-NL](#)) aux Pays-Bas et le Cell and Gene Therapy [Catapult](#) au Royaume-Uni sont des exemples.

2.2.3 Mise en place d'une gouvernance pour structurer la filière des thérapies cellulaires et géniques

Afin de réduire la fragmentation entre la recherche, la production, le cadre réglementaire et l'accès aux soins, certains pays ont mis en place des dispositifs de gouvernance nationale dédiés à la structuration de la filière des thérapies cellulaires et géniques. Ces initiatives visent à dépasser des formes de mutualisation dispersées en assurant une coordination centralisée, une vision d'ensemble du cycle de vie de ces thérapies innovantes et une capacité d'orientation stratégique à long terme.

Par exemple, l'Allemagne a déployé une [stratégie nationale](#) pour les thérapies géniques et cellulaires axée sur huit domaines d'action : mise en réseau, formation, transfert de technologie, normes réglementaires, qualité de production, recherche, autorisation de mise sur le marché et interaction avec la société. Dans le cadre du plan [France 2030](#), la France a mis en place une gouvernance nationale de l'innovation en santé, au sein de laquelle les thérapies géniques constituent un axe stratégique prioritaire. Cette gouvernance s'appuie sur des dispositifs opérationnels dédiés, tels que les « bioclusters³ », dont [GenoTher](#) pour les thérapies géniques qui assurent la coordination des acteurs et bénéficie d'un financement de l'État pluriannuel.

2.3 La gestion des coûts et du remboursement

2.3.1 Documenter les coûts de production en milieu universitaire

Dans le domaine des thérapies par cellules CAR-T, certaines productions en milieu universitaire ont fait l'objet d'études visant à documenter les coûts réels de fabrication, généralement centrées sur les coûts directs de production (Olesti *et al.*, 2025; Urbano-Ispizua *et al.*, 2024). Les résultats disponibles suggèrent que ce modèle de fabrication peut être associé à des coûts inférieurs à ceux observés dans les modèles industriels pharmaceutiques. À titre d'exemple, Ran *et al.* (2020) ont analysé les coûts directs de fabrication de thérapies par cellules CAR-T en milieu universitaire, incluant le personnel, les consommables, les contrôles de qualité et les infrastructures, et ont démontré que l'automatisation des procédés et l'augmentation de la capacité de production pouvaient réduire significativement le coût unitaire par lot (Ran *et al.*, 2020).

La thérapie par cellules CAR-T entièrement universitaire développée aux Pays-Bas par le centre de thérapie cellulaire de Groninger ([CTCG](#)), fait actuellement l'objet d'une [étude pivot](#) de non-infériorité par rapport à une thérapie par cellules CAR-T commerciales, avec un volet spécifiquement dédié à la génération de données comparatives sur les coûts de production, les

³ Selon le plan France 2030 : « un biocluster est un écosystème d'innovation regroupant laboratoires, centres de recherche, centres de soins et entreprises travaillant dans le domaine de la santé, qui travaillent ensemble autour d'une thématique porteuse d'innovation de rupture », disponible sur ce site : [La recherche biomédicale - Expérience 3D France 2030](#).

délais veine à veine et les implications organisationnelles. L'ensemble des résultats n'est pas encore disponible.

Par ailleurs, la littérature souligne que les principaux facteurs de coûts élevés en production universitaire demeurent les contrôles de qualité et la fabrication des vecteurs viraux (Lopes, 2020; Ran *et al.*, 2020). La disponibilité limitée des vecteurs viraux peut également constituer un goulot d'étranglement (Masri, 2019).

2.3.2 Les données de vie réelle comme sources de données probantes pour les décisions de remboursement

Face aux coûts élevés des thérapies cellulaires et géniques issues du secteur pharmaceutique, certaines juridictions ont mis en place des mécanismes de remboursement conditionnel reposant sur la collecte continue de données probantes en contexte réel, afin de gérer les incertitudes cliniques et économiques associées à ces traitements tout en facilitant l'accès des patients.

Ces mécanismes peuvent notamment prendre la forme d'ententes de remboursement fondées sur l'atteinte de résultats cliniques ou sur la génération de données de vie réelle en vue d'une réévaluation subséquente, contribuant à un partage du risque économique entre les payeurs et les fabricants, ainsi qu'à une réduction des délais d'accès pour les patients (Hwang *et al.*, 2025; Ten Ham *et al.*, 2022).

Dans plusieurs pays européens, cette approche s'appuie sur la mise en place de registres nationaux dédiés aux thérapies cellulaires et géniques, permettant la collecte systématique de données cliniques en vie réelle utilisées pour soutenir les négociations relatives aux coûts et aux modalités de remboursement (MNC, 2023). Il est estimé que 53 % des mesures post-autorisations associées aux médicaments de thérapies innovantes en Europe reposent sur des registres, qui constituent une source majeure de données longitudinales pour le suivi, la réévaluation et l'ajustement des décisions de remboursement (Almeida *et al.*, 2025).

Au Japon, les thérapies régénératives peuvent obtenir une autorisation de mise en marché conditionnelle et limitée dans le temps, sous réserve de la collecte continue de données de vie réelle visant à confirmer l'efficacité et la sécurité à long terme (Ausali, 2026).

En parallèle, certains pays se sont dotés de mécanismes de financement transitoire, tels que des fonds gouvernementaux dédiés aux thérapies innovantes, permettant un remboursement temporaire en attendant la disponibilité de données supplémentaires issues de la pratique clinique (AIFA, 2025; NHS, 2026).

3 CONSIDÉRATIONS : OPPORTUNITÉS ET DÉFIS POUR LE QUÉBEC

Les considérations présentées découlent de la mobilisation et de l'intégration des données de la littérature scientifique et grise et d'information contextuelle et expérientielle issue de la consultation d'informateurs clés. Elles visent à alimenter la réflexion sur le niveau de préparation du système de santé au déploiement des thérapies cellulaires et géniques innovantes, dans un contexte où certaines de ces thérapies ont déjà été introduites et que d'autres sont à venir, offrant des opportunités thérapeutiques supplémentaires, mais que les capacités actuelles d'intégration demeurent limitées.

3.1 Un accès aux thérapies cellulaires et géniques

Promouvoir la production québécoise. Selon la littérature et les personnes consultées, une dépendance exclusive à l'industrie pharmaceutique pour la production et la distribution des thérapies cellulaires et géniques peut limiter leur accès, notamment en raison de leurs coûts élevés et du faible intérêt commercial associé à certaines indications (Delisle *et al.*, 2025; GroupeactionTCG, 2025a). En effet, selon les personnes consultées, des thérapies prometteuses conçues au Québec peinent à franchir le passage du laboratoire à une mise en œuvre clinique ou productive, notamment en raison de freins liés au financement, à l'accès aux infrastructures certifiées et aux exigences réglementaires (Rouce et Grilley, 2025; von der Leyen *et al.*, 2025).

Une répartition équilibrée des ressources. Si les premières thérapies cellulaires et géniques ont principalement ciblé des cancers, les avancées en édition génique, en technologies de pointe et en thérapies personnalisées élargissent désormais leur champ d'application à de nombreuses maladies, dont plusieurs maladies rares. Les personnes consultées soulignent ainsi la nécessité d'une mutualisation des ressources matérielles, humaines et financières entre plusieurs disciplines cliniques, au-delà de l'oncologie, où ces mécanismes sont déjà bien établis.

Un accès équitable en région. Un questionnement émerge quant au niveau décisionnel approprié (établissement, province ou territoire, ou coordination nationale) ainsi qu'aux modalités à privilégier pour assurer un accès équitable aux patients vivant dans des régions où ces thérapies ne sont pas offertes en raison de contraintes de ressources ou de capacités de fabrication limitées (CDA-AMC, 2026; GroupeactionTCG, 2025c). Dans ce contexte, une coordination renforcée entre les centres urbains et les zones rurales, combinée à la mise en place de suivis virtuels à l'aide de dispositifs de surveillance à domicile, pourrait contribuer à améliorer l'accès aux thérapies (GroupeactionTCG, 2025c; CDA-AMC, 2026).

Des modalités d'accès transparentes incluant des critères pour la priorisation. Les personnes consultées indiquent qu'un système de critères d'attribution, similaire à celui utilisé pour les transplantations d'organes, pourrait être envisagé pour prioriser les patients. Selon les perspectives exprimées par des groupes de patients au Québec (GroupeactionTCG, 2025c), ces processus de priorisation pourraient s'effectuer par le biais d'une co-construction plus structurée et durable impliquant les patients, les cliniciens et les décideurs (GroupeactionTCG, 2025c; CDA-AMC, 2026). Par ailleurs, des attentes importantes en matière d'information, d'éducation et d'accompagnement sont formulées par des groupes de patients du Québec (GroupeactionTCG, 2025c). De plus, le renforcement de la formation des professionnels de la santé pourrait améliorer

les trajectoires de soin et d'accès, notamment pour les personnes atteintes de maladies rares (GroupeactionTCG, 2024; Rouce et Grilley, 2025).

3.2 Une modernisation du cadre réglementaire

Un cadre adapté à la nature des thérapies cellulaires et géniques. L'application de règles conçues pour des médicaments conventionnels à des produits biologiques personnalisés comporte des limites. À l'instar des modèles réglementaires retrouvés à l'international, la définition et la classification d'une thérapie peuvent influencer les exigences de fabrication, les standards de qualité et les délais d'examen (Urbano-Ispizua *et al.*, 2024; von der Leyen *et al.*, 2025). Il n'existe pas, à ce jour, de voie réglementaire spécifique pour ces thérapies ni de statut de médicament orphelin au Canada (Germain et Winn, 2025). Les personnes consultées soulignent l'intérêt d'approches réglementaires proportionnelles au niveau de manipulation et de risque, permettant un meilleur alignement entre les exigences, les profils de produits et les délais d'examen.

Un accompagnement réglementaire adapté à l'innovation non industrielle. Selon les personnes consultées, l'accompagnement de l'innovateur universitaire est particulièrement pertinent dans un contexte de changement réglementaire. Selon leurs perspectives, la mise en place d'une unité d'évaluation dédiée au sein de Santé Canada ou d'une entité publique ou parapublique pourrait faciliter les échanges, en particulier pour les innovateurs universitaires disposant de connaissances réglementaires limitées pour naviguer efficacement à travers ces processus (Alaburde *et al.*, 2025; Germain et Winn, 2025).

Une meilleure anticipation et clarification de la propriété intellectuelle. Des personnes consultées soulignent un manque de clarté dans les mécanismes réglementaires relatif à la propriété intellectuelle applicable aux thérapies cellulaires et géniques (Germain et Winn, 2025). Il est difficile, selon elles, de déterminer si une production québécoise de thérapies ou de biosimilaires peut être envisagée pour des indications déjà couvertes par des brevets commerciaux. À ce jour, aucune version biosimilaire de thérapies cellulaires et géniques n'est disponible sur le marché canadien, bien que certaines périodes d'exclusivité commerciale arrivent à échéance à partir de 2026, notamment pour des thérapies par cellules CAR-T. La littérature met en évidence l'importance de prévoir, dès les premières étapes du développement, des mécanismes facilitant le transfert ou la reprise de projets abandonnés pour des raisons commerciales (Barrett *et al.*, 2025).

3.3 Un modèle de production adaptée au contexte québécois

Une plus grande autonomie de production de thérapies au Québec pour soutenir l'innovation et l'accès des patients. Principalement centralisée et assurée par un secteur pharmaceutique situé à l'extérieur du Québec, la production des thérapies cellulaires et géniques fait aujourd'hui l'objet d'une réflexion visant un rapprochement des activités de production vers le territoire québécois et, dans certains cas, vers le point de soin, au plus près du patient. Cette évolution s'inscrit dans un contexte où le Québec dispose d'un écosystème regroupant des acteurs en recherche et développement et des infrastructures dotées d'une expertise en production et en encadrement réglementaire. Ce contexte suggère la possibilité d'examiner différents modèles de production, qu'ils soient centralisés au Québec au sein d'un environnement public-universitaire, décentralisés dans des établissements de soins, ou hybrides.

Selon les personnes consultées, il apparaît opportun d'engager une réflexion sur le positionnement du Québec en matière de production de thérapies cellulaires et géniques, d'autant plus que des démarches comparables sont observées dans plusieurs autres juridictions, où un repositionnement visant une plus grande autonomie vis-à-vis des modèles exclusivement pharmaceutiques est déjà en cours (Barrett *et al.*, 2025; Urbano-Ispizua *et al.*, 2024).

L'intérêt vers une production de thérapies cellulaires et géniques au Québec. Selon la littérature et les personnes consultées, la production des thérapies cellulaires et géniques sur le territoire est associée à plusieurs effets documentés, dont une réduction du délai veine à veine, susceptible d'influencer la viabilité et l'efficacité des produits, ainsi qu'une amélioration de la sécurité et de la maîtrise de la chaîne d'approvisionnement et des coûts (Oluwole *et al.*, 2025; von der Leyen *et al.*, 2025). La production locale peut également contribuer à soutenir le développement de thérapies issues de l'innovation en milieu universitaire québécois, selon les personnes consultées.

Un modèle de production québécois adapté aux capacités actuelles et aux besoins futurs. Le choix d'un modèle de production au Québec devrait s'appuyer sur une analyse des capacités actuelles du système, selon les personnes consultées, tout en intégrant une anticipation des besoins futurs et une évolution graduelle des modalités de production en fonction de la demande.

- **Production québécoise centralisée à court terme.** La production dans un site unique permettrait de concentrer l'expertise et les ressources réglementaires à court terme, selon certaines personnes consultées. Cette approche pourrait toutefois devenir limitée à mesure que le volume et la diversité des projets augmentent.
- **Production québécoise au point de soin à moyen et long terme.** Une production répartie sur plusieurs établissements pourrait améliorer la rapidité et l'équité d'accès, selon la littérature et les personnes consultées (CDA-AMC, 2026). Toutefois, elle demeure difficilement réalisable à court terme en raison des capacités matérielles et humaines requises, ainsi que des exigences en matière d'harmonisation des procédés, de contrôle de la qualité et d'autorisations réglementaires (Stroncek *et al.*, 2022; Urbano-Ispizua *et al.*, 2024; von der Leyen *et al.*, 2025). Elle constitue néanmoins une option à envisager, qui appelle à une réflexion dès à présent.

Une production québécoise dans une logique de collaboration. Les personnes consultées soulignent que, indépendamment du modèle de production retenu, la mise en œuvre d'une production québécoise repose sur une collaboration structurée entre les chercheurs, les établissements de santé, les autorités publiques et, le cas échéant, les partenaires industriels. Selon elles, cette collaboration est particulièrement importante pour soutenir le développement et l'accès à des thérapies issues des milieux universitaires, qui peuvent difficilement cheminer dans ce parcours *en silo* (CDA-AMC, 2026). Certaines personnes consultées indiquent que des leviers inspirés de modèles internationaux, notamment la mutualisation des compétences, technologies, infrastructures ou de certaines fonctions administratives et réglementaires, pourraient faciliter ce cheminement, sous réserve d'un soutien financier et organisationnel adéquat.

3.4 Une gestion des coûts de développement et de production

Une vision globale des coûts couvrant l'ensemble du cycle de vie. La littérature et les personnes consultées soulignent l'importance d'une appréciation globale des coûts sur l'ensemble du cycle de vie des thérapies cellulaires et géniques (Stroncek *et al.*, 2022; Urbano-Ispizua *et al.*, 2024; von der Leyen *et al.*, 2025). L'absence de financement pour certaines étapes, notamment l'hospitalisation dans le cadre des essais cliniques et les coûts liés à la propriété intellectuelle, constitue à cet égard un obstacle au développement, selon les personnes consultées. Des approches multipartites, combinant investissements publics, partenariats industriels et réinvestissement de revenus, pourraient contribuer à réduire ces freins (CDA-AMC, 2026).

Des considérations économiques à long terme pour le système de santé. Certaines thérapies cellulaires et géniques ont le potentiel d'offrir des bénéfices durables, voire définitifs, pour des personnes atteintes de maladies graves. Le potentiel curatif de ces thérapies pourrait contribuer à une réduction des coûts à long terme comparativement à des traitements chroniques, selon les personnes consultées et la littérature (GroupeactionTCG, 2025a). Le développement de versions biosimilaires de certaines thérapies cellulaires et géniques pourrait également constituer un levier pour améliorer l'efficacité du système de santé (Canter *et al.*, 2024).

3.5 Modalités d'évaluation et de remboursement

Des processus d'évaluation adaptés aux particularités des thérapies cellulaires et géniques. La nature personnalisée, le potentiel parfois curatif et les indications souvent rares ciblées par ces thérapies complexifient l'évaluation de leur valeur thérapeutique. Selon la littérature consultée, plusieurs pistes peuvent être considérées pour adapter le cadre d'évaluation, notamment par l'utilisation de paramètres d'évaluation substitutifs et la comparaison indirecte (Drummond *et al.*, 2023; Toumi *et al.*, 2023).

Les données de vie réelle comme support à l'évaluation de la valeur thérapeutique. Le recours à des données de vie réelle, notamment dans des contextes de traitements personnalisés, apparaît essentiel selon les personnes consultées (CDA-AMC, 2018). Dans certains pays, la mise en place de registres publics de patients traités par des thérapies cellulaires et géniques permet de suivre l'efficacité et l'innocuité à long terme, tout en alimentant les processus d'évaluation (Drummond *et al.*, 2023; Toumi *et al.*, 2023).

Des approches de remboursement adaptées à la gestion des risques économiques. L'incertitude sur la durabilité des bénéfices cliniques (potentiel curatif), combinée au prix unitaire élevé des thérapies, ajoute des défis lors de l'estimation du rapport coût-efficacité et met une pression financière importante sur le payeur public. Des approches de fixation du prix ou de remboursement sont identifiées dans la littérature, telles que la réduction du prix initial pour tenir compte de l'incertitude clinique, l'intégration de considérations éthiques (gravité, équité, besoins non comblés) et le recours à des mécanismes de remboursement échelonnés ou conditionnels à l'efficacité (Drummond *et al.*, 2023; Koleva-Kolarova *et al.*, 2022; Phares *et al.*, 2024).

CONCLUSION

Dans un contexte où, à l'échelle internationale, plusieurs pays cherchent à renforcer leur autonomie afin d'améliorer l'accès des patients à ces thérapies, les personnes consultées expriment une volonté similaire, appuyée par la présence d'expertises scientifiques, cliniques et réglementaires déjà établies sur le territoire (Delisle *et al.*, 2025; AMC, 2026). Selon les personnes consultées, ces expertises demeurent actuellement fragmentées et organisées *en silos*, ce qui limite leur mobilisation collective. L'amélioration de l'accès aux thérapies cellulaires et géniques repose sur une mutualisation des expertises et sur une mobilisation élargie des parties prenantes, incluant tant les acteurs disposant d'un pouvoir d'action sur les politiques publiques que les personnes directement concernées par leurs retombées, au premier rang desquelles figurent les patients. Dans ce contexte, une meilleure structuration des mécanismes de coordination pourrait contribuer à une articulation plus fluide des initiatives, selon les personnes consultées. Certaines suggèrent qu'une instance publique ou parapublique, soutenue par le gouvernement du Québec, pourrait agir comme interface entre des parties prenantes telles que l'INESSS, Santé Canada, les innovateurs, les milieux cliniques ou les patients. Les personnes consultées soulignent également l'importance de disposer d'une vigie sur l'évolution des thérapies cellulaires et géniques et sur les tendances internationales, pour appuyer les décisions et la planification des capacités, des ressources et des investissements nécessaires.

RÉFÉRENCES

- Alaburde, S., Ivaska, J., Kaspute, G. et Ivaskiene, T. (2025). Impact of regulatory measures on the approval timelines of advanced therapy medicinal products by the European Medicines Agency. *Frontiers in Medicine*, 12, 1623689. <https://doi.org/10.3389/fmed.2025.1623689>
- Almeida, D., Mandslay, D., Mol, P. G. M., Sepodes, B. et Torre, C. (2025). Real-World Data Included in Post-authorisation Measures: A Case Study of Approved Advanced Therapy Medicinal Products in the European Union between 2013 and 2024. *Biodrugs*, 26, 26. <https://doi.org/10.1007/s40259-025-00737-x>
- American Society of Gene and Cell Therapy. (2026). Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape Report. <https://www.asgct.org/uploads/files/general/Landscape-Report-Q4-2025.pdf>.
- Ausali, S. S. a. K. S. (2026). Global regulatory frameworks and case studies of Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPS). *Journal of Rare Diseases*, 5(24). <https://doi.org/https://doi.org/10.1007/s44162-026-00163-9>
- Barrett, D., Cannon, P. M., Mingozi, F., Porteus, M., Riviere, I. et Flotte, T. R. (2025). Overcoming barriers to commercially pre-viable gene and cell therapies for rare and ultra-rare diseases. *Molecular Therapy: the Journal of the American Society of Gene Therapy*, 33(11), 5316-5326. <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2025.09.049>
- Brooks, P. J., Miller, T. M., Revah, F., Suh, J., Garrison, B. R., Starke, L. C., MacLachlan, T. K., Neilan, E. G., Raychaudhuri, G., Kassim, S. H., Dehdashti, J. et Rutter, J. L. (2024). The Bespoke Gene Therapy Consortium: facilitating development of AAV gene therapies for rare diseases. *Nature Reviews. Drug Discovery*, 23(3), 157-158. <https://doi.org/10.1038/d41573-024-00020-8>
- Canter, B., Sussman, S., Colvill, S., Arad, N., Staton, E. et Rai, A. (2024). Introducing biosimilar competition for cell and gene therapy products. *Journal of Law and the Biosciences*, 11(2), Isae015. <https://doi.org/10.1093/jlb/Isae015>
- Chabannon, C. S., F; Rial-Sebbag, E; Calmels, B; Veran, J; Magalon, G; Lemarie, C; Mahalatchimy, A. (2014). Les unités de thérapie cellulaire à l'épreuve de la réglementation sur les médicaments de thérapie innovante. *médecine/sciences 2014 ; 30 : 576-83*, 30, 30 : 576-583. <https://doi.org/10.1051/medsci/20143005022>
- Chancellor, D., Barrett, D., Nguyen-Jatkoe, L., Millington, S. et Eckhardt, F. (2023). The state of cell and gene therapy in 2023. *Molecular Therapy: the Journal of the American Society of Gene Therapy*, 31(12), 3376-3388. <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2023.11.001>
- Chaudhary, A. a. K., V. (2025). Rare diseases: a comprehensive literature review and future directions. *Journal of Rare Diseases*, 4, 33. <https://doi.org/10.1007/s44162-025-00099-6>
- Delisle, J. S., Fournier, D., Santerre, K., Rochette, S., Zawati, M. H., Dumont-Lagace, M., Turcotte, S., Guertin, J. R., Vermette, P., Tremblay, J. P., Parisotto, M., Beausejour, C., Gelin, J. F., Petropoulos, L., Kekre, N., Michaud, S. et Dieude, M. (2025). Harnessing the promises of cell therapy, gene therapy, and regenerative medicine in Quebec, Canada. *Frontiers in Medicine*, 12, 1581058. <https://doi.org/10.3389/fmed.2025.1581058>
- Drummond, M., Ciani, O., Fornaro, G., Jommi, C., Dietrich, E. S., Espin, J., Mossman, J. et de Pouvourville, G. (2023). How are health technology assessment bodies responding to the assessment challenges posed by cell and gene therapy? *BMC Health Services Research*, 23(1), 484. <https://doi.org/10.1186/s12913-023-09494-5>

- Du, X., Luo, X., Liu, L., Cao, Y., Zhang, Y. et Zhang, Y. (2024). Mapping the cell therapy landscape: insights into clinical trials and regulatory advances in China. *Journal of hematology & oncology*, 17(1), 96. <https://doi.org/10.1186/s13045-024-01616-8>
- Foba, M. L., Megevand, V., Scampa, M., Teuw, E. H. D., Quinodoz, P., Sankale, A. A., Kalbermatten, D. F. et Andre-Levigne, D. (2025). Autologous adipose tissue transfer in progressive hemifacial atrophy: From simple volume to regenerative cell therapy. *JPRAS Open*, 45, 113-126. <https://doi.org/10.1016/j.jpra.2025.05.003>
- Fox, T. A. et Booth, C. (2024). Improving access to gene therapy for rare diseases. *Dis Model Mech*, 17(6). <https://doi.org/10.1242/dmm.050623>
- Germain, L. S. et Winn, L. M. (2025). Commercialization of cell and gene therapy in Canada: Current landscape, challenges and opportunities. *Drug Discovery Today*, 30(10), 104453. <https://doi.org/10.1016/j.drudis.2025.104453>
- Gouvernement du Canada. (2021). *Building a National Strategy for High-Cost Drugs for Rare Diseases: A Discussion Paper for Engaging Canadians*. <https://www.canada.ca/content/dam/hc-sc/documents/services/health-related-consultation/National-Strategy-High-Cost-Drugs-eng.pdf>
- Gouvernement du Québec. (2025). *Stratégie québécoise des sciences de la vie 2025-2028*. https://cdn-contenu.quebec.ca/cdn-contenu/adm/min/economie/publications-adm/politique/PO_strategie_sciences_vie_2025-2028_MEIE.pdf
- Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques. (2025a). *Pistes d'actions pour le déploiement des thérapies cellulaires et géniques au Québec*. https://advancingcellandgene.com/wp-content/uploads/2025/07/Rapport-CGT_3-juin-2025_12.pdf?_gl=1*1j1mkgs*_ga*MzczMDU5MTlyLjE3NzAwNjlxNTk.*_ga_F7BF9G56GR*cze3NzM0MTE2MTckbzUkZzEkdDE3NzM0MTE3NjckajYwJGwwJGgw
- Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques. (2025b). *Que sont les thérapies cellulaires et géniques ?* https://advancingcellandgene.com/wp-content/uploads/2025/01/ACGT-Fact-Sheet-1-What-are-CGTs-French-v2.pdf?_gl=1*drs3l*_ga*MzczMDU5MTlyLjE3NzAwNjlxNTk.*_ga_F7BF9G56GR*cze3NzQ1NDg1OTMkbzE0JGcwJHQxNzc0NTQ4NTkzJGo2MCRsMCRoMA..
- Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques. (2025c). *Rapport sur la mobilisation des patients au Québec*. https://advancingcellandgene.com/wp-content/uploads/2026/03/QC-Patient-Roundtable-What-We-Heard.pdf?_gl=1*1hpi9qj*_ga*MzczMDU5MTlyLjE3NzAwNjlxNTk.*_ga_F7BF9G56GR*cze3NzM0MTE2MTckbzUkZzEkdDE3NzM0MTI0ODEkajYwJGwwJGgw
- Groupe d'action sur le déploiement des thérapies cellulaires et géniques. (2024). *Résultats des consultations*. https://advancingcellandgene.com/wp-content/uploads/2025/07/What-We-Heard-Report-French76.pdf?_gl=1*1f1kwbw*_ga*MzczMDU5MTlyLjE3NzAwNjlxNTk.*_ga_F7BF9G56GR*cze3NzM0MTE2MTckbzUkZzEkdDE3NzM0MTE2ODEkajYwJGwwJGgw
- Holland, S. M., Sohal, A., Nand, A. A. et Hutmacher, D. W. (2024). A quest for stakeholder synchronization in the CAR T-cell therapy supply chain. *Frontiers in Bioengineering & Biotechnology*, 12, 1413688. <https://doi.org/10.3389/fbioe.2024.1413688>
- Hwang, W. Y. K., Bari, S., Kawamata, S., Choi, B., Koaykul, C., Huang, H. et Gupta, P. (2025). Cell and gene therapy approvals in Asia: regulatory landscape, access and affordability. *Cytotherapy*, 22, 22. <https://doi.org/10.1016/j.jcyt.2025.08.005>

- International Pharmaceutical Regulators Programme. (2025). *International Regulatory Frameworks for Cell and Gene Therapies*. https://admin.iprp.global/sites/default/files/2021-09/IPRP_CTWG-GTWG_Frameworks_2021_0811_1.pdf
- International Society of Cell and Gene Therapy. (2025). Cell and Gene therapy global regulatory report. ISCGT; 2025. Disponible à : <https://www.isctglobal.org/publications/regulatory-quality-initiatives/global-regulatory-report>.
- Italian Medicines Agency. (2025). AIFA redefines the criteria for awarding the "innovativeness status" to medicines. AIFA; 2025. Disponible à : <https://www.aifa.gov.it/en/-/aifa-ridefinisce-criteri-attribuzione-innovativita>.
- Jadlowsky, J. K., Hexner, E. O., Marshall, A., Grupp, S. A., Frey, N. V., Riley, J. L., Veloso, E., McConville, H., Rogal, W., Czuczman, C., Hwang, W. T., Li, Y., Leskowitz, R. M., Farrelly, O., Karar, J., Christensen, S., Barber-Rotenberg, J., Gaymon, A., Aronson, N., . . . Fraietta, J. A. (2025). Long-term safety of lentiviral or gammaretroviral gene-modified T cell therapies. *Nature Medicine*, 31(4), 1134-1144. <https://doi.org/10.1038/s41591-024-03478-6>
- Juan, M., Delgado, J., Calvo, G., Trias, E. et Urbano-Ispizua, A. (2021). Is Hospital Exemption an Alternative or a Bridge to European Medicines Agency for Developing Academic Chimeric Antigen Receptor T-Cell in Europe? Our Experience with ARI-0001. *Human Gene Therapy*, 32(19-20), 1004-1007. <https://doi.org/10.1089/hum.2021.168>
- Koleva-Kolarova, R., Buchanan, J., Vellekoop, H., Huygens, S., Versteegh, M., Molken, M. R., Szilberhorn, L., Zelei, T., Nagy, B., Wordsworth, S. et Tsiachristas, A. (2022). Financing and Reimbursement Models for Personalised Medicine: A Systematic Review to Identify Current Models and Future Options. *Applied Health Economics & Health Policy*, 20(4), 501-524. <https://doi.org/10.1007/s40258-021-00714-9>
- L'Agence des médicaments du Canada (2026). *Horizon scan. 2026 Watch List: Regenerative Medicine*. https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/Watch_List/2026/ER0016-2026-Watch-List.pdf
- L'Agence des médicaments du Canada. (2018). *Gene Therapy: International Regulatory and Health Technology Assessment (HTA) Activities and Reimbursement Status*. <https://www.cda-amc.ca/gene-therapy-international-regulatory-and-health-technology-assessment-hta-activities-and>
- Lopes, A. G. N., Rob; Sinclair, Andrew. (2020). Cost analysis of vein-to-vein CAR T-cell therapy: automated manufacturing and supply chain. *Cell & Gene Therapy Insights*, 6(3), 487–510. <https://doi.org/10.18609/cgti.2020.058>
- Mackall, C. L., Bollard, C. M., Goodman, N., Carr, C., Gardner, R., Rouce, R., Sotillo, E., Stoner, R., Urnov, F. D., Wayne, A. S., Park, J. et Kohn, D. B. (2024). Enhancing pediatric access to cell and gene therapies. *Nature Medicine*, 30(7), 1836-1846. <https://doi.org/10.1038/s41591-024-03035-1>
- Mahase, E. (2025). Law change allows UK hospitals to produce personalised gene therapy. *BMJ*, 390, r1562. <https://doi.org/10.1136/bmj.r1562>
- Masri, F. C., Elizabeth; Ansoorge, Sven. (2019). Viral vector manufacturing: how to address current and future demands. *Cell and Gene Therapy Insights*, 5, 949-970. <https://doi.org/10.18609/cgti.2019.104>
- Médicaments novateur Canada. (2023). Dispositions novatrices en matière d'accès et accords de gestion du lancement. MNC; 2023. Disponible à : https://innovativemedicines.ca/wp-content/uploads/2023/04/6328_IMC_ME_IAA_Report_French_v3.pdf.

- Ministère de la Santé et des Services sociaux. (2017). *Recommandations concernant le guide d'exercice du Collège des médecins du Québec sur la création et le fonctionnement d'un comité de diagnostic et du traitement du cancer dans les établissements du Québec - Rapport du groupe de travail sur la mise en place des comités du diagnostic et du traitement du cancer*. <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2017/17-902-10W.pdf>
- Ministère de la Santé et des Services sociaux. (2023a). Orientations prioritaires 2023-2030 du programme québécois de cancérologie. <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2023/23-902-11W.pdf>
- Ministère de la Santé et des Services sociaux. (2023b). *Plan d'action québécois sur les maladies rares 2023-2027*. <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2023/23-916-02W.pdf>
- National Health Society. (2026). Innovative Medicines Fund. NHS; 2026. Disponible à: <https://www.england.nhs.uk/medicines-2/innovative-medicines-fund/>.
- Olesti, E., Bachiller, M., Oliver-Caldes, A., Urbano-Ispizua, A. et Ari program, H. C. B. (2025). Establishing a sustainable academic point-of-care network for CAR T-cell therapy. *The Lancet Haematology*, 12(10), e774-e776. [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(25\)00258-3](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(25)00258-3)
- Olesti, E., Nuevo, Y., Bachiller, M., Guillen, E., Bascuas, J., Varea, S., Saez-Penataro, J. et Calvo, G. (2024). Academic challenges on advanced therapy medicinal products' development: a regulatory perspective. *Cytotherapy*, 26(3), 221-230. <https://doi.org/10.1016/j.jcyt.2023.12.005>
- Oliver-Caldes, A., Gonzalez-Calle, V., Cabanas, V., Espanol-Rego, M., Rodriguez-Otero, P., Reguera, J. L., Lopez-Corral, L., Martin-Antonio, B., Zabaleta, A., Inoges, S., Varea, S., Rosinol, L., Lopez-Diaz de Cerio, A., Tovar, N., Jimenez, R., Lopez-Parra, M., Rodriguez-Lobato, L. G., Sanchez-Salinas, A., Olesti, E., . . . Fernandez de Larrea, C. (2023). Fractionated initial infusion and booster dose of ARI0002h, a humanised, BCMA-directed CAR T-cell therapy, for patients with relapsed or refractory multiple myeloma (CARTBCMA-HCB-01): a single-arm, multicentre, academic pilot study. *Lancet Oncology*, 24(8), 913-924. [https://doi.org/10.1016/S1470-2045\(23\)00222-X](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(23)00222-X)
- Oluwole, O. O., Ray, M. D., Ma, H., Sharma, R., Patel, A. R. et Smith, N. (2025). Health and Economic Impact of Vein-to-Vein Time in CAR T-Cell Therapy in the Second-Line Treatment of Relapsed/Refractory Large B-Cell Lymphoma: A US Cost-Effectiveness Analysis. *Transplantation and Cellular Therapy*. <https://doi.org/10.1016/j.jtct.2025.05.002>
- Ortiz-Maldonado, V., Rives, S., Castella, M., Alonso-Saladrigues, A., Benitez-Ribas, D., Caballero-Banos, M., Baumann, T., Cid, J., Garcia-Rey, E., Llanos, C., Torrebadell, M., Villamor, N., Gine, E., Diaz-Beya, M., Guardia, L., Montoro, M., Catala, A., Faura, A., Gonzalez, E. A., . . . Delgado, J. (2021). CART19-BE-01: A Multicenter Trial of ARI-0001 Cell Therapy in Patients with CD19(+) Relapsed/Refractory Malignancies. *Molecular Therapy: the Journal of the American Society of Gene Therapy*, 29(2), 636-644. <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2020.09.027>
- Perez-Amill, L., Sune, G., Antonana-Vildosola, A., Castella, M., Najjar, A., Bonet, J., Fernandez-Fuentes, N., Inoges, S., Lopez, A., Bueno, C., Juan, M., Urbano-Ispizua, A. et Martin-Antonio, B. (2021). Preclinical development of a humanized chimeric antigen receptor against B cell maturation antigen for multiple myeloma. *Haematologica*, 106(1), 173-184. <https://doi.org/10.3324/haematol.2019.228577>

- Phares, S., Trusheim, M., Emond, S. K. et Pearson, S. D. (2024). Managing the challenges of paying for gene therapy: strategies for market action and policy reform in the United States. *J Comp Eff Res*, 13(12), e240118. <https://doi.org/10.57264/ceer-2024-0118>
- Ran, T., Eichmuller, S. B., Schmidt, P. et Schlander, M. (2020). Cost of decentralized CAR T-cell production in an academic nonprofit setting. *International Journal of Cancer*, 147(12), 3438-3445. <https://doi.org/10.1002/ijc.33156>
- Rouce, R. H. et Grilley, B. J. (2025). How to democratize cell and gene therapy: A global approach. *Molecular Therapy: the Journal of the American Society of Gene Therapy*, 33(5), 2082-2090. <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2025.03.061>
- Shi, J., Chen, X., Hu, H. et Ung, C. O. L. (2024). The evolving regulatory system of advanced therapy medicinal products in China: a documentary analysis using the World Health Organization Global Benchmarking Tool standards. *Cytotherapy*, 26(8), 954-966. <https://doi.org/10.1016/j.jcyt.2024.04.070>
- Stroncek, D. F., Somerville, R. P. T. et Highfill, S. L. (2022). Point-of-care cell therapy manufacturing; it's not for everyone. *J Transl Med*, 20(1), 34. <https://doi.org/10.1186/s12967-022-03238-5>
- Tan, E. H. P., Chinchalongporn, V., Dumadi, F., Tsurumaki, Y., Jung, M. H., Kellathur, S. N., Kitawaki, Y., Ishiwatari, A., Okada, M., Oumi, Y., Nonaka, M., Lee, A., Macpherson, J. L., Velickovic, Z. et Milligan, W. (2025). Pursuing cell therapy approvals in APAC: your guide to navigating regulations in Japan, South Korea, and Singapore. *Cytotherapy*, 27(9), 1043-1059. <https://doi.org/10.1016/j.jcyt.2025.03.504>
- Tandulje, A. A., Varpe, P. C., Chaugule, P. D., Saji, S., Nizar, F., Raghuvanshi, R. S. et Srivastava, S. (2025). Cell and Gene Therapy Products: Navigating the Regulatory Landscape of Paradigm Approvals in the US (2020 to 2024). *Journal of Pharmaceutical Innovation*, 20(2) (no pagination), article n° 63. <https://doi.org/10.1007/s12247-025-09973-8>
- Ten Ham, R. M. T., Frederix, G. W. J., Wu, O., Goettsch, W., Leufkens, H. G. M., Klungel, O. H. et Hoekman, J. (2022). Key Considerations in the Health Technology Assessment of Advanced Therapy Medicinal Products in Scotland, The Netherlands, and England. *Value in Health*, 25(3), 390-399. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2021.09.012>
- The Lancet Global Health. (2024). The landscape for rare diseases in 2024. *Lancet Glob Health*, 12(3), e341. [https://doi.org/10.1016/S2214-109X\(24\)00056-1](https://doi.org/10.1016/S2214-109X(24)00056-1)
- Toumi, M., Dabbous, O., Aballea, S., Drummond, M. F., von der Schulenburg, J. G., Malone, D. C., Neumann, P. J., Sullivan, S. D. et Tunis, S. (2023). Recommendations for economic evaluations of cell and gene therapies: a systematic literature review with critical appraisal. *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*, 23(5), 483-497. <https://doi.org/10.1080/14737167.2023.2197214>
- Urbano-Ispizua, A., Shah, N. N. et Kekre, N. (2024). Point-of-care CAR T manufacturing solutions: can 1 model fit all? *Blood Advances*, 8(23), 6133-6136. <https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2024012982>
- von der Leyen, H., Delgado, J., Mazouz, C., Schmitt, M. et Caplan, V. (2025). Implementation of a quality management system for decentralized manufacturing of cell and gene therapy products - technical and regulatory considerations. *Frontiers in Medicine*, 12, 1591751. <https://doi.org/10.3389/fmed.2025.1591751>

World Health Organisation. (2023). Considerations in developing a regulatory framework for human cells and tissues and for advanced therapy medicinal products. WHO; 2023. Disponible à: https://cdn.who.int/media/docs/default-source/biologicals/annex-3---hcts-atmps-regulatory-considerations---clean-for-posting---12-may-2023.pdf?sfvrsn=cc1f9a8a_1&download=true. https://cdn.who.int/media/docs/default-source/biologicals/annex-3---hcts-atmps-regulatory-considerations---clean-for-posting---12-may-2023.pdf?sfvrsn=cc1f9a8a_1&download=true

SIGLES ET ACRONYMES

ADN	Acide désoxyribonucléique
AIFA	Italian Medicines Agency
CDA-AMC	L'Agence des médicaments du Canada
ARN	Acide ribonucléique
ASCGT	American society of gene and cell therapy
ATMP	Advanced therapy medicinal products
BPF	Bonne pratique de fabrication
CAR-T	<i>Chimeric antigen</i> receptor T-cell
CAT	Committee for Advanced Therapies
CETC	Centre d'excellence en thérapie cellulaire
CHU	Centre hospitalier universitaire
CHUM	Centre hospitalier universitaire de Montréal
CRISPR	<i>Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats</i>
CTO	cellules, tissus et organes
EMA	European medicine agency
FDA	Food and drug administration
GroupeactionTCG	groupe d'action pour le déploiement des thérapies cellulaires et géniques
HAS	Health sciences authority
INESSS	Institut national en santé et en services sociaux
IPRP	International pharmaceutical regulators programme
ISCGT	International society for cell and gene therapy
MEIE	Ministère de l'économie de l'innovation et de l'énergie
MNC	Médicament novateur Canada
MSSS	Ministère de la Santé et des Services sociaux
NHS	National Health Society
NMPA	National medical products administration
OMS	Organisation mondiale de la santé (World health organization, WHO)
PMDA	Pharmaceuticals and Medical Devices Agency
POC	<i>Point-of-care</i>
PRIME	PRiority MEdicines
PTI	Produit de thérapeutique innovant
RAD	Règlement sur les aliments et drogues
RAMQ	Régime de l'assurance maladie du Québec
RIM	Règlement sur les instruments médicaux

Consultations *ad hoc*

Dans le cadre des travaux portant sur les thérapies cellulaires et géniques, l'INESSS a consulté cinq cliniciens experts des thérapies cellulaires et géniques lors de deux rencontres *ad hoc*. Les personnes consultées incluaient :

Lambert Busque, hématologue – Hôpital Maisonneuve-Rosemont, Co-fondateur du centre C3i et responsable du contrôle qualité.

Jean-Sébastien Desisle, hématologue, chercheur, directeur intérimaire du Centre de Recherche, HMR; Directeur médical, Centre d'excellence en thérapie cellulaire.

Stéphanie Forté, hématologue et oncologue médicale, chercheuse Santé Québec – Centre hospitalier de l'Université de Montréal et Santé Québec – Centre hospitalier universitaire Sainte-Justine; responsable médicale et de recherche; Centre des maladies héréditaires des globules rouges (SANGRE).

Denis-Claude Roy, hématologue – Hôpital Maisonneuve-Rosemont, Professeur titulaire à l'Université de Montréal, Directeur scientifique du Centre pour le centre C3i, Directeur du réseau canadien de thérapie cellulaire et de médecine régénératrice (CellCAN), Directeur de l'Institut universitaire d'hémo-oncologie et de thérapie cellulaire.

Simon Turcotte, chirurgien oncologue hépatobiliaire et pancréatique et chercheur, Santé Québec – Centre hospitalier de l'Université de Montréal; Responsable de l'axe hémo-oncologie, Réseau ThéCell

Autres contributions

L'institut tient à remercier aussi les personnes suivantes qui ont contribué à la préparation de ce rapport en fournissant soutien, information et conseils clés : Geneviève Plamondon et Caroline Plante.

Déclaration d'intérêts et de rôles

Nom	Description du conflit
Lambert Busque	Impliqué dans l'homologation de la première thérapie par cellule CAR-T au Canada Co-fondateur et consultant pour C3i
Jean-Sébastien Desisle	Directeur du réseau thématique de thérapies cellulaires, tissulaires et géniques Directeur médical du centre d'excellence en thérapies cellulaires de l'hôpital Maisonneuve Rosemont Co-auteur de brevets en lien avec le développement de thérapies cellulaires et géniques
Stéphanie Forté	A été consultante pour la compagnie Vertex qui développe des thérapies cellulaires et géniques Auteure de publications traitant des enjeux d'équité d'accès aux thérapies géniques

Nom	Description du conflit
Denis-Claude Roy	Directeur scientifique et consultant pour C3i Directeur du réseau canadien de thérapies cellulaires et de médecine régénératrice (CellCan) Directeur de l'institut d'hématologie, d'oncologie et de thérapies cellulaires de l'hôpital Maisonneuve Rosemont.
Simon Turcotte	Directeur médical des études en thérapies immunocellulaires du CHUM Responsable de l'axe hématoooncologie du réseau Thécell Mène des études sur les TILs financées par la compagnie lovent Co-auteur de déclaration d'invention concernant des méthodes de fabrication des TILs

Les auteurs de ce rapport déclarent n'avoir aucun conflit d'intérêts. Aucun financement externe n'a été obtenu pour la réalisation de cet état des connaissances.

Responsabilité

L'Institut assume l'entière responsabilité de la forme et du contenu définitifs de ce document. Les conclusions et les recommandations ne reflètent pas forcément les personnes consultées aux fins de son élaboration.

Le contenu de cette publication a été rédigé et édité par l'INESSS.

Membres de l'équipe de projet

Direction de l'évaluation des médicaments et des technologies à des fins de remboursement

Auteure et auteurs principaux

Bertrand Allard, Ph. D.
Louis-Charles Béland, Ph. D.
Carole Campion, Ph. D.

Collaboratrices et collaborateur internes

Geneviève Plamondon, M. Sc.
Caroline Plante, D.E.S.G, M.S.I., M. ED.

Coordonnatrice scientifique

Julie Nieminen, Ph. D.

Directrice adjointe

Mélanie Martin, Ph. D.

Directrice

Mélanie Caron, Pharm. D., ICD.D

Soutien administratif

Noémie Reine
Lourdes Michaëlla Gazemar

Bureau – Méthode, données et éthique

Unité – Science de l'information

Coordonnatrice scientifique

Catherine Olivier, Ph. D.

Repérage de l'information scientifique

Karine Bélanger, M.S.I.

Soutien documentaire

Bin Chen, techn. docum.

Technicienne principale et technicien à l'édition

Nathalie Vanier
Jean Talbot

Avec la collaboration de Josée De Angelis, révision linguistique

Dépôt légal

Bibliothèque et Archives nationales du Québec, 2026
ISBN 978-2-555-04200-1 (PDF)

Tous droits réservés
© Gouvernement du Québec, 2026

Le contenu de cette publication a été rédigé et édité par l'INESSS. Ce document peut être utilisé, reproduit, imprimé, partagé et communiqué, en tout ou en partie, à des fins non commerciales, éducatives ou de recherche uniquement, à condition que l'INESSS soit dûment mentionné comme source. Les photos, images, figures ou citations peuvent être associées à des droits d'auteur spécifiques et nécessitent une autorisation de la part de l'INESSS avant utilisation. Tout autre usage de cette publication, y compris sa modification en tout ou en partie ou visant des fins commerciales, doit faire l'objet d'une autorisation préalable de l'INESSS. Une autorisation peut être obtenue en formulant une demande à droitdauteur@inesss.qc.ca.

Pour citer ce document : Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (2026). Les thérapies cellulaires et géniques : réflexions pour un déploiement optimal. Québec, Qc : INESSS. 29 p.

L'Institut remercie les membres de son personnel qui ont contribué à l'élaboration du présent document.



ANNEXE A

Méthodologie

La démarche comprend une revue rapide de la documentation scientifique répertoriée dans des bases de données bibliographiques, une recherche de la littérature grise ainsi que des consultations auprès des parties prenantes et de professionnels de la santé.

L'outil d'intelligence artificielle (IA) générative Microsoft 365 Copilot Chat a été utilisé dans le respect des Balises de l'utilisation responsable de l'IA générative de l'INESSS pour explorer des thèmes et des concepts, pour soutenir la rédaction stratégique de ce document, y compris la reformulation et la synthétisation de phrases, et pour traduire des concepts provenant des politiques et systèmes de santé étrangers.

Questions de recherche

Ce projet vise à mobiliser et intégrer des savoirs de manière à émettre des constats pouvant répondre aux questions suivantes :

- Quel est le niveau de développement ou de déploiement des différentes thérapies cellulaires et géniques au Québec et à l'international ?
- Quelles initiatives, au niveau réglementaire, organisationnel, de la gouvernance, et de l'évaluation à des fins de remboursement, ont été mises en place à l'international pour répondre aux différents défis posés par l'émergence rapide des thérapies cellulaires et géniques ?
- Quels sont les opportunités et les défis au Québec qu'il faudrait prendre en compte pour favoriser le déploiement des thérapies cellulaires et géniques et assurer un accès rapide et équitable aux patients ?

Stratégie de repérage de la littérature scientifique

Le repérage de la littérature a été mené par un conseiller en information scientifique (bibliothécaire) en collaboration avec l'équipe projet.

Les bases de données bibliographiques MEDLINE, Embase et EBM Reviews (Cochrane Database of Systematic Reviews) ont été interrogées en octobre 2025 en tenant compte des concepts suivants : thérapies cellulaires et géniques, gouvernance, réglementation, économie.

Les résultats ont été limités aux documents publiés en anglais ou en français à partir de 2020. Élaborée d'abord dans MEDLINE, la stratégie a fait l'objet d'une révision par une autre conseillère en information scientifique et a été par la suite adaptée dans chacune des bases de données consultées. La stratégie élaborée pour chacune des bases de données bibliographiques ainsi que la liste des autres sources consultées sont disponibles sur demande.

Recherche exploratoire de la littérature scientifique et grise

Une recherche complémentaire a été effectuée au moyen du moteur de recherche Google afin de recenser d'autres publications pertinentes. Les sites Web des sociétés savantes, agences d'évaluation des technologies de la santé, des organismes gouvernementaux (p. ex. *ClinicalTrials.gov*) et des associations professionnelles ont été consultés. La liste des sources consultées ainsi que la stratégie de recherche employée lors de leur consultation est disponible sur demande.

Sélection des publications et extraction des données publiées

La sélection des publications pertinentes a été réalisée par consensus entre trois professionnels scientifiques. L'extraction de l'information pertinente, issue des publications sélectionnées, a été réalisée par un professionnel scientifique, puis validée par un second. Les résultats, sous forme de tableaux d'extraction, sont disponibles sur demande.

Recensement des thérapies cellulaires et géniques approuvées à l'échelle mondiale et des essais cliniques en cours

Les rapports de la société américaine de thérapies géniques et cellulaires (American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT)) et de la société internationale de thérapies cellulaires et géniques (International Society of Cell and Gene Therapy (ISCGT)) ont été utilisés pour dénombrer les traitements approuvés par les différentes agences réglementaires à l'échelle mondiale, depuis 2015 (ASGCT, 2026; ISCGT, 2025).

Le recensement des essais cliniques en cours évaluant des thérapies cellulaires et géniques a été effectué à l'aide de la base de données accessible sur le site *clinicaltrial.gov*. Pour chaque type de thérapies cellulaires et géniques, nous avons collecté les essais cliniques actifs (Study Status: "not yet recruiting" OR "recruiting" OR "active not recruiting") et restreint le dénombrement aux essais de phase I/II, phase II et phase III. Les mots-clés utilisés pour rechercher les différents types de thérapies cellulaires et géniques dans les requêtes sont disponibles sur demande.

Évaluation de la qualité méthodologique des publications sélectionnées

L'évaluation de la qualité méthodologique des publications sélectionnées n'a pas été effectuée.

Collecte et synthèse des données contextuelles et expérientielles

Des cliniciens et autres professionnels du réseau de la santé et des services sociaux ont été consultés afin de recueillir des informations pertinentes. Les principaux constats sont résumés sous forme de synthèse narrative.

Accompagnement scientifique et appréciation critique par les pairs

Une validation du document a été effectuée par la coordination scientifique et la direction responsable de sa production. Une relecture par des personnes désignées d'autres directions scientifiques de l'INESSS ainsi que par la Vice-Présidence scientifique a également été effectuée.

Prévention, déclaration et gestion des conflits d'intérêts et de rôles

Pour l'ensemble des personnes consultées, les conflits d'intérêts et de rôles ont été déclarés et gérés conformément à la Politique de prévention, d'identification, d'évaluation et de gestion des conflits d'intérêts et de rôles des collaborateurs de l'INESSS⁴. Ces conflits sont divulgués à la fin de ce document.

⁴ Information tirée du site de l'INESSS à l'adresse suivante :
https://www.inesss.qc.ca/fileadmin/doc/INESSS/DocuAdmin/Lois_Politiques/Politique_INESSS_Conflit_interets_Collaborateurs_2020.pdf