



# Obstacles interprovinciaux à la recherche clinique en pédiatrie

Mémoire présenté au Comité permanent de la  
santé le 25 octobre 2022

Maternal Infant Child and Youth Research Network (MICYRN)  
Présenté par : Thierry Lacaze-Masmonteil, M.D., Ph. D

### Contexte

Les considérations économiques, éthiques, réglementaires et liées à l'infrastructure associées à la réalisation de recherches sur la santé des enfants ont limité le nombre d'essais cliniques de médicaments menés auprès d'enfants. Plusieurs difficultés, plus fréquemment rencontrées lors d'essais cliniques menés auprès d'une population pédiatrique, ont contribué aux lacunes actuelles de la base de données probantes sur les médicaments pour enfants. D'une part, de nombreuses maladies sont moins fréquentes chez les enfants et les nouveau-nés que chez les adultes. Par ailleurs, certaines maladies ne surviennent que chez les enfants ou ont chez eux une étiologie ou une physiopathologie différente de celle de la population adulte. Parmi les autres défis liés aux essais cliniques néonataux ou pédiatriques, mentionnons le manque fréquent de paramètres cliniques validés et adaptés à l'âge, le manque de données sur les valeurs normales de laboratoire, la nécessité d'effectuer des dosages sensibles pour réduire au minimum le prélèvement de sang, et le fait que, même s'ils ne peuvent légalement donner leur consentement, les enfants devraient être informés et avoir voix au chapitre en ce qui concerne leur participation. Par conséquent, afin de mobiliser un nombre suffisant de participants en temps opportun et de mener des études efficaces et bien dirigées, les essais cliniques en pédiatrie exigent souvent le recrutement et l'inscription à de multiples sites dans de multiples régions, ce qui exige des efforts considérables et est complexe en raison de la nécessité d'obtenir l'autorisation de l'autorité compétente, de négocier des budgets, d'exécuter des contrats et des ententes de partage de données, et de faire l'objet d'un examen par les comités d'éthique des établissements.

Par conséquent, et malgré la richesse relative du Canada en tant que pays doté d'un système de soins de santé universel et de chercheurs de calibre mondial, notre pays n'était pas dans une position optimale pour figurer parmi les chefs de file mondiaux de la recherche clinique pédiatrique sur la COVID-19 pendant la pandémie. Ce que nous avons clairement appris de cette expérience, c'est que l'amélioration de l'efficacité et de l'efficacité de la recherche clinique en pédiatrie non seulement nous aidera à nous préparer aux événements futurs, mais appuiera un programme productif de recherche sur la santé des enfants qui profite aux enfants canadiens et à leurs familles.

L'établissement d'une infrastructure de recherche clinique en pédiatrie est particulièrement important pour combler le manque de connaissances dans le domaine des maladies rares. On estime qu'un enfant sur 15 naît avec une maladie rare, et bon nombre de ces enfants meurent avant leur premier anniversaire; les maladies rares représentent de 30 à 40 % des décès néonataux au Canada. Plus de 70 % de toutes les maladies rares se manifestent durant l'enfance. Compte tenu de leur jeune âge et de leur potentiel de production, les enfants diagnostiqués d'une maladie rare représentent de nombreuses années perdues pendant lesquelles, s'ils étaient en santé, ils pourraient apporter davantage de contributions à la société. Un lit d'hôpital pédiatrique sur quatre est actuellement occupé par un enfant atteint d'une maladie rare. Les traitements pour les maladies rares sont limités et, lorsqu'ils sont disponibles, ils peuvent être extrêmement coûteux, les coûts totaux variant de 100 000 \$ à plus de 2 millions de dollars par patient par année. De plus, le pourcentage de médicaments coûtant plus de 200 000 \$ par année a continué d'augmenter au cours des dernières années, passant de 36 % en 2015 à 73 % en 2019. Le séquençage du génome, d'autres technologies de diagnostic et des approches thérapeutiques novatrices orientent le virage vers la médecine de précision et la santé.

Malheureusement, le Canada est à la traîne lorsqu'il s'agit de veiller à ce que le bon médicament pour le bon patient soit évalué adéquatement et offert à chaque enfant au Canada. L'inefficacité de l'infrastructure de recherche est l'une des causes profondes du problème; une autre raison est la perception culturelle selon laquelle la recherche n'est pas liée à la pratique clinique, ce qui entraîne une coupure entre les efforts de recherche clinique et les points d'intervention dans l'écosystème des soins de santé. Enfin, l'absence d'un mécanisme fédéré pour partager facilement et en toute sécurité les données ou la surveillance éthique, étant donné la coordination provinciale des soins de santé, entraîne un dédoublement des efforts et des pertes d'efficacité.

En s'appuyant sur les efforts antérieurs, le MICYRN et ses 21 centres universitaires de santé maternelle et infantile affiliés sont bien placés pour créer une coordination nationale soutenue, une expertise et une infrastructure qui garantissent que des thérapies et des interventions efficaces et novatrices sont disponibles pour les enfants canadiens et leurs familles.

## Recommandations

**Recommandation 1 : Engager 25 millions de dollars pour appuyer l'élaboration d'une infrastructure nationale d'essais cliniques sur la santé des enfants axée sur les maladies rares.**

L'établissement et la viabilité à long terme d'une infrastructure nationale d'essais cliniques sur la santé des enfants sont essentiels pour les enfants canadiens et leurs familles. Une injection initiale de fonds jettera les bases d'une approche nationale coordonnée de la recherche sur la santé des enfants. Une infrastructure d'essais cliniques pédiatriques partagée et efficace éliminera le dédoublement du travail et permettra aux organismes subventionnaires de recherche fédéraux et provinciaux de réaliser des économies réelles, ce qui permettra la réalisation de projets nouveaux et novateurs à moindre coût.

Une infrastructure nationale d'essais cliniques pédiatriques :

- **facilitera l'accès rapide** à de nouvelles thérapies qui pourraient sauver des vies chez les enfants canadiens grâce à un point de contact unique pour tous les commanditaires – l'industrie et le milieu universitaire;
- **favorisera la collaboration** avec des experts provenant d'établissements universitaires canadiens et de réseaux de sous-spécialités;
- **assurera la mise en œuvre rapide et efficace des essais** grâce à la coordination des sites, à des normes nationales et internationales de grande qualité et à des évaluations rapides de la faisabilité des études;
- **favorisera l'innovation** dans la conception d'essais cliniques pédiatriques en utilisant la conception d'essais sur plateforme et les méthodes bayésiennes afin de favoriser le développement de thérapies innovantes;
- **permettra au Canada de participer à des études mondiales** et favorisera ainsi la réalisation et la participation rapides à des études que le Canada ne peut mener seul.

**La Stratégie nationale sur les médicaments onéreux pour les maladies rares** offre une occasion unique de mettre en place cette infrastructure. Nous proposons qu'une fraction (25 millions) des fonds déjà alloués à la Stratégie soit investie dans l'établissement d'une infrastructure d'essais cliniques pédiatriques. L'expertise canadienne en matière de recherche sur les maladies rares est reconnue à l'échelle internationale. Cet investissement permettrait de la mettre en commun et de positionner le pays en tant que

plaque tournante mondiale pour la mise au point, l'évaluation et l'autorisation de mise en marché de médicaments. Les enfants canadiens et leurs familles bénéficieraient d'un accès précoce aux essais et aux thérapies, et le système de soins de santé du Canada serait renforcé sur le plan économique grâce aux gains d'efficacité découlant d'un processus normalisé et simplifié d'essais cliniques fondé sur les meilleures données probantes et les normes d'innocuité les plus élevées.

**Recommandation 2 : Faciliter un partenariat entre les systèmes de santé provinciaux et les instituts et organismes de recherche afin de favoriser l'élaboration initiale d'un système national de soins de santé en apprentissage qui intègre la recherche dans la pratique clinique.**

Un système de soins de santé axé sur l'apprentissage cherche à appliquer les données probantes, l'innovation, la qualité et la valeur dans le système de santé, augmentant ainsi la valeur des soins de santé par l'apprentissage rapide à partir des données et leur application immédiate dans la pratique et les politiques. Il est essentiel de combler l'écart entre la recherche clinique et les soins de santé pour optimiser nos systèmes de santé financés par le secteur public, lesquels doivent mesurer leur efficacité au moyen d'une évaluation continue et réfléchie du rapport coût-efficacité clinique des interventions en santé.

Le gouvernement fédéral a dès maintenant une occasion d'amorcer la conversation nécessaire sur l'intégration de la recherche aux points d'intervention, lesquels relèvent des compétences provinciales. Lors des négociations fédérales-provinciales annuelles sur les transferts de fonds, les gouvernements fédéral et provinciaux devraient discuter de la possibilité de mettre en œuvre des changements structurels aux premières étapes de la recherche en santé au Canada.

**Recommandation 3 : Le gouvernement fédéral élaborera une approche nationale pour la mise en place de données ouvertes et accessibles dans l'ensemble du milieu de la recherche en pédiatrie, ce qui permettra le partage des données entre les administrations.**

L'accès aux données sur la santé et leur partage sont de plus en plus essentiels à la découverte scientifique fondée sur des données probantes et à la résolution des défis sociétaux; la COVID-19 a souligné la nécessité d'un accès croisé aux données des différentes administrations pour mobiliser l'information à l'appui des questions de recherche urgentes liées à la pandémie et à la santé des enfants.

Le gouvernement fédéral est bien placé pour jouer un rôle de chef de file en facilitant les discussions entre les administrations en vue de l'élaboration d'une stratégie de données qui comprend l'interopérabilité à l'échelle nationale, l'accessibilité et l'utilisation de données pertinentes sur la santé des enfants pour la recherche en soins de santé pédiatriques et la médecine de précision.

Faciliter l'accès national à des données de qualité engendre la collaboration et l'innovation nécessaires pour répondre aux questions urgentes concernant la santé de nos enfants.

## À propos de nous

Le Maternal Child Youth Research Network (MICYRN) est un organisme caritatif sans but lucratif enregistré en tant que réseau national. Il a pour membres 21 organismes de recherche sur la santé maternelle et infantile, et il regroupe plus de 25 réseaux de recherche fondés sur la pratique affiliés aux hôpitaux d'enseignement des 17 facultés de médecine du Canada. Financé par ses membres, le MICYRN a pour mandat d'améliorer la qualité et l'impact de la recherche en fournissant une infrastructure coordonnée pour appuyer les équipes de recherche qui travaillent partout au Canada et ailleurs.

## Références

Enticott, J. et coll. *Learning health systems using data to drive healthcare improvement and impact: a systematic review*. BMC Health Serv Res. 2021; 21(200) : DOI : [doi.org/10.1186/s12913-021-06215-8](https://doi.org/10.1186/s12913-021-06215-8) (consulté le 25 octobre 2022)

Forrest, C. et coll. *Development of the Learning Health System Researcher Core Competencies*. Health Serv Res. 2018;53(4):2615-32: DOI : [10.1111/1475-6773.12751](https://doi.org/10.1111/1475-6773.12751) (consulté le 25 octobre 2022)

Lamontagne, F. et coll. *L'intégration de la recherche à la médecine clinique : difficultés et solutions en contexte canadien*. JAMC. 2021; 193(4) : E127-31. DOI : [10.1503/jamc.202397](https://doi.org/10.1503/jamc.202397) (consulté le 25 octobre 2022)

Milenko, R. et coll. (Du 5 au 9 décembre 2019). *Clinical data for paediatric research: the Swiss approach*. Actes du Symposium national. Berne, Suisse. DOI : [doi.org/10.1186/s12919-021-00226-3](https://doi.org/10.1186/s12919-021-00226-3) (consulté le 25 octobre 2022)

Schwartz, I. et coll. *What went wrong: a reckoning of Canada's contributions to evidence-based medicine through clinical trials during the COVID-19 pandemic 19 pandemic*. J Assoc Med Microbiol Infect Dis Can. 2021; 6(4) : 241-4. DOI : [10.3138/Jammi-2021-0922](https://doi.org/10.3138/Jammi-2021-0922) (consulté le 25 octobre 2022)