

# VUE SUR LES ESSAIS CLINIQUES ET LES MALADIES RARES AVEC LE DR JACQUES MICHAUD



Les maladies rares demeurent largement méconnues et n'ont que peu d'options de traitement. Toutefois, la génomique, qui permet d'étudier l'ensemble du matériel génétique chez l'humain, ouvre la porte à une meilleure compréhension des maladies rares et donc à de nouvelles avenues de traitements.

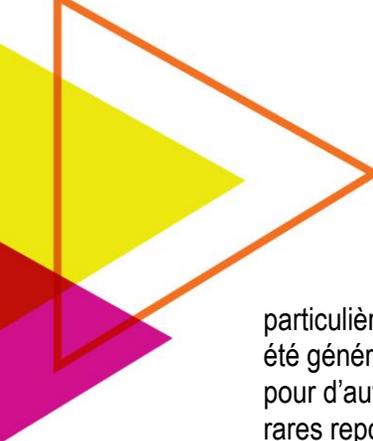
À l'occasion de BIO 2016, Dr Jacques Michaud, pédiatre et médecin généticien, participera aujourd'hui à un panel sur les essais cliniques et les maladies rares, organisé par

Montréal InVivo et ses partenaires. Il a accepté de nous accorder une entrevue sur le sujet.

**Pouvons-nous affirmer que la génomique a révolutionné la recherche sur les maladies rares?** Absolument! La première phase du processus de développement d'un nouveau médicament est consacrée à la recherche exploratoire, qui vise à comprendre les mécanismes de la maladie et donc à déterminer la cible que son traitement devrait atteindre. La technologie de séquençage du génome permet maintenant d'identifier rapidement le gène responsable d'une maladie rare, un premier pas vers la mise un point d'un traitement.

**Outre la recherche fondamentale, croyez-vous que le Grand Montréal soit une région intéressante pour effectuer des essais cliniques pour les médicaments orphelins?** Je crois que oui. Comme les maladies rares affectent un faible pourcentage de la population, le recrutement des patients est un des plus grands défis liés à la réalisation d'essais cliniques pour les médicaments orphelins. Afin de contrer cette problématique, les laboratoires de génomique au Québec collaborent actuellement ensemble afin d'offrir une plateforme intégrée qui permettrait d'identifier rapidement les patients éligibles à prendre part à ces essais cliniques. De plus, le Québec collabore activement avec les autres provinces canadiennes et différents partenaires internationaux dans le domaine de la génomique et de la recherche clinique, donnant ainsi accès à un plus grand bassin de patients ainsi qu'une plus vaste expertise dans ce domaine.

**Pour quelles raisons les grandes pharmaceutiques s'intéressent-elles davantage aux maladies rares depuis quelques années?** Les compagnies pharmaceutiques sont



particulièrement intéressées à la valorisation de molécules aux propriétés mal connues qui ont été générées dans leurs laboratoires ou encore à repositionner des médicaments déjà validés pour d'autres indications. Le processus de développement des médicaments pour les maladies rares repose sur cette approche personnalisée.

**Une plus grande collaboration entre les compagnies pharmaceutiques et les groupes de patients permettrait-elle d'accélérer le processus de développement des médicaments pour les maladies rares?** C'est ce qu'on observe, oui. Les groupes de patients dépendent des pharmaceutiques pour un appui scientifique et financier, alors que l'industrie pharmaceutique bénéficie de leurs participants en ayant un meilleur accès à des dépôts de données de recrutement de patients.

**L'Orphan Drug Act (ODA), adopté aux États-Unis en 1983, s'est avéré efficace à stimuler le développement de nouveaux traitements pour les maladies rares. Le Canada bénéficierait-il d'incitatifs similaires?** Les compagnies pharmaceutiques et les groupes de patients expriment depuis longtemps le désir d'introduire des incitatifs pour favoriser le développement de nouveaux traitements pour les maladies rares. Ceux-ci pourraient inclure une réduction du fardeau fiscal, une période d'exclusivité du marché ainsi qu'un accès au marché plus rapide. Si l'on s'appuie sur les répercussions positives qu'a eu l'ODA aux États-Unis, il est facile d'imaginer l'impact favorable qu'une telle initiative aurait sur le développement des médicaments pour les maladies rares.

#### **À propos du Dr Jacques Michaud :**

Le Dr Jacques Michaud est pédiatre et médecin généticien. Ses intérêts de recherche portent sur les bases génétiques des troubles de neurodéveloppement. Plus particulièrement, son laboratoire a adopté des approches génétiques de masse pour identifier de nouveaux gènes en lien avec la déficience intellectuelle, l'épilepsie et l'autisme. En tout, Dr Michaud a identifié plus de 15 gènes liés aux troubles de neurodéveloppement.

En parallèle, Dr Michaud est aussi le directeur scientifique du Centre intégré de génomique de la clinique pédiatrique du CHU Sainte-Justine et Génome Québec, qui vise à valider et intégrer les analyses génomiques en clinique.