

MÉMOIRE DE LA SOCIÉTÉ DE LA SLA DU CANADA

Sommaire

La Société de la SLA du Canada (SLA Canada) est heureuse de participer au processus de consultation prébudgétaire et vous remercie de cette occasion de transmettre aux membres du Comité permanent des finances de la Chambre des communes nos réflexions sur l'avenir de l'économie canadienne. La présente proposition porte sur l'un des piliers importants de la croissance économique au Canada : une population saine. La maladie impose des coûts considérables au système de soins de santé canadien et à l'économie canadienne.

La sclérose latérale amyotrophique (SLA) est une maladie neurodégénérative mortelle et la maladie du motoneurone la plus courante chez les adultes. La maladie entraîne chez les personnes atteintes une paralysie progressive attribuable à la dégénération du motoneurone supérieur et inférieur dans le cerveau et la moelle épinière. Le plus souvent, le décès survient à la suite d'une paralysie des muscles de la gorge et du diaphragme; le patient perd alors la capacité de déglutir, de tousser et de respirer. Dans 90 % à 95 % des cas, la SLA touche des personnes n'ayant aucun antécédent familial de la maladie. Elle peut survenir à tout âge, et le risque augmente avec l'âge. Toutefois, de nombreuses personnes sont frappées par la maladie dans la fleur de l'âge.

Il n'existe actuellement aucun remède connu ni traitement efficace pour contrer la maladie. Pour chaque personne recevant un diagnostic de SLA, une personne atteinte en meurt. Environ 2 500 à 3 000 Canadiens sont actuellement atteints de cette maladie mortelle. Huit pour cent des personnes atteintes de SLA meurent dans les deux à cinq ans suivant le diagnostic.

La vision de SLA Canada est de faire de la SLA une maladie guérissable d'ici 2024. Or, seul un engagement envers la recherche permettra de concrétiser cette vision. Outre le *Ice Bucket Challenge*, les bénévoles de SLA Canada recueillent, en moyenne, 1,5 million de dollars par années pour la recherche sur la SLA, mais nous ne pouvons pas réaliser notre objectif sans un financement gouvernemental permanent consacré à la recherche sur la SLA.

Nos recommandations sont les suivantes :

1. Le gouvernement fédéral devrait investir 25 millions de dollars sur 5 ans (soit 5 millions de dollars par année) pour maintenir l'élan établi par le *Ice Bucket Challenge* et le partenariat avec la Fondation Brain Canada et le Fonds canadien de recherche sur le cerveau.
2. Le gouvernement fédéral devrait investir 10 millions de dollars pour donner à chaque Canadien atteint de SLA (soit environ 3 000 Canadiens) la possibilité de fournir un échantillon à Projet MinE ainsi que de permettre le transfert de tous les échantillons entreposés des personnes décédées.

Fondée en 1977, SLA Canada est la seule organisation de santé bénévole nationale consacrée uniquement à la lutte contre la SLA et au soutien des personnes atteintes de la maladie. SLA Canada est la principale organisation sans but lucratif à travailler à l'échelle nationale au financement de la

recherche sur la SLA et, en collaboration avec les sociétés provinciales de SLA, nous travaillons à améliorer la qualité de vie des Canadiens souffrant de SLA.

1. Élan soutenu pour la recherche sur la SLA

Au cours des cinq dernières années, la recherche sur la SLA a avancé davantage qu'elle ne l'a fait au cours du dernier siècle. En 2016, la plupart des éminents chercheurs et cliniciens dans le domaine sont d'avis que nous disposons désormais des outils nécessaires pour comprendre les causes de la SLA, ce qui mènera en définitive à des traitements contre cette maladie mortelle.

Bien que la SLA héréditaire ne compte que pour 5 % à 10 % des cas, grâce à notre compréhension accrue des gènes et à la cartographie génétique, nous disposons de nouveaux outils à utiliser en laboratoire pour parfaire de façon considérable notre compréhension de la maladie. La plupart des chercheurs sur la SLA croient désormais que les ressources nécessaires à l'étude de nouvelles occasions d'enquêtes constituent la seule limite au développement de traitement en 2016. À titre d'exemple, sur les quelques 30 gènes que nous avons identifiés et cartographiés, bon nombre n'ont pas encore été examinés en détail ou exploré par plus d'un centre de recherche dans le monde. En fait, comme il est nécessaire de hiérarchiser le financement, la majeure partie de la recherche est axée uniquement sur les quatre mutations génétiques les plus courantes, dans l'espoir qu'elles nous en révéleront assez sur la maladie pour permettre le développement de traitements.

Le Canada se voit offrir une importante occasion de contribuer aux efforts de recherche mondiaux et à la recherche d'un traitement, mais l'investissement du gouvernement est requis. Grâce au *Ice Bucket Challenge* de 2014, les Canadiens ont conjugué leurs efforts comme jamais auparavant pour appuyer la recherche sur la SLA et le traitement de la maladie. L'initiative a permis de récolter 17 millions de dollars. De cette somme, 11,5 millions de dollars ont été consacrés à la recherche, auxquels se sont ajoutés 10 millions de dollars offerts dans le cadre d'un généreux programme par Brain Canada, par l'intermédiaire du Fonds canadien de recherche sur le cerveau du gouvernement fédéral. Cet investissement de 21,5 millions de dollars consacré à la recherche sur la SLA représente le plus important investissement ponctuel accordé à la recherche sur la SLA de l'histoire du Canada, mais l'élan créé par cet investissement risque de se dissiper sans un financement permanent pour l'appuyer.

Chaque année (à l'exception de 2014), la recherche sur la SLA au Canada est presque entièrement financée par des initiatives de collecte de fonds organisées par des citoyens ordinaires. Cependant, la communauté arrive habituellement à recueillir uniquement des sommes très limitées, en raison de la petite population de patients, du fardeau financier personnel et du fait qu'il n'existe aucune communauté de survivants. Si l'on compare avec des maladies chroniques plus répandues, comme le cancer et les maladies cardiovasculaires, lesquelles ont une vaste population de patients ainsi qu'une communauté de survivants, et avec les activités de collecte de fonds correspondantes, il devient vite évident que la collecte de fonds n'est pas une option réaliste pour appuyer la recherche sur la SLA. En outre, la faible prévalence rend également la SLA moins attrayante pour les entreprises pharmaceutiques et plus difficiles la concurrence pour l'obtention de subventions des Instituts de recherche en santé du Canada, ce qui se traduit, dans tous les cas, par la nécessité d'un soutien orienté provenant d'autres sources comme le gouvernement fédéral. En raison de la date d'échéance d'attribution de mars 2017 du Fonds canadien de recherche sur le cerveau, tous les fonds provenant du

partenariat actuel avec la Fondation Brain Canada seront entièrement investis d'ici 2016, et l'élan que nous avons créé deviendra difficile à maintenir. La poursuite de ces programmes est essentielle à la création d'un monde où la SLA est une maladie guérissable.

Les programmes actuellement exploités dans le cadre du partenariat avec la Fondation Brain Canada sont les suivants :

- 1) les Arthur J. Hudson Translational Team Grants (Hudson Grants) – regroupe des équipes de chercheurs provenant de diverses institutions en vue de s'attaquer à des aspects importants de la compréhension et du traitement de la SLA (de 5 à 10 subventions; 20 millions de dollars);
- 2) le Programme de subventions à la découverte – financement des meilleures idées novatrices pour recueillir une base de données; attire des idées originales et des enquêteurs provenant d'autres domaines et appliquant leur expertise à la SLA (30 subventions; 3 millions de dollars);
- 3) les bourses de transition de carrière – financement d'un scientifique à un moment crucial de sa carrière tandis qu'il déploie des efforts pour devenir collaborateur permanent de la communauté canadienne de recherche sur la SLA; le concours attire des applications prospectives ayant de grandes répercussions (appui accordé à cinq jeunes chercheurs; deux millions de dollars).

Ces trois programmes sont conçus pour travailler de concert dans un pipeline d'innovation visant à stimuler la poursuite des répercussions canadiennes de classe mondiale pour faire en sorte que la SLA soit une maladie guérissable et non plus mortelle d'ici 2014. Les outils découverts au cours des dernières années peuvent uniquement être utilisés dans le développement de traitements selon la disponibilité des ressources accessibles à cette fin. Les subventions à la découverte financent la compréhension novatrice du fonctionnement de ces éléments au niveau du laboratoire. Pour leur part, les bourses de transition de carrière sont importantes pour veiller à l'épanouissement de jeunes professeurs dont l'esprit stimule l'innovation et qui deviendront des chefs de file dans le domaine. Enfin, les Hudson Grants accéléreront la transition en clinique des découvertes effectuées au cours des cinq dernières années en vue du développement de traitements de première ligne qui augmenteront davantage l'efficacité des travaux à venir. En ce qui a trait au traitement de la SLA, c'est désormais davantage une question de temps que de possibilité, et le moment où ce traitement sera développé dépend en définitive du soutien financier nécessaire pour étudier les percées récentes.

Recommandation :

Le gouvernement fédéral devrait investir 25 millions de dollars sur 5 ans (soit 5 millions de dollars par année) pour maintenir l'élan établi par le *Ice Bucket Challenge* et le partenariat avec la Fondation Brain Canada et le Fonds canadien de recherche sur le cerveau.

2. Positionner le Canada comme chef de file dans un effort mondial novateur pour comprendre les causes génétiques de la SLA

Bien que la SLA non héréditaire (sporadique) représente près de 95 % de tous les cas de SLA, nous commençons à peine à avoir la technologie pour étudier directement la maladie sporadique. À ce jour, les études génétiques portant sur la SLA ont examiné la maladie héréditaire (familiale), en plus de repérer plusieurs mutations génétiques pouvant être transmises d'un parent à un enfant. Ces mutations génétiques permettent aux chercheurs de créer des modèles cellulaires et animaux de la maladie afin de découvrir les causes de la SLA et de développer des traitements qui, espérons-le, fonctionneront sur un grand pourcentage de cas.

Pour la première fois de l'histoire, nous avons la capacité de repérer la signature génétique sous-jacente de la SLA sporadique grâce au séquençage du génome entier, qui permet au final d'effectuer une mesure de chaque paire de base d'ADN constituant une personne (soit trois milliards de fragments d'ADN). Le but est de comprendre quelles signatures génétiques (plutôt qu'une seule mutation génétique) pourraient causer la SLA ou rendre les personnes représentant 95 % des cas plus susceptibles de contracter la SLA.

Project MinE (www.projectmine.com) [EN ANGLAIS SEULEMENT] est un effort collaboratif multinational révolutionnaire visant à offrir le séquençage du génome entier à 15 000 personnes souffrant de SLA ainsi que de 7 500 échantillons témoins en vue d'établir une ressource mondiale de données qui permettra aux scientifiques partout dans le monde de comprendre la signature génétique qui cause la SLA chez une personne. En plus d'en apprendre davantage sur les causes génétiques de la SLA sporadique, Project MinE donnera la capacité d'analyser les gènes qui ont une incidence sur l'âge d'apparition de la SLA, la progression de la maladie et la survie après le diagnostic. Compte tenu des disparités quant à la présentation et à l'évolution de la SLA, les données obtenues grâce à Project MinE formeront la base de traitements médicaux personnalisés futurs.

Le projet du génome humain (le premier séquençage du génome entier d'un humain) avait coûté environ 2,7 milliards de dollars lorsqu'il a pris fin en 2000. En 2007, le premier service de séquençage du génome entier direct aux consommateurs était offert par une entreprise appelée Knome pour la somme de 350 000 \$. Par la suite, le coût par génome a continué de chuter à mesure que des avancées étaient effectuées quant à la technologie utilisée, passant à 100 000 \$ en 2008 et à 10 000 \$ en 2010. Enfin, une nouvelle instrumentation à l'Université McGill a permis une réduction supplémentaire, portant le coût par génome entre 1 300 \$ et 1 500 \$ en 2016. Des coûts supplémentaires pour la logistique d'envoi des échantillons et de stockage des données s'appliquent également. Avec tous ces coûts, l'ensemble du projet mondial est certes très dispendieux, mais enfin possible, particulièrement lorsque les pays travaillent en collaboration pour utiliser le plein potentiel des fonds, des ressources et des échantillons. Il est d'autant plus important de bien utiliser les échantillons pour une maladie rare comme la SLA pour laquelle aucun pays ne pourrait jamais atteindre seul ce niveau de signification statistique.

En 2016, le Canada est devenu le 17^e pays à se joindre à Project MinE, ce qui a marqué le début d'un engagement de 150 000 \$ de la part de SLA Canada au séquençage d'environ 100 génomes. La composante canadienne de Project MinE vise à réunir les quatre principaux généticiens de la SLA, qui sont basés à Vancouver, à Toronto, à Montréal et à Québec, pour la toute première collaboration pancanadienne. Chacun d'eux a été à la tête ou membre de consortiums internationaux qui ont mené à certaines des découvertes les plus importantes dans le domaine de la génétique. Ils représentent également un équilibre géographique qui



ALS Society of Canada
Société de la SLA du Canada

WWW.ALS.CA

permettrait d'obtenir un ensemble collaboratif d'échantillons canadiens représentatifs des cas de SLA à l'échelle du pays.

Un investissement du gouvernement fédéral dans Project MinE créerait une occasion sans précédent pour chaque Canadien atteint de SLA, pour bon nombre de leurs proches (à titre de témoins) et pour les Canadiens décédés de la maladie de laisser leur marque en contribuant directement à la recherche qui nous aidera à mieux comprendre la maladie et ainsi nous permettre de développer de nouveaux traitements. Qui plus est, un tel investissement positionnerait le Canada comme chef de file mondial reconnu dans la lutte pour faire de la SLA une maladie guérissable de façon directe et concrète avec des résultats à signaler définis. Par ailleurs, l'inclusion d'un grand nombre d'échantillons canadiens à ce bassin mondial enrichira la variété génétique des données finales, particulièrement compte tenu de notre grande diversité ethnique. Une mobilisation pourrait même améliorer les capacités thérapeutiques médicales personnalisées futures précisément dans ce pays, non seulement pour la SLA, mais, par l'utilisation de données témoins, pour l'étude d'autres maladies. Un jour, Project MinE permettra aux scientifiques de comprendre, pour la première fois, les causes génétiques sous-jacentes de la SLA sporadique, un mystère que, jadis, certains croyaient impossible à résoudre. Avec l'accès à ce grand nombre de données, qu'un pays ne pourrait recueillir à lui seul, nous nous attendons à découvrir les signatures génétiques de la maladie, ce qui accélèrera considérablement notre compréhension de la SLA et notre capacité à faire avancer les possibilités de traitement qui ralentiront ou éradiqueront la SLA.

Recommandation :

Le gouvernement fédéral devrait effectuer un investissement ponctuel de 10 millions de dollars pour donner à chaque Canadien atteint de SLA (soit environ 3 000 Canadiens) la possibilité de fournir un échantillon à Project MinE ainsi que de permettre le transfert de tous les échantillons entreposés des personnes décédées.