

**EVIDENCE**

OTTAWA, Wednesday, October 1, 2025

The Standing Senate Committee on Social Affairs, Science and Technology met this day at 4:15 p.m. [ET] to Bill S-201, An Act respecting a national framework on sickle cell disease.

**Senator Rosemary Moodie (Chair)** in the chair.

[*English*]

**The Chair:** Welcome to this meeting of the Standing Senate Committee on Social Affairs, Science and Technology. My name is Rosemary Moodie, a senator from Ontario and the chair of this committee.

Before we begin, I'd like to go around the table and have senators introduce themselves.

**Senator Osler:** Senator Flodeliz (Gigi) Osler, representing Manitoba.

**Senator McPhedran:** Marilou McPhedran, representing Manitoba.

**Senator Senior:** Paulette Senior, representing Ontario.

**Senator Greenwood:** Margo Greenwood from British Columbia.

**Senator Arnold:** Dawn Arnold from New Brunswick.

**Senator Burey:** Sharon Burey, senator for Ontario.

[*Translation*]

**Senator Petitclerc:** Chantal Petitclerc from Quebec.

[*English*]

**Senator Bernard:** Wanda Thomas Bernard, senator from Mi'kmaw territory, Nova Scotia.

[*Translation*]

**Senator Gerba:** Amina Gerba from Quebec. I am not a member of the committee.

[*English*]

**Senator Surette:** Allister Surette, Nova Scotia.

**Senator Muggli:** Tracy Muggli, Treaty 6 territory, Saskatchewan.

**The Chair:** Thank you, senators.

**TÉMOIGNAGES**

OTTAWA, le mercredi 1<sup>er</sup> octobre 2025

Le Comité sénatorial permanent des affaires sociales, des sciences et de la technologie se réunit aujourd'hui, à 16 h 15 (HE), pour étudier le projet de loi S-201, Loi concernant un cadre national sur la maladie falciforme.

**La sénatrice Rosemary Moodie (présidente)** occupe le fauteuil.

[*Traduction*]

**La présidente :** Bienvenue à cette réunion du Comité sénatorial permanent des affaires sociales, des sciences et de la technologie. Je suis Rosemary Moodie, sénatrice de l'Ontario et présidente de ce comité.

Avant de commencer, j'aimerais faire un tour de table pour que les sénateurs se présentent.

**La sénatrice Osler :** Sénatrice Flodeliz (Gigi) Osler, du Manitoba.

**La sénatrice McPhedran :** Marilou McPhedran, du Manitoba.

**La sénatrice Senior :** Paulette Senior, de l'Ontario.

**La sénatrice Greenwood :** Margo Greenwood, de la Colombie-Britannique.

**La sénatrice Arnold :** Dawn Arnold, du Nouveau-Brunswick.

**La sénatrice Burey :** Sénatrice Burey, de l'Ontario.

[*Français*]

**La sénatrice Petitclerc :** Chantal Petitclerc, du Québec.

[*Traduction*]

**La sénatrice Bernard :** Wanda Thomas Bernard, sénatrice du territoire micmac en Nouvelle-Écosse.

[*Français*]

**La sénatrice Gerba :** Amina Gerba, du Québec. Je ne suis pas membre du comité.

[*Traduction*]

**Le sénateur Surette :** Allister Surette, de la Nouvelle Écosse.

**La sénatrice Muggli :** Tracy Muggli, du territoire du Traité n° 6, en Saskatchewan.

**La présidente :** Merci, sénateurs.

Colleagues, we will hear from all the witnesses on the meeting notice today; however, I will ask that we carve out 10 minutes at the end of the meeting for a quick in camera session.

Today, we are starting our study on Bill S-201, An Act respecting a national framework on sickle cell disease. Joining us today for the first panel, we welcome the Honourable Dr. Mégie, former senator, who introduced the bill in the Senate in May, and the Honourable Senator Ince, who is now the sponsor of the bill.

Thank you for joining us today. You will each have five minutes for your opening statements, followed by questions from committee members. Senator Ince, the floor is yours.

**Hon. Senator Tony Ince, sponsor of the bill:** Thank you, Madam Chair and members of the Standing Senate Committee on Social Affairs, Science and Technology, for your consideration, and a very special thanks to the witnesses who have joined us today. You are all very busy people. We genuinely appreciate the time you have dedicated to Bill S-201, An Act respecting a national framework on sickle cell disease.

This framework will change lives and save lives.

Because I have a close family member with sickle cell disease, this framework is deeply personal. I am here because a senator retired. By asking me to become the sponsor of this bill, that senator bestowed upon me a great confidence for which I am deeply grateful.

I will conclude my remarks now so that, without further delay, the next speaker, the original sponsor of this bill, the Honourable Dr. Marie-Françoise Mégie, may have the floor.

[*Translation*]

**Hon. Marie-Françoise Mégie, former senator, as an individual:** Thank you, Madam Chair.

Honourable senators, good afternoon. I thank Senator Ince for agreeing to sponsor our bill. I thank the members of the committee for giving me the opportunity to speak today to Bill S-201.

Long before my arrival in the Senate, I was deeply moved by the stories shared with me by friends who, in their fight against sickle-cell disease, recounted the intense pain endured by their loved ones and the lack of understanding they often faced in hospitals. This disease has a major impact, not only on those who suffer directly from it, but also on their families and caregivers, who bear this heavy burden every day.

Chers collègues, nous allons entendre tous les témoins qui figurent sur l'avis de convocation d'aujourd'hui. Je demanderais toutefois que l'on prévoie 10 minutes à la fin de la réunion pour tenir une courte réunion à huis clos.

Nous entamons aujourd'hui notre étude du projet de loi S-201, Loi concernant un cadre national sur la maladie falciforme. Dans le premier groupe de témoins, nous accueillons aujourd'hui l'honorable Mme Mégie, ancienne sénatrice, qui a présenté le projet de loi au Sénat en mai, et l'honorable sénateur Ince, qui est le parrain de loi.

Merci de vous joindre à nous aujourd'hui. Vous disposerez chacun de cinq minutes pour faire vos remarques liminaires, qui seront suivies des questions des membres du comité. Sénateur Ince, la parole est à vous.

**L'hon. sénateur Tony Ince, parrain du projet de loi :** Merci, madame la présidente et mesdames et messieurs les membres du Comité sénatorial permanent des affaires sociales, des sciences et de la technologie, de votre étude, et je tiens à remercier tout particulièrement les témoins qui se sont joints à nous aujourd'hui. Vous êtes tous très occupés. Nous vous sommes sincèrement reconnaissants du temps que vous avez consacré au projet de loi S-201, Loi concernant un cadre national sur la maladie falciforme.

Ce cadre changera et sauvera des vies.

Comme j'ai un proche atteint de la maladie falciforme, ce cadre me touche personnellement. Je suis ici parce qu'une sénatrice a pris sa retraite. En me demandant de parrainer ce projet de loi, cette sénatrice m'a accordé une grande confiance, dont je lui suis profondément reconnaissant.

Je vais maintenant conclure mes remarques pour que, sans plus tarder, la prochaine intervenante, la marraine initiale du projet de loi, l'honorable Marie-Françoise Mégie, puisse prendre la parole.

[*Français*]

**L'honorable Marie-Françoise Mégie, ancienne sénatrice, à titre personnel :** Merci, madame la présidente.

Honorables sénateurs et sénatrices, bonjour. Merci au sénateur Ince d'avoir accepté de parrainer notre projet de loi. Merci aux membres du comité de m'accorder l'occasion de prendre la parole aujourd'hui au sujet du projet de loi S-201.

Bien avant mon arrivée au Sénat, j'ai été touchée par les confidences de mes amies qui, dans leur combat contre la maladie falciforme, me racontaient les douleurs intenses de leurs proches et l'incompréhension à laquelle ils faisaient face dans les hôpitaux. Cette maladie a un impact majeur, non seulement sur ceux qui en souffrent directement, mais aussi sur leurs familles et leurs aidants, qui partagent au quotidien ce lourd fardeau.

These powerful testimonies point to an urgent need for action. That is how the idea was born to introduce legislation on sickle-cell disease — Bill S-280 — during the 44th Parliament. Others had thought of this before me, such as the Member of Parliament for Etobicoke North in the House of Commons.

As I explained in my speech in the House, this genetic blood disorder significantly reduces patients' life expectancy, causes severe chronic suffering, and even leads to disability. For many, without proper care, it is a true death sentence. It is estimated that about 6,000 people live with sickle-cell disease in Canada, and that number is expected to rise.

At present, many people living in remote regions do not have access to specialized sickle-cell care teams. Given that the prevalence of this disease is higher among Black and racialized populations, additional barriers — including socio-economic challenges, systemic discrimination, and structural racism — make care even more difficult to access. This is highlighted in the Public Health Agency of Canada's 2020 report *Social Determinants and Inequities in Health for Black Canadians: A Snapshot*.

To remain within my five minutes, I will focus specifically on the content of the national framework.

This framework proposes nine actions. Each action calls on designated entities to act in partnership with the federal government and in collaboration with the provinces. Here are the requested actions.

Regulatory bodies for physicians, nurses and other health professions should incorporate sickle-cell disease into training curricula — for both learners and practising members.

The federal government should provide ongoing support to the Canadian sickle-cell disease registry to ensure its operation, administration and long-term sustainability.

Federal regulatory bodies should develop harmonized national guidelines to inform health policies. The Canadian Hemoglobinopathy Association, CanHaem, has developed one, but it is not widely disseminated.

The federal government, together with the provinces, should ensure equitable access to universal newborn screening for sickle-cell disease across Canada.

Associations and community organizations should develop public education initiatives to reduce stigma against those living with the disease.

Ces histoires marquantes indiquent un besoin urgent d'agir. C'est ainsi qu'est née l'idée de présenter le projet de loi S-280 sur la maladie falciforme lors de la 44<sup>e</sup> législature. D'autres avant moi y avaient pensé, comme la députée d'Etobicoke-Nord à la Chambre des communes.

Comme je l'ai expliqué dans mon discours devant cette assemblée, cette maladie génétique du sang réduit considérablement l'espérance de vie des patients. Elle entraîne des souffrances chroniques intenses et invalidantes. Elle cause même l'invalidité. Pour plusieurs, s'ils ne reçoivent pas les soins appropriés, c'est une véritable condamnation à mort. De plus, on estime que 6 000 personnes vivent avec la maladie falciforme au Canada. Ce nombre risque d'augmenter.

Présentement, de nombreuses personnes vivant dans des régions éloignées ne peuvent avoir accès aux équipes de soins spécialisées en maladie falciforme. Étant donné que la prévalence de cette maladie est plus élevée chez les populations noires et racisées, en plus des facteurs socioéconomiques, des obstacles liés à la discrimination systémique et au racisme structurel rendent la prise en charge encore plus difficile. Ce que je viens d'affirmer est tiré du document *Déterminants sociaux et inéquités en santé des Canadiens Noirs: un aperçu*, de l'Agence de la santé publique du Canada, publié en 2020.

Pour ne pas dépasser mes cinq minutes, je vais vous entretenir spécifiquement du contenu du cadre national.

Ce cadre propose neuf actions. Chaque action mobilise des entités désignées pour agir en partenariat avec le gouvernement fédéral et en collaboration avec les provinces. On demande :

Que les instances réglementaires des médecins, des infirmières et des autres professions de la santé insèrent cette maladie dans le curriculum de formation, tant pour les apprenants que pour leurs membres.

Que le gouvernement fédéral assure un soutien continu au registre canadien de la maladie falciforme afin d'en garantir le fonctionnement, l'administration et la viabilité.

Que les instances réglementaires fédérales élaborent des lignes directrices nationales harmonisées pour orienter les politiques de santé. L'Association canadienne d'hémoglobinopathie (CanHaem) en a élaboré une, mais elle n'est pas suffisamment diffusée.

Que le gouvernement fédéral, de concert avec les provinces, veille à assurer un accès équitable au dépistage néonatal universel de la maladie falciforme partout au Canada.

Que les associations et les organismes communautaires développent des initiatives d'éducation populationnelle pour réduire la stigmatisation des personnes atteintes.

The federal government, in partnership with the provinces and through Canadian Blood Services and Héma-Québec, should ensure a diverse blood supply in Canada's blood banks.

The federal government should explore the feasibility of a tax credit for individuals living with sickle-cell disease and for their caregivers.

The federal government should examine the possibility of including specific criteria to make sickle-cell disease eligible for existing disability benefits.

Finally, the federal government should study the integration of essential treatments for sickle-cell disease into public drug insurance plans.

During my time in the Senate, I devoted myself to raising public awareness about sickle-cell disease at various events, including the annual breakfast on June 19, National Sickle Cell Awareness Day, which many of you know about.

Honourable colleagues, my greatest wish is that sickle-cell disease be widely known and that it benefit from improved care at all levels of intervention: prevention, diagnosis, treatment — including blood transfusions — and patient support.

I am available to answer your questions.

Thank you very much.

[English]

**The Chair:** Thank you, former Senator Mégie. We will now proceed to questions from committee members. For this panel, senators will have four minutes each for their questions, and that includes the answer.

**Senator Osler:** Thank you both for being here. Dr. Mégie, it is especially nice to have you back.

I have two questions related to scope and timeline. My first question regards the fact that the bill legislates that the federal Minister of Health must develop a national framework on sickle cell disease and that framework must set national standards for the diagnosis and treatment of sickle cell disease. Is it the bill's intent to have the federal Department of Health set standards for diagnosing and treating medical conditions, and if so, who will assess if the standards are being met or not?

Regarding the second question, the timeline to table the national framework is one year. It's a fantastic framework but quite complex and with many parts, including education and training measures, standards, a national registry, neonatal

Que le gouvernement fédéral, avec les provinces, par le truchement de la Société canadienne du sang et d'Héma-Québec, veille à assurer une réserve diversifiée dans l'ensemble des banques de sang au Canada.

Que le gouvernement fédéral explore la faisabilité d'un crédit d'impôt pour les personnes atteintes de la maladie falciforme et pour leurs aidants naturels.

Que le gouvernement fédéral examine la possibilité d'inclure des critères spécifiques permettant à la maladie falciforme d'être admissible aux prestations d'invalidité existantes.

Enfin, que le gouvernement fédéral étudie l'intégration des traitements essentiels aux soins de la maladie falciforme dans les régimes publics d'assurance médicaments.

Lors de mon passage au Sénat, je me suis dédiée à l'éducation populationnelle à la maladie falciforme dans plusieurs événements, dont le petit-déjeuner annuel du 19 juin. Plusieurs d'entre vous connaissent la Journée nationale de la sensibilisation à la drépanocytose.

Honorables collègues, mon souhait le plus cher est que la maladie falciforme soit connue de tous et qu'elle fasse l'objet d'une meilleure prise en charge à tous les niveaux d'intervention : prévention, diagnostic, traitement, incluant les transfusions sanguines et l'accompagnement.

Je suis disponible pour répondre à vos questions.

Merci beaucoup.

[Traduction]

**La présidente :** Merci, ancienne sénatrice Mégie. Nous allons maintenant passer aux questions des membres du comité. Pour ce groupe de témoins, les sénateurs disposeront de quatre minutes chacun pour poser leurs questions, ce qui comprend les réponses.

**La sénatrice Osler :** Merci à vous deux d'être ici. Madame Mégie, c'est particulièrement agréable de vous revoir.

J'ai deux questions concernant la portée et le délai. Ma première question porte sur le fait que le projet de loi prévoit que le ministre fédéral de la Santé doit élaborer un cadre national sur la maladie falciforme qui fixe des normes nationales pour le diagnostic et le traitement de la maladie falciforme. Le projet de loi vise-t-il à ce que le ministère fédéral de la Santé fixe des normes pour le diagnostic et le traitement des maladies et, le cas échéant, qui évaluera si les normes sont respectées ou non?

Pour ce qui est de la seconde question, le délai pour présenter le cadre national est d'un an. C'est un cadre fantastique, mais très complexe qui comporte de nombreux volets, notamment des mesures d'éducation et de formation, des normes, un registre

screening, drug plan analysis and tax credit analysis. Is one year realistic?

[*Translation*]

**Dr. Mégie:** Thank you for the question, Senator Osler.

For the first question, who will ensure that these measures are taken? You know that it is not the government that will develop everything related to training. There are regulatory bodies, such as CanHaem, that have started to do this and have produced a good document. However, when I mentioned it to my colleagues in the medical profession, no one was aware of it. It is important to work with the professional bodies that are involved in this. The government is not directly involved. However, it needs to be aware that this will be part of the framework.

Next, you're saying it's complex, right? Will we be able to do it in a year, is that right?

[*English*]

**Senator Osler:** It's a very ambitious timeline for the framework with all the components to be tabled. Are you able to comment on that ambitious 12-month timeline?

[*Translation*]

**Dr. Mégie:** Thank you for saying that it is ambitious. It is a shared task. Part of it will involve bodies such as the Canadian Medical Association and the Royal College of Physicians and Surgeons of Canada. All of these people will be called upon.

On the other hand, the sickle-cell anemia associations of Canada and Quebec will be responsible for anything related to the population. They have already begun doing that work. They have documents on the internet about what to say to teachers when children are discriminated against at school and how to get organized. A lot has already been done, but it needs to be consolidated.

A number of partners are involved in this. When it comes to the registry, specialists are involved. There is a group that has responsibilities, but those responsibilities are shared among several partners. That's what I said in my presentation. It can't be separated, but as I said before, some partners will be working with the federal government. For the registry, for example, the federal government will be the leader, but we will need all the provinces and territories to consult their ethics committees and groups to do this.

national, un dépistage néonatal, une analyse du régime d'assurance-médicaments et une analyse des crédits d'impôt. Un délai d'un an est-il réaliste?

[*Français*]

**Dre Mégie :** Merci pour la question, sénatrice Osler.

Pour la première question, qui s'assurera que ces mesures soient prises? Vous savez que ce n'est pas le gouvernement qui va élaborer tout ce qui a trait à la formation. Il y a des instances réglementaires, comme le CanHaem, qui avaient commencé à le faire et qui ont fait un bon document. Cependant, lorsque j'en ai parlé à mes collègues médecins, personne n'était au courant de celui-ci. Il est important de travailler du côté des instances professionnelles qui y travaillent. Le gouvernement n'est pas directement impliqué. Toutefois, il doit savoir que cela entrera dans le cadre.

Ensuite, vous dites que c'est complexe? Est-ce qu'on sera capable en un an, c'est bien cela?

[*Traduction*]

**La sénatrice Osler :** C'est un délai très ambitieux pour présenter le cadre avec tous les éléments qu'il comporte. Pouvez-vous vous prononcer sur ce délai ambitieux de 12 mois?

[*Français*]

**Dre Mégie :** Merci de dire que c'est ambitieux. C'est une tâche partagée. Une partie concernera les instances comme l'Association médicale canadienne et le Collège royal des médecins et chirurgiens du Canada. Tout ce monde sera interpellé.

D'un autre côté, tout ce qui est en lien avec la population, les associations d'anémie falciforme du Canada et du Québec auront la responsabilité de le faire. Elles ont déjà commencé à le faire. Elles ont des documents sur Internet par rapport à ce qu'on dit aux professeurs quand les enfants sont discriminés à l'école et comment s'organiser. Il y a beaucoup de choses qui sont déjà faites, mais qu'il faut regrouper.

Il y a plusieurs partenaires là-dedans. Quand on arrive au registre, il y a des spécialistes qui sont là. Il y a un groupe qui a des responsabilités, mais ce sont des responsabilités partagées entre plusieurs partenaires. C'est ce que j'ai dit dans ma présentation. On ne peut pas le séparer, mais comme je l'ai déjà dit, certains partenaires vont s'associer avec le gouvernement fédéral. Pour le registre, par exemple, il y aura le gouvernement fédéral comme leader, mais on aura besoin que tous les provinces et territoires s'adressent à leurs comités d'éthique et à leurs groupes pour faire cela.

*[English]*

**Senator Hay:** Nice to see you again. It was only briefly that we worked together — just minutes that I saw you in the Red Chamber.

I have two questions. They might be interrelated. First, have you received — or do you anticipate — any pushback, which could actually be systemic discrimination, regarding the proposed tax credits or inclusion in disability benefits? If so, how do you suggest we address that?

Second, how do we ensure Bill S-201 addresses the historical under-representation of sickle cell disease in Canadian health policy, which could also be systemic discrimination, and how do we build accountability into the policy to ensure that discrimination does not happen?

*[Translation]*

**Dr. Mégie:** Thank you for the question.

I have been working with sickle-cell anemia associations for many years. I have never heard of any opposition. On the contrary, everyone is expecting something to happen. They dream of the day when it will become law. Unless you have heard of opposition somewhere, I have not heard of any opposition so far. On the contrary, everyone is behind the bill.

Could you repeat your second question?

*[English]*

**Senator Hay:** Because of the under-representation of sickle cell in health policy, I worry about it perhaps being agreed upon, adopted, legislated and then pushed to the side. How do we build accountability into the policy so that it isn't so under-represented?

*[Translation]*

**Dr. Mégie:** They are already neglected. Sickle-cell disease is already neglected. That is one of the reasons that motivated me to move forward with this bill.

All the researchers and specialists tell me that when they submit a proposal for research, it is not even considered. There is no data or registry. We don't know how many people are affected in Canada. The figure of 6,000 is an estimate. There is no proof of that yet. We need a registry. That is why the bill calls for one. We need a data registry. Otherwise, research funding applications will never be accepted.

*[Traduction]*

**La sénatrice Hay :** Je suis ravie de vous revoir. Nous n'avons travaillé ensemble que brièvement, quelques minutes seulement, lorsque je vous ai vue dans la Chambre rouge.

J'ai deux questions. Elles sont peut-être liées. Premièrement, avez-vous reçu — ou prévoyez-vous recevoir — des objections, ce qui pourrait en fait constituer de la discrimination systémique, concernant les crédits fiscaux proposés ou l'inclusion dans les prestations d'invalidité? Le cas échéant, comment suggérez-vous que nous y répondions?

Deuxièmement, comment pouvons-nous nous assurer que le projet de loi S-201 reméde à la sous-représentation de la maladie falciforme dans la politique canadienne en matière de santé, ce qui pourrait également constituer de la discrimination systémique, et comment pouvons-nous intégrer la reddition de comptes dans la politique pour garantir qu'il n'y ait pas de discrimination?

*[Français]*

**Dre Mégie :** Merci pour la question.

Cela fait plusieurs années que je travaille avec des associations de l'anémie falciforme. Je n'ai jamais entendu de contestation. Au contraire : tout le monde s'attend à voir quelque chose. Ils rêvent du jour où cela deviendra loi. À moins que vous n'ayez entendu parler de contestations quelque part. Jusqu'ici je n'ai pas entendu de contestation. Au contraire, tout le monde est derrière le projet de loi.

Pourriez-vous répéter votre deuxième question?

*[Traduction]*

**La sénatrice Hay :** En raison de la sous-représentation de la maladie falciforme dans la politique en matière de santé, je m'inquiète qu'elle soit approuvée, adoptée, légiférée, puis mise de côté. Comment pouvons-nous intégrer la reddition de comptes dans la politique afin que la maladie ne soit pas sous-représentée?

*[Français]*

**Dre Mégie :** Ils sont déjà négligés. La maladie falciforme est déjà négligée. C'est une des raisons qui m'ont motivée à aller de l'avant avec ce projet de loi.

Tous les chercheurs et spécialistes me disent que dès qu'on fait une soumission pour de la recherche, ils ne les regardent même pas. Il n'y a pas de données ou de registre. On ne connaît pas le nombre de personnes atteintes au Canada. Le chiffre de 6 000 est une estimation. Il n'y a pas encore de preuve de cela. Cela prend un registre. C'est pour cette raison que le projet de loi le demande. Cela prend un registre de données. Sinon, on n'acceptera jamais les demandes de fonds pour de la recherche.

**Senator Hay:** Thank you.

[*English*]

**Senator McPhedran:** I want to add my warm welcome to Dr. Mégie, and I'm happy to have Senator Ince with us, as well.

I want to try to better understand how you believe this framework will influence treatments. It seems that some of the biggest barriers include rare blood types. Do you feel that, in the framework, this will make a difference in increasing access for rare blood types?

[*Translation*]

**Dr. Mégie:** It would make a difference for what?

[*English*]

**Senator McPhedran:** Do you envision the framework as making things better for patients who must access rare blood types?

[*Translation*]

**Dr. Mégie:** The difference is already there. The framework seeks to address this by asking Canadian Blood Services and Héma-Québec to ensure that they have as many blood donors as possible from all regions and ethnic backgrounds affected by this disease. As you know, apart from the normal groups, which are A, B and O and which everyone knows about, multiple antigens also exist that may stem from different ethnic groups. These antigens have already been set aside. If people are aware and informed, they'll know that they need to donate blood to ensure the maximum possible supply. This responsibility will be shared by major institutions such as Canadian Blood Services and Héma-Québec.

[*English*]

**Senator McPhedran:** Acknowledging the responsibility, do you feel that this framework will either encourage or perhaps push those agencies to find more of the needed rare blood types?

[*Translation*]

**Dr. Mégie:** That's our goal. We want to push them to obtain what the framework requires.

[*English*]

**Senator Burey:** Honourable Dr. Mégie and Senator Ince, thank you very much. It is a pleasure seeing you here and having the bill come to our committee.

**La sénatrice Hay :** Merci.

[*Traduction*]

**La sénatrice McPhedran :** Je souhaite chaleureusement la bienvenue à Mme Mégie, et je suis ravie que le sénateur Ince soit des nôtres également.

Je veux essayer de mieux comprendre comment vous pensez que ce cadre influencera les traitements. Il semble que l'un des principaux obstacles soit certains groupes sanguins rares. Pensez-vous que ce cadre permettra d'améliorer l'accès aux groupes sanguins rares?

[*Français*]

**Dre Mégie :** Cela créerait une différence pour quoi?

[*Traduction*]

**La sénatrice McPhedran :** Envisagez-vous ce cadre comme un moyen d'améliorer l'accès des patients aux groupes sanguins rares?

[*Français*]

**Dre Mégie :** La différence est déjà là. C'est ce que le cadre veut implanter : demander à la Société canadienne du sang et Héma-Québec de s'assurer d'avoir le maximum de donneurs de sang possible venant de toutes les contrées ou de toutes les origines ethniques qui ont cette maladie. Comme vous le savez, à part les groupes normaux qui sont A, B et O et que tout le monde connaît, il y a aussi des antigènes multiples qui peuvent être dus aux différentes ethnies. Ils sont déjà mis de côté. Si la population est sensibilisée et informée, les gens sauront qu'ils doivent donner du sang pour qu'il y ait le maximum de sang possible. Ce sera une responsabilité partagée de grandes institutions, comme la Société canadienne du sang et Héma-Québec.

[*Traduction*]

**La sénatrice McPhedran :** Reconnaissant cette responsabilité, estimez-vous que ce cadre encouragera ou amènera ces agences à trouver davantage de groupes sanguins rares?

[*Français*]

**Dre Mégie :** C'est ce que l'on souhaite : réussir à les pousser pour obtenir ce que le cadre demande.

[*Traduction*]

**La sénatrice Burey :** Honorable madame Mégie et sénateur Ince, merci. C'est un plaisir de vous voir ici et d'être saisi du projet de loi à notre comité.

Dr. Mégie, I have a few questions based on the psychological and financial impacts of sickle cell on families and patients — and also something about having a diverse enough blood supply for our diverse populations in Canada.

I noticed that, as part of the framework, you propose that the Minister of Health ensure that sickle cell disease is included among the eligibility criteria for disability benefits. I commend this initiative. In my career as a pediatrician, I had to complete many forms for other conditions but, frankly, never for a patient with sickle cell disease because they are often denied right off the bat. Can you imagine that, especially given that it is a lifelong, life-threatening condition with quality-of-life impacts similar to cancer — and, like with diabetes, there is no chronic disease tax payment?

In your view, what financial and psychosocial impacts could having the tax and financial credits available have on people living with sickle cell disease?

[Translation]

**Dr. Mégie:** Thank you for the excellent question. They aren't eligible for anything.

As you know, some young adults with sickle-cell disease are making the effort to work or attend school. Unfortunately, they don't have any financial support. They may be absent for two or three months because of their illness, but they won't have any income. We want this factor taken into account. I noticed this factor when looking at the standard criteria on the completed forms. They don't meet the criteria. For this reason, we're asking that efforts be made to identify specific criteria for them, similar to the accommodations for type 1 diabetes. Since 2020, they have introduced criteria to ensure that people with type 2 diabetes can benefit from these subsidies. We're asking for the same thing. We want criteria pertaining to sickle-cell anemia. These criteria can be identified, given the disability that this condition creates. That's what we want.

**Senator Burey:** Thank you. I have another question.

[English]

During the sickle cell disease breakfast event in June 2025 — which was just tremendous — we learned that blood reserves from donors of African and Caribbean descent are extremely low in Canada. According to several researchers, this shortage is largely linked to the national policy that prohibits individuals who have previously contracted malaria or gone to malaria-infested areas from donating blood. In the United States, France

Madame Mégie, j'ai quelques questions concernant les répercussions psychologiques et financières de la maladie falciforme sur les familles et les patients, ainsi que sur la nécessité d'avoir un approvisionnement en sang suffisamment diversifié pour répondre aux besoins de la population canadienne dans toute sa diversité.

Dans le cadre, j'ai remarqué que vous proposez que le ministre de la Santé s'assure que la maladie falciforme soit incluse parmi les critères d'admissibilité pour les prestations d'invalidité. Je salue cette initiative. Durant ma carrière de pédiatre, j'ai dû remplir de nombreux formulaires pour d'autres maladies, mais, bien honnêtement, jamais pour un patient atteint de la maladie falciforme, car ces demandes sont souvent rejetées d'emblée. Pouvez-vous imaginer pareille situation, surtout qu'il s'agit d'une maladie chronique qui met la vie en danger et qui a des répercussions sur la qualité de vie semblables à celles du cancer — et que, comme pour le diabète, il n'existe pas de paiement fiscal pour les maladies chroniques?

À votre avis, quelles seraient les répercussions financières et psychosociales d'avoir des crédits fiscaux et financiers disponibles aux personnes atteintes de la maladie falciforme?

[Français]

**Dre Mégie :** Merci pour l'excellente question. Ils ne sont admissibles à rien.

Comme vous le savez, il y a de jeunes adultes atteints de la maladie falciforme et qui font l'effort de travailler ou d'aller à l'école. Ils n'ont malheureusement aucun support financier. Ils peuvent s'absenter deux ou trois mois, parce que la maladie leur impose, mais ils n'auront aucun revenu. C'est ce qu'on demande de regarder. C'est ce que j'ai constaté en regardant les critères normaux des formulaires remplis : ils ne répondent pas aux critères. C'est pour cette raison que nous demandons d'essayer de trouver des critères spécifiques à eux, tout comme l'accompagnement pour le diabète de type 1. Depuis 2020, ils ont introduit des critères pour que les personnes ayant le diabète de type 2 puissent bénéficier de ces subventions. C'est ce que nous demandons aussi : des critères relatifs à l'anémie falciforme. On peut en trouver compte tenu de l'invalidité que cela crée. C'est ce qu'on demande.

**La sénatrice Burey :** Merci. J'aurais une autre question.

[Traduction]

Durant le petit-déjeuner consacré à la maladie falciforme en juin 2025 — qui a été tout simplement formidable —, nous avons appris que les réserves de sang de donneurs d'origine africaine et caribéenne sont extrêmement faibles au Canada. D'après plusieurs chercheurs, cette pénurie est en grande partie attribuable à la politique nationale qui empêche les personnes qui ont déjà contracté le paludisme ou se sont rendues

and the United Kingdom, people who have contracted malaria are subject to a temporary deferral of three years.

In Canada, a strict blood donation restriction applies: That means you can never donate. Individuals who have travelled to affected regions are restricted, and if they have contracted malaria, they are subject to a permanent restriction.

In your opinion, why is this happening in Canada? Why are we not up to date with France, the United Kingdom and the OECD countries? Why is this happening in Canada?

[Translation]

**Dr. Mégie:** I really don't know why. We'll have government officials with us. We need to ask them about the criteria used to justify their refusal to follow the lead of the United States and the United Kingdom, because they could have done so.

Unfortunately, as you know, people of African origin head back to their countries for vacations. Their blood is badly needed, but they aren't allowed to donate. Maybe a government official could address this next time.

**Senator Petitclerc:** It's good to see you again, Senator Mégie. It's too awkward.

Thank you for taking over, Senator Ince.

I want to dig a bit deeper into these eligibility criteria. I'm keen to hear about them. Senator Burey and I touched on the eligibility criteria for the current disability benefits. I want to focus on the section referring to the need for this framework to include an analysis of the possibility of introducing a specific tax credit for people with sickle-cell disease and for caregivers. Does this mean that, based on your findings, the current disability tax credit isn't inclusive? Are the criteria not working? Does it have to do with the time frames? Why does this need to be part of the framework?

**Dr. Mégie:** This is important. Caregivers need financial support, and young people also need an income. This doesn't work in day-to-day life.

I tried to find for you the 2018 social affairs committee report entitled *Breaking Down Barriers*. It provided a critical analysis of the disability tax credit and the registered disability savings

dans des régions infestées par cette maladie de donner du sang. Aux États-Unis, en France et au Royaume-Uni, les personnes qui ont contracté le paludisme font l'objet d'une exclusion temporaire de trois jours.

Au Canada, une restriction stricte relative au don de sang s'applique. Cela signifie que ces personnes ne peuvent jamais donner leur sang. Les personnes qui ont voyagé dans des régions touchées sont soumises à une restriction, et si elles ont contracté le paludisme, elles sont assujetties à une restriction permanente.

À votre avis, pourquoi est-ce le cas au Canada? Pourquoi ne sommes-nous pas au même point que la France, le Royaume-Uni et les pays de l'OCDE? Pourquoi en est-il ainsi au Canada?

[Français]

**Dre Mégie :** Je ne sais vraiment pas pourquoi. Nous aurons avec nous des représentants du gouvernement. Il faudra leur demander sur quels critères ils se basent pour ne pas suivre les courants des États-Unis et du Royaume-Uni, parce qu'ils auraient pu le faire.

Malheureusement, comme vous le comprenez, c'est la population africaine qui retourne dans son pays en vacances, et ce sont eux qui ne sont pas admis, alors qu'on aurait tant besoin de leur sang. Peut-être qu'un membre du gouvernement pourrait y répondre une prochaine fois.

**La sénatrice Petitclerc :** C'est un plaisir de vous revoir, sénatrice Mégie. C'est trop inconfortable.

Merci de prendre le relais, sénateur Ince.

Je veux creuser un peu plus sur ces critères d'admissibilité. Cela m'intéresse beaucoup. On a touché, avec la sénatrice Burey, aux critères d'admissibilité pour les prestations d'invalidité existante. J'aimerais que l'on cible cette section qui dit qu'on aimerait que ce cadre comprenne une analyse pour peut-être penser à l'instauration d'un crédit d'impôt spécifique pour les personnes atteintes de la maladie falciforme et pour les aidants naturels. Cela veut-il dire que selon ce que vous avez trouvé comme information, le crédit d'impôt pour personnes handicapées qui existe présentement n'est pas inclusif? Les critères ne fonctionnent-ils pas? Est-ce parce qu'il y a des délais? Pourquoi pense-t-on qu'il serait important que cela fasse partie de ce cadre?

**Dre Mégie :** C'est important, parce que non seulement les aidants ont-ils besoin d'un support financier, mais le jeune a aussi besoin d'un revenu. Cela ne fonctionne pas dans la vie de tous les jours.

J'ai essayé de trouver pour vous le rapport du Comité des affaires sociales de 2018 intitulé *Éliminer les obstacles*. Il a fait une analyse critique du Crédit d'impôt pour personnes

plan. The report found that the criteria were too strict for people with sickle-cell disease to be eligible.

However, there's a nuance. They say "serious illness" and "long-term disability." Sickle-cell disease can result in a long-term disability, but it fluctuates. It can involve a long period of disability and invalidity and multiple hospitalizations. Afterwards, with the right treatment, including blood transfusions and red blood cell replacement, people can return to work and school. Six months later, they relapse. When they fill out disability documents, it's important to understand that the people will never fully recover. For this reason, experts could study this issue and include a specific criterion for it. There would be no need to change the entire form. A criterion should be included to make it easier for doctors to fill out forms to apply for subsidies.

**Senator Petitclerc:** I gather that this would involve including criteria that take into account a certain type of remission and some changes?

**Dr. Mégie:** Exactly. They did this for type 1 diabetes. They included criteria that fit with certain aspects of the disease's progression. They could do the same thing here. They did this in 2020. It's a recent development.

**Senator Petitclerc:** Thank you. That helps me a great deal.

[English]

**Senator Bernard:** Welcome back, Senator Mégie, and thank you to both of you for being here. A lot of my questions have been asked and answered, so I will go in a different direction than I originally planned.

For my first question, I wanted to come back to the whole question of access to blood donors. Senator Burey highlighted some of the barriers, but I'm wondering if there are internal barriers within the Black Canadian community. Are there barriers within the community, and if so, what are they and how might the framework address them?

My second question is this: There are some people who would argue that framework legislation is not very impactful, so how would this be different? How would this be impactful to the community that you've identified?

[Translation]

**Dr. Mégie:** Thank you for your question.

First, there are barriers to blood donation in some communities, especially generational barriers. Older people, and even people in my generation, lived with the idea that AIDS was spread by certain Black communities. They passed this prejudice

handicapées et du Régime enregistré d'épargne-invalidité. Ce rapport trouvait que ces critères étaient trop stricts pour qu'une personne atteinte de la maladie falciforme ne soit admissible.

Il y a toutefois une nuance. Ils disent « maladie grave » et « incapacité qui dure longtemps ». Le problème avec la maladie falciforme est que l'incapacité peut durer longtemps, mais elle évolue en montagnes russes. Cela peut passer par une longue période d'incapacité, d'invalidité et d'hospitalisations multiples. Par la suite, en recevant de bons traitements, dont les transfusions sanguines et le changement de globules rouges, ils reprennent le travail et l'école. Six mois plus tard, ils retombent. Quand ils remplissent les documents d'invalidité, il faut savoir que la personne ne sera jamais remise sur pied complètement. C'est pourquoi il pourrait y avoir des experts qui étudient ce phénomène et qui pourraient inclure un critère spécifique à cela, sans besoin de changer tout le formulaire. On devrait inclure un critère pour faciliter la tâche aux médecins qui remplissent les formulaires pour demander des subventions.

**La sénatrice Petitclerc :** Si je comprends bien, on inclut des critères qui respectent une certaine forme de rémission et des changements?

**Dre Mégie :** C'est cela. Ils ont fait cela pour le diabète de type 1. Ils ont entré des critères qui vont avec certains aspects de l'évolution de la maladie. Ils pourraient donc le faire ici aussi. Ils l'ont fait en 2020. C'est donc une chose récente.

**La sénatrice Petitclerc :** Merci. Cela m'aide beaucoup.

[Traduction]

**La sénatrice Bernard :** Bon retour, sénatrice Mégie, et merci à vous deux d'être ici. Bon nombre des questions que j'avais ont été posées et ont reçu une réponse, si bien que je vais aller dans une autre direction que celle que j'avais prévue au départ.

Pour ma première question, je voulais revenir à la question de l'accès aux donneurs de sang. La sénatrice Burey a souligné certains des obstacles, mais je me demande s'il y a des obstacles internes au sein de la communauté noire au Canada. Y a-t-il des obstacles au sein de la communauté et, le cas échéant, quels sont-ils et comment le cadre peut-il les éliminer?

Ma seconde question est la suivante : certaines personnes affirment que les lois-cadres n'ont pas une grande incidence. En quoi celle-ci serait-elle différente? Quelle incidence aurait-elle sur la communauté que vous avez cernée?

[Français]

**Dre Mégie :** Merci pour votre question.

Premièrement, pour les dons de sang, il y a des obstacles dans certaines communautés, surtout générationnels. Ceux qui sont plus âgés, et même ceux de ma génération, ont vécu l'idée que le sida était transmis par certaines communautés noires. Ils ont

on to their children. They now think to themselves, "I'll never give blood because people say that, since I'm Black, I'll infect others with AIDS." The children may have internalized this trauma because they were born here. They keep thinking, "I won't donate blood." Education and awareness are needed. It's a vicious circle. These components are necessary to clear up the misunderstandings.

Other people don't want to give blood for religious reasons. That's another barrier. It always comes down to education and awareness.

Does the complexity of the framework make any impact? Perhaps I've worked on it too much to notice its complexity. I don't find it complex, because each group has a role to play. We're talking to every organization that trains people, nurses, doctors and others so that they can do this part of the job. They must set national standards that all professionals need to follow.

The associations are working on educating the public. The specialists are in charge of the registry. Everyone has started planting their seeds and is beginning to work on them. At some point, all they need to do is collect them. Provincial data in particular can be used to create national data. That may be where the difficulties lie. It's necessary to overcome all these challenges and work on them. It will be a long process, but it must be done.

Did that answer your question?

[English]

**Senator Bernard:** Thank you.

**Senator Muggli:** The Honourable Marie-Françoise Mégie, nice to see you again.

My question is about the national standards and registry. Is there another health condition that has a registry and national standards in Canada that you would consider an example of best practice? Also, maybe there is another country that is doing this the best. If so, who would that be?

[Translation]

**Dr. Mégie:** We have models from other countries. Here in Ottawa, a registry is being set up with Dr. Pakhale. You'll be meeting with her tomorrow. She'll give you all the details. The registry is in its early stages. She's trying to connect with fellow experts in other provinces in order to make adjustments. Otherwise, we won't be able to move forward. The research won't get very far, and we want the research to proceed.

transmis ce préjugé à leurs enfants. Ils se disent maintenant : « Je ne vais jamais donner de sang, car on dit que parce que je suis Noir, je vais transmettre le sida. » Les enfants ont emmagasiné peut-être ce même traumatisme, car ils sont nés ici. Ils continuent de se dire : « Je ne vais pas donner de sang. » Il faut de l'éducation et de la sensibilisation. On ne s'en sort pas. Il le faut pour essayer de dissiper ces malentendus.

Pour d'autres, ce sont pour des raisons religieuses qu'ils ne veulent pas toucher à leur sang. C'est un autre obstacle. C'est toujours l'éducation et la sensibilisation.

Y a-t-il des répercussions parce que le cadre est trop complexe? Peut-être que j'ai trop travaillé là-dessus pour voir qu'il est complexe. Je ne le trouve pas complexe, car chaque groupe a son rôle à jouer. Nous sommes en train de parler à chaque instance qui donne de la formation aux gens, aux infirmières, aux médecins et autres, pour qu'ils fassent cette partie du travail qui est d'émettre des normes nationales pour que tous les professionnels les respectent.

Les associations travaillent sur la portion éducation de la population. Ce sont les spécialistes qui s'occupent du registre. Chacun a commencé à semer sa petite graine et commence à y travailler. Il suffit à un certain moment qu'on les ramasse, surtout lorsqu'il s'agit de données provinciales pour les rendre nationales. C'est peut-être là où il y aura des difficultés. Tous ces défis, on doit les vaincre et travailler dessus. Ce sera de longue haleine, mais on doit l'avoir.

Est-ce que cela a répondu à votre question?

[Traduction]

**La sénatrice Bernard :** Merci.

**La sénatrice Muggli :** Honorable Marie-Françoise Mégie, nous sommes ravis de vous revoir.

Ma question porte sur les normes nationales et le registre. Y a-t-il une autre maladie qui fait l'objet d'un registre et de normes nationales au Canada et que vous considérez comme un exemple de pratique exemplaire? De plus, il y a peut-être un pays qui s'y prend le mieux dans ce domaine. Si oui, lequel?

[Français]

**Dre Mégie :** Nous avons des modèles d'autres pays. Ici à Ottawa, un registre est en train de prendre forme avec la Dre Pakhale que vous allez recevoir demain. Elle va vous donner tous les détails. Le registre est naissant. Elle essaie justement de faire des contacts avec d'autres experts, comme elle, dans les autres provinces pour pouvoir s'ajuster. Sinon, on ne pourra pas aller de l'avant. La recherche n'ira pas loin, et on veut que la recherche se fasse.

[English]

**Senator Muggli:** Is there another health condition or disease for which a registry exists that is successful?

[Translation]

**Dr. Mégie:** I didn't quite understand the question.

[English]

**Senator Muggli:** For example, is there a national registry for a different condition, like diabetes and so on, that could be a model?

[Translation]

**Dr. Mégie:** Yes. This is important because we shouldn't reinvent the wheel. Nevertheless, we can draw inspiration from best practices and adapt them to our current efforts and to the reality of the disease in question. Even though a number of genetic blood disorders are involved, they don't all have the same treatment. They can't all be lumped together. That said, we can draw inspiration from existing practices. The private sector and associations will be doing a number of things. However, we also want government support for research.

[English]

**Senator Muggli:** Do you have an example?

[Translation]

**Dr. Mégie:** For example, Cystic Fibrosis Canada has worked hard to develop a registry that contains 40 years of data. We spoke with them. One of their representatives said that he's ready to meet with us to provide inspiration whenever we want.

[English]

**Senator Muggli:** Is there another country we should look to for expertise?

[Translation]

**Dr. Mégie:** Yes. Our experts in Ottawa may tell you that we need to look at the practices in France and Great Britain. These places are way ahead of us given the high proportion of the population affected by sickle-cell disease. These two countries are way ahead of us, particularly in terms of numbers and record keeping. They can certainly provide inspiration.

**Senator Surette:** Good afternoon. My question concerns education, training and research. Can you talk a bit about the impact on universities and community colleges in terms of training in medicine and other health care fields? Tell us how the framework will affect colleges, universities and training, and

[Traduction]

**La sénatrice Muggli :** Y a-t-il une autre maladie pour laquelle un registre a été créé avec succès?

[Français]

**Dre Mégie :** Je n'ai pas bien compris la question.

[Traduction]

**La sénatrice Muggli :** Par exemple, existe-t-il un registre national pour une maladie différente, comme le diabète, qui pourrait servir de modèle?

[Français]

**Dre Mégie :** Oui. C'est important, car on ne doit pas réinventer la roue. On peut toutefois s'inspirer de ce qui se fait de bien et l'adapter à ce qu'on est en train de faire et à la réalité de la maladie en question. Même si on parle de plusieurs maladies génétiques du sang, elles n'ont pas toutes le même traitement. Elles ne peuvent pas entrer dans le cadre. Toutefois, on peut s'inspirer de ce qui a déjà été fait. Plusieurs choses vont se faire par le secteur privé et les associations. Cependant, on veut également le support du gouvernement pour la recherche.

[Traduction]

**La sénatrice Muggli :** Avez-vous un exemple?

[Français]

**Dre Mégie :** Par exemple, Fibrose kystique Canada a beaucoup travaillé pour développer un registre qui contient 40 ans de données. Nous leur avons parlé. Un des représentants nous a dit qu'il est prêt à nous rencontrer pour nous inspirer aussitôt que nous le voudrons.

[Traduction]

**La sénatrice Muggli :** Y a-t-il un autre pays sur lequel nous devrions prendre exemple?

[Français]

**Dre Mégie :** Oui. Nos experts d'Ottawa pourront peut-être vous le dire : on doit tenir compte de ce qui se fait en France et en Grande-Bretagne. Ils sont très en avance là-dessus en raison de la forte proportion de la population affectée par la maladie falciforme. Ces deux pays sont très en avance sur nous, entre autres en nombre et sur la tenue de registres. Ils peuvent certainement nous inspirer.

**Le sénateur Surette :** Bonjour. Ma question est en lien avec l'éducation, la formation et la recherche. Pouvez-vous nous parler un peu de l'incidence que cela aura sur les universités et les collèges communautaires dans la formation en médecine et d'autres domaines de la santé? Expliquez-nous comment le cadre

describe the current research and education landscape. How will this framework improve the situation?

**Dr. Mégie:** As discussed, education and training must include higher entities that work with various faculties, such as medical and nursing schools. We've already met with a number of them, and we'll be meeting with others soon to raise awareness.

Medical textbooks don't devote much space to sickle-cell disease. The chapter on genetic blood disorders is quite long, but seems to be of little interest. Students study these chapters to pass their exams. We want them to know what to do with an affected patient.

In large specialized centres, patients receive good care from teams that specialize in sickle-cell disease. However, when patients go to rural areas or regions where the disease isn't commonly discussed, they're seen as having anxious parents. In addition, a young woman who comes in with a multitude of needle marks from multiple blood tests is viewed as a drug addict and is isolated before receiving care, even if she's in agony. All these stigmas exist. Health care professionals must know what to do.

Some people don't even know the name of the disease. A person from Africa knows the term "dyserythropoiesis". If they arrive at the hospital and mention this disease, they're asked what it is. This aspect is hugely important.

**Senator Surette:** Does the framework also cover awareness, guidance and commitment? What will be the financial impact? Does this mean that the government is committed to working with institutions and organizations to make progress on this issue?

**Dr. Mégie:** On a financial level, I don't think so. It's a matter of training and telling specialists, when they give their courses, to remember this disease and to talk about it. As for other entities that organize conferences and that don't train the next generation at university, when I approached them, I asked them to include one or two workshops on sickle-cell disease in each of their conferences. Some learners are connected to universities, but members of these associations also learn through continuing education while on the job. We must reach out to all these entities to raise awareness so that, one day, everyone will finally be informed about the disease.

**Senator Surette:** Thank you.

aura un impact sur les collèges, les universités, la formation et ce qui se passe présentement dans le domaine de la recherche et de l'éducation. Qu'est-ce que ce cadre pourra faire pour améliorer cette situation?

**Dre Mégie :** Comme on l'a dit, dès que l'on parle d'éducation et de formation, on devra faire appel aux instances supérieures qui travaillent avec les différentes facultés, par exemple les facultés de médecine et de sciences infirmières. Nous en avons déjà rencontré plusieurs, mais d'autres sont en voie de l'être et seront sensibilisées.

Dans les ouvrages de médecine, le chapitre qui aborde la maladie falciforme n'est pas très long. Le chapitre portant sur l'ensemble des maladies génétiques du sang est long. Il ne semble pas y avoir d'intérêt non plus. Les étudiants étudient ces chapitres pour passer leurs examens, mais on souhaite qu'ils sachent quoi faire avec un patient affecté.

Dans les grands centres spécialisés, les utilisateurs sont bien entourés avec des équipes spécialisées en maladie falciforme. Cependant, quand les patients vont en région rurale ou dans une région où on n'en entend pas parler, on les considère comme ayant des parents anxieux. Aussi, une jeune qui arrive avec une multitude de piqûres causées par de nombreuses prises de sang est considérée comme une droguée, et on la met à part avant de lui prodiguer des soins, même si elle est en train de souffrir le martyre avec ses douleurs. Toutes ces stigmatisations existent. Il faut que les professionnels de la santé sachent quoi faire.

Certains ne connaissent même pas le nom de la maladie. Quelqu'un qui vient d'Afrique connaît le terme « dyserythropoïèse ». S'il arrive à l'hôpital et nomme cette maladie, on lui demande ce qu'est cette affaire-là. C'est donc vraiment très important.

**Le sénateur Surette :** Le cadre porte-t-il également sur la sensibilisation, l'encadrement et l'engagement? Quel impact cela aura-t-il au niveau financier? Cela signifie-t-il un engagement du gouvernement envers les institutions et les organismes pour faire avancer ce dossier davantage?

**Dre Mégie :** Au niveau financier, je ne pense pas. C'est une question de formation et de dire aux spécialistes, quand ils donnent leurs formations, de ne pas l'oublier et d'en parler. Concernant les autres instances qui organisent des congrès et qui ne forment donc pas la relève à l'université, quand je les ai approchées, je leur ai dit d'inclure un atelier ou deux sur la maladie falciforme dans chacun de leur congrès. Il y a des apprenants qui sont proches des universités, mais il y a également des membres de ces associations qui apprennent par formation continue en cours de fonction. Il faut donc toucher toutes ces instances pour que ce soit connu afin qu'un jour, tout le monde soit finalement mis au courant de la maladie.

**Le sénateur Surette :** Merci.

[English]

**Senator Senior:** Thank you to my colleague for being here and to Senator Ince for picking up the baton.

I want to follow up on a couple of questions that were asked earlier. One is with regard to the importance of a framework and the research and how that leads to action. I'm particularly thinking about, for example, the importance of having the data that will inform what we do next. Is the framework really about the education, awareness building and data gathering? Would the next step then be the implementation? That's my first question.

My second question arises from that, because I'm thinking of other health issues, particularly in the Black and racialized communities, where specific kinds of education had to be done in order to impact change. I'm wondering about that particular piece of education — whether it's going into a barber shop, hair salons, churches and so on — and whether the framework allows for that kind of education to be done. If so, who would do it?

[Translation]

**Dr. Mégie:** I'll answer your second question, since I appreciate this aspect and I've seen it in Montreal's Black community with regard to HIV/AIDS. A person created a committee whose members went to hair salons and other places where people gather to share personal information. The committee members get noticed. With the manager's permission, they provide training.

The associations also ask parents to do the following. When their child is singled out, they should meet with the teacher and explain that, when the other children in the class say that their child never comes to school, the teacher should tell the children that their child has been hospitalized three or four times. The education must include not only information drawn from literature, pamphlets and the internet, but also information gathered in the field. You made a valid point. I find that intriguing. This could also be done.

You also asked how research can lead to data collection. Dr. Pakhale started on her own in her little clinic at the Ottawa Hospital before it even opened up to large-scale research. She started with patients who came to her clinic. She recorded them one by one when she wanted to start the registry in Ontario. It has now grown as a result of the contacts established and the expansion of the research facility. It's possible to start something similar in another province. All you need is a specialist. Without good data collection, the money won't be spent. The money won't come from the government, but rather from private companies working on research and innovative drugs. However, if no research is carried out in this area, these efforts will be wasted.

[Traduction]

**La sénatrice Senior :** Merci à ma collègue d'être ici et au sénateur Ince de prendre le relais.

Je veux revenir sur quelques questions qui ont été posées plus tôt. L'une concerne l'importance d'un cadre et de la recherche, et la manière dont cela mène à des actions. Je pense plus particulièrement, par exemple, à l'importance d'avoir les données qui nous aideront à déterminer la marche à suivre. Le cadre porte-t-il vraiment sur l'éducation, la sensibilisation et la collecte de données? La prochaine étape serait-elle la mise en œuvre? C'est ma première question.

Ma seconde question fait suite à la première, car je pense à d'autres problèmes de santé, plus particulièrement dans les communautés noires et racialisées, où des types d'éducation précis ont dû être mis en place pour engendrer des changements. Je m'interroge sur ce volet d'éducation — que ce soit dans un salon de coiffure, à l'église ou autre — et je me demande si ce cadre permet de mettre en place ce type d'éducation. Le cas échéant, qui s'en chargerait?

[Français]

**Dre Mégie :** Je vais répondre à votre deuxième question, puisque c'est un aspect que j'aime et dont j'ai été témoin au sein de la communauté noire de Montréal au sujet du VIH-sida. Une personne a formé un comité dont les membres allaient dans les salons de coiffure et aux endroits où les gens se réunissent pour y partager des confidences. Ils se font repérer. Avec la permission du responsable, ils donnent une formation.

Il y a aussi ce que les associations demandent aux parents : quand votre enfant se fait stigmatiser, allez rencontrer son professeur, et dites au professeur que lorsque les enfants de la classe disent que votre enfant ne vient jamais, de leur expliquer que votre enfant a été hospitalisé à trois ou quatre reprises. Il faut faire l'enseignement non seulement en offrant des données puisées de la littérature, de pamphlets et d'Internet, mais aussi qui proviennent du terrain. C'est valide ce que vous avez dit. Je trouve cela très intéressant. Cela pourrait aussi se faire.

Vous avez aussi demandé comment la recherche peut donner lieu à des collectes de données. La Dre Pakhale a commencé à la mitaine dans sa petite clinique de l'hôpital d'Ottawa avant même qu'elle ne soit ouverte à la grande recherche. Ce sont les patients qui sont venus à sa clinique. Elle les enregistrait un à un quand elle a voulu commencer le registre en Ontario. Maintenant, cela a pris de l'ampleur avec les contacts qu'elle a eus et le centre de recherche qui s'est agrandi. Il est possible de commencer ainsi dans une autre province. Il suffit d'un spécialiste. Tant qu'il n'y aura pas une bonne collecte de données, l'argent ne sera pas déboursé. L'argent ne viendra pas du gouvernement, mais plutôt de l'entreprise privée, de ceux qui travaillent sur la recherche et sur les médicaments innovants. Toutefois, si on n'a pas de recherche qui se fait là-dessus, ce seront des efforts perdus.

That's why we need to seize this momentum in order to work hard on this issue. The momentum in question stems from the fact that new drugs and gene therapy are on the horizon. The companies working on this issue would also like the support of the bill to move forward.

[English]

**Senator Greenwood:** It is very nice to see you, Dr. Mégie.

I want to build on something that a few of the senators have mentioned. A lot of questions I wanted to ask were already taken. That's good; I'll be brief.

I was wondering whether, in the content of the national framework, there could be the inclusion of a knowledge translation strategy. I say that because sometimes we have to socialize the idea of what sickle cell disease is. Sometimes, families themselves don't know. We have talked a lot about caregivers and their training, but what about the people who are being affected by this? Sometimes, you don't know those things.

How do we socialize the idea that, first, it exists, and second, it's very important to address it — and that we address it through the caregivers, families and communities?

There is a place for creating that awareness. People use the word "awareness," but it is awareness beyond professional caregivers in the health care system; it is the awareness of communities and families. Once we socialize that notion, the importance of that no longer remains a question; it needs to be addressed.

Regarding all of these pieces, I'm in total agreement. I have sat in on a number of these pieces in my past life, developing national standards and all those sorts of good things. But there is a place for a knowledge translation strategy that is broader than just targeted training for caregivers — so I wondered if you had thought about that. Certainly, you are thinking about the broader community, so I add this to your thoughts.

[Translation]

**Dr. Mégie:** We first thought of health care professionals, specifically given the danger involved. When people come to the emergency room, children have died because the professional in question had no clue what to do. It's important to work on this. However, families are doing an outstanding job. Certain groups are referred to as "warriors" because every time they meet someone, they talk about it. Despite our best efforts, some parents still believe that the subject is taboo. They say, "I won't

C'est pourquoi il faut profiter de ce momentum pour travailler fort là-dessus. Surtout que le momentum dont je vous parle, c'est le fait que de nouveaux médicaments et de la thérapie génique vont sortir. Les compagnies qui travaillent là-dessus aimeraient aussi avoir le support du projet de loi pour aller de l'avant.

[Traduction]

**La sénatrice Greenwood :** Je suis heureuse de vous voir, docteure Mégie.

Je vais poursuivre dans la foulée de ce qu'ont mentionné certains sénateurs. La plupart des questions que je voulais poser ont été abordées. C'est très bien. Mon intervention sera brève.

Je me demandais si le cadre national pouvait inclure une stratégie de transfert des connaissances. Je le mentionne parce qu'il faut parfois expliquer au public en quoi consiste la drépanocytose. Il arrive que les familles concernées ne connaissent pas la maladie. Nous avons beaucoup parlé des soignants et de leur formation, mais qu'en est-il des personnes atteintes et de leur entourage? Ces choses ne sont pas toujours connues.

Comment sensibiliser le public, tout d'abord, à l'existence de cette maladie, et ensuite, à la grande importance de la traiter — grâce au concours des aidants naturels, des familles et de la communauté?

La sensibilisation peut se faire de différentes façons. Ce terme, « sensibilisation », qui est employé ne s'applique pas seulement aux soignants professionnels du système de santé, mais aussi aux communautés et aux familles. Une fois la maladie bien comprise, son importance et la nécessité de la traiter ne sont plus remises en question.

Je suis entièrement d'accord avec tous les éléments proposés. Je me suis penchée sur bon nombre de questions similaires dans le passé, notamment sur l'élaboration de normes nationales et sur d'autres bonnes choses du même genre. J'estime par ailleurs que le cadre national pourrait inclure une stratégie de transfert de connaissances qui ne se réduirait pas à une formation destinée expressément aux personnes soignantes — je me demandais si vous y aviez pensé. Puisque vous tenez compte de la communauté dans son ensemble, j'ajoute cet élément à votre réflexion.

[Français]

**Dre Mégie :** Nous avons d'abord pensé aux professionnels de la santé, justement à cause du danger. Quand les gens se présentent en salle d'urgence, des enfants sont décédés, parce que le professionnel en question ne savait pas quoi faire. Il est important de travailler là-dessus. Cependant, les familles font un travail extraordinaire. On qualifie certains groupes de « guerrières » ou de « guerriers », car chaque fois qu'ils rencontrent quelqu'un, ils en parlent. Malgré tout ce qu'on fait, il

tell anyone that I have sickle-cell disease because of my children,” but the children already have it. Do you understand?

Other families help and support them and create discussion and support groups. These families designed the documents to hand out to teachers. As soon as you type “sickle-cell disease” into a search engine, you’ll see all the information. Some young people even explain their disease to the general public through podcasts or internet videos. These areas warrant further attention and continued progress.

[English]

**The Chair:** We have three senators who want to ask questions. You have two minutes each. If you have a longer question, we may have to ask for a response in writing.

**Senator Bernard:** I'll just repeat the other question I had asked.

The comment I made was that there are several people who would argue that framework bills are not very impactful or effective for a number of reasons. My question to you is this: What makes you think this one would be impactful? What is the difference with this framework bill?

[Translation]

**Dr. Mégie:** I think that it will be different, given that no single person or institution is responsible for everything. If one institution or person were responsible for nine actions, I wouldn't even write it down, because I would find that inconceivable. Given that each group has a role to play, it should work.

[English]

**Senator Burey:** Earlier, a question was asked by Senator Hay around accountability. Where is the accountability factor, with so many people having responsibilities for different components?

[Translation]

**Dr. Mégie:** We must get organized. We've already asked that, after one year, the government submit a report on progress made. After five years, we'll be able to say what has and hasn't been accomplished and why. We hope that this will work for the strategy.

faut croire que certains parents croient que le sujet est tabou et disent : « Je ne dirai pas que j'ai la maladie falciforme, à cause de mes enfants », mais les enfants l'ont déjà. Comprenez-vous?

D'autres familles les assistent, les supportent et forment des groupes de rencontre et des groupes de support. Ce sont les familles qui ont conçu les documents à donner aux professeurs. Dès qu'on saisit *sickle cell disease* ou « maladie falciforme » dans un moteur de recherche, vous verrez toutes les données. Il y a même des jeunes qui expliquent leur maladie au grand public à l'aide de balados ou de vidéos sur Internet. Ces cibles méritent qu'on travaille là-dessus et qu'on continue de les faire progresser.

[Traduction]

**La présidente :** Trois sénatrices souhaiteraient poser des questions. Vous avez deux minutes chacune. Si vos questions sont longues, il faudra peut-être demander aux témoins de fournir une réponse par écrit.

**La sénatrice Bernard :** Je vais seulement répéter l'autre question que j'avais posée.

Comme je l'ai dit tout à l'heure, d'aucuns soutiendraient que les projets de loi-cadre ne sont pas très efficaces, et ce, pour diverses raisons. Voici ma question : pourquoi pensez-vous que ce projet de loi en particulier serait efficace? Que comporte-t-il de différent?

[Français]

**Dre Mégie :** Je pense qu'il sera différent, étant donné qu'une seule personne ou institution n'est responsable de tout. Si une institution ou personne était responsable des neuf points, je ne l'écrirais même pas, parce que je trouverais cela inconcevable. Étant donné que chaque groupe a sa partie à réaliser, cela devrait fonctionner.

[Traduction]

**La sénatrice Burey :** Une question sur la reddition de comptes a été posée plus tôt par la sénatrice Hay. Pourrait-on insérer la notion de reddition de comptes dans ce cadre dont les composantes sont assorties de responsabilités relevant de plusieurs personnes différentes?

[Français]

**Dre Mégie :** Il va falloir qu'on s'organise pour cela. On a déjà demandé qu'après un an, le gouvernement présente un rapport sur ce qui a été fait. Au bout de cinq ans, on dira : voilà ce qui a été fait, ce qui n'a pas été fait, et voici les raisons. On espère que cela fonctionnera pour la stratégie.

*[English]*

**The Chair:** My question is very quick. It's about the increasing trend around the care that's delivered to children with rare diseases — to gather them up in centres that have a higher level of expertise to deal with these cases. That's one trend.

The other trend is that we know the delivery of care is under the jurisdiction of the provinces. With that in mind, how will this framework help the problem that you're talking about, which is in the community, at the first point of contact? How is a patient actually going to be cared for? How are you going to overcome the retreating level of care from these front-line areas? The provinces are making the decisions about who does what and where.

How does this framework help those problems?

*[Translation]*

**Dr. Mégie:** Normally, for financial reasons, when rare diseases, serious illnesses or major surgeries require a significant amount of money, not all hospitals provide this care. Instead, specific hospitals and facilities are designated to provide this care. However, if all professionals know about the issue, they can refer patients to the facility in their province. Even if the professionals don't personally provide the care, they can know what to do in an emergency and then refer the patient to the specialized facility for treatment. Of course, it isn't possible to have plenty of facilities for sickle-cell disease.

*[English]*

**Senator Senior:** You mentioned that everyone supports this, but does that include governments and drug companies? Who are the people supporting this, beyond the community that really needs it? Who are the people with decision-making powers who actually support this?

*[Translation]*

**Dr. Mégie:** Right now, we have the support of the people behind the Quebec and Canadian associations. However, we can't say that we have government support. We're waiting for the government to take up the issue so that it can ultimately provide support, first in the Senate and then in the House of Commons. At that point, we'll know when and how the government will provide support. For now, the public needs this. Families struggling with the disease, their children and the people around them, even if they aren't affected, see and witness the plight of these individuals. They strongly support it.

*[Traduction]*

**La présidente :** Ma question est très simple. Elle traite de la tendance de plus en plus marquée de regrouper les enfants atteints d'une maladie rare dans des centres qui comptent un niveau élevé d'expertise sur les cas en question. Voilà une tendance.

Une autre tendance est liée au fait que la prestation de soins relève des provinces. Dans cette optique, comment le cadre contribuera-t-il à régler le problème dont vous parlez, qui se trouve au premier point de contact, sur le terrain? Comment les patients seront-ils pris en charge? Comment allez-vous contrer la baisse du niveau de soins dans ces zones de première ligne? Ce sont les provinces qui décident qui fait quoi et à quel endroit.

Comment le cadre contribuera-t-il à trouver des solutions?

*[Français]*

**Dre Mégie :** Normalement, pour des raisons financières, lorsque des maladies rares, des maladies graves ou même des situations de grandes chirurgies nécessitent beaucoup d'argent, on ne le fait pas dans tous les hôpitaux. On désigne plutôt des hôpitaux et des centres pour offrir ces soins. Cependant, si tous les professionnels connaissent la problématique, ils peuvent référer au centre qui se trouve dans leur province. Même si ce n'est pas ce professionnel qui donnera les soins, il peut savoir quoi faire en première urgence pour ensuite référer le patient au centre spécialisé qui prendra en charge le patient. Bien entendu, on ne pourra pas avoir plein de centres pour la maladie falciforme.

*[Traduction]*

**La sénatrice Senior :** Vous avez dit que tout le monde appuyait ce cadre, mais ce soutien inclut-il les gouvernements et les pharmaceutiques? Qui sont les personnes qui sont en faveur hormis les membres de la communauté qui en ont vraiment besoin? Qui sont les personnes dotées de pouvoirs décisionnels qui le soutiennent?

*[Français]*

**Dre Mégie :** Pour le moment, nous avons la population qui est derrière les associations québécoises et canadiennes. On ne peut toutefois pas dire que le gouvernement l'appuie. On attend que le gouvernement l'ait entre ses mains pour qu'il l'appuie, en bout de ligne, au Sénat d'abord, puis à la Chambre des communes. C'est là qu'on va savoir quand et comment il l'appuie. Pour le moment, c'est la population qui en a besoin. Ce sont les familles aux prises avec la maladie, leurs enfants et leur entourage, même s'ils ne sont pas atteints, qui voient et assistent à la détresse de ces gens. Eux sont vraiment en faveur.

*[English]*

**Senator Hay:** As I look at the framework with the nine actions, I think of the framework as the overarching strategy, and some of these actions require many strategies that could support some of the others.

Let me explain. When you're talking about measures for supporting public awareness, I think that will require a full communication plan and an awareness strategy. It will require funding and accountability, measuring whether there was an increase in awareness. Then it tags into the national research network and registry and national standards. This is because on the other end, the point of contact requires trust. So you need promotion.

Have you thought about how to build trust within the framework? I ask because data collection, requirements and trust are not a natural given for government organizations or government-sanctioned frameworks.

*[Translation]*

**Dr. Mégie:** I didn't quite catch that. However, I can say that it's a cycle. If we don't have data, we can't move forward with research. Research provides more information so that we know what to do. That's why the communication strategy will play an important role. The registry must include both the disease and its background, for example, because the registry must be quite comprehensive. This creates an opportunity, but things can become tricky if a link is missing and we don't have all the required information to submit to a research funding agency. One depends on the other. The communication strategy is vital. All our colleagues coming to speak will focus on this aspect to ensure progress with the framework. It's a good suggestion.

*[English]*

**Senator Hay:** I have a quick follow-up question with regard to stigma and trust. There must be a strategy around overcoming stigma and fostering trust to have people come forward, as you said. Some parents don't even acknowledge that their kids have sickle cell. I'm spending too much time on this; I support your bill.

*[Translation]*

**Dr. Mégie:** The stigma stems from the fact that health care professionals don't know about the disease. You come in with a bunch of holes and a bunch of needle marks? You're a drug

*[Traduction]*

**La sénatrice Hay :** Lorsque je regarde ce cadre comportant neuf actions, je le vois comme une stratégie globale, dont certaines actions nécessiteront plusieurs sous-stratégies qui pourraient en soutenir d'autres.

Laissez-moi m'expliquer. Je pense que les mesures visant à soutenir la sensibilisation du public dont vous parlez nécessiteront un plan de communication exhaustif assorti d'une stratégie de sensibilisation. Il faudra aussi du financement et un mécanisme de reddition de comptes pour déterminer s'il y a une hausse de la sensibilisation ou non. Ces mesures vont se rattacher au réseau de recherche et au registre nationaux ainsi qu'aux normes nationales, parce qu'à l'autre bout, une certaine confiance doit régner au point de contact. Il faudra donc de la promotion.

Avez-vous réfléchi à la manière d'intégrer la confiance au cadre? Je le demande parce que la collecte de données, les exigences et la confiance ne sont pas naturellement associées aux organismes gouvernementaux et aux cadres sanctionnés par le gouvernement.

*[Français]*

**Dre Mégie :** Je n'ai pas vraiment compris. Toutefois, je peux vous dire que c'est comme une roue qui tourne. Si on n'a pas de données, on n'avance pas pour la recherche. C'est avec la recherche qu'on peut avoir plus d'informations pour savoir quoi faire. Justement, la stratégie de communication sera importante. Dans le registre, on a besoin non seulement de la maladie, mais aussi de son contexte, etc., parce que le registre doit être très étayé. Cela fait une ouverture, mais qui peut devenir vicieuse s'il y a un maillon qui coupe, et qu'on n'a pas tous les éléments à apporter à un organisme subventionnaire pour la recherche. L'un dépend de l'autre. La stratégie de communication est très importante. Tous nos collègues qui viendront témoigner auront cela comme point de mire pour être capable d'avancer avec le cadre. C'est une très bonne suggestion.

*[Traduction]*

**La sénatrice Hay :** J'aurais une petite question de suivi sur la stigmatisation et la confiance. Il faut mettre sur pied une stratégie pour vaincre la stigmatisation et renforcer la confiance de manière à inciter les personnes à parler de la maladie falciforme, comme vous le disiez. Certains parents ne reconnaissent même pas que leur enfant est atteint. Mes commentaires ont pris beaucoup de temps, mais en résumé, j'appuie votre projet de loi.

*[Français]*

**Dre Mégie :** La stigmatisation, c'est que les professionnels de la santé ne sont pas au courant de la maladie. Tu viens avec plein de trous, plein de piqûres? Tu es une droguée. Tu viens trop

addict. You come in too often? You don't go to school enough? You're lazy. That's what patients face. I think that, if the professionals were well informed, they would know that these marks aren't from drugs, but from different blood transfusions.

[English]

**The Chair:** This brings us to the end of the first panel. I would like to thank Senator Ince and former Senator Mégie for their testimony today.

For the next panel, I would like to welcome the following witnesses, joining us in person from Health Canada: Daniel MacDonald, Director General, Office of Pharmaceuticals Management Strategies, Health Policy Branch; and Dr. Co Pham, Executive Director, Centre for Vaccines, Clinical Trials, and Biostatistics, Health Products and Food Branch.

Thank you for joining us today, gentlemen. We will begin with opening remarks from Mr. MacDonald. You will each have five minutes for your opening statements, followed by questions.

[Translation]

**Daniel MacDonald, Director General, Office of Pharmaceuticals Management Strategies, Health Policy Branch, Health Canada:** Thank you.

We're here today to support your study of this bill by providing information on the Government of Canada's current measures in the area of sickle-cell disease, and rare diseases more generally.

I'll speak to activities in the health policy, regulatory and research spheres.

From a health policy perspective, sickle-cell disease is considered — by various definitions — a rare disease. Estimates indicate that thousands of other diseases are also considered rare diseases, collectively affecting approximately 1 in 12 people across Canada.

Given this broad scope, the government is tackling a number of challenges common to all rare diseases as part of a single strategy called the National Strategy for Drugs for Rare Diseases, launched in 2023.

Examples of these challenges include:

souvent? Tu ne vas pas assez à l'école? Tu es paresseuse. C'est de cela qu'ils souffrent. Je pense que s'ils sont bien informés, ils sauront que ce ne sont pas des piqûres de drogue, mais des piqûres qui viennent de différentes transfusions sanguines.

[Traduction]

**La présidente :** Nous en sommes à la fin de la période de questions du premier groupe de témoins. Je tiens à remercier le sénateur Ince et l'ancienne sénatrice Mégie de leur témoignage.

J'aimerais à présent accueillir le prochain groupe de témoins, qui se joignent à nous en personne. De Santé Canada, nous avons M. Daniel MacDonald, directeur général, Bureau des stratégies de gestion des produits pharmaceutiques, Direction générale des politiques de santé, et M. Co Pham, directeur exécutif, Centre des vaccins, des essais cliniques et de la biostatistique, Direction générale des produits de santé et des aliments.

Merci de venir comparaître devant le comité. Nous allons commencer par la déclaration liminaire de M. MacDonald. Vous aurez chacun cinq minutes pour vos déclarations liminaires, qui seront suivies par la période de questions.

[Français]

**Daniel MacDonald, directeur général, Bureau des stratégies de gestion des produits pharmaceutiques, Direction générale des politiques de santé, Santé Canada :** Merci beaucoup.

Nous sommes ici aujourd'hui pour appuyer votre étude de ce projet de loi en présentant des renseignements concernant les mesures que le gouvernement du Canada met en œuvre à l'heure actuelle dans le domaine de la maladie falciforme et les maladies rares en général.

Je vais vous parler des activités menées dans les domaines des politiques de santé, des règlements en matière de santé et de la recherche en santé.

Du point de vue des politiques de santé, la maladie falciforme est désignée, selon différentes définitions, comme une maladie rare. On estime que des milliers d'autres maladies sont également désignées comme des maladies rares touchant collectivement environ une personne sur douze à l'échelle du Canada.

Tenant compte de cette étendue, le gouvernement s'attaque à plusieurs défis communs à toutes les maladies rares dans le cadre d'une seule stratégie appelée Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares lancée en 2023.

Voici quelques exemples de ces défis :

**[English]**

There is the lack of timely and accurate diagnosis, known as the diagnostic odyssey, lack of treatment options and delayed or otherwise constrained access to emerging therapies and clinical trials — when they do exist — and difficulty with typical drug evaluation approaches, given small patient populations and uncertainty about treatment effects.

By definition, no strategy actions are tailored specifically to sickle cell disease, but several measures may have direct implications for patients and the sickle cell disease community.

For example, the strategy supports developing expert guidance on the types of conditions that could be tested and screened for in newborns across Canada; establishing registry standards and dedicated funding supporting registries in capacity-building efforts to improve the availability of critical data and evidence; and reaching agreements with all provinces and territories to support improvements in public drug plan coverage and reimbursement for rare disease drugs.

From a regulatory perspective, Health Canada reviews drugs submitted by manufacturers for authorization of sale in Canada. To date, the only specific treatment for sickle cell disease that has received approval in Canada is Casgevy; that was in 2024. It is currently being negotiated by the pan-Canadian Pharmaceutical Alliance, or pCPA, for coverage under public plans.

There are other treatments in Canada to help patients with symptom management, including red blood cell transfusions and drugs used off label. For instance, hydroxyurea has received market authorization in Canada for the management of certain cancer diagnoses. However, it is not authorized for management of sickle cell disease and so is used off label.

We also recognize that there are several emerging drugs to treat sickle cell disease at varying stages of research and development, though none have yet reached the point of being submitted to Health Canada by their manufacturers.

From a research perspective, the Canadian Institutes of Health Research, or CIHR, has invested \$13.8 million into new sickle cell disease research over the past 10 years. This funded research ranges from biomedical studies to clinical trials, including new treatment avenues. Most of the work is based on project grants to researchers who, through the open or investigator-led granting

**[Traduction]**

Il y a l'absence de diagnostic précis et en temps opportun, connu sous le nom d'« odyssee diagnostique », l'absence d'options de traitement et l'accès différé ou limité aux nouvelles thérapies et aux essais cliniques, le cas échéant, de même que des difficultés liées aux approches types d'évaluation des médicaments, compte tenu de la taille réduite des populations de patients et l'incertitude quant aux effets du traitement.

Par définition, aucune mesure particulière de la stratégie n'est précisément adaptée à la maladie falciforme, mais plusieurs mesures peuvent avoir des répercussions directes pour les patients et la communauté touchée par la maladie.

Par exemple, la stratégie soutient l'élaboration de conseils d'experts concernant les types de maladies pouvant faire l'objet de tests et de dépistage chez les nouveau-nés à l'échelle du Canada; la création de normes liées aux registres et de financement ciblé appuyant les registres dans le renforcement de leurs capacités pour améliorer la disponibilité des données et des données probantes essentielles; la conclusion d'ententes avec toutes les provinces et territoires pour appuyer l'amélioration de la protection offerte par les régimes publics de médicaments et le remboursement des médicaments contre les maladies rares.

D'un point de vue réglementaire, Santé Canada examine les médicaments présentés par les fabricants aux fins d'autorisation de vente au Canada. À ce jour, le seul traitement propre à la maladie falciforme ayant été approuvé au Canada est le médicament Casgevy. Cela s'est produit en 2024. À l'heure actuelle, l'Alliance pancanadienne pharmaceutique mène des négociations concernant la protection offerte par les régimes publics.

Au Canada, d'autres traitements existent pour aider les patients à gérer leurs symptômes, notamment les transfusions de globules rouges et des médicaments utilisés à des fins non indiquées sur l'étiquette. Par exemple, l'hydroxyurée a obtenu une autorisation de mise en marché au Canada pour la prise en charge de certains diagnostics de cancer. Toutefois, comme le médicament n'est pas autorisé pour la prise en charge de la maladie falciforme, il est utilisé à des fins non indiquées sur l'étiquette.

Nous reconnaissons également que plusieurs nouveaux médicaments pouvant traiter la maladie falciforme en sont à différents stades de recherche et de développement, même si aucun de ces médicaments n'a encore atteint le stade de la présentation à Santé Canada.

Du point de vue de la recherche, les Instituts de recherche en santé du Canada, ou IRSC, ont investi 13,8 millions de dollars dans de nouveaux travaux de recherche sur la maladie falciforme au cours des 10 dernières années. Les travaux de recherche financés par les IRSC vont des études biomédicales aux essais cliniques, y compris de nouvelles voies de traitement. La plupart

process may choose to collaborate with charities, industry and other partners to strengthen their funding applications.

In the case of rare diseases, this collaboration often consists of a Canadian arm linked to international collaborations that are vital to achieve meaningful study sizes.

I want to close by acknowledging that while sickle cell disease is considered a rare disease, its prevalence is not equal across the population. We know that the disease disproportionately affects Black, African and Caribbean populations, and that these populations also face barriers to accessing some health services given existing policies regarding blood donation.

For this reason, the government is working with Canadian Blood Services and Héma-Québec to address donation barriers, strengthen the security of supply for at risk groups and improve donor recruitment. Thank you.

**The Chair:** Thank you, Mr. MacDonald. For this panel, senators will have four minutes for their questions, and that includes the answer. Please indicate to whom your question is directed — to a particular witness or both witnesses.

**Senator Osler:** Thank you to both witnesses for being here today. I believe both of you were in the room when I asked my question to Senator Mégie, and again, it is about the bill's requirement to set out evidence-based national standards for the diagnosis and treatment of sickle cell disease. The first part of the question is this: Can you fill me in on how Health Canada, through this framework, would set standards and who would assess and monitor compliance?

The second part is on the neonatal screening, which is a provincial and territorial responsibility. How do you see the framework coordinating something that falls under provincial and territorial jurisdiction?

**Mr. MacDonald:** I'm happy to address that question in the context of our experience through the National Strategy for Drugs for Rare Diseases. Regarding the question on how Health Canada works on setting standards, we do all of this through two avenues. The first is working directly with provinces and territories. It is their jurisdiction. Health Canada's role here is to convene and to offer support in the development of evidence and anything to support that conversation.

des travaux reposent sur des subventions de projets accordées aux chercheurs, qui, par l'intermédiaire d'un processus ouvert ou dirigé par les chercheurs, peuvent choisir de collaborer avec des organismes de bienfaisance, l'industrie et d'autres partenaires pour renforcer leurs demandes de financement.

Dans le cas des maladies rares, cette collaboration comprend souvent un volet canadien lié à des collaborations internationales, qui sont essentielles pour mener des études d'une envergure suffisante.

Je vais conclure en reconnaissant que, quoique la maladie falciforme soit désignée comme une maladie rare, sa prévalence n'est pas uniforme à l'échelle de la population. Nous savons que la maladie touche de manière disproportionnée les populations noires, africaines et caribéennes, et que ces populations doivent aussi surmonter des obstacles pour accéder à certains services de santé compte tenu des politiques actuelles sur les dons de sang.

Voilà pourquoi le gouvernement collabore avec la Société canadienne du sang et Héma-Québec pour réduire les obstacles aux dons, renforcer la sécurité de l'approvisionnement pour les groupes à risque et accroître le recrutement de donneurs. Merci.

**La présidente :** Merci, monsieur MacDonald. Pour ce groupe de témoins, les sénateurs disposeront de quatre minutes par question et réponse. Je vous demanderais de préciser si votre question s'adresse à un témoin en particulier ou aux deux témoins.

**La sénatrice Osler :** Merci aux deux témoins de leur présence aujourd'hui. Je crois que vous étiez tous les deux dans la salle lorsque j'ai posé ma question à la sénatrice Mégie, qui portait, je le rappelle, sur l'obligation d'établir des normes nationales fondées sur des données probantes pour le diagnostic et le traitement de la maladie falciforme. Voici la première partie de ma question : pourriez-vous m'expliquer comment Santé Canada établirait des normes au moyen du cadre et me dire qui serait chargé d'évaluer et de surveiller la conformité?

La deuxième partie de ma question porte sur le dépistage néonatal, qui relève des provinces et des territoires. Selon vous, comment le cadre pourrait-il coordonner quelque chose qui relève des provinces et des territoires?

**M. MacDonald :** Je vais répondre avec plaisir à la question en m'appuyant sur la mise en œuvre de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares. À propos de la question de savoir comment Santé Canada s'y prend pour établir des normes, le ministère suit deux avenues. La première consiste à travailler directement avec les provinces et les territoires, qui possèdent les compétences en question. Le rôle de Santé Canada est de convoquer les parties prenantes et de soutenir la production de données probantes et de tout ce qui pourrait faciliter la conversation.

This leads to the second theme of the national strategy, which is the work that we undertake through Canada's Drug Agency and the Canadian Institute for Health Information. The work happening there has to do with what we call the foundational work. In terms of standards that could be adopted by provinces and territories in exercising their jurisdiction, what might some best practices be? Canada's Drug Agency, for example, was able to convene a newborn screening panel, bring together experts, develop some guidance and publish that.

That is there for provinces and territories to use. It is their jurisdiction as to whether and how they use it, but in this specific case, a report was published by Canada's Drug Agency. It made recommendations for what you might list as indications to screen for in newborns. On that list were three subtypes of sickle cell disease, but the point is that it was a broad framework. It is published and available.

We then talk to provinces and territories. It is a piece of the information that is considered in that conversation, and through the agreements that have been signed with all provinces and territories about the implementation of the National Strategy for Drugs for Rare Diseases. We have a working group where we talk about screening and diagnostics and where we're going to go with a portion of the funding that is identified for that. The role of advice produced by Canada's Drug Agency will be part of that conversation regarding how provinces and territories choose to execute.

**Senator Hay:** Thank you for being here. As a side comment, \$13 million over 10 years is pretty nominal for research, and did you say clinical trials too? You don't have to answer that. It just didn't seem like very much, which leads me to drill into the question of what internal capacity and funding Health Canada currently have to support the development of this national framework on sickle cell disease. How will it get prioritized at Health Canada?

**Mr. MacDonald:** To clarify, is the question in relation to research?

**Senator Hay:** The national framework. The other comment was just a side note that it didn't seem like a lot, which is a barrier in itself.

**Mr. MacDonald:** I'll answer the question by picking up on the comment first, because an element of the National Strategy for Drugs for Rare Diseases is enabling CIHR to conduct research — not in the specific domain of sickle cell research; the general approach of the strategy is broad, to undertake research that is anticipated to have benefits for as many rare diseases as it can be applied to, so I would point to \$20 million over five years. The national strategy funding has been identified to

Nous arrivons alors au deuxième thème de la stratégie nationale, qui est le travail que nous exécutons dans le cadre de l'Agence des médicaments du Canada et de l'Institut canadien d'information sur la santé. Nous effectuons ce que nous appelons du travail fondamental. Quelles seraient les pratiques exemplaires relatives aux normes que pourraient adopter les provinces et les territoires lorsqu'ils exercent leurs compétences? L'Agence des médicaments du Canada, par exemple, a été en mesure de former un groupe de travail sur le dépistage néonatal composé d'experts ainsi que de développer et de publier des lignes directrices.

Les provinces et les territoires peuvent décider comment ils vont utiliser, s'ils décident de le faire, les lignes directrices, mais dans ce cas précis, un rapport a été publié par l'Agence des médicaments du Canada. Ce rapport recommandait des éléments à insérer dans une liste d'indicateurs de dépistage néonatal. La liste renfermait trois sous-types de maladie falciforme, mais le cadre était très vaste. Il a été rendu public.

Nous parlons ensuite aux provinces et aux territoires. C'est un élément d'information qui fait partie de la conversation et qui est prévu dans les accords signés par toutes les provinces et tous les territoires sur la mise en œuvre de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares. Un groupe de travail est en place pour discuter du dépistage et du diagnostic et de l'utilisation de la portion du financement qui y est destiné. Les conseils donnés par l'Agence des médicaments du Canada font partie de la conversation sur l'application des normes que préconiseront les provinces et les territoires.

**La sénatrice Hay :** Merci de votre présence parmi nous. Je ferai une petite parenthèse en soulignant que la somme de 13 millions de dollars sur 10 ans est relativement minime pour la recherche. Avez-vous mentionné qu'il y aurait aussi des essais cliniques? Vous n'avez pas à répondre à la question. Ce montant très modeste à mon avis me porte à creuser la question de la capacité du ministère et du financement que Santé Canada détient pour appuyer le développement du cadre national sur la maladie falciforme. Comment le cadre deviendra-t-il une priorité à Santé Canada?

**M. MacDonald :** La question porte-t-elle sur la recherche?

**La sénatrice Hay :** La question porte sur le cadre national. Je faisais seulement une parenthèse pour souligner le caractère minime de la somme, qui constitue un obstacle en soi.

**M. MacDonald :** Je vais répondre à la question en commençant par le commentaire parce qu'un élément de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares permet à l'IRSC de mener des recherches — qui ne portent pas exclusivement sur la maladie falciforme. L'approche générale de la stratégie est vaste et consiste à réaliser des recherches qui pourraient contribuer au traitement du plus grand nombre de maladies rares applicables. Le financement se

support pediatric clinical trials and treatment networks through RareKids-CAN and established by the Maternal Infant Child and Youth Research Network. There is \$2.3 million over four years, increasing clinical trials —

**The Chair:** I'm very sorry to interrupt you. We are having difficulty hearing you. Could you raise your volume just a bit?

**Mr. MacDonald:** I'll move the microphone closer.

**Senator Hay:** The root of my question is this: How will the national framework get prioritized at Health Canada?

**Mr. MacDonald:** I'll move to that. The intent of the national strategy, through the main tool of the dollar amount, is the bilateral agreements that have been signed. In the bilateral agreements, there are a number of what we call eligible expenditures that provinces and territories may use that funding to support.

In terms of looking through the bill as it's proposed, a significant number of activities in those proposed areas would qualify as eligible expenditures if provinces and territories chose to devote expenditures that were in the area of sickle cell.

That is not to say that they will. It is a broad strategy that applies to activities across all rare diseases by design, but there is a section of the agreements that permits things involving communications, best practices and adoption, as well as what I described in my last answer as being the foundational work that we're trying to put in place to enable that to be done.

It's not just for the actual reimbursement of specific drugs, as listed in the agreement.

**Senator McPhedran:** Thank you for being here. It's helpful to have your experience to help us respond to this. I have a question about hydroxyurea. What are the impacts and indicators for patients and prescribers for this drug being used off label for patients? Are there any efforts to regularize this as a treatment for this disease?

**Dr. Pham:** I'll start.

As you know, hydroxyurea is a mainstay in the management of sickle cell disease. It has been around for a long time. In fact, it's indicated for various uses. Its mechanism of action is an antimetabolite. We recognize it as a chemotherapeutic agent as well.

chiffre donc à 20 millions de dollars sur 5 ans. Les travaux financés par la stratégie nationale sont les réseaux pédiatriques d'essais cliniques et de traitement par l'entremise de RareKids-CAN et établis par le Maternal Infant Child and Youth Research Network. Une somme de 2,3 millions sur 4 ans est affectée à l'augmentation des essais cliniques...

**La présidente :** Je suis vraiment désolée de vous interrompre. Nous avons de la difficulté à vous entendre. Pourriez-vous augmenter un peu le volume de votre microphone?

**M. MacDonald :** Je vais rapprocher le microphone.

**La sénatrice Hay :** Essentiellement, ma question est la suivante : comment le cadre national deviendra-t-il prioritaire à Santé Canada?

**M. MacDonald :** J'y arrive. La stratégie nationale a pour finalité la signature d'accords bilatéraux centrés sur des montants d'argent. Ces accords prévoient un certain nombre de ce qu'on appelle des dépenses admissibles, que les provinces et les territoires peuvent soutenir au moyen du financement prévu.

Dans la version actuelle du projet de loi, un grand nombre d'activités dans les domaines proposés seraient considérées comme des dépenses admissibles à condition que les provinces et les territoires choisissent d'affecter une partie de ces dépenses au domaine de la maladie falciforme.

Je ne dis pas que cela se produira. Cette vaste stratégie s'applique aux activités liées à toutes les maladies rares, mais les accords comportent un article qui englobe des choses comme les communications, les pratiques exemplaires et l'adoption de normes, de même que le travail fondamental, que j'ai décrites dans ma réponse de tout à l'heure et que nous essayons de mettre en place pour que tout cela se réalise.

Cela ne se limite pas au remboursement des médicaments énumérés dans les accords.

**La sénatrice McPhedran :** Merci de votre présence parmi nous. Votre expérience nous aide à faire avancer notre étude du projet de loi. J'ai une question sur l'hydroxyurée. Quelle est l'incidence et quels sont les indicateurs pour les patients et les prescripteurs de l'usage non indiqué sur l'étiquette de ce médicament? Des efforts sont-ils consentis pour régulariser l'usage de ce médicament comme traitement de la maladie falciforme?

**Dr. Pham :** Je vais commencer.

Comme vous le savez, l'hydroxyurée est la pierre angulaire de la gestion de la maladie falciforme. Cette molécule commercialisée depuis longtemps est en fait indiquée pour plusieurs usages. C'est un antimétabolite utilisé en chimiothérapie.

The fact that it's not indicated in Canada but is indicated officially in other jurisdictions doesn't mean that health professionals can't apply it to specific patient populations who may need it or utilize the known evidence base within the scientific literature for its application. As indicated, we know of it from long-standing usage. For example, I think the first pivotal trial that directed the United States Food and Drug Administration, or USFDA, in approving hydroxyurea with the official indication for sickle cell disease was back in the late 1990s. That information is applied here as well.

The reasons why we don't have an official indication are various, and you may know about them. For an old drug that's not so expensive regarding marketing and commercial applications, it might not be as interesting for sponsors and manufacturers in our economic environment here. That's something that we can reflect on as well.

Coming back to its usage, health professionals can still decide to use it. Within our health care system here, health care professionals may utilize their professional judgment and exert their authorities and abilities to decide on off-label use. They have done so. Therefore, hydroxyurea is applied and used as a treatment for sickle cell disease in Canada.

Additionally, we know that there are other agents within the pharmaceutical realm that are used off label in Canada, and, again, they may be approved in other jurisdictions. There are probably two that you recognize. That is something we continue to try to look at in terms of where the options are for having marketed labels in Canada.

I'm not sure if you're going to ask here, but I'll extend a thought. This question around rare diseases for drugs is interesting, because we are probably at an inflection point where therapies are coming on board that we haven't seen in this disease state. For probably 20 or 30 years, we have not really had more than what you have just noted here, but Mr. MacDonald has indicated here that Health Canada has approved Casgevy, a gene therapy. We know of another that the USFDA has also approved — another gene therapy — so there are two in the U.S.

We see on the horizon monoclonal antibodies, so there are biological treatments there. We also see small-molecule options that are coming online as well.

In my line of work as a regulator for clinical trials, I do not have a crystal ball, but I do have some insight in terms of what is coming. We see in late-stage clinical trials — stages 2 and 3 —

Le fait que ce ne soit pas indiqué officiellement au Canada, contrairement à ce qui prévaut dans d'autres pays, ne veut pas dire que les professionnels de la santé ne peuvent pas appliquer le médicament à des populations de patients qui pourraient en avoir besoin. Les professionnels peuvent aussi recourir aux données probantes sur son application publiées dans la littérature scientifique. Je pense que le premier essai déterminant qui a amené la Food and Drug Administration des États-Unis, ou USFDA, à approuver l'indication officielle de l'hydroxyurée pour le traitement de la maladie falciforme remonte aux années 1990. Cette information est aussi appliquée ici.

Vous connaissez peut-être les diverses raisons pour lesquelles il n'y a pas d'indication officielle au Canada. Un médicament qui existe depuis longtemps et dont la promotion et la commercialisation ne sont pas très coûteuses n'est peut-être pas très intéressant pour les promoteurs et les fabricants dans le contexte économique canadien. Voilà quelque chose qu'il faut considérer.

Revenons à son utilisation. Les professionnels de la santé peuvent toujours décider de l'utiliser. Dans notre système de santé, les professionnels de la santé peuvent faire appel à leur jugement professionnel et exercer leurs pouvoirs et leurs compétences pour décider d'utiliser ce médicament à des fins non indiquées sur l'étiquette. Ils l'ont fait. Par conséquent, on utilise l'hydroxyurée pour traiter la maladie falciforme au Canada.

De plus, nous savons que d'autres produits pharmaceutiques sont utilisés à des fins non indiquées au Canada, alors qu'ils peuvent, je le répète, être approuvés dans d'autres pays. Vous en connaissez probablement deux. Nous continuons d'examiner cette question afin de déterminer les options qui s'offrent à nous sur le plan de la mise en marché au Canada de médicaments dont l'usage est indiqué sur l'étiquette.

Je ne sais pas si vous allez poser cette question, mais je vais vous faire part d'une réflexion. La question des médicaments pour les maladies rares est intéressante, car nous sommes probablement à un moment déterminant où des traitements inédits pour cette maladie font leur apparition. Depuis probablement 20 ou 30 ans, nous n'avons pas vraiment eu plus que ce que vous venez de mentionner, mais M. MacDonald a souligné que Santé Canada a approuvé le médicament Casgevy, une thérapie génique. Nous connaissons une autre thérapie génique qui a également été approuvée par la USFDA. Il y en a donc deux aux États-Unis.

Nous voyons poindre à l'horizon l'arrivée d'anticorps monoclonaux; il existe donc des traitements biologiques. Des options à base de petites molécules s'ajoutent aussi à la liste.

En ma qualité de régulateur d'essais cliniques, je n'ai pas de boule de cristal, mais j'ai une certaine idée de ce qui s'en vient. Nous voyons apparaître dans les essais cliniques en phase

some promising agents and, in early stages, more innovative biological agents coming as well.

We're on the cusp of seeing more therapeutic options.

**The Chair:** Thank you, Dr. Pham. I'm going to interject a question to follow up on Senator McPhedran's question. Many of us in this room don't know that close to 80% of the drugs in the pediatric world are used in an off-label fashion. It is almost a standard of practice in this country. Where is the trusted jurisdiction program now, where we rely upon other countries we have identified as trusted jurisdictions to bring us their label information about drugs that we were going to adopt and use, so that practitioners like me don't have to go back to the researchers and can actually use Europe's and the U.S.'s knowledge bases with their labels?

**Dr. Pham:** Daniel, is there a policy side to this that you wanted to open with?

**The Chair:** We have been in discussions about this for a few years, right?

**Mr. MacDonald:** So the question is about reliance on foreign jurisdiction approvals in the drug approval process. It's something that is not finished yet; it's in progress.

Do you have anything?

**Dr. Pham:** There is a lot of development to be done. Your question opens up a lot of avenues, and improvements are necessary. Wearing my regulator's hat here, I think Daniel is absolutely right that there are initiatives in progress to try to address exactly the scenario and situation you're describing, in order to allow us to apply scientific knowledge, international decision-making in labelling and applications of standards of care in a way that clinicians can use to benefit the pediatric population.

**The Chair:** Thank you.

**Senator Burey:** Thank you so much for being here and for lending your expertise and digging into the weeds.

First, I want to salute Health Canada and the government for putting forward the National Strategy for Drugs for Rare Diseases, because I think it's foundational, as you said, Mr. MacDonald, in laying the groundwork and setting the standards that this framework — I can only suppose — will build upon or align with.

avancée — phases 2 et 3 — des produits prometteurs, et dans les phases précoce, des agents biologiques plus innovants.

Nous sommes sur le point de voir apparaître davantage d'options thérapeutiques.

**La présidente :** Merci, monsieur Pham. Ma question fait suite à celle de la sénatrice McPhedran. Beaucoup d'entre nous dans cette salle ignorent que près de 80 % des médicaments utilisés en pédiatrie le sont à des fins qui ne sont pas indiquées sur l'étiquette. Cela est presque monnaie courante au Canada. Où en est le programme sur les pays de confiance, dans le cadre duquel nous nous tournons vers des pays que nous avons qualifiés de pays de confiance — comme les États-Unis ou des pays européens — pour obtenir leurs connaissances et leurs renseignements au sujet de l'usage indiqué sur l'étiquette des médicaments que nous allons adopter et utiliser, et ainsi éviter aux professionnels de la santé comme moi de devoir se tourner vers les chercheurs?

**M. Pham :** Monsieur MacDonald, y a-t-il une question politique que vous aimerez aborder en premier lieu?

**La présidente :** Il y a des discussions à ce sujet depuis quelques années, n'est-ce pas?

**M. MacDonald :** La question porte sur le recours aux approbations délivrées par d'autres pays dans le cadre du processus d'approbation des médicaments. Ce processus n'est pas encore terminé; il est en cours.

Avez-vous quelque chose à ajouter?

**M. Pham :** Il y a beaucoup à faire. Votre question ouvre la voie à de nombreuses solutions, mais des améliorations sont nécessaires. En ma qualité de régulateur, je dois dire que M. MacDonald a tout à fait raison : des initiatives sont en cours pour remédier à la situation que vous décrivez. Leur objectif est de nous permettre d'appliquer les connaissances scientifiques, les décisions internationales en matière d'étiquetage et les normes de soins de façon à ce que les cliniciens puissent les utiliser au bénéfice de la population pédiatrique.

**La présidente :** Je vous remercie.

**La sénatrice Burey :** Je vous remercie d'être venu témoigner et de nous faire profiter de votre expertise et d'approfondir le sujet.

Tout d'abord, je tiens à remercier Santé Canada et le gouvernement d'avoir présenté la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares. Je pense qu'elle est essentielle, comme vous l'avez dit, monsieur MacDonald, pour jeter les bases et établir les normes sur lesquelles ce cadre — je ne peux que le supposer — s'appuiera ou s'alignera.

I have two questions. The first is regarding a hydroxyurea issue and the fact that it's still used off label. I'm a pediatrician, so you know what's coming. The problem is that when you have to explain to parents and families that this drug is off label, it's very hard for them to accept it. It can also be stigmatizing: "Something is wrong with me. Why am I doing that?" I'm sure that aspect has come out, but it is a very serious one, particularly in marginalized communities. That's just a statement to take it back and reflect on how important it is for us to have an on-label designation.

I also really wanted to drill down on the research money that Senator Hay spoke about. Being researchers, you're well aware of the research that's going on looking at some of the clinical data — indicators of inequity in research and funding for various rare diseases. One article I'm looking at is one on sickle cell, which was just in *The Lancet* and released September 2025. You know this data already in terms of funding per capita, basically, of the rare disease.

Would you have that kind of research in Canada? For example, if you compared sickle cell to cystic fibrosis and hemophilia, would you have total research spending? What is the funding per registered patient? That kind of data digs deeper so that we can have an equitable distribution of research funding. I will ask you to answer that.

**Mr. MacDonald:** I'll start with a clarification, perhaps, of what the research funding delivered through the national strategy is doing and — as I think your question is about primary research dollars — how that relates to actual research into specific indications and treatment. The research funded through the national strategy is more foundational, regarding that system trying to encourage access to clinical trials for all rare diseases, setting up a pediatric network for clinical trials — that sort of an emphasis. It regards how you can use the data that exists in the health system today to properly identify who we are talking about and what information we have about them to use in other broader applications of treatment and research.

So that's sort of a step back. It's about setting up the system and the environment. I think what you're referencing is primary research — how much primary research is being done in cystic fibrosis versus another disease. I'm sorry, but on that I would have to defer to the Institutes of Health Research. They couldn't be with us today, but we'd be happy to take that sort of a question back to them.

J'ai deux questions. La première concerne l'hydroxyurée et le fait que ce médicament soit toujours utilisé à des fins non indiquées sur l'étiquette. Je suis pédiatre, alors vous savez où je veux en venir. Le problème est que lorsque l'on explique aux parents et aux familles que ce médicament sera utilisé à des fins non indiquées sur l'étiquette, ils ont beaucoup de mal à l'accepter. Cela peut également être stigmatisant. Ils peuvent se dire qu'ils ont un problème et se demander pourquoi ils prennent ce médicament. Je suis sûre que cette question a été soulevée, mais elle est très préoccupante, en particulier dans les communautés marginalisées. Je voulais seulement revenir à cette question et souligner l'importance que nous accordons à la désignation de l'usage sur l'étiquette.

Je souhaitais également approfondir la question des fonds consacrés à la recherche évoquée par la sénatrice Hay. À titre de chercheurs, vous êtes bien au fait des recherches en cours qui se penchent sur certaines données cliniques, comme les indicateurs d'inégalité dans la recherche et le financement de diverses maladies rares. Je pense à un article sur la maladie falciforme qui vient d'être publié dans la revue *The Lancet* en septembre 2025. Vous connaissez déjà ces données qui portent sur le financement des maladies rares par habitant.

Ce type de recherche existe-t-il au Canada? Par exemple, a-t-on le total des fonds consacrés à la recherche sur la maladie falciforme par rapport à ceux consacrés à la fibrose kystique et à l'hémophilie? Quel est le financement par patient? Ce type de données permet d'examiner la question de plus près et d'avoir une répartition équitable des fonds de recherche. Je vais vous demander de répondre à cette question.

**M. MacDonald :** Je vais d'abord préciser à quoi servent les fonds destinés à la recherche accordés par l'entremise de la stratégie nationale pour ensuite — puisque votre question porte sur les fonds consacrés à la recherche fondamentale — expliquer comment cela se rapporte à la recherche sur des indicateurs et des traitements précis. Les recherches financées dans le cadre de la stratégie nationale sont davantage de nature fondamentale : on examine ce système, on essaie d'encourager l'accès aux essais cliniques pour toutes les maladies rares et mettre en place un réseau pédiatrique pour les essais cliniques. Voilà ce sur quoi on met l'accent. Les recherches visent à déterminer comment avoir recours aux données présentes dans le système de santé pour bien cerner les personnes concernées et les informations dont nous disposons à leur sujet pour ensuite les utiliser dans d'autres applications plus larges du traitement et de la recherche.

Il s'agit donc en quelque sorte d'un pas en arrière. Il s'agit de mettre en place le système et l'environnement. Je pense que vous parlez de la recherche fondamentale et de la quantité de recherche fondamentale menée sur la fibrose kystique par rapport à celle qui est menée sur une autre maladie. Je suis désolé, car, à ce sujet, je dois m'en remettre aux Instituts de recherche en santé. Leurs représentants ne pouvaient pas nous

accompagner aujourd’hui, mais nous serons heureux de leur transmettre ces questions.

**Senator Burey:** Thank you.

**Senator Bernard:** Thank you both for being here today. I’m not sure which of you could answer the questions I have. I’m going to be very brief. I have two fundamental questions I want to ask. One is this: What are the key measures that you feel must be included in this framework? My second question is this: Is this doable within this one-year timeline? Is that one-year timeline realistic?

**Mr. MacDonald:** Again, I’ll answer the question in the spirit of the experience that we have had in the implementation of the national strategy we’re putting into place now. In terms of key measures, critical measures for us — the bilateral agreements are an expression of convening provinces and territories for whom this is the jurisdiction in a common direction. So the bilateral agreements are important as there is a cohesion here.

To think long into the future about what the money provided for the national strategy will be able to accomplish, in the bilateral agreements that were signed, there is a component about real-world evidence generation and its application to decision-making regarding future drugs for rare diseases that haven’t come out of the pipeline yet. It’s what we call developing the toolbox for evaluation and decision-making, which would have an impact on the drug approval system in Canada for drugs for rare diseases long into the future, for drugs that we don’t know of yet.

Those were critical parts for us. If you’re talking about drugs, it has to be related to patient care; that’s why there is a screening and diagnostic portion. There was also a recognition that we can do so much and act in so many areas, and so focus was definitely a key element of how the national strategy was developed.

It is ensuring that, for the pieces of the national strategy that you have, you have enough in there to make meaningful progress in all of the areas that you choose. That’s why there are four specific pillars and that’s the way that it’s built.

In terms of whether it is doable in one year — speaking about the national strategy — it is going to take a lot of time to have the partnerships, to have the necessary collaborations and to get answers to some difficult questions as to how, for example, evidence generation will be taken into account and decision-making be influenced. So from our perspective, it’s a longer time frame.

**Senator Bernard:** So how long? I think you have an answer but are maybe a little reluctant to tell us.

**La sénatrice Burey :** Je vous remercie.

**La sénatrice Bernard :** Merci à vous deux de votre présence aujourd’hui. Je ne sais pas lequel d’entre vous pourra répondre à mes questions. Je serai très brève. Je vais poser deux questions fondamentales. J’aimerais d’abord savoir quelles sont, selon vous, les mesures clés qui doivent être incluses dans ce cadre. Cette initiative est-elle réalisable dans ce délai d’un an? Est-ce réaliste? C’est ma deuxième question.

**M. MacDonald :** Là encore, je vais répondre à cette question en m’appuyant sur l’expérience que nous avons acquise dans le cadre de la mise en œuvre de la stratégie nationale qui est en cours. Selon nous, les mesures essentielles... Dans le cadre des accords bilatéraux, les provinces et les territoires — car il s’agit d’un domaine de compétence qui leur revient — énoncent une orientation commune. Les accords bilatéraux sont donc importants, car ils assurent une cohésion.

Une autre mesure concerne ce que les fonds alloués dans le cadre de la stratégie nationale permettront d’accomplir à long terme. Les accords bilatéraux qui ont été signés comportent un volet sur la production de données concrètes et leur utilisation dans la prise de décision concernant de futurs médicaments pour traiter des maladies rares. C’est ce que nous appelons la création d’une boîte à outils pour l’évaluation et la prise de décision. Cela aura une incidence à long terme sur le système que l’on utilise au Canada pour approuver des médicaments que nous ne connaissons pas encore et qui seront destinés aux maladies rares.

Ces éléments étaient essentiels pour nous. Lorsque l’on parle de médicaments, il faut parler des soins aux patients; c’est pourquoi il existe une partie consacrée au dépistage et au diagnostic. Nous avons également reconnu que nous pouvions agir dans de nombreux domaines. Un élément clé de l’élaboration de la stratégie nationale a donc été d’établir des priorités.

Il faut veiller à ce que la stratégie nationale comporte suffisamment de mesures qui permettront de réaliser d’importants progrès dans tous les domaines qui auront été retenus. C’est pourquoi elle repose sur quatre piliers précis.

Quant à savoir si la stratégie nationale est réalisable en un an... Il faudra beaucoup de temps pour établir les partenariats, mettre en place les collaborations nécessaires et obtenir des réponses à certaines questions difficiles. Comment la production de données probantes sera-t-elle prise en compte et influencera-t-elle la prise de décision? Nous sommes d’avis que ce processus prendra plus de temps.

**La sénatrice Bernard :** Combien de temps cela prendra-t-il? Je pense que vous avez la réponse, mais que vous hésitez à nous la donner.

**Mr. MacDonald:** We started with the first three-year period in the agreements for a reason. We also started with a very explicit lessons-learned approach, meaning that the national strategy was put in place and there was almost a sense that we heard from those who were waiting for it, "Do something." The authorities for the strategy do expire after three years, the end of the agreements, and then we will take stock of what we have learned collectively with provinces and territories. We have a stakeholder and patient connection through what we call an implementation advisory group that we will consult, regarding how the strategy went and what they suggest didn't go so well in terms of what we stated as a government we were trying to achieve here. Did we achieve it? If not, what might be improved? The answer to your question is that this is a step-by-step thing. We don't know how far out that thing is, so we are dealing with the first step, learnings the lessons and going from there.

**Senator Senior:** Thank you for being here. In light of the strategy and the progress that you've made and the focus on rare diseases, is a national framework as developed necessary to advance treatment and provide access to drug coverage for individuals affected by sickle cell disease now?

**Mr. MacDonald:** As a department, we're implementing the national strategy, and our hope today was to be as clear as possible about what it is that the national strategy is intending to achieve, how it's structured to try to do that and where there might be touch points specifically regarding sickle cell disease.

We offer that in the sense of input to your study as to this specific bill and the construct of another framework. However, in terms of a determination as to whether there is a necessity for something else, we're focused on the national strategy and trying to make it as applicable as possible to as many rare diseases as possible.

**Senator Senior:** I'm trying to be a bit more pointed in this because I hear you saying you're focused on the national strategy, which I appreciate, but I'm really asking specifically about sickle cell disease and access to critical drugs now. My concern is waiting on a framework in order to provide that access is costing lives. So that's the basis of my question.

**Mr. MacDonald:** This is my direct response in terms of the application of the National Strategy for Drugs for Rare Diseases for sickle cell disease specifically: Once a drug has passed through the drug-approval process in Canada — which means it has passed the health technology assessment, or HTA, process, it has gone through the pCPA price negotiation and provinces are now at the point of being able to determine whether to put it on

**M. MacDonald :** Pour ce qui est des accords, nous avons commencé par une période initiale de trois ans pour une raison précise. Nous avons également commencé avec une approche fondée expressément sur les leçons apprises. Lorsque la stratégie nationale a été lancée, nous avons presque eu l'impression d'entendre ceux qui l'attendaient nous dire de faire quelque chose. Les autorisations obtenues dans le cadre de la stratégie expirent après trois ans, à la fin des accords. Nous ferons alors le point sur ce que nous avons appris, de concert avec les provinces et les territoires. Nous avons un lien avec les parties prenantes et les patients par le biais de ce que nous appelons le groupe consultatif de mise en œuvre. Nous le consulterons relativement au déroulement de la stratégie et à ce qui, selon eux, n'a pas bien fonctionné par rapport aux objectifs que notre gouvernement voulait réaliser. Avons-nous atteint nos objectifs? Si ce n'est pas le cas, que pourrait-on améliorer? La réponse à votre question est que ce processus se fait étape par étape. Nous ne savons pas jusqu'où cela ira. Nous nous concentrerons donc sur la première étape, qui consiste à tirer des leçons. Nous passerons ensuite à une autre étape.

**La sénatrice Senior :** Je vous remercie de votre présence. Compte tenu de la stratégie qui existe, des progrès réalisés et de l'attention portée aux maladies rares, un cadre national tel que celui qui a été élaboré est-il nécessaire pour faire progresser les traitements et permettre aux personnes atteintes de la maladie falciforme d'avoir accès à une assurance-médicaments?

**M. MacDonald :** Notre ministère met en œuvre la stratégie nationale. Aujourd'hui, nous voulions expliquer le plus clairement possible les objectifs de cette stratégie, la manière dont elle a été conçue pour atteindre ces objectifs, en plus de fournir des renseignements qui concernent la maladie falciforme.

Il s'agit de notre contribution à votre étude sur ce projet de loi et l'établissement d'un autre cadre. Est-il nécessaire d'ajouter autre chose? Nous nous concentrerons sur la stratégie nationale et essayons de faire en sorte qu'elle puisse s'appliquer à autant de maladies rares que possible.

**La sénatrice Senior :** Je vais essayer d'être un peu plus précise. Je vous entends dire que vous vous concentrez sur la stratégie nationale, ce que je comprends, mais ma question porte plus précisément sur la maladie falciforme et l'accès aux médicaments essentiels à l'heure actuelle. Je crains que l'attente d'un cadre permettant de garantir cet accès ne coûte des vies. C'est là l'objet de ma question.

**M. MacDonald :** Je vais vous donner ma réponse quant à l'application de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares à la maladie falciforme, plus précisément. Une fois qu'un médicament a franchi toutes les étapes du processus d'approbation des médicaments au Canada — c'est-à-dire qu'il a passé avec succès l'évaluation des technologies de la santé, ou ETS, que l'APP a mené des

the public formulary — when it is a rare disease, the agreement allows them to use the funding from the Government of Canada to support the provision of new drugs for rare diseases. There is a set of specific ones. They can put it towards those or improve access to existing ones.

In terms of sickle cell disease, when we reference that Casgevy is currently under negotiation with the pan-Canadian Pharmaceutical Alliance, the importance of that is there will come a decision point where provinces and territories will be determining whether to put that on their formulary. If they were to do so, this is a drug that under the national strategy they would be able to allocate funding to.

The rest of the activities that we set out, all that foundational work in terms of registries for rare disease, I understand that you're getting a presentation on your next panel from somebody who's trying to put one together. The guidance that has been published from Canada's Drug Agency is there to guide anyone trying to put together a rare disease registry, so that would be an asset for them to use. I just highlight those as a couple of connections.

**Dr. Pham:** I will add as well to your question, which I think is very important, recognizing that in Canada, Health Canada currently has approved products that are available for the medical management of those with sickle cell disease. So, although we did have the discussion and questions in regard to the ideal state of them being authorized with labelled indication, they are available.

So, as we look forward to innovative therapies that are coming online, I think that the program itself is what Daniel is talking about. Looking at the availability of analgesics or pain medications in cases where we need to manage patients with sickle cell disease, we have some of those options there. The two examples that Senator McPhedran had asked about earlier, those are pharmaceutical agents available as mainstays in Canada as well.

**Senator Petitclerc:** I have a follow-up question for clarity. This falls under rare diseases. I understand that. I assume that resources, funds and time are limited when it comes to rare diseases. Are the rare diseases competing with each other when it comes to funding? Maybe you've touched on this already, but if they are competing, how do we prioritize where we invest time, research and treatment? In the context of this proposed bill, would a framework somehow help provide an environment where this rare disease is treated as more of a priority?

négociations concernant les prix, et que les provinces en sont désormais rendues à déterminer s'il doit être inscrit sur la liste des médicaments couverts par le régime public —, l'accord permet, dans le cas d'une maladie rare, d'utiliser les fonds du gouvernement du Canada pour acheter de nouveaux médicaments destinés au traitement des maladies rares. Il existe un ensemble de médicaments précis. On peut utiliser le financement pour se procurer ces médicaments ou pour améliorer l'accès aux médicaments existants.

Pour ce qui est de la maladie falciforme, lorsque nous mentionnons que le médicament Casgevy fait actuellement l'objet de négociations menées par l'Alliance panafricaine pharmaceutique, il est important de noter qu'un moment viendra où les provinces et les territoires devront décider s'ils souhaitent l'ajouter à leur liste de médicaments couverts par le régime public. S'ils le font, ils pourraient recevoir des fonds pour ce médicament dans le cadre de la stratégie nationale.

Pour ce qui est des autres activités que nous avons prévues, tout ce travail fondamental sur les registres des maladies rares... je crois comprendre que vous entendrez le témoignage d'une personne qui tente de créer un de ces registres. Les directives publiées par l'Agence des médicaments du Canada sont là pour orienter toute personne qui souhaite le faire. Elles pourraient leur être très utiles. Je souligne simplement ces quelques liens.

**M. Pham :** J'ajouterais également à votre question — que je trouve d'ailleurs très importante — que Santé Canada a approuvé des produits qui peuvent être utilisés pour la prise en charge médicale des personnes atteintes de la maladie falciforme. Ainsi, même si nous avons dit que l'idéal serait d'approuver un usage à des fins indiquées sur l'étiquette, ces produits sont disponibles.

Ainsi, alors que nous attendons avec impatience l'arrivée de thérapies innovantes, je pense que le programme lui-même correspond à ce dont parle M. MacDonald. Dans les cas où nous devons prendre en charge des patients atteints de la maladie falciforme, nous disposons de certains analgésiques ou de médicaments contre la douleur. Les deux exemples soulevés plus tôt par la sénatrice McPhedran sont également des produits pharmaceutiques disponibles au Canada.

**La sénatrice Petitclerc :** Je vais poser une question complémentaire pour obtenir plus de précisions. Cela concerne les maladies rares. Je comprends cela. Je suppose que les ressources, les fonds et le temps sont limités lorsqu'il s'agit de maladies rares. Les maladies rares sont-elles en concurrence les unes avec les autres en matière de financement? Vous avez peut-être déjà abordé cette question, mais si elles sont en concurrence, comment peut-on établir des priorités en matière d'investissement en temps, en recherche et en traitement? Dans

I'm trying to understand the environment in which choices are made.

**Mr. MacDonald:** Thank you for the question. I will start by indicating my role Health Canada: I do not manage a drug plan.

**Senator Petitclerc:** Yes. I know that.

**Mr. MacDonald:** I just need to clarify that on behalf of all the people I work with who actually do, because what I'm going to say is almost speaking for them, and I want to be careful.

If I interpreted it correctly, your question is about whether sickle cell disease is in competition with other rare diseases for access to funding through the national strategy. I'm going to explain that it is not.

The way the agreements are structured, provinces and territories always remain responsible for their jurisdiction and any decisions about whether to list and reimburse for any drugs for rare diseases. But the agreements are designed to make it — in essence — easier for them to do so, because there is dedicated funding being provided through an agreement for them to be able to do so. They always make their decisions in the broader sense of the question, "Is there evidence that this is an effective drug?" It's passed through all of the steps of the pharmaceutical approval process in Canada. When it gets to the end, the difficulty with rare diseases is that quite often, because of their nature and the evidence that comes with whether the hoped for and anticipated benefit is there, there can be some questions about that. The spirit of the national strategy is to make it easier to make those listing and reimbursement decisions. There is some funding there to help de-risk it, so to speak, while we collect real-world evidence that shows whether it is, in fact, what we had hoped it was.

In that dynamic, there is not a competition between rare diseases, no.

**Senator Petitclerc:** Thank you. Are you saying that this applies to research as well?

**Mr. MacDonald:** To return to a response I provided earlier, we're looking at a step back in terms of the overall environment to enable research, clinical trials and so on for all rare diseases. So it's a very broad rare disease, 1-in-12-Canadians type of approach. It does not, in the national strategy, have any bearing on the primary research that is undertaken by researchers regarding a specific disease and whether we have a treatment for it.

le contexte de ce projet de loi, un cadre permettrait-il d'une manière ou d'une autre de créer un environnement dans lequel cette maladie rare serait traitée comme une priorité ?

J'essaie de comprendre comment les choix sont faits.

**M. MacDonald :** Merci de la question. Je vais commencer par indiquer mon rôle à Santé Canada : je ne gère aucun régime d'assurance-médicaments.

**La sénatrice Petitclerc :** Oui. Je sais.

**M. MacDonald :** Je dois juste le préciser au nom de toutes les personnes avec qui je travaille pour qui c'est le cas, car je m'apprends presque à parler pour eux, et je veux faire attention.

Si j'ai bien compris votre question, vous voulez savoir si la maladie falciforme fait concurrence à d'autres maladies rares pour ce qui est de l'accès au financement par l'entremise de la stratégie nationale. Je vais expliquer que ce n'est pas le cas.

Compte tenu de la façon dont les accords sont structurés, les provinces et les territoires demeurent toujours responsables de leur champ de compétence et de toutes les décisions sur les médicaments couverts et remboursés pour traiter des maladies rares. Les accords sont toutefois conçus pour que ce soit — essentiellement — plus facile pour eux de le faire, car des fonds sont réservés dans le cadre d'un accord pour qu'ils puissent le faire. Ils prennent toujours leurs décisions au sens plus large de la question : « Y a-t-il des preuves de l'efficacité du médicament? » Toutes les étapes du processus d'homologation des produits pharmaceutiques au Canada sont suivies. À la fin, ce qui est difficile avec les maladies rares, c'est que bien souvent, compte tenu de leur nature ainsi que des preuves concernant l'effet espéré et prévu, il peut y avoir des questions à ce sujet. L'esprit de la stratégie nationale vise à faire en sorte qu'il soit plus facile de prendre ces décisions relatives à l'inscription et au remboursement. Des fonds sont disponibles pour aider à atténuer les risques, si je puis dire, pendant que nous recueillons des données concrètes qui montrent que les résultats sont effectivement ceux que nous avions espérés.

Dans cette dynamique, il n'y a pas de concurrence entre les maladies rares, non.

**La sénatrice Petitclerc :** Merci. Dites-vous que cela s'applique également à la recherche?

**M. MacDonald :** Pour revenir à une réponse que j'ai donnée plus tôt, nous prenons un peu de recul en ce qui a trait à l'environnement global afin de permettre la recherche, les essais cliniques et ainsi de suite pour toutes les maladies rares. C'est donc une maladie rare au sens large, un type d'approche axée sur une proportion d'un Canadien sur 12. Dans la stratégie nationale, il n'y a aucune incidence sur les principaux travaux entrepris par des chercheurs sur une maladie précise et un éventuel traitement.

**Senator Petitclerc:** Okay, thank you.

**The Chair:** I want to ask you a question, if I can interject before we go into the second round. It's my impression that we're talking about two different things. We're talking about a national strategy that sits in place to advance work around all rare diseases, is nonspecific and is actually centred around drugs — drug use and drug financing. What we have in front of us is a framework that is attempting to pull out a particular rare disease and speak to it in its full context — the envelope of care, the social implications, the financial support for patients, the medical care being delivered and so on.

If this framework were passed, how would Health Canada take on the new legislation that it faces? Because if I am correct, it bears no resemblance to the strategy; it's outside the strategy, or seems to be.

**Mr. MacDonald:** You are correct in your characterization of the two things that we're in essence talking about here. The National Strategy for Drugs for Rare Diseases approach was broad and wide specifically because we were addressing the problem of 1 in 12 Canadians having a rare disease, but there are thousands of them, whether it's 7,000, 8,000 or 10,000. I've seen different numbers, but there are thousands. So with the funding that was available, the government attempted to create a framework that would address as many as possible by setting foundational elements that could be leveraged long into the future to benefit the treatment of many rare diseases.

The other thing that we were faced with was a statistic that we've heard many times: that of those thousands of rare diseases, only 5% have a drug therapy. To take your point, there are elements other than drugs that are important for care. That was one of the elements that was important to us. We had to focus to ensure that we were achieving something in the areas that we elected to address. We focused on drugs because they are so important to so many. It's really the system by which drugs are seen, considered and approached and decisions are made that we're trying to address.

To answer your question — if we had this legislation that was very specific to one indication, it would have a significant effect on how Health Canada manages this sort of rare-disease-wide approach. We would have to then have to accommodate; we would have a commitment in legislation where we need to do something for one of the thousands. We would have to ensure that we did that somehow. But I don't have a definitive answer right now as to how that would happen.

**La sénatrice Petitclerc :** Je vois, merci.

**La présidente :** Je veux vous poser une question, si je peux intervenir avant que nous commençons le deuxième tour. J'ai l'impression que nous parlons de deux choses différentes. Nous parlons d'une stratégie nationale qui est en place pour faire avancer le travail sur toutes les maladies rares, une stratégie qui est non spécifique et axée sur les médicaments — leur utilisation et leur financement. Ce que nous avons devant nous, c'est un cadre qui tente de prendre une maladie rare et d'en parler dans son contexte global — l'enveloppe des soins, les conséquences sociales, le soutien financier pour les patients, les soins offerts et ainsi de suite.

Si ce cadre était adopté, de quelle façon Santé Canada aborderait-il face à la nouvelle loi? Car, sauf erreur, il n'y a aucune ressemblance avec la stratégie; c'est distinct, ou cela semble l'être.

**M. MacDonald :** Vous avez bien décrit les deux choses dont nous parlons essentiellement ici. L'approche de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares était large précisément parce que nous nous attaquions au fait qu'un Canadien sur 12 souffre d'une maladie rare, mais il y en a des milliers, 7 000, 8 000 ou 10 000. J'ai vu des chiffres différents, mais il y en a des milliers. Donc, à l'aide des fonds disponibles, le gouvernement a essayé de créer un cadre qui permettrait d'en étudier autant que possible en établissant les éléments fondamentaux dont on pourrait tirer parti à très long terme pour améliorer le traitement de nombreuses maladies rares.

L'autre chose à laquelle nous faisions face, c'était une statistique que nous avions entendue à maintes reprises, c'est-à-dire que la proportion de maladies rares qui peuvent être traitées avec un médicament n'est que de 5 %. Comme vous l'avez dit, il n'y a pas que les médicaments qui sont importants pour soigner une maladie. C'était un des éléments importants pour nous. Nous avons dû concentrer nos efforts pour nous assurer d'accomplir quelque chose dans les domaines sur lesquels nous avions choisi de nous pencher. Nous avons mis l'accent sur les médicaments parce qu'ils sont très importants pour beaucoup de monde. Nous essayons vraiment de nous pencher sur le système dans le cadre duquel les médicaments sont pris en considération et des décisions sont prises.

Pour répondre à votre question, si nous avions eu cette loi qui porte très précisément sur une indication, elle aurait eu un effet important sur la façon dont Santé Canada gère ce genre d'approche globale concernant les maladies rares. Il faudrait ensuite en tenir compte; nous aurions un engagement dans la loi selon lequel il nous faudrait faire quelque chose pour une maladie parmi des milliers. Il faudrait nous assurer de le faire d'une certaine façon, mais je n'ai pas de réponse définitive quant à la façon dont cela se produirait.

**Senator Burey:** This is just following on that clarification. As I said at the outset, I salute Health Canada for producing the National Strategy for Drugs for Rare Diseases. My question is this: Is there anything in this bill that would hinder the rare disease strategy? My second is this: Has the case been made for the necessity of continuing the rare disease strategy? Is there anything that will hinder it?

**Mr. MacDonald:** Hinder it? No. We're very cognizant at Health Canada that the national strategy already operates in a bigger world, that there are elements of care that the National Strategy for Drugs for Rare Diseases is not focused on and that we need to work with partners. Groups are coming together to address different parts. So we're operating in a broader ecosystem as it is and recognize that. The framework, as I have seen it laid out, explicitly recognizes that there is a wider framework in which treatment for sickle cell disease operates. It's just for one indication, not for trying to do everything. So would it hinder it? No. It just requires some adjustment.

**Senator Burey:** Second, would it help make the case for the necessity of a rare disease strategy? You just talked about time and funding constraints in three years; then you're going to reevaluate. To me, this is something we need to and should look at continuing. In this framework, is there anything that would make the case for continuing it?

**Mr. MacDonald:** I think the case for the continuation of the existing National Strategy for Drugs for Rare Diseases is clear from the decision that put it in place initially. I think the existence of all of the bilateral agreements with the provinces and territories and the progress that's being made in the work with them — focusing on real-world evidence decision-making and the funding being used to improve national consistency and access — are making the case for it.

**Senator Burey:** Thank you.

**Senator Osler:** Gentlemen, the nice thing about being on second round when you come to the Senate Committee on Social Affairs, Science and Technology is that all of the questions that I had for second round — the ones on duplications posed by Senator Senior, the ones on the one-year timeline posed by Senator Bernard and a clarification on a framework when we have an existing rare disease strategy — have been answered. So I just want to say thank you for being here.

**Senator McPhedran:** I have a very quick question. In your experience, are frameworks like this helpful for the work that you are charged with doing?

**La sénatrice Burey :** Je vais donner suite à ces éclaircissements. Comme je l'ai dit d'entrée de jeu, je félicite Santé Canada d'avoir produit la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares. Voici ma question : y a-t-il quelque chose dans ce projet de loi qui pourrait nuire à la stratégie? Et voici ma deuxième question : a-t-on démontré la nécessité de poursuivre la stratégie sur les maladies rares? Y a-t-il la moindre chose qui pourrait lui nuire?

**M. MacDonald :** Lui nuire? Non. Nous sommes bien conscients à Santé Canada que la stratégie nationale fait déjà partie d'un monde plus vaste, qu'elle ne met pas l'accent sur certains aspects des soins et que nous devons travailler avec des partenaires. Des groupes sont formés pour s'attaquer à différents éléments. Nous menons donc déjà nos activités dans un écosystème plus vaste et nous en sommes conscients. Le cadre, d'après ce que j'ai vu, reconnaît explicitement que le traitement de la maladie falciforme se fait dans un contexte plus vaste. Ce n'est que pour une seule indication, pas pour essayer de tout faire. Donc, est-ce que cela nuirait à la stratégie? Non. Il faut juste s'adapter un peu.

**La sénatrice Burey :** Deuxièmement, est-ce que cela aiderait à démontrer la nécessité d'une stratégie pour les maladies rares? Vous venez tout juste de parler des contraintes de temps et de financement dans trois ans; vous allez ensuite réévaluer la situation. J'estime quant à moi que c'est une chose que nous devons envisager de poursuivre. Dans ce cadre, y a-t-il quelque chose qui démontrerait pourquoi il faut préserver la stratégie?

**M. MacDonald :** Je pense que la décision qui a initialement mené à la création de la Stratégie nationale visant les médicaments pour le traitement des maladies rares procure des arguments pour la maintenir en place. J'estime que l'existence de tous les accords bilatéraux avec les provinces et les territoires ainsi que les progrès réalisés dans le travail fait avec eux — en mettant l'accent sur la prise de décisions axées sur des données concrètes et sur l'utilisation des fonds de manière à améliorer l'uniformité et l'accès à l'échelle nationale — fournissent de bons arguments à cette fin.

**La sénatrice Burey :** Merci.

**La sénatrice Osler :** Messieurs, ce qui est bien quand on intervient au deuxième tour au Comité sénatorial des affaires sociales, des sciences et de la technologie, c'est qu'on a déjà répondu à toutes les questions qu'on avait pour ce tour : celles sur les chevauchements de la sénatrice Senior, celles sur le délai d'un an de la sénatrice Bernard et celle visant à obtenir un éclaircissement sur le recours à un cadre lorsque nous avons actuellement une stratégie sur les maladies rares. Je veux donc tout simplement vous remercier d'être ici.

**La sénatrice McPhedran :** J'ai une question très rapide. D'après votre expérience, les cadres comme celui-ci sont-ils utiles pour accomplir le travail qu'on vous a confié?

**Mr. MacDonald:** The national strategy is a framework. We are working with partners to figure out what the pieces of that broader framework will look like. Part of what we do at Health Canada is work with partners in provincial and territorial jurisdictions in the area of administration of drugs.

Yes, a framework is helpful because it provides direction. To my point that you need focus, you need to prioritize your activities, to sequence and so on, and these things are helped by having a clear vision from the outset of what you're trying to achieve, as well as the design of the pieces you think are important to put together to achieve that end. So as a tool, we find it very useful.

**The Chair:** I will ask the last question.

How will Health Canada work with the provinces differently to how you're working now? You already have evidence out there around neonatal screening. You already have information around the drugs — shared information from trusted jurisdictions. As you framed it earlier, it's there and you offer it. How would you work differently now that you have a piece of legislation that says to organize all of this in one place and try to sell it to the provinces? That's my read on it. What is yours?

**Mr. MacDonald:** When we deal in the national strategy, obviously when you're trying to come from the level of a framework, you have to come down several levels to actually deliver something that makes an impact on Canadians. In the environment I'm describing, where we're convening with provinces and territories and working with everybody, we have to talk about specific indications and drugs related to them at particular times.

There is already an element within the national strategy of coming down to specific indications. So there is a common set of drugs in the bilateral agreements that are tied to specific indications that are being investigated for applications and real-world evidence. If we had this legislation and the sickle cell framework in place, we would have to be cognizant that, as we are doing our work, we need to be clear about what is happening that is relevant to sickle cell disease.

That said, the overall approach of trying to do things that are going to benefit as many indications as possible would remain, so we would have to balance those two competing priorities.

**M. MacDonald :** La stratégie nationale est un cadre. Nous travaillons avec des partenaires pour déterminer à quoi ressembleront les morceaux de ce cadre plus vaste. À Santé Canada, nous travaillons notamment avec des partenaires des provinces et des territoires dans le domaine de l'administration des médicaments.

Oui, il est utile d'avoir un cadre puisqu'il procure une orientation. J'ai dit qu'il faut savoir sur quoi se concentrer, établir l'ordre de priorité de ses activités et ainsi de suite, et ces choses aident à avoir dès le départ une vision claire de ce qu'on essaie d'accomplir, ainsi que de la conception des éléments qu'on estime qu'il est important de réunir pour atteindre cet objectif. Donc, en tant qu'outil, nous trouvons que c'est très utile.

**La présidente :** Je vais poser la dernière question.

Comment Santé Canada va-t-il travailler avec les provinces d'une manière différente que ce que vous faites actuellement? Vous avez déjà des données probantes sur le dépistage néonatal. Vous avez déjà de l'information sur les médicaments — de l'information provenant d'administrations dignes de confiance. Comme vous l'avez formulé plus tôt, l'information est là et vous l'offrez. En quoi votre travail serait-il différent maintenant que vous avez une loi qui dit d'organiser tout cela à un seul endroit et d'essayer de le faire accepter par les provinces? C'est mon interprétation de la situation. Quelle est la vôtre?

**M. MacDonald :** Lorsque nous parlons de la stratégie nationale et, de toute évidence, lorsqu'on essaie d'aborder la situation à l'aide d'un cadre, et il faut ensuite descendre de plusieurs niveaux pour offrir quelque chose qui a une incidence sur la vie des Canadiens. Dans l'environnement que je décris, alors que nous nous réunissons avec les provinces et les territoires et que nous travaillons avec tout le monde, nous devons parler d'indications précises et des médicaments qui s'y rapportent à certains moments.

Il est déjà question dans la stratégie nationale d'en arriver à des indications précises. Il existe donc un ensemble commun de médicaments dans les accords bilatéraux qui sont liés à des indications précises et qui sont étudiés pour trouver des applications et des données concrètes. Si nous avions cette loi et le cadre relatif à la maladie falciforme, il nous faudrait être conscients, lorsque nous faisons notre travail, que nous devons être clairs à propos de ce qui se fait relativement à la maladie falciforme.

Cela dit, l'approche globale qui consiste à essayer de faire des choses qui seront utiles pour le plus d'indications possible serait toujours là, et nous aurions à trouver un équilibre entre ces deux priorités concurrentes.

**The Chair:** Thank you very much, Mr. MacDonald and Dr. Pham. I thank you both for your testimony today. I know we've been a difficult crowd. Senators, this brings us to the end of this panel.

Colleagues, we will continue in camera.

(The committee continued in camera.)

**La présidente :** Monsieur MacDonald, monsieur Pham, merci beaucoup. Je vous remercie tous les deux de votre témoignage. Je sais que nous avons été un groupe difficile. Chers collègues sénateurs, c'est tout le temps que nous avions avec ce groupe de témoins.

Nous allons poursuivre à huis clos.

(La séance se poursuit à huis clos.)

---