

**EVIDENCE**

OTTAWA, Wednesday, October 8, 2025

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

**Senator Flordeliz (Gigi) Osler** (*Deputy Chair*) in the chair.

[*English*]

**The Deputy Chair:** Welcome to this meeting of the Standing Senate Committee on Social Affairs, Science and Technology. My name is Senator Flordeliz (Gigi) Osler. I'm a senator from Manitoba and the deputy chair of this committee.

Before we begin, I would like to do a round table and have senators introduce themselves.

**Senator Senior:** Hello, everyone. Senator Paulette Senior from Ontario.

**Senator McPhedran:** Welcome. Marilou McPhedran, independent senator from Manitoba.

**Senator Burey:** Sharon Burey from Ontario.

[*Translation*]

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

**Senator Petitclerc:** Good afternoon. Thank you for joining us. Chantal Petitclerc from Quebec.

[*English*]

**Senator Bernard:** Welcome. Wanda Thomas Bernard from Mi'kma'ki, Nova Scotia.

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

**Senator Greenwood:** Margo Greenwood from the most beautiful province in all of Canada, British Columbia.

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

Today, we are continuing our study of Bill S-201, An Act respecting a national framework on sickle cell disease. Joining us today are, from the Royal College of Physicians and Surgeons of Canada, Dr. Catherine Moltzan, hematologist, Hematology Specialty Committee; from the Health Standards Organization, by video conference, Sandra Young, Executive Director, Standards and Education; and from the Canadian

**TÉMOIGNAGES**

OTTAWA, le mercredi 8 octobre 2025

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

**La sénatrice Flordeliz (Gigi) Osler** (*vice-présidente*) occupe le fauteuil.

[*Traduction*]

**La vice-présidente :** Bienvenue à cette réunion du Comité permanent des affaires sociales, des sciences et de la technologie. Je m'appelle Flordeliz (Gigi) Osler. Je suis sénatrice du Manitoba et vice-présidente de ce comité.

Avant de commencer, j'aimerais faire un tour de table et demander aux sénateurs de se présenter.

**La sénatrice Senior :** Bonjour à tous. Je suis la sénatrice Paulette Senior, de l'Ontario.

**La sénatrice McPhedran :** Soyez les bienvenus. Je suis Marilou McPhedran, sénatrice indépendante du Manitoba.

**La sénatrice Burey :** Je suis Sharon Burey, de l'Ontario.

[*Français*]

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

**La sénatrice Petitclerc :** Bonjour. Merci d'être là. Chantal Petitclerc, du Québec.

[*Traduction*]

**La sénatrice Bernard :** Je vous souhaite la bienvenue. Je suis Wanda Thomas Bernard, de Mi'kma'ki, en Nouvelle-Écosse.

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

**La sénatrice Greenwood :** Je suis Margo Greenwood, de la plus belle province du Canada, la Colombie-Britannique.

**La vice-présidente :** Merci, sénateurs.

Aujourd'hui, nous poursuivons notre étude du projet de loi S-201, Loi concernant un cadre national sur la maladie falciforme. Se joignent à nous la Dre Catherine Moltzan, hématologue, Comité de spécialité en hématologie, Collège royal des médecins et chirurgiens du Canada; Mme Sandra Young, directrice générale, Normes et éducation, Organisation des normes en santé, par vidéoconférence; et le Dr Robert Klaassen,

Hemoglobinopathy Association, Dr. Robert Klaassen, pediatric hematologist/oncologist, Fellow of the Royal College of Physicians and Surgeons of Canada, Division of Medicine; as well as Dr. Alan Timmouth, physician and Director of the Ottawa Hospital Hemoglobinopathy Program. Thank you all for joining us today.

We will begin with Dr. Moltzan. You have five minutes. The floor is yours.

**Catherine Moltzan, Hematologist, Hematology Specialty Committee, Royal College of Physicians and Surgeons of Canada:** Good afternoon. Thank you for the opportunity to discuss the intersection of Bill S-201 and hematologist training in Canada. I'm a hematologist from Winnipeg. I'm also an associate professor in the Department of Internal Medicine at the University of Manitoba, and I'm here as Chair of the Hematology Specialty Committee at the Royal College of Physicians and Surgeons of Canada.

The success of this framework depends upon policy, infrastructure and the physicians who deliver care for patients with sickle cell disease, that is, hematologists. As you are probably aware, hematologists specialize in blood diseases. To become one, a medical school graduate must spend at least five to six years in postgraduate residency training, including three years in internal medicine or pediatrics and two to three years in hematology. The committee that I chair oversees the standards of training of residents in university programs who have completed internal medicine training. There is a sister committee that does the same for pediatrics training. Many hematologists pursue further fellowship training in specialized areas, especially for careers in academic university centres.

The Royal College of Physicians and Surgeons of Canada has modernized hematology education through the Competence by Design model, and the competencies, the training experiences, the entrustable professional activities and the standards of accreditation align closely with Bill S-201's pillars. They ensure that hematology residents develop expertise in diagnosing and managing blood disorders like sickle cell disease as well as in coordinating care for these patients. This includes pathology, diagnostics, transfusion medicine, pain management, interprofessional collaboration, scholarship, patient advocacy and health system leadership.

This bill calls for national standards of care, training and data collection. The training requirements already mandate quality-improvement projects, multidisciplinary collaboration and registry-based research, which are all needed to build the evidence base envisioned in the bill. Residents must also

hématologue-oncologue pédiatrique, membre du Collège royal des médecins et chirurgiens du Canada, division de médecine, et de l'Association canadienne de l'hémoglobinopathie; et le Dr Alan Timmouth, médecin et directeur du Programme d'hémoglobinopathie de l'Hôpital d'Ottawa. Nous vous remercions tous de votre présence aujourd'hui.

Nous commencerons par la Dre Moltzan. Vous disposez de cinq minutes. Vous avez la parole.

**Dre Catherine Moltzan, hématologue, Comité de spécialité en hématologie, Collège royal des médecins et chirurgiens du Canada :** Bonjour. Je vous remercie de me donner l'occasion de parler du lien entre le projet de loi S-201 et la formation des hématologues au Canada. Je suis hématologue à Winnipeg. Je suis également professeure agrégée au Département de médecine interne de l'Université du Manitoba, et je suis ici en tant que présidente du Comité de spécialité en hématologie du Collège royal des médecins et chirurgiens du Canada.

Le succès de ce cadre dépend des politiques, des infrastructures et des médecins qui dispensent des soins aux patients atteints de la maladie falciforme, c'est-à-dire des hématologues. Comme vous le savez probablement, les hématologues se spécialisent dans les maladies du sang. Pour devenir hématologue, un diplômé en médecine doit suivre au moins cinq à six ans de formation en résidence postdoctorale, soit trois ans en médecine interne ou en pédiatrie et deux à trois ans en hématologie. Le comité que je préside supervise les normes de formation des résidents dans les programmes universitaires, qui ont terminé leur formation en médecine interne. Un autre comité fait de même pour la formation en pédiatrie. Nombre d'hématologues poursuivent leur formation postdoctorale dans des domaines spécialisés, notamment pour faire carrière dans des centres universitaires.

Le Collège royal des médecins et chirurgiens du Canada a modernisé les études en hématologie en appliquant le modèle dit de la Compétence par conception, et les compétences, les expériences de formation, les activités professionnelles fiables et les normes d'accréditation cadrent parfaitement avec les piliers du projet de loi S-201. Elles garantissent que les résidents en hématologie acquièrent des compétences en diagnostic et en prise en charge des affections hématologiques telles que la maladie falciforme, ainsi qu'en coordination des soins de ces patients. Cela comprend la pathologie, le diagnostic, la médecine transfusionnelle, la gestion de la douleur, la collaboration interprofessionnelle, la recherche, la défense des intérêts des patients et la gouvernance du système de santé.

Ce projet de loi prévoit des normes nationales en matière de soins, de formation et de collecte de données. Les formations requises imposent déjà des projets d'amélioration de la qualité, une collaboration multidisciplinaire et des recherches reposant sur des registres, tous nécessaires pour constituer la base de

demonstrate competencies in advocacy, equity and culturally safe communication to address the disproportionate burden of sickle cell disease in racialized communities.

The standards of accreditation require hematology training programs to reflect Canadian society's needs and collaborate with other health professions. This means that each hematology residency program must provide exposure to community care, diverse patient populations and interprofessional teamwork, which are essential to equitable national service delivery.

In practical terms, our hematology training programs would help operationalize Bill S-201 by providing consistent training for all hematology residents in Canada; encouraging more residents to consider sickle cell disease/hemoglobinopathy as a subspecialty as we build national infrastructure; encouraging residents to consider quality-improvement projects and research in sickle cell disease to build a national database; and serving as regional knowledge-translation hubs, sharing best practices across jurisdictions.

The educational infrastructure is already in place. Canadian hematology training has evolved to produce clinicians skilled in molecular diagnostics, complex therapies, health policy implementation, research advancement and health equity advocacy. This bill would provide a national mandate, and hematology education would help to provide the workforce to fulfill it.

Thank you for recognizing the need for training excellence and national policy to improve outcomes for Canadians with sickle cell disease.

**The Deputy Chair:** Thank you, Dr. Moltzan.

Ms. Young, you have five minutes.

**Sandra Young, Executive Director, Standards and Education, Health Standards Organization:** Thank you very much and good afternoon, senators. I'm very pleased to be here. I'm joining you today from Calgary, the traditional, ancestral, unceded territory of the Indigenous Peoples who have lived in the area for generations, including the Blackfoot Confederacy, the Stoney Nakoda, the Tsuut'ina Nation and the Métis Nation of Alberta.

My role at the Health Standards Organization, or HSO, is as the Executive Director of Standards and Education. The Health Standards Organization is a health and social services standards

données probantes proposée dans le projet de loi. Les résidents doivent également démontrer leurs compétences en matière de défense des intérêts, d'équité et de communication adaptée à la culture pour faire face au fardeau disproportionné de la maladie falciforme dans les communautés racisées.

Les normes d'accréditation exigent que les programmes de formation en hématologie correspondent aux besoins de la société canadienne et collaborent avec d'autres professions de la santé. Cela signifie que chaque programme de résidence en hématologie doit offrir une exposition aux soins communautaires, à diverses populations de patients et au travail d'équipe interprofessionnel, qui sont essentiels à une prestation de services équitable à l'échelle nationale.

Concrètement, nos programmes de formation en hématologie contribueront à la mise en œuvre du projet de loi S-201 en offrant une formation uniforme à tous les résidents en hématologie au Canada, en encourageant plus de résidents à considérer la maladie falciforme, l'hémoglobinopathie, comme sous-spécialité à mesure que nous constituons une infrastructure nationale, en encourageant les résidents à envisager des projets d'amélioration de la qualité et des recherches sur la maladie falciforme, afin de constituer une base de données nationale, et en servant de centres régionaux de transfert des connaissances, partageant les pratiques exemplaires entre les provinces.

L'infrastructure éducative est déjà en place. La formation canadienne en hématologie a évolué de manière à former des cliniciens compétents en matière de diagnostic moléculaire, de thérapies complexes, de mise en œuvre des politiques de santé, de progrès de la recherche et de promotion de l'équité en santé. Ce projet de loi donne un mandat national, et la formation en hématologie aidera à fournir la main-d'œuvre nécessaire pour le remplir.

Nous vous remercions de reconnaître la nécessité d'une formation d'excellence et d'une politique nationale pour améliorer les résultats pour les Canadiens atteints de la maladie falciforme.

**La vice-présidente :** Je vous remercie, docteure Moltzan.

Madame Young, vous disposez de cinq minutes.

**Sandra Young, directrice générale, Normes et éducation, Organisation des normes en santé :** Merci beaucoup et bonjour, sénateurs. Je suis très heureuse d'être des vôtres. Je me joins à vous aujourd'hui depuis Calgary, territoire traditionnel, ancestral et non cédé des peuples autochtones qui vivent dans la région depuis des générations, notamment la Confédération des Pieds-Noirs, les Stoney Nakoda, la nation Tsuut'ina et la Nation métisse de l'Alberta.

Mon rôle au sein de l'Organisation des normes en santé, la HSO, est celui de directrice générale des normes et de l'éducation. L'Organisation des normes en santé est un

development organization, and we are accredited by the Standards Council of Canada and the International Society for Quality in Health Care.

Evidence-informed standards are developed in collaboration with technical committees with equitable representation from across Canada, inclusive of product users, policy-makers, people with lived experience and general interest holders, namely, researchers and thought leaders.

The Health Standards Organization comes to you today to speak to Bill S-201, An Act respecting a national framework on sickle cell disease, in reference to a national framework on sickle cell disease, specifically citing the evidence-based national standards for the diagnosis and treatment of sickle cell disease, including measures to institute universal neonatal screening; postnatal diagnosis, when necessary; and the provision of results for affected individuals and organizations.

In the upcoming year, 2026-27, the Health Standards Organization plans to develop perinatal, pediatric and laboratory standards. These standards will be updated, and the pediatric standard will be a net new standard. We are very proud of the standards that we publish. We are proud of the first pediatric pain standard in the world, as a national standard of Canada, as well as the first Integrated People-Centred Health Systems, or IPCHS, standard. Currently, we are working with an Indigenous-led distinctions-based technical committee to develop the first national standard in Canada for cultural safety and humility. These standards have uptake and are implemented through Accreditation Canada. Revisions to these standards may integrate criteria requirements outlined in the bill for neonatal screening, postnatal diagnosis, laboratory testing, blood transfusions, and pediatric management of pain and sickle cell disease. This integration would then be translated into practice and continuous quality improvement through Accreditation Canada.

The Health Standards Organization welcomes the opportunity to collaborate as an interest holder in the development of a national framework on sickle cell disease. We thank you for your attention to this important issue.

**The Deputy Chair:** Thank you, Ms. Young.

Dr. Klaassen and Dr. Tinmouth, you each have two and a half minutes on behalf of your organization. Dr. Klaassen, the floor is yours.

organisme chargé de définir des normes en matière de santé et de services sociaux. Nous sommes accrédités par le Conseil canadien des normes et l'International Society for Quality in Health Care.

Les normes fondées sur des données probantes sont définies en collaboration avec des comités techniques au sein desquels sont équitablement représentées toutes les régions du Canada, y compris des utilisateurs de produits, des décideurs, des personnes ayant une expérience vécue et des personnes intéressées de manière générale, c'est-à-dire des analystes et des leaders d'opinion.

L'Organisation des normes en santé s'adresse à vous aujourd'hui pour parler du projet de loi S-201, Loi concernant un cadre national sur la maladie falciforme, et plus particulièrement de ce cadre. Le projet de loi mentionne expressément les normes nationales fondées sur des données probantes pour le diagnostic et le traitement de la maladie falciforme, y compris des mesures visant à instaurer un dépistage néonatal universel, un diagnostic postnatal, si nécessaire, et la communication des résultats aux personnes et aux organisations concernées.

Au cours du prochain exercice, 2026-2027, l'Organisation des normes en santé prévoit de définir des normes périnatale, pédiatrique et de laboratoire. Ces normes seront mises à jour, et la norme pédiatrique sera une nouvelle norme nette. Nous sommes très fiers des normes que nous publions. Nous sommes fiers de la première norme du monde sur la gestion de la douleur pédiatrique, qui est une norme nationale canadienne, ainsi que de la première norme sur les systèmes de santé intégrés centrés sur la personne, les SSICP. Actuellement, nous travaillons avec un comité technique fondé sur les distinctions et dirigé par des Autochtones, afin de définir la première norme nationale canadienne relative à la sécurité et à l'humilité culturelles. Ces normes sont adoptées et mises en œuvre par l'intermédiaire d'Agrément Canada. Elles peuvent être révisées de manière à intégrer les exigences en matière de critères énoncés dans le projet de loi en ce qui concerne le dépistage néonatal, le diagnostic postnatal, les analyses en laboratoire, les transfusions sanguines, ainsi que la gestion de la douleur pédiatrique et de la maladie falciforme. Cette intégration sera ensuite mise en pratique par l'intermédiaire d'Agrément Canada et entraînera une amélioration continue de la qualité.

L'Organisation des normes en santé se réjouit de pouvoir collaborer en tant que partie intéressée à l'élaboration d'un cadre national sur la maladie falciforme. Nous vous remercions de l'attention que vous portez à ce sujet important.

**La vice-présidente :** Merci, madame Young.

Docteur Klaassen et docteur Tinmouth, vous disposez chacun de deux minutes et demie pour présenter votre organisation. Docteur Klaassen, vous avez la parole.

**Robert Klaassen, Pediatric Hematologist Oncologist, Canadian Hemoglobinopathy Association:** Thank you very much. I am a pediatric hematologist and oncologist at the Children's Hospital of Eastern Ontario, or CHEO, and it is a pleasure to be here today as a witness representing the Canadian Hemoglobinopathy Association, CanHaem, in support of Bill S-201.

I have been practising pediatric hematology for more than 25 years now, and, during that time, I have noticed an exponential increase in the number of patients affected by sickle cell disease, with the numbers increasing far above what I see in the other patient groups I take care of. For instance, when I first started, I was following about 60 patients in our clinic, and we now follow more than 300, which is a 500% increase during that period.

Sickle cell disease is an inherited condition that results in distortion of red blood cells, which is why it's called sickle cell disease. This change results in red blood cells breaking down, causing anemia and damaging the blood vessels throughout the body. Due to the damage, even young children are predisposed to serious complications, such as stroke, eye disease, lung problems and painful damage to their bones. This is a serious life-limiting condition, and during my career, I have seen a number of children die from this disorder.

Fortunately, there has been steady improvement in care through newborn screening and early hydroxyurea use, but a significant proportion of patients still have debilitating disease. We currently only have one disease-modifying treatment that we use for this condition, called hydroxyurea, and in Canada it is prescribed off-label because it is not Health Canada-approved for sickle cell disease. While the U.S. Food and Drug Administration, or FDA, and the European Medicines Agency, or EMA, have approved it, it's not done in Canada. They have approved two other drugs for sickle cell disease that are not approved by Health Canada.

A stem cell transplant can cure eligible patients but is limited by donor source, toxicity and a system already overloaded with cancer patients. Gene therapy has now come in and is approved by Health Canada, which occurred in September 2024.

However, only recently have we started discussions about how to roll this out. The Canadian Hemoglobinopathy Association is very concerned that access to this therapy is going to be very limited due to capacity problems among the transplant centres. We may end up with access being totally dependent upon a patient's postal code. For example, I work in Ottawa and have patients in Quebec and Ontario, and access to drugs is very different in each province. That could be a real problem. I have a

**Dr Robert Klaassen, hématologue-oncologue pédiatrique, Association canadienne d'hémoglobinopathie :** Je vous remercie. Je suis hématologue-oncologue pédiatrique au Centre hospitalier pour enfants de l'Est de l'Ontario, le CHEO, et je suis ravi d'être ici aujourd'hui en tant que témoin représentant l'Association canadienne d'hémoglobinopathie, la CanHaem, pour appuyer le projet de loi S-201.

J'exerce la pédiatrie hématologique depuis plus de 25 ans maintenant et, dans ce laps de temps, j'ai constaté une augmentation exponentielle du nombre de patients atteints de la maladie falciforme, bien supérieure à celle que j'observe dans les autres groupes de patients dont je m'occupe. Par exemple, lorsque j'ai commencé, je suivais une soixantaine de patients dans notre clinique, et nous en suivons aujourd'hui plus de 300, soit une augmentation de 500 % en 25 ans.

La maladie falciforme est une maladie héréditaire qui déforme les globules rouges qui prennent alors la forme de faucille, d'où son nom. Cette déformation provoque la destruction des globules rouges, ce qui entraîne une anémie et endommage les vaisseaux sanguins dans tout le corps. En raison de ces dommages, même les jeunes enfants sont prédisposés à de graves complications, comme des accidents vasculaires cérébraux, des maladies oculaires, des problèmes pulmonaires et des lésions osseuses douloureuses. Il s'agit d'une maladie grave qui limite l'espérance de vie et, au cours de ma carrière, j'ai vu plusieurs enfants décéder des suites de cette affection.

Heureusement, les soins s'améliorent continuellement grâce au dépistage néonatal et à l'utilisation précoce de l'hydroxyurée, mais un pourcentage important de patients souffrent encore d'une maladie invalidante. Nous ne disposons actuellement que d'un seul traitement modificateur de la maladie, appelé hydroxyurée, et au Canada, il est prescrit hors indication, car il n'est pas approuvé par Santé Canada pour le traitement de la maladie falciforme. La Food and Drug Administration, la FDA américaine, et l'Agence européenne des médicaments, l'EMA, l'ont approuvé, mais pas le Canada. Elles ont approuvé deux autres médicaments pour la maladie falciforme qui ne sont pas approuvés par Santé Canada.

Une greffe de cellules souches peut guérir les patients admissibles, mais elle est limitée par la source de dons, la toxicité et un système déjà surchargé de patients atteints de cancer. La thérapie génique est maintenant arrivée et a été approuvée par Santé Canada en septembre 2024.

Cependant, nous n'avons commencé que récemment à discuter de la manière de la mettre en œuvre. L'Association canadienne d'hémoglobinopathie redoute que l'accès à cette thérapie soit très limité à cause de problèmes de capacité des centres de transplantation. Nous pouvons nous retrouver dans une situation où l'accès dépendra entièrement du code postal du patient. Par exemple, je travaille à Ottawa et j'ai des patients au Québec et en Ontario, et l'accès aux médicaments est très différent dans

colleague who works in the U.K., and they have already been rolling this out for more than a year. Canada is significantly behind the rest of the developed world regarding this very important treatment.

Over to you, Alan.

**Alan Tinmouth, Physician and Director, Ottawa Hospital Hemoglobinopathy Program, Canadian Hemoglobinopathy Association:** I'm an adult hematologist at the Ottawa Hospital, and I'm the Medical Director of the Ottawa Hospital Hemoglobinopathy Program. I'm also representing CanHaem, the Canadian Hemoglobinopathy Association.

Similar to what Dr. Klaassen said, I've been taking care of sickle cell patients for about 20 years. We initially established a clinic about 20 years ago for 10 to 15 patients due to their complex and unique disease. We now have over 350 patients in our clinic, with 30 to 40 new consults per year. This exponential growth has been seen across Canada. Most large cities now have comprehensive care clinics, but, despite this, patients with sickle cell disease still often don't get the care they need. We don't have the resources to provide optimal care.

As Dr. Klaassen has highlighted, there are many short- and long-term complications related to sickle cell disease due to abnormal red blood cells and impaired oxygen flow. Patients can suffer strokes, vision loss and organ failure, including the brain, the heart, the liver and the kidneys. Often, these occur in patients in their twenties and thirties. Patients have severely shortened life expectancies and markedly decreased quality of life.

When we started our clinic 20 years ago, we really had three options that we could provide for patients: hydroxyurea, blood transfusions and pain medications. Twenty years later, we really only have the same options: hydroxyurea, blood transfusions and pain medications. We haven't seen similar advances in sickle cell disease that we've seen in other patient groups with chronic medical conditions.

Additionally, patients with sickle cell disease face systemic biases and barriers that prevent them from accessing care and receiving the appropriate treatment and supports that they require and need. This results in our patients having regular — often daily — pain, multiple hospitalizations per year and challenges completing school or receiving the work accommodations that they need.

chaque province. Cela pourrait constituer un réel problème. J'ai un collègue qui travaille au Royaume-Uni, où ce traitement est déjà mis en œuvre depuis plus d'un an. Le Canada accuse un net retard sur le reste des pays développés en ce qui concerne ce traitement très important.

Docteur Tinmouth, je vous cède la parole.

**Dr Alan Tinmouth, médecin et directeur, Programme d'hémoglobinopathie de l'Hôpital d'Ottawa, Association canadienne d'hémoglobinopathie :** Je suis hématologue pour adultes à l'Hôpital d'Ottawa et directeur médical du Programme d'hémoglobinopathie de l'Hôpital d'Ottawa. Je représente également CanHaem, l'Association canadienne d'hémoglobinopathie.

Comme le Dr Klaassen, je m'occupe de patients atteints de la maladie falciforme depuis une vingtaine d'années. Il y a environ 20 ans, nous avons créé une première clinique pour 10 à 15 patients en raison de la complexité et du caractère unique de leur maladie. Notre clinique accueille aujourd'hui plus de 350 patients et compte de 30 à 40 nouvelles consultations par an. Cette croissance exponentielle touche tout le Canada. La plupart des grandes villes disposent à présent de cliniques de soins complets, mais malgré cela, les patients atteints de la maladie falciforme ne reçoivent souvent pas les soins dont ils ont besoin. Nous n'avons pas les ressources nécessaires pour fournir des soins optimaux.

Comme l'a souligné le Dr Klaassen, la maladie falciforme entraîne beaucoup de complications à court et à long terme en raison de globules rouges anormaux et d'un apport insuffisant en oxygène. Les patients peuvent souffrir d'accidents vasculaires cérébraux, de perte de vision et de défaillance d'organes, comme le cerveau, le cœur, le foie et les reins. Ces complications surviennent souvent chez des patients dans la vingtaine et la trentaine. Les patients voient leur espérance de vie considérablement réduite et leur qualité de vie nettement diminuée.

Lorsque nous avons ouvert notre clinique, il y a 20 ans, nous avions trois options à proposer aux patients : l'hydroxyurée, les transfusions sanguines et les analgésiques. Vingt ans plus tard, nous n'avons toujours que les mêmes options : l'hydroxyurée, les transfusions sanguines et les analgésiques. Nous n'avons pas constaté, en ce qui concerne la maladie falciforme, de progrès comparables à ceux observés dans d'autres groupes de patients atteints d'affections chroniques.

De plus, les patients atteints de la maladie falciforme se heurtent à des préjugés et à des obstacles systémiques qui les empêchent d'accéder aux soins et de recevoir les traitements et le soutien appropriés et dont ils ont besoin. Résultat, ils souffrent régulièrement de douleurs, souvent quotidiennes, ils sont hospitalisés plusieurs fois par an et ils ont du mal à suivre une scolarité ou à obtenir les aménagements nécessaires sur leur lieu de travail.

There is hope, as Dr. Klaassen mentioned. Curative therapies do exist. Stem cell transplantation and gene therapy are licensed under Health Canada, but access to these novel therapies is limited. In Canada, only a handful of patients with sickle cell disease have received a stem cell transplant, and no one has received gene therapy outside of a clinical trial.

Bill S-201 represents a historic opportunity to establish a coordinated, national framework for sickle cell disease in Canada, and it's greatly needed. CanHaem strongly supports this bill, and we stand ready and look forward to collaborating with members of the Senate, Parliament, Health Canada, provincial ministries and patient communities to ensure that the framework delivers on its promise of equitable, evidence-based and transformative care for Canadians with sickle cell disease. Thank you.

**The Deputy Chair:** Thank you very much, doctors. We will now proceed to questions from committee members. For this panel, senators, you will have five minutes for your question, and that includes the answer from the witnesses. Please indicate if your question is directed to a particular witness or to all witnesses.

**Senator McPhedran:** Thank you, all of you, for being here in person and on screen.

One of the points that I've heard in relation to the most recent treatments is that the circumstances seem a little unclear as to why, when it's approved by Health Canada, patients aren't able to receive gene therapy, for example. I wonder if you could talk to us a little bit about what's underneath that statement.

**Dr. Klaassen:** I could just say that gene therapy has to be administered in a specialized unit. We've established that it should be in a bone marrow transplant centre. The unfortunate situation is that bone marrow transplant centres are all overwhelmed. As I said, we compete with cancer patients in particular, who often need bone marrow transplants, and also other conditions. They tend to get prioritized over the patients with hemoglobinopathy.

**Dr. Tinmouth:** That's definitely one of the key aspects — limited centres that can provide it. The second factor is cost. Gene therapy has been approved in Canada since September of last year. At this point, it's still being considered by the different provinces how they're going to fund this therapy, which is very expensive but, at the same time, curative. Really, as one of my colleagues describes, it demedicalizes patients' lives. It takes them from being in hospital regularly for pain episodes or transfusions, and it basically removes them from hospital and puts them back to having a normal life.

Il y a de l'espoir, comme l'a mentionné le Dr. Klaassen. Il existe bien des traitements curatifs. La greffe de cellules souches et la thérapie génique sont autorisées par Santé Canada, mais l'accès à ces nouvelles thérapies est limité. Au Canada, seule une poignée de patients atteints de la maladie falciforme ont bénéficié d'une greffe de cellules souches, et aucun n'a suivi de thérapie génique en dehors d'un essai clinique.

Le projet de loi S-201 représente une occasion historique d'établir un cadre national coordonné pour la maladie falciforme au Canada, et il est grandement nécessaire. CanHaem appuie fermement ce projet de loi, et nous sommes prêts et impatients de collaborer avec les sénateurs, les députés, Santé Canada, les ministères provinciaux et les communautés de patients, afin de garantir que le cadre tienne sa promesse de soins équitables, transformateurs et fondés sur des données probantes pour les Canadiens atteints de la maladie falciforme. Je vous remercie.

**La vice-présidente :** Merci beaucoup, docteurs. Nous allons maintenant passer aux questions des membres du comité. Chers collègues, pour ce groupe, vous disposerez de cinq minutes pour poser vos questions et obtenir les réponses des témoins. Veuillez indiquer si votre question s'adresse à un témoin précis ou à tous les témoins.

**La sénatrice McPhedran :** Je vous remercie tous de votre présence, en personne et à l'écran.

Parmi les points qui m'ont été rapportés au sujet des traitements les plus récents, il y a l'incertitude quant à la raison pour laquelle, bien que Santé Canada ait approuvé un traitement, certains patients ne peuvent toujours pas en profiter, notamment la thérapie génique. Pourriez-vous nous en dire un peu plus sur ce qui se cache derrière cette affirmation.

**Dr. Klaassen :** Je dirais simplement que la thérapie génique doit être administrée dans une unité spécialisée. Nous avons établi qu'elle devait l'être dans un centre de greffe de moelle osseuse. Malheureusement, ces centres sont tous débordés. Comme je l'ai dit, nous sommes en concurrence avec les traitements destinés aux cancéreux en particulier, qui ont souvent besoin d'une greffe de moelle osseuse, mais aussi avec d'autres pathologies. Ils ont tendance à être prioritaires par rapport aux patients atteints d'hémoglobinopathie.

**Dr. Tinmouth :** C'est clairement l'un des facteurs clés, c'est-à-dire le nombre limité de centres qui peuvent la fournir. Le deuxième facteur est le coût. La thérapie génique est approuvée au Canada depuis septembre dernier. À l'heure actuelle, les différentes provinces réfléchissent encore à la manière dont elles vont financer cette thérapie, qui est très coûteuse, mais qui, en même temps, est curative. En réalité, comme le décrit l'un de mes collègues, elle démedicalise la vie des patients. Elle leur évite d'avoir à se rendre régulièrement à l'hôpital pour des épisodes douloureux ou des transfusions, et leur permet essentiellement de quitter l'hôpital et de retrouver une vie normale.

**Senator McPhedran:** Are you aware of any private insurance schemes that could potentially be helpful in accessing this treatment?

**Dr. Tinmouth:** I think private insurance schemes are very challenging given the cost and our patient population. As highlighted by Dr. Moltzan, it's a disadvantaged, racialized community. Most of the patients in our clinic don't have private health insurance or family doctors. It would be very challenging to have private groups funded.

The other factor is that within the Canadian system, the model of care is this is primarily an in-hospital therapy that's being delivered as a bone marrow transplant. They're admitted into hospital, get high-dose chemotherapy and then receive the treatment. Most of that cost is borne by the hospital, and private insurers wouldn't be paying for patients who are covered under provincial health care.

**Senator McPhedran:** Thank you very much.

**Senator Petitclerc:** Thank you for being here. I have one more question following up on Senator McPhedran, and then I have my own questions.

Just to wrap up on access to new treatment and options that exist and are competing and the cost, what do you believe would be the role of framework legislation like this one to help bring sickle cell disease a little higher up on the priority list? Is this the sort of legislation that can help?

**Dr. Klaassen:** I certainly think so in that, right now, it's a bit of a competition as to who gets a bed for a bone marrow transplant, for instance. We need to have dedicated beds and dedicated infrastructure for patients with sickle cell disease. I also take care of a group with thalassemia who also benefits from this treatment. We need to have dedicated beds for patients with sickle cell disease and thalassemia that are protected so that they're not bumped or pushed out of the way by patients who obviously have needs, but I think we need to make sure that these patients have access as well.

**Dr. Tinmouth:** I think even the point around the other therapies that we have, most of the time the therapies don't come forward for approval by Health Canada unless they're brought forward by the companies. I think that a national framework would ensure that these do come forward when they're available therapies, or it should be built into it. Otherwise, without that, it becomes like the case of hydroxyurea; it has been our primary treatment for 20 years, and it's still not a licensed indication, which means some patients can't get it covered under insurance.

**La sénatrice McPhedran :** Connaissez-vous des régimes d'assurance privés qui pourraient aider à obtenir ce traitement?

**Dr Tinmouth :** Compte tenu du coût et de notre population de patients, je pense qu'il serait très difficile d'obtenir l'autorisation de régimes d'assurance privés. Comme la Dre Moltzan l'a souligné, il s'agit d'une communauté défavorisée et racisée. La plupart des patients de notre clinique n'ont pas d'assurance maladie privée ni de médecin de famille. Il serait très difficile d'obtenir des fonds de groupes privés.

L'autre facteur est que, dans le système canadien, le modèle de soins consiste principalement en une thérapie hospitalière sous forme de greffe de moelle osseuse. Les patients sont admis à l'hôpital, reçoivent une chimiothérapie à forte dose, puis reçoivent le traitement. La majeure partie du coût est prise en charge par l'hôpital et les assureurs privés ne paieraient pas pour les patients couverts par le régime provincial d'assurance maladie.

**La sénatrice McPhedran :** Merci beaucoup.

**La sénatrice Petitclerc :** Merci d'être ici. J'ai une question pour faire suite à celle de la sénatrice McPhedran, puis je poserai mes propres questions.

Pour conclure sur l'accès aux nouveaux traitements et aux options qui existent et qui sont en concurrence, ainsi que sur leur coût, quel serait, selon vous, le rôle d'un projet de loi-cadre comme celui-ci pour aider à faire grimper la maladie falciforme un peu plus haut dans la liste des priorités? Ce projet de loi peut-il être utile?

**Dr Klaassen :** Je le pense sincèrement, car à l'heure actuelle, il existe une certaine concurrence pour obtenir une place pour une greffe de moelle osseuse, par exemple. Nous avons besoin de places et d'infrastructures dédiées aux patients atteints de la maladie falciforme. Je m'occupe également d'un groupe de patients atteints de thalassémie qui bénéficient également de ce traitement. Nous avons besoin de places dédiées aux patients atteints de la maladie falciforme et de thalassémie, qui soient protégées afin qu'elles ne soient pas monopolisées par des patients qui ont manifestement des besoins, mais je pense que nous devons nous assurer que ces patients y aient également accès.

**Dr Tinmouth :** Je pense que, même en ce qui concerne les autres thérapies dont nous disposons, la plupart du temps, les thérapies ne sont pas soumises à l'approbation de Santé Canada, sauf si elles sont présentées par les entreprises. Je pense qu'un cadre national garantirait que ces thérapies soient présentées lorsqu'elles sont disponibles, ou qu'elles devraient y être intégrées. À défaut, on se retrouve dans le cas de l'hydroxyurée : c'est notre traitement principal depuis 20 ans, et il n'est toujours pas homologué, ce qui signifie que certains patients ne peuvent pas le faire couvrir par leur assurance.



I think there are things that a national framework could do to ensure that the therapies are being delivered from that point of view. One of the things we haven't spoken about is that there is universal access to patients and not just in very specialized academic centres as well.

**Senator Petitclerc:** I want to take you in a bit of a different direction to get your expertise on the specific impact of this disease on individuals. Clearly, you have that expertise.

We've talked about this being a rare disease. You've talked about it as a life-limiting condition. One of the things that came up — it's in the legislation, but the sponsor emphasized it — is that the challenge is that sickle cell disease is not recognized as a disability for some reason. We're not talking about treatment but access to services, access to support, accommodation for students, for example, and access to the Disability Tax Credit.

From a medical standpoint, does sickle cell disease qualify as a disability?

**Dr. Klaassen:** I'll talk from the pediatric perspective, and I'll let Alan Tinmouth talk from the adult perspective.

There's a spectrum of the disease. Actually, because of newborn screening and early administration of hydroxyurea, I have a number of patients who do quite well. They're taking a medication every day and, fortunately, they can go for years without problems.

But there's a significant proportion of patients who have, for instance, what's called avascular necrosis. We have a teenager who has no blood supply to their hip, so they're hobbling around like an elderly person because, basically, the blood supply to their hip has been affected. They definitely have a disability. There's a big spectrum, and it would make things much clearer.

For instance, in Quebec, if you have sickle cell disease, it is eligible for the Disability Tax Credit. It's not eligible in Ontario, which is kind of crazy. Again, this disparity between provinces is quite dramatic.

**Dr. Tinmouth:** The only thing I would add to that is that every week in our clinic, we see patients who are struggling in some way because of difficulty maintaining employment or struggling with school. While I probably couldn't quote to you a definition of disability in my mind, out of all the patients I see, they qualify. They need support and help with this condition, which is lifelong and one they were born with. I can't see how it isn't a disability, and it needs to be recognized as such.

Je pense qu'un cadre national pourrait permettre de garantir que les thérapies soient fournies de ce point de vue. L'un des éléments dont nous n'avons pas parlé est l'accès universel pour les patients, et pas seulement dans des centres universitaires très spécialisés.

**La sénatrice Petitclerc :** J'aimerais vous amener dans une direction légèrement différente afin de profiter de votre connaissance de l'impact particulier de cette maladie sur les personnes atteintes. Il est clair que vous possédez cette connaissance.

Nous avons évoqué le fait qu'il s'agit d'une maladie rare. Vous avez dit qu'il s'agit d'une affection qui limite l'espérance de vie. L'un des points qui ont été soulevés — cela figure dans le projet de loi, mais la marraine l'a souligné — est que le défi réside dans le fait que la maladie falciforme n'est pas reconnue comme un handicap pour une raison quelconque. Nous ne parlons pas ici de traitement, mais d'accès aux services, d'accès à l'aide, de mesures d'adaptation pour les étudiants, par exemple, et d'accès au crédit d'impôt pour personnes handicapées.

D'un point de vue médical, la maladie falciforme est-elle considérée comme un handicap?

**Dr Klaassen :** Je vais parler du point de vue pédiatrique, et je laisserai Alan Tinmouth parler du point de vue des adultes.

Il y a tout un éventail de formes de la maladie. En fait, grâce au dépistage néonatal et à l'administration précoce d'hydroxyurée, plusieurs de mes patients se portent très bien. Ils prennent un médicament tous les jours et, heureusement, ils peuvent passer des années sans problèmes.

Cependant, une proportion importante de patients souffrent, par exemple, de nécrose avasculaire. Un adolescent n'a plus d'irrigation sanguine de la hanche, ce qui le fait boitiller comme une personne âgée, car l'irrigation sanguine de sa hanche a été affectée. Il souffre clairement d'un handicap. Comme le spectre est large, cela rendrait les choses beaucoup plus claires.

Par exemple, au Québec, si vous souffrez de la maladie falciforme, vous êtes admissible au crédit d'impôt pour personnes handicapées contrairement à l'Ontario, ce qui est assez ridicule. Encore une fois, cette disparité entre les provinces est assez frappante.

**Dr Tinmouth :** J'ajouterais seulement que, chaque semaine dans notre clinique, nous voyons des patients qui éprouvent des difficultés à conserver leur emploi ou à poursuivre leurs études. Même si je ne pourrais probablement pas vous citer par cœur une définition du handicap, dans mon esprit, tous les patients que je vois remplissent les critères. Ils ont besoin de soutien et d'aide pour vivre avec cette maladie, qui est congénitale et permanente. Je ne vois pas comment cela pourrait ne pas être considéré comme un handicap, et cela doit être reconnu comme tel.

**Senator Bernard:** Thank you all for your testimony today. I appreciate it. I have a couple of questions, first to Dr. Klaassen and Dr. Tinmouth. What accounts for that significant increase in the number of patients you're seeing in this 20-year period?

**Dr. Klaassen:** It's certainly very clear that it's from immigration patterns. We frequently have patients who recently immigrated to Canada whom we are seeing. Even more of a challenge is that those patients have often been inadequately treated because of resources in the country they came from.

As I say, with Canadians who are diagnosed in the newborn period and started on treatment, they tend to do well. The patients who are most affected by sickle cell disease in my population in particular are the newer immigrants who have gone through their whole life and have not been properly treated, have many of the complications and are struggling. Added into that, they often have many difficulties with social supports. They may not have housing and the support to back them up, and they don't have the funds. For instance, getting access to hydroxyurea, which is a relatively cheap medication, could be a barrier to them.

**Dr. Tinmouth:** I don't really have anything to add. In our case, we see patients coming from CHEO to the Ottawa Hospital, but it probably represents a third of our patients that we see, and most of them are immigrants who have come into Canada.

**Senator Bernard:** My next question is for Ms. Young. Is newborn screening now a national standard? Is that happening across the country?

**Ms. Young:** It is happening across the country, but it is currently not a national standard of Canada under HSO. Newborn screening is definitely described in the perinatal standard, but there are other requirements at the provincial level with regulation and standards for neonatal screening. But from an HSO standpoint, neonatal screening is not currently a national standard for Canada.

**Senator Bernard:** You both mentioned barriers and systemic biases. I'd like you to drill down a bit on that, please. I'd like to ask specifically what role, if any, do you think that race and racism may play in these systemic biases and barriers, and what are you seeing and hearing from patients who come to see you in your clinics?

**Dr. Tinmouth:** There is no question that biases and race play a significant role. Sickle cell disease predominantly affects individuals who are from an African background, also from the Middle East and other areas. When they present, they present with episodes of severe pain, and they present to emergency

**La sénatrice Bernard :** Je vous remercie tous pour vos témoignages. Je vous en suis reconnaissante. J'ai quelques questions, tout d'abord pour le Dr Klaassen et le Dr Tinmouth. Qu'est-ce qui explique cette augmentation importante du nombre de patients que vous voyez depuis 20 ans?

**Dr Klaassen :** Il est évident que cela est dû aux tendances de l'immigration. Nous voyons souvent des patients récemment immigrés au Canada. Le défi est d'autant plus grand que ces patients ont souvent été mal soignés en raison des ressources limitées de leur pays d'origine.

Comme je l'ai dit, les Canadiens diagnostiqués à la naissance et qui suivent dès lors un traitement obtiennent généralement de bons résultats. Les patients les plus touchés par la maladie falciforme dans ma population sont en particulier les nouveaux immigrants qui ont vécu toute leur vie sans être traités correctement, qui souffrent de nombreuses complications et qui éprouvent des difficultés. À cela s'ajoute le fait qu'ils sont souvent confrontés à de nombreux obstacles pour obtenir un soutien social. Ils peuvent ne pas avoir de logement ni de soutien, et ils n'ont pas les moyens financiers nécessaires. Par exemple, l'accès à l'hydroxyurée, qui est un médicament relativement bon marché, peut constituer un obstacle pour eux.

**Dr Tinmouth :** Je n'ai pas grand-chose à ajouter. Dans notre cas, nous voyons à l'Hôpital d'Ottawa des patients provenant du Centre hospitalier pour enfants de l'Est de l'Ontario, mais cela représente probablement un tiers de nos patients et la plupart d'entre eux sont des immigrants qui sont arrivés au Canada.

**La sénatrice Bernard :** Ma prochaine question s'adresse à Mme Young. Le dépistage néonatal est-il désormais une norme nationale? Est-ce que cela se fait dans tout le pays?

**Mme Young :** Il est pratiqué dans tout le pays, mais ce n'est pas actuellement une norme nationale au Canada au sens de la Loi sur la santé. Le dépistage néonatal est clairement décrit dans la norme périnatale, mais d'autres exigences s'appliquent à l'échelle provinciale en matière de réglementation et de normes pour le dépistage néonatal. Toutefois, du point de vue de la Loi sur la santé, le dépistage néonatal n'est pas actuellement une norme nationale au Canada.

**La sénatrice Bernard :** Vous avez tous deux mentionné les obstacles et les préjugés systémiques. J'aimerais que vous approfondissiez un peu votre pensée. J'aimerais vous demander plus précisément quel rôle, le cas échéant, la race et le racisme peuvent jouer dans ces préjugés et obstacles systémiques, selon vous, et ce que vous observez et entendez de la part des patients qui viennent vous consulter dans vos cliniques.

**Dr Tinmouth :** Il ne fait aucun doute que les préjugés et la race jouent un rôle important. La maladie falciforme touche principalement les personnes d'origine africaine, mais aussi celles du Moyen-Orient et d'autres régions. Lorsqu'elles se présentent, elles souffrent de douleurs intenses et se rendent aux

departments. They are usually presenting because the pain medication they have at home, very strong medication, isn't working. So they're coming in asking for IV narcotic medication because it's the only thing that works for their pain and the only thing we have to offer them.

Most of the time, if you have a patient who knows what medication works, how often they need it, is paying attention to when their next dose is scheduled and they're asking for it, you think that's a great patient. In the case of sickle cell disease, they're often thought of as a drug seeker, and this is a case where we don't have other medications to offer. This is the most cogent example I can think of as to how it affects us. We know this is a racialized group that it affects, and it just multiplies the effect of a terrible chronic illness.

As Dr. Klaassen says, most of the patients who start on hydroxyurea do well when they're young. When I see them as adults, they are still struggling with a lot of issues and problems as well. It's not something that if we just treat them young, then we get ahead of it. We are controlling it at best.

**Dr. Klaassen:** One of the unintended side effects of this opioid crisis is that there has been the message that opioids are horrible, terrible things, and you should not prescribe them to patients. You should avoid them because you will turn patients into addicts. That is the treatment for pain in sickle cell disease. The hard message that we have to try to get to emergency doctors, family doctors is that in this particular condition, opioids are the right treatment, so they should not be holding back because of all the other messaging they've been getting.

**Dr. Moltzan:** From an education standpoint, it's really important that not just hematology specialists but different types of physicians who may interact with these patients actually do receive appropriate education about pain management in sickle cell disease. This framework would help raise that profile.

A side effect of the opioid crisis as well is that physicians are almost afraid to prescribe narcotics to these patients, even though it is very necessary. I think anything we can do to heighten the awareness of the needs of these patients would be very important.

**Senator Burey:** Thank you for your passionate testimony and for appearing before our committee today.

I want to drill down on the training, on the standards, because we've heard from so many people with lived experience, families, that when they ask — just like you said,

urgences. Elles viennent généralement parce que les analgésiques très puissants qu'elles ont chez elles ne sont pas efficaces. Elles demandent donc des narcotiques par voie intraveineuse, car c'est la seule chose qui soulage leur douleur et la seule chose que nous pouvons leur offrir.

La plupart du temps, si un patient sait quels médicaments sont efficaces, à quelle fréquence il en a besoin, s'il est attentif à l'heure de sa prochaine dose et qu'il la demande, on considère qu'il s'agit d'un patient exemplaire. Dans le cas de la maladie falciforme, ces patients sont souvent considérés comme des toxicomanes, alors que nous n'avons pas d'autres médicaments à leur proposer. C'est l'exemple le plus convaincant qui me vienne à l'esprit pour illustrer comment cela nous affecte. Nous savons que ce groupe racisé est touché, ce qui ne fait qu'aggraver les effets d'une terrible maladie chronique.

Comme le Dr Klaassen l'a dit, la plupart des patients qui commencent à prendre de l'hydroxyurée se portent bien lorsqu'ils sont jeunes. Lorsque je les vois à l'âge adulte, ils sont toujours confrontés à de nombreux problèmes et difficultés. Ce n'est pas une affection que nous pouvons simplement traiter chez les jeunes pour ensuite l'oublier. Au mieux, nous la contrôlons.

**Dr Klaassen :** Une des conséquences indirectes de cette crise des opioïdes est qu'on a fait passer le message que les opioïdes sont des substances horribles, terribles, et qu'il ne faut pas les prescrire aux patients. Il faut les éviter, car ils rendent les patients dépendants. C'est le traitement de la douleur dans la maladie falciforme. Le message difficile que nous devons essayer de faire passer aux urgentistes et aux médecins de famille est que, dans cette pathologie particulière, les opioïdes constituent le traitement approprié, et qu'ils ne doivent donc pas hésiter à les prescrire malgré tous les autres messages qu'ils ont reçus.

**Dre Moltzan :** Du point de vue de la formation, il est vraiment important que non seulement les hématologues, mais tous les médecins susceptibles d'interagir avec ces patients reçoivent une formation appropriée sur la gestion de la douleur dans la maladie falciforme. Ce cadre contribuerait à mieux faire connaître cette maladie.

Une conséquence indirecte de la crise des opioïdes est également que les médecins ont presque peur de prescrire des narcotiques à ces patients, même si cela est très nécessaire. Je pense que tout ce que nous pouvons faire pour sensibiliser davantage aux besoins de ces patients serait très important.

**La sénatrice Burey :** Je vous remercie de votre témoignage passionné et de votre présence devant notre comité aujourd'hui.

Permettez-moi d'approfondir la question de la formation et des normes, car nous avons entendu de nombreuses personnes et familles ayant vécu cette expérience dire que, lorsqu'elles posent

Dr. Klaassen — people think they are drug seeking. They don't know about sickle cell disease.

Given the mandate of the Royal College, and I know that you're a hematologist, and this is just going back to the piece about education and the fact that you need to have — I'm not going to read what your website says — training, how does the Royal College of Physicians and Surgeons of Canada plan to integrate sickle cell disease into its training standards, not just for hematologists but for every doctor, every health care provider in your purview and in continued education?

That's the first part of my question. I think you answered the second, which is whether this framework will help that.

I want us to go back and see. You've been given that mandate to train. What have the barriers been that have prevented it from disseminating to health care providers?

**Dr. Moltzan:** That's a very good question that doesn't have an easy answer. What I would say is that in terms of the barriers for other physician groups, other than the hematologists, I think it really does come down mostly to appropriate pain management education. The reason why I say that is when patients present to the emergency room, as has already been elucidated by my colleagues, that's usually what they present with.

The increased awareness of this group of patients and their need for very specialized pain management and probably, as well, early consultation with specialists — not just hematologists but also pain management specialists — are needed to actually make sure that these patients get the care that they need.

To the earlier point of my colleagues, this is the one situation where narcotics are the treatment of choice.

**Senator Burey:** Just building on that, would it be the Royal College saying, "You need to spend X number of hours on sickle cell and pain management"?

**Dr. Moltzan:** It's challenging, but I would say, for specific physician groups, certainly time spent learning about pain management in this group of patients would be very important.

For example, I'm thinking of emergency physicians, ICU physicians at times, anaesthesia physicians, all of whom would fall under the purview of the Royal College. In fairness, family physicians are under the College of Family Physicians of Canada, but I would argue that appropriate pain management education — and although, as an overall message, I think the

des questions, les gens pensent — comme vous l'avez dit, docteur Klaassen — qu'elles cherchent à obtenir des médicaments. Elles ne connaissent pas la maladie falciforme.

Compte tenu du mandat du Collège royal, et sachant que vous êtes hématologue, cela me ramène à la question de la formation et au fait que vous devez avoir une formation — je ne vais pas lire ce qui est écrit sur votre site Web. Comment le Collège royal des médecins et chirurgiens du Canada prévoit-il inclure la maladie falciforme dans ses normes de formation, non seulement pour les hématologues, mais aussi pour tous les médecins et tous les professionnels de la santé relevant de votre compétence, dans le cadre de la formation continue?

C'est la première partie de ma question. Je pense que vous avez répondu à la seconde, qui était de savoir si ce cadre allait y contribuer.

Je voudrais que nous revenions là-dessus. Vous avez reçu pour mission de former les prestataires de soins de santé. Quels sont les obstacles qui ont empêché la diffusion de cette formation ?

**Dre Moltzan :** C'est une très bonne question à laquelle il n'est pas facile de répondre. Je dirais qu'en ce qui concerne les obstacles rencontrés par les autres groupes de médecins, autres que les hématologues, je pense que cela se résume principalement à une formation appropriée en matière de gestion de la douleur. Je dis cela parce que, comme l'ont déjà expliqué mes collègues, c'est généralement ce dont souffrent les patients qui se présentent aux urgences.

Il convient donc de créer une conscience accrue de l'existence de ce groupe de patients et de leur besoin d'une gestion très spécialisée de la douleur, ainsi que, probablement, d'une consultation précoce avec des spécialistes — non seulement des hématologues, mais aussi des spécialistes de la gestion de la douleur, afin de faire en sorte que ces patients reçoivent les soins dont ils ont besoin.

Pour revenir au point soulevé précédemment par mes collègues, c'est l'unique circonstance dans laquelle les narcotiques constituent le traitement de prédilection.

**La sénatrice Burey :** Pour aller plus loin, faudrait-il que le Collège royal exige un certain nombre d'heures consacrées à la maladie falciforme et à la gestion de la douleur?

**Dre Moltzan :** C'est difficile, mais je dirais que, pour certains groupes de médecins, il serait certainement très important d'apprendre à gérer la douleur chez ce groupe de patients.

Par exemple, je pense aux médecins urgentistes, parfois aux médecins des soins intensifs, aux anesthésistes, qui relèvent tous de la compétence du Collège royal. À vrai dire, les médecins de famille relèvent du Collège des médecins de famille du Canada, mais je dirais qu'une formation appropriée sur la gestion de la douleur est nécessaire. Même si, dans l'ensemble, je pense que le

message to avoid narcotics for most types of pain is appropriate, given the crisis we're in, for this particular group of patients, it's not the right way to go.

**Senator Burey:** This is for the oncologists and hematologists. What effects do blood donation restrictions have on blood transfusions and not having enough blood for transfusions as well as for stem cell transplants and that sort of thing — so the restrictions on blood transfusions?

**The Deputy Chair:** Can I put you on the second round? I think that's an important answer we would want to leave time for. Hold your answer, please; we will put you on the second round.

**Senator Muggli:** Thanks for being with us today. I'd like to direct my question to Ms. Young. Others may answer, too, if they have thoughts on it.

Ms. Young, you mentioned standards for pediatric pain management. What drove that, and what drives the development of other standards? Was there a framework bill related to that or other standards? It just made me curious: Have there been attempts to create national standards for sickle cell disease, and if not, why not?

Do you have any thoughts on why we need a framework bill to drive the creation of standards for this condition?

**Ms. Young:** Thank you very much, senator, for the question.

Standards are definitely levers of change. The advantage to having a national standard is that it sets the requirements across Canada. As I said, they come to life through Accreditation Canada, and Accreditation Canada is in every hospital in Canada. So that would be the impact of a national standard of Canada.

The Pediatric Pain Management National Standard of Canada came forward from the strong work of Solutions for Kids in Pain, or SKIP, and their partnership with Health Canada. When there is a requirement for a national standard of Canada, we are very responsive when national groups, clients, patients and policy-makers come to us with requests for national standards of Canada, and we prioritize those accordingly.

The pediatric pain standard, as I said, was the first in the world, and we're actually embarking on work regarding an adult pain standard right now, in partnership with McMaster University.

message visant à éviter les narcotiques pour la plupart des types de douleur est approprié, compte tenu de la crise que nous traversons, ce n'est pas la bonne approche pour ce groupe particulier de patients.

**La sénatrice Burey :** En ce qui concerne les oncologues et les hématologues, quel est l'effet des restrictions en matière de don de sang sur les transfusions sanguines et le manque de sang pour les transfusions, ainsi que pour les greffes de cellules souches et ce genre de chose? Autrement dit, quelle est l'incidence des restrictions sur le plan des transfusions sanguines?

**La vice-présidente :** Puis-je vous demander de répondre au deuxième tour? C'est une réponse importante à laquelle nous aimerions accorder le temps nécessaire. Si vous voulez bien attendre, nous vous inviterons à répondre au deuxième tour.

**La sénatrice Muggli :** Merci d'être des nôtres aujourd'hui. J'aimerais poser ma question à Mme Young. Les autres peuvent également répondre s'ils ont des idées à ce sujet.

Madame Young, vous avez mentionné les normes relatives à la gestion de la douleur chez les enfants. Qu'est-ce qui a motivé cette initiative et qu'est-ce qui motive l'élaboration d'autres normes? Y avait-il un projet de loi-cadre à ce sujet ou à propos d'autres normes? Cela a piqué ma curiosité : a-t-on déjà tenté de créer des normes nationales relatives à la maladie falciforme? Si ce n'est pas le cas, pourquoi?

Pensez-vous qu'il soit nécessaire d'adopter un projet de loi-cadre pour favoriser la création de normes relatives à cette pathologie?

**Mme Young :** Merci beaucoup, sénatrice, pour cette question.

Les normes sont sans aucun doute le levier du changement. L'avantage d'une norme nationale est qu'elle établit des exigences uniformes à l'échelle du Canada. Comme je l'ai dit, elles sont mises en œuvre par Agrément Canada, qui est présent dans tous les hôpitaux du Canada. Voilà donc l'impact d'une norme nationale au Canada.

La norme nationale canadienne sur la gestion de la douleur pédiatrique est le fruit du travail acharné de Solutions for Kids in Pain, ou SKIP en partenariat avec Santé Canada. Lorsqu'une norme nationale s'impose, nous réagissons très rapidement à toute demande d'une norme nationale du Canada que nous présentent des groupes nationaux, des clients, des patients et des décideurs politiques, et nous la traitons en priorité.

Comme je l'ai dit, la norme relative à la douleur pédiatrique était la première au monde, et nous entreprenons à l'heure actuelle l'élaboration d'une norme relative à la douleur chez l'adulte, en partenariat avec l'université McMaster.

**Senator Muggli:** Have you had people coming forward asking for standards on sickle cell disease? Has there been a push, and if there has been — obviously, you have to prioritize — is there a reason this condition would not have been prioritized?

**Ms. Young:** It hasn't been brought forward, to my knowledge. I made sure to check that before I presented today. However, certainly, many of the requirements that are outlined in the national framework and in the evidence-based national standards in the bill would be easily integrated into the standards that we're updating in 2026 and 2027.

We haven't been asked for a specific one, and we don't usually write a standard that is specific to a disease, but that's not to say that neonatal screening, which is covered under ISO 15189, or a specific disease would not gain attention. Generally, we look at service standards, like palliative care, primary care, et cetera, and would integrate the needs of sickle cell disease and pain management into standards related to perinatal care, pediatric care and laboratory care.

**Dr. Klaassen:** I will add one thing, if I may. The Canadian Hemoglobinopathy Association has put together standards for the management of sickle cell disease, but it's very specific to the subspecialty of hematologists. It's not designed for emergency doctors or family doctors. I'll just mention that.

**Senator Muggli:** Thank you.

**Senator Senior:** I think it was you, Dr. Klaassen, who mentioned that 25 years ago you were planning a particular approach to patients with sickle cell disease, and 25 years later, you're doing the same thing; is that correct? Or was it you, Dr. Tinmouth? Okay. It was a statement I remember. Clearly, I'm curious about that because, as was mentioned by others and, I think, by you, there have been developments in other parts of the world but not in Canada. Can you talk about that?

**Dr. Tinmouth:** It is very true. Dr. Klaassen mentioned we only have one therapy that we use in Canada, which is hydroxyurea. We have had that for 20 years. There have been a number of other medications that have been licensed in Europe, as Dr. Klaassen mentioned, or by the FDA. Those have not received Health Canada approval. I'm not sure if that's because they weren't submitted by the drug companies to receive it or there were other issues with the submissions to Health Canada. Therefore, in many ways, we haven't been able to offer those additional therapies that can help to reduce the number of pain crises and to increase hemoglobin to our patients.

**La sénatrice Muggli :** Avez-vous reçu des demandes concernant des normes relatives à la maladie falciforme? Y a-t-il eu une pression en ce sens, et si oui — vous devez évidemment établir des priorités —, y a-t-il une raison pour laquelle cette maladie n'aurait pas été jugée prioritaire?

**Mme Young :** À ma connaissance, cela n'a pas été proposé. J'ai pris soin de le vérifier avant ma présentation d'aujourd'hui. Cependant, il est certain que bon nombre des exigences énoncées dans le cadre national et dans les normes nationales fondées sur des données probantes contenues dans le projet de loi pourraient facilement être intégrées dans les normes que nous mettrons à jour en 2026 et 2027.

On ne nous a pas demandé une norme particulière, et nous ne rédigeons généralement pas de norme propre à une maladie, mais cela ne veut pas dire que le dépistage néonatal, qui est couvert par la norme ISO 15189, ou une maladie particulière, ne retiendra pas notre attention. En général, nous examinerions les normes de service, comme les soins palliatifs, les soins primaires, etc., et nous intégrerions alors les besoins liés à la maladie falciforme et à la gestion de la douleur dans les normes relatives aux soins périnataux, aux soins pédiatriques et aux soins de laboratoire.

**Dr Klaassen :** J'ajouterais une chose, si vous me le permettez. L'Association canadienne d'hémoglobinopathie a établi des normes pour la prise en charge de la maladie falciforme, mais celles-ci sont très précises et s'adressent uniquement aux hématologues. Elles ne sont pas destinées aux urgentistes ni aux médecins de famille. Je tenais simplement à le mentionner.

**La sénatrice Muggli :** Merci.

**La sénatrice Senior :** Je crois que c'est vous, docteur Klaassen, qui avez mentionné qu'il y a 25 ans, vous aviez une méthode précise pour traiter les patients atteints de la maladie falciforme, et que, 25 ans plus tard, vous faites encore la même chose, n'est-ce pas? Ou était-ce vous, docteur Tinmouth? Enfin, c'est ce que j'ai entendu. Évidemment, cela m'intrigue, car, comme d'autres l'ont mentionné, et vous aussi, je crois, il y a eu des progrès dans d'autres régions du monde, mais pas au Canada. Pouvez-vous nous parler de cela?

**Dr Tinmouth :** C'est tout à fait vrai. Dr. Klaassen a mentionné que nous n'avons qu'un seul traitement au Canada, l'hydroxyurée, que nous utilisons depuis 20 ans. Plusieurs autres médicaments ont été homologués en Europe, comme l'a mentionné Dr. Klaassen, ou par la FDA, mais Santé Canada ne les a pas encore approuvés. J'ignore si c'est parce que les sociétés pharmaceutiques n'ont pas présenté de demande d'homologation ou si les demandes soumises à Santé Canada présentaient d'autres problèmes. Par conséquent, à bien des égards, nous n'avons pas été en mesure d'offrir à nos patients ces nouveaux traitements qui peuvent aider à réduire le nombre de crises douloureuses et à hausser le taux d'hémoglobine.

So, in many ways, Canadian patients with sickle cell disease have not had the same access to the same care and treatments that are available in other countries that have similar health care systems to us or are offered similar systems. That has been a great loss.

We are lucky with the curative therapies available, particularly the gene therapy; that is something that is approved and licensed by Health Canada — at least one of the gene therapies — but it's not something that is currently being offered to Canadians. It's currently being offered, as Dr. Klaassen mentioned, to patients in the United Kingdom and the United States. Even now, when we have them licensed, we still haven't had them, and there are delays to getting access to those therapies. We're hopeful they will come, but there are definitely delays.

**Senator Senior:** Is there a particular lever in the framework that you think can bring that about?

**Dr. Tinmouth:** That's a good question. I'm not sure what the lever would be. In my mind, the framework does ensure that we would be providing care to the patients, but what the specific lever would be within that — I must admit I've never seen a national framework for a disease in place, to my knowledge, so I don't know how it would work. At the same time, I know that what we have had for the last 20 years hasn't allowed those therapies to come to the front. I think there need to be additional frameworks put in place that allow us to raise the bar of care for our patients.

**Dr. Klaassen:** I think gene therapy, in particular, is a really good model for this because not every place in Canada can do gene therapy; it is a fairly specialized thing. There needs to be a national framework for this to work, or else patients in different provinces will not have access to this very important treatment.

It's even more specialized than bone marrow transplants. We're building upon the bone marrow transplant network because they have the expertise and some of the infrastructure, but it's even more specialized than that. So I do think a national framework would be very important in this particular instance.

**Dr. Moltzan:** From an educational standpoint, it's heightened awareness of the severity of the disease, how many patients are affected by the disease and the need for these therapies. I say that both from an educational standpoint and from a clinician's standpoint.

**Senator Senior:** Ms. Young, I was quite surprised that we haven't heard from the sickle cell community or associations with regard to their concerns around the lack of treatments or standards. That might be for the second round, but I just wanted to plant that question.

Ainsi, à bien des égards, les patients canadiens atteints de la maladie falciforme n'ont pas pu recevoir les mêmes soins et traitements que ceux offerts dans d'autres pays dotés de systèmes de santé comparables au nôtre ou proposant des régimes comparables. Cela a été une grande perte.

Nous avons la chance de disposer de traitements curatifs, en particulier la thérapie génique; celle-ci est approuvée et autorisée par Santé Canada — du moins un des modes de thérapie génique —, mais elle n'est pas encore offerte aux Canadiens. Comme l'a mentionné Dr. Klaassen, elle est actuellement offerte au Royaume-Uni et aux États-Unis. Même maintenant, alors que nous avons obtenu leur homologation, nous n'y avons toujours pas accès, et il y a des retards dans l'accès à ces thérapies. Nous espérons qu'elles seront bientôt disponibles, mais il y a certainement des retards.

**La sénatrice Senior :** Y a-t-il un moyen particulier dans ce cadre qui, selon vous, pourrait permettre d'y parvenir?

**Dr. Tinmouth :** C'est une bonne question. Je ne sais pas exactement quel serait ce moyen. À mon avis, le cadre garantit que nous fournissons des soins aux patients, mais je dois avouer que je n'ai jamais vu de cadre national pour une maladie, et j'ignore donc comment cela fonctionnerait. En même temps, je sais que ce que nous avons depuis 20 ans n'a pas permis à ces thérapies de se développer. Je crois qu'il faut mettre en place d'autres cadres qui nous permettraient d'améliorer la qualité des soins que nous prodiguons à nos patients.

**Dr. Klaassen :** Je crois que la thérapie génique, en particulier, est un très bon exemple, car elle n'est pas offerte partout au Canada; c'est un traitement assez spécialisé. Il faut un cadre national pour que cela fonctionne, sinon les patients des différentes provinces n'auront pas tous accès à ce traitement très important.

C'est encore plus spécialisé que la greffe de moelle osseuse. Nous prenons appui sur le réseau de greffe de moelle osseuse, car il dispose de l'expertise et d'une partie de l'infrastructure requises, mais c'est encore plus spécialisé que cela. Je suis donc d'avis qu'un cadre national serait très important dans ce cas particulier.

**Dre Moltzan :** Du point de vue éducatif, cela permet de mieux faire prendre conscience de la gravité de la maladie, du nombre de patients touchés et de la nécessité de ces traitements. Je dis cela à la fois du point de vue éducatif et du point de vue clinique.

**La sénatrice Senior :** Madame Young, je suis très étonnée que nous n'ayons pas entendu les associations ou la communauté des personnes atteintes de la maladie falciforme s'exprimer sur leurs préoccupations concernant le manque de traitements ou de normes. Une réponse à cela ira peut-être au deuxième tour, mais je tenais simplement à le souligner.

**The Deputy Chair:** Ms. Young, may I suggest we leave it for the second round? It will give you some time to think of an answer.

**Ms. Young:** Okay. Thank you.

**Senator Greenwood:** The two questions I had were asked, so I'm going to ad lib here.

I don't know much about sickle cell disease. Let me say that. I've learned a lot, but I wouldn't say I know. But I did hear one of the comments earlier about there being a related blood disease to sickle cell, thalassemia. I'm curious: If we were doing this for sickle cell disease, would it include thalassemia? Is it the same treatment for those patients as it is for sickle cell? So then if I looked at this framework, and if I were a physician or somebody, I could say, "Well, actually, that's included." I don't know. Can you talk a little bit about the relationship there?

**Dr. Klaassen:** I would say that CASGEVY, the gene therapy, is approved for both sickle cell disease and thalassemia. I would say they are quite different conditions and they have different treatments, but in this particular instance, the gene therapy is equally effective in both. They just came out at the same time. It's fairly unique, the gene therapy.

**Dr. Tinmouth:** Speaking to the bill, as it is titled "National Framework on Sickle Cell Disease Act," thalassemia is a hemoglobinopathy, and sickle cell disease is a hemoglobinopathy, but thalassemia is not encompassed within sickle cell disease.

There is certainly a need for the treatment, as Dr. Klaassen said, with gene therapy for that population, but they have a very different set of complications. They're not routinely hospitalized. They do have decreased life expectancy, but they don't have severe episodes of pain. It's a very different disease. It just happens to be that the curative therapy is the same.

**Senator Greenwood:** Thank you for that.

I have a question for the HSO and the Royal College. This is around discrimination and racism. I'm wondering how the work you do in training and education and in setting standards can combat discrimination, racism, bias and those sorts of things. How do you see it?

**Dr. Moltzan:** What I would say from an educational standpoint is that I think in all residency programs there certainly is a lot of attention being paid to diversity, equity and inclusion. That's not only for this patient population but also for Indigenous patients and patients of other marginalized communities.

**La vice-présidente :** Madame Young, puis-je vous proposer de repousser cette réponse au deuxième tour? Cela vous laissera le temps d'y réfléchir.

**Mme Young :** Très bien. Merci.

**La sénatrice Greenwood :** Les deux questions que j'avais ont été posées, je vais donc improviser ici.

Je ne sais pas grand-chose sur la maladie falciforme. Je tiens à le préciser. J'ai beaucoup appris, mais pas tout. J'ai toutefois entendu tout à l'heure une remarque sur le fait qu'il y a une maladie du sang apparentée à la maladie falciforme, la thalassémie. Je suis curieuse : si nous faisons cela pour la maladie falciforme, cela inclurait-il la thalassémie? Le traitement est-il le même pour ces patients que pour ceux atteints de maladie falciforme? Donc, si je contemplais ce cadre, et si j'étais un médecin ou un autre professionnel, je pourrais dire : « En fait, cela est inclus. » Je ne sais pas. Pouvez-vous nous en dire un peu plus sur la relation entre ces deux maladies?

**Dr. Klaassen :** Je dirais que CASGEVY, la thérapie génique, est approuvée à la fois pour la maladie falciforme et la thalassémie. Ce sont des maladies très différentes qui nécessitent des traitements différents, mais, dans ce cas particulier, la thérapie génique est tout aussi efficace dans l'un et l'autre de ces cas. Elle vient juste d'être mise sur le marché. C'est une thérapie génique assez unique.

**Dr. Tinmouth :** Pour revenir au projet de loi intitulé « Loi concernant un cadre national sur la maladie falciforme », la thalassémie est une hémoglobinopathie, tout comme la maladie falciforme, mais la thalassémie n'est pas incluse dans la maladie falciforme.

Comme l'a dit le Dr. Klaassen, la thérapie génique est certainement nécessaire pour les patients atteints de cette maladie, mais ceux-ci présentent des complications très différentes. Ils ne sont pas hospitalisés régulièrement. Leur espérance de vie est réduite, mais ils ne souffrent pas de douleurs intenses. C'est une maladie très différente. Il se trouve simplement que le traitement curatif est le même.

**La sénatrice Greenwood :** Merci pour cette réponse.

J'ai une question à poser à la HSO et au Collège royal. Elle concerne la discrimination et le racisme. Je me demande en quoi votre travail en matière de formation, d'éducation et d'établissement de normes peut contribuer à lutter contre ces problèmes. Quelle est votre opinion à ce sujet?

**Dre Moltzan :** D'un point de vue éducatif, je dirais que tous les programmes de résidence accordent une grande importance à la diversité, à l'équité et à l'inclusion. Cela ne concerne pas seulement les patients, mais aussi les patients autochtones et issus d'autres communautés marginalisées.



Certainly, the standards of training that we have in the entrustable professional activities do reflect that. I think in many training programs, there is certainly attention being paid to culturally appropriate communication. I know that doesn't necessarily specifically speak to sickle cell disease, but I think that there certainly is attention being paid to individuals and patients who are in marginalized groups. That would include patients with sickle cell disease.

**Senator Greenwood:** I think you made a comment earlier about how the more we educate those who are treating this and recognize it in emergency rooms, it is a strategy in and of itself of combatting discrimination.

Ms. Young, could you comment on that, please?

**Ms. Young:** Absolutely, Senator Greenwood. It would be my pleasure.

Throughout all of our standards, we integrate equity-based principles. In fact, with the new, sixth edition of the requirements that accredit us — we too get accredited from the International Society for Quality in Health Care — we're required to have equity-based principles integrated throughout every standard.

We also have anti-racism and anti-Indigenous racism criteria throughout our governance of leadership standards. We are in the process of developing a cultural safety and humility national standard of Canada that also addresses cultural safety and humility and equity-based principles. Cultural safety and humility are also integrated throughout all of our standards.

**The Deputy Chair:** Senators, that concludes the first round. We have four senators on for a second round of questions.

Senators, for this round, you have three minutes for the question and the answer.

**Senator McPhedran:** In previous testimony, we received some reference to some problems for patients in terms of preserving their fertility and the impact of this from a young age on.

I wonder if you could tell us a bit more about what damage, if any, to reproductive functions the existing care and, when possible, the gene therapy and other care may be causing.

**Dr. Klaassen:** I can speak a little bit to that.

The one medication we have to treat sickle cell disease, for instance, we know that it decreases sperm count in males. Fortunately, it seems that when they get to the age where they

Les normes de formation que nous avons dans le cadre de nos activités professionnelles reflètent certainement cette réalité. Je pense que de nombreux programmes de formation accordent également une grande importance à une communication adaptée à la culture. Je sais que cela ne concerne pas nécessairement la maladie falciforme, mais je pense qu'une attention particulière est accordée aux personnes et aux patients appartenant à des groupes marginalisés. Cela inclut les patients atteints de la maladie falciforme.

**La sénatrice Greenwood :** Vous avez précédemment mentionné que la formation du personnel soignant et la reconnaissance de la maladie dans les services d'urgence constituaient en soi une stratégie de lutte contre la discrimination.

Madame Young, pourriez-vous nous faire part de vos observations à ce sujet?

**Mme Young :** Certainement, sénatrice Greenwood. Avec plaisir.

Nous intégrons en effet des principes d'équité dans toutes nos normes. En fait, avec la nouvelle sixième édition de nos exigences d'accréditation — nous sommes également accrédités par l'International Society for Quality in Health Care —, nous sommes tenus d'intégrer des principes d'équité dans l'ensemble de nos normes.

Nous avons également des critères antiracistes et anti-autochtones dans l'ensemble de nos normes de gouvernance en matière de leadership. Nous sommes en train d'élaborer une norme nationale canadienne sur la sécurité culturelle et l'humilité qui aborde également ces thèmes. La sécurité culturelle et l'humilité sont également intégrées à l'ensemble de nos normes.

**La vice-présidente :** Sénateurs, cela conclut la première série de questions. Quatre sénateurs sont inscrits pour la deuxième série de questions.

Sénateurs, pour cette série, vous disposez de trois minutes pour poser vos questions et obtenir des réponses.

**La sénatrice McPhedran :** Lors de témoignages précédents, il a été fait mention de certains problèmes rencontrés par les patients concernant la préservation de leur fertilité, ainsi que de l'impact de cette situation dès le plus jeune âge.

Pourriez-vous nous en dire davantage sur les dommages, s'il y a lieu, aux fonctions reproductives causés par les traitements existants, ainsi que la thérapie génique et d'autres traitements?

**Dr Klaassen :** Je peux vous en dire un peu plus à ce sujet.

Le seul médicament dont nous disposons pour traiter la maladie falciforme, par exemple, est connu pour réduire le nombre de spermatozoïdes chez les hommes. Heureusement, il

want to reproduce — and I'll let Alan talk to that because he deals with that side of it — if they stop the hydroxyurea, then the sperm count comes back up. Unfortunately, that means that because they're stopping hydroxyurea, they're at risk of having complications from the disease. It is a bit of a problem. I would just say that for the hydroxyurea.

Gene therapy and bone marrow transplant can definitely impact fertility. I think this is really important because getting access to fertility preservation is a real problem, and it needs to be addressed.

With males, it's relatively simple because you do sperm collection, and you can freeze it. For females, it's much more complicated because egg preservation can be very challenging and is very expensive, and it's not supported. My friend in the United Kingdom says it's not a problem. They actually pay for fertility preservation for their patients going for gene therapy. I have a lot of conversations with him, and I'm very surprised at how far we are behind the national health system in the U.K.

**Dr. Tinmouth:** Just to echo, obviously, hydroxyurea, while patients are on it, may affect fertility. Yet, if they come off it, they may start having more pain crises, so they are really left in a bind. That's a very difficult situation. It speaks to, potentially, the need for additional therapies from that point of view.

There is even some question about longer-term effects. I don't think it's completely clear that there aren't longer-term effects from hydroxyurea around fertility.

Just to re-emphasize what Dr. Klaassen said, both stem cell transplant and gene therapy involve patients getting very large doses of chemotherapy, and, essentially, without either harvesting eggs or sperm collection, individuals may not be able to have children afterwards.

**Senator Bernard:** This question is for Dr. Moltzan.

You mentioned interprofessional teamwork, and I wonder if you can tell us a bit more about that and who is included in the interprofessional training that's offered.

**Dr. Moltzan:** What I was referring to in my statement about interprofessional education is that it's not just the education of hematologists, but it's also the education of and the interactions with the teams that we work with. With the complexity of the care of this patient group, it can't just be a group of specialists. There need to be nurses, sometimes orthopedic surgeons, transfusion medicine specialists, pain management specialists.

semble que le nombre de spermatozoïdes remonte lorsqu'ils arrêtent l'hydroxyurée, à l'âge où ils souhaitent avoir des enfants — Alan en parlera, car c'est lui qui s'occupe de cet aspect. Cependant, cela signifie qu'en arrêtant ce traitement, ils courent le risque de souffrir de complications liées à la maladie. C'est un peu problématique. Je dirais simplement cela pour l'hydroxyurée.

La thérapie génique et la greffe de moelle osseuse peuvent en effet avoir un impact sur la fertilité. Je pense qu'il est vraiment important d'aborder le problème de l'accès à la préservation de la fertilité.

Chez les hommes, c'est relativement simple : on prélève le sperme, puis on le congèle. Chez les femmes, c'est beaucoup plus compliqué, car la préservation des ovules peut s'avérer très difficile et très coûteuse, sans compter qu'elle n'est pas prise en charge. Mon ami, qui vit au Royaume-Uni, dit que ce n'est pas un problème. En effet, ils prennent en charge la préservation de la fertilité de leurs patients suivant une thérapie génique. J'ai eu de nombreuses conversations avec lui et je suis très surpris de voir à quel point nous sommes en retard par rapport au système de santé britannique.

**Dr Tinmouth :** Il est évident que l'hydroxyurée peut affecter la fertilité des patients tant qu'ils en prennent. Cependant, s'ils arrêtent de la prendre, ils risquent d'avoir davantage de crises douloureuses, ce qui les place dans une situation délicate. C'est une situation très difficile. Cela souligne la nécessité potentielle de thérapies supplémentaires.

Des questions se posent même concernant les effets à long terme. Je ne pense pas qu'il soit tout à fait clair que l'hydroxyurée n'ait pas d'effets à long terme sur la fertilité.

Pour souligner à nouveau ce que le Dr Klaassen a dit, la greffe de cellules souches et la thérapie génique impliquent toutes deux que les patients reçoivent des doses très importantes de chimiothérapie. Sans prélèvement d'ovules ou de sperme, les individus pourraient ne plus être en mesure d'avoir d'enfants par la suite.

**La sénatrice Bernard :** Cette question s'adresse à la Dre Moltzan.

Vous avez mentionné le travail d'équipe interprofessionnel. Pourriez-vous nous en dire davantage à ce sujet et nous indiquer qui participe à la formation interprofessionnelle proposée?

**Dre Moltzan :** Dans ma déclaration sur la formation interprofessionnelle, je faisais référence au fait qu'il ne s'agit pas seulement de la formation des hématologues, mais aussi de la formation et des interactions avec les équipes avec lesquelles nous travaillons. Compte tenu de la complexité des soins prodigués à ce groupe de patients, il ne peut s'agir d'un groupe de spécialistes uniquement. Il faut des infirmières, parfois des

I think there is an analogy here to cancer care in the sense that — in my mind, at least, and when I'm training residents — we should be thinking in terms of multidisciplinary care, not only different specialties within medicine, but some of these other professional groups, particularly nursing.

**Senator Bernard:** You might include other allied health professionals as well?

**Dr. Moltzan:** Yes, and sometimes professionals like social workers would also have a very important role. Hopefully, as treatment options increase for these patients, pharmacists and other professionals will become increasingly needed in this patient population.

**Senator Bernard:** Would this framework help to create the standards for that to happen across the country?

**Dr. Moltzan:** Yes, I would agree.

**Senator Bernard:** Thank you.

**Senator Burey:** I will reread my question. This was the impact of blood donation restrictions on blood transfusions and, perhaps, matches for bone marrow transplants relating to the malaria exclusion. In the African-Canadian community, many have been exposed to malaria, have gone to endemic countries and are not able to donate blood. What is the impact of that?

**Dr. Tinmouth:** As part of the work that I do, I do research in transfusion medicine and clinical research, so it's very close to my heart.

Transfusion therapy is a life-saving therapy in patients with sickle cell disease. They can present acutely ill, with respiratory failure, with multi-organ failure, and the treatment for them is to give them what we call an exchanged blood transfusion. We remove probably 70% of their red blood cells and replace them with red blood cells from donors.

As you said, the problem is that most of our donors are White, and patients with sickle cell disease are not. They have different markers on their red blood cells, and they can develop antibodies or proteins that react against those markers that they are being exposed to that aren't as frequent on their blood cells. So there is no question that having increased representation from the diaspora, as you say, in blood donors will improve the availability of that blood.

chirurgiens orthopédistes, des spécialistes de la médecine transfusionnelle et de la gestion de la douleur.

Je pense qu'il y a ici une analogie avec les soins contre le cancer, dans le sens où, selon moi, lorsque je forme des résidents, nous devrions envisager des soins multidisciplinaires, non seulement avec différentes spécialités médicales, mais aussi avec d'autres groupes professionnels, en particulier les infirmières.

**La sénatrice Bernard :** Pourriez-vous également inclure d'autres professionnels de santé associés?

**Dre Moltzan :** Oui, et parfois, des professionnels tels que les travailleurs sociaux peuvent également jouer un rôle très important. Espérons qu'à mesure que les options de traitement pour ces patients se multiplieront, les pharmaciens et autres professionnels de santé deviendront de plus en plus indispensables pour cette population.

**La sénatrice Bernard :** Ce cadre permettrait-il d'établir des normes pour que cela se produise dans tout le pays?

**Dre Moltzan :** Oui, tout à fait.

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

**La sénatrice Burey :** Je vais relire ma question. Il s'agissait de l'impact des restrictions en matière de don de sang sur les transfusions sanguines, et peut-être sur les compatibilités pour les greffes de moelle osseuse, liées à l'exclusion des personnes ayant été exposées au paludisme. De nombreuses personnes de la communauté afro-canadienne ont été exposées au paludisme, se sont rendues dans des zones endémiques et ne peuvent pas donner leur sang. Quel est l'impact de cette situation?

**Dr Tinmouth :** Dans le cadre de mon travail, je mène des recherches en médecine transfusionnelle et en recherche clinique. C'est donc un sujet qui me tient particulièrement à cœur.

La thérapie transfusionnelle est vitale pour les patients atteints de la drépanocytose. Ces patients peuvent présenter des symptômes aigus, une insuffisance respiratoire ou une défaillance multiviscérale. Le traitement consiste alors à leur administrer ce que nous appelons l'exsanguino-transfusion. Nous retirons environ 70 % de leurs globules rouges et les remplaçons par des globules rouges provenant de donneurs.

Or, comme vous l'avez dit, le problème est que la plupart de nos donneurs sont blancs, alors que les patients atteints de la maladie falciforme sont noirs. Leurs globules rouges présentent en effet des marqueurs différents, et ils peuvent développer des anticorps ou des protéines qui réagissent contre ces marqueurs auxquels ils sont exposés et qui sont moins fréquents dans leurs cellules sanguines. Il ne fait donc aucun doute que le fait d'avoir une représentation accrue de la diaspora parmi les donneurs de sang améliorera la disponibilité de ce sang.

The malaria is a difficult question, but it's one we need to answer. There isn't currently a licensed test, to my understanding, for blood operators such as Canadian Blood Services or Héma-Québec to be able to test for malaria, because that's a potentially life-threatening transfusion reaction. If we transmit malaria to a patient, that could actually kill them if it's in the blood, and that's the concern.

We need the ability to test that blood, and I think a national framework will provide the leverage, the tools to ensure we get that testing and that we drive forward that we're getting the testing to improve the availability of blood for patients with sickle cell disease.

**Senator Burey:** I'll just go to the research, then. I was just reading an article on indicators of inequity in research. Can you comment on funding for sickle cell disease compared to cystic fibrosis and hemophilia? Can you comment on funding research in Canada for sickle cell disease?

**Dr. Tinmouth:** We participate as part of the Canadian Hemoglobinopathy Association. One of our desires is to participate in more research. I would say in terms of national funding through agencies like the Canadian Institutes of Health Research, or CIHR, we have had very few projects that have been funded. Granted, these are competitive and need to be submitted by scientists and researchers, but I think there's something where there needs to be an emphasis and an opportunity to specifically fund this patient group and calls to go out for those, as there are in other groups. It's definitely something that has not benefited from research over the years, even within Canada and outside of Canada, to advance care of patients with sickle cell disease.

**Dr. Klaassen:** It is very frustrating that CIHR, in particular, will have calls out for very specific things, but blood disorders are not part of that. We're being basically ignored by the research community. I strongly support what you're getting at, yes.

**Senator Senior:** Ms. Young, just for context, I have chaired a couple of hospital boards and been part of the preparation for accreditation. What a time!

I'm curious what opportunities there would be for you to hear from the public or associations like the sickle cell associations that are formed nationally and regionally in part of that process.

**Ms. Young:** Yes, we're always open to that process. I would just like to clarify that the national associations and the professional associations would be the experts in writing clinical practice guidelines, whereas the standards for health and social

Le paludisme est un problème complexe, mais nous devons y répondre. À ma connaissance, il n'existe actuellement aucun test homologué permettant aux organismes de collecte de sang, comme la Société canadienne du sang ou Héma-Québec, de dépister le paludisme, car il s'agit d'une réaction transfusionnelle potentiellement mortelle. Si nous transmettions le paludisme à un patient, il pourrait en effet en mourir, et c'est ce qui est préoccupant.

Nous devons être en mesure de tester ce sang, et je pense qu'un cadre national nous fournira les moyens et les outils nécessaires pour garantir ces tests et améliorer la disponibilité du sang pour les patients atteints de la drépanocytose.

**La sénatrice Burey :** Je vais donc me mettre à la recherche. Je viens de lire un article sur la recherche des indicateurs d'inégalité. Pouvez-vous nous faire part de vos observations sur le financement de la maladie falciforme par rapport à ceux de la fibrose kystique et de l'hémophilie? Quelles sont vos observations sur le financement de la recherche sur la drépanocytose au Canada?

**Dr Tinmouth :** Nous participons à ces recherches dans le cadre de l'Association d'hémoglobinopathie du Canada. L'un de nos souhaits est de participer à davantage de recherches. Je dirais qu'en termes de financement national par des organismes tels que les Instituts de recherche en santé du Canada (IRSC), quelques-uns de nos projets ont été financés. Ces financements sont compétitifs et doivent être obtenus par des scientifiques et des chercheurs, mais je pense qu'il faudrait mettre l'accent sur le financement de ce groupe de patients et lancer des appels à candidatures à leur intention, comme c'est le cas pour d'autres groupes. Il est absolument certain que la recherche n'a pas permis de faire progresser les soins aux patients atteints de la maladie falciforme, ni au Canada ni à l'étranger.

**Dr Klaassen :** Il est très frustrant de voir les IRSC lancer des appels à projets pour des domaines très spécifiques, sans que les troubles sanguins n'en fassent partie. Nous sommes pratiquement ignorés par la communauté scientifique. Je soutiens fermement votre point de vue.

**La sénatrice Senior :** Madame Young, pour vous donner un peu de contexte, j'ai présidé plusieurs conseils d'administration d'hôpitaux et participé à la préparation de l'accréditation. Quelle période!

Je suis curieuse de savoir quelles occasions vous auriez d'entendre le public ou des associations telles que les associations de drépanocytose qui sont formées à l'échelle nationale et régionale dans le cadre de ce processus.

**Mme Young :** Oui, nous sommes toujours ouverts à ce processus. Je tiens simplement à préciser que les associations nationales et les associations professionnelles sont les expertes en matière de rédaction de lignes directrices de pratique clinique,

services for quality and safety, as you experienced, are implemented around programs or services in hospital, long-term care communities and primary care. At any time, we would be most open to being approached, and we also try to be advocating and present on a national forum with many of our pan-Canadian organizations and work closely with the Children's Healthcare Canada association as well.

So we're more than open, always open to feedback on where we should be developing standards. Generally, we haven't written standards that are disease-specific but would write standards that support neonatal screening, postnatal diagnosis, laboratory testing and pediatric management of pain, because those are more program- and service-based.

**Senator Senior:** Is it an issue of access? I hear that you'd be open, but are communities able to actually access, to basically discuss or register their concerns regarding being heard?

**Ms. Young:** Yes. We have mechanisms on our website. Certainly, requests come to me and come through our executive and come through our teams, requests for standards from associations across the country. We certainly take the feedback that perhaps we should look at making that more known.

**The Deputy Chair:** Senators, this brings us to the end of today's panel. I'd like to thank Dr. Moltzan, Dr. Klaassen, Ms. Young and Dr. Tinmouth for their testimony today.

Colleagues, this meeting concludes the witness testimony that we had on the work plan for this bill. The next meeting where we will have this bill on the agenda will be the clause-by-clause consideration of the bill. This meeting is planned for Wednesday, October 22. However, it remains to be confirmed, as the committee may be referred other matters which we may need to prioritize.

A couple of reminders regarding clause-by-clause meetings: Members who wish to propose amendments during clause-by-clause consideration of the bill should reach out to the Office of the Law Clerk and Parliamentary Counsel to ensure amendments are drafted in the proper format and in both official languages. Those consultations should begin as soon as possible to allow sufficient time for the drafting of amendments.

After clause-by-clause consideration, the committee may wish to append observations to the report. Observations should be short and in both official languages. The Library of Parliament

tandis que les normes de qualité et de sécurité des services sociaux et de santé font l'objet d'une mise en œuvre dans le cadre de programmes ou de services dans les hôpitaux, les établissements de soins de longue durée et les soins primaires, comme vous l'avez constaté. Nous sommes toujours disposés à être contactés et nous essayons également de défendre nos intérêts en étant présents sur un forum national avec bon nombre de nos organisations pancanadiennes. Nous collaborons également étroitement avec Santé des enfants Canada.

Nous sommes donc plus qu'ouverts à la rétroaction sur les domaines dans lesquels nous devrions élaborer des normes. En règle générale, nous n'avons pas rédigé de normes spécifiques à certaines maladies, mais nous avons établi des normes visant à soutenir le dépistage néonatal, le diagnostic postnatal, les tests de laboratoire et la prise en charge de la douleur chez les enfants, car celles-ci sont davantage axées sur les programmes et les services.

**La sénatrice Senior :** S'agit-il d'une question d'accès? Je comprends que vous soyez ouverts, mais les collectivités peuvent-elles réellement accéder aux informations, discuter et faire part de leurs préoccupations pour être entendues?

**Mme Young :** Oui, nous avons mis en place des mécanismes sur notre site Web. Je reçois bien sûr des demandes de la part de notre direction et de nos équipes, ainsi que des demandes de normes provenant d'associations de tout le pays. Nous prenons bien sûr en compte la remarque selon laquelle nous devrions peut-être mieux faire connaître ces normes.

**La vice-présidente :** Mesdames et messieurs les sénateurs, nous en venons à la fin de cette table ronde. Je tiens à remercier Dre Moltzan, Dr Klaassen, Mme Young et Dr Tinmouth pour leur témoignage.

Chers collègues, cette séance marque la fin des témoignages que nous avons entendus dans le cadre du plan de travail relatif au projet de loi. La prochaine séance, consacrée à l'examen article par article du projet de loi, est prévue pour le mercredi 22 octobre. Toutefois, cette date est sujette à confirmation, car le comité pourrait être saisi d'autres questions auxquelles nous devons peut-être accorder la priorité.

Voici quelques rappels concernant les séances d'examen article par article : les députés qui souhaitent proposer des amendements lors de l'examen du projet de loi article par article doivent contacter le Bureau du légiste et conseiller parlementaire afin de s'assurer que les amendements sont rédigés dans le format approprié et dans les deux langues officielles. Ces activités de consultation devraient commencer dès que possible, afin de laisser suffisamment de temps pour la rédaction des amendements.

Après l'examen article par article, le comité pourrait souhaiter ajouter des observations à son rapport. Ces observations devraient être brèves et rédigées dans les deux langues

analysts may provide you or your staff with support in preparing draft observations for the committee's consideration.

(The committee adjourned.)

officielles. Les analystes de la Bibliothèque du Parlement peuvent vous aider, vous ou votre personnel, à préparer des projets d'observations à soumettre au comité.

(La séance est levée.)

---