
Horizon scanning

Avec quels médicaments
serons-nous soignés demain ?

SOMMAIRE

Introduction

P.5

**Le médicament,
un secteur très innovant**

P.6

Pour soigner quoi et comment ?

P.9

**L'espoir des thérapies
géniques et cellulaires**

P.13

Les propositions du Leem

P.21

Glossaire

P.23

INTRODUCTION

Révolutions médicamenteuses. De l'ère des antibiotiques aux nouveaux traitements du cancer, **les innovations médicales ont littéralement redessiné le paysage de la santé publique et métamorphosé la vie des patients.**

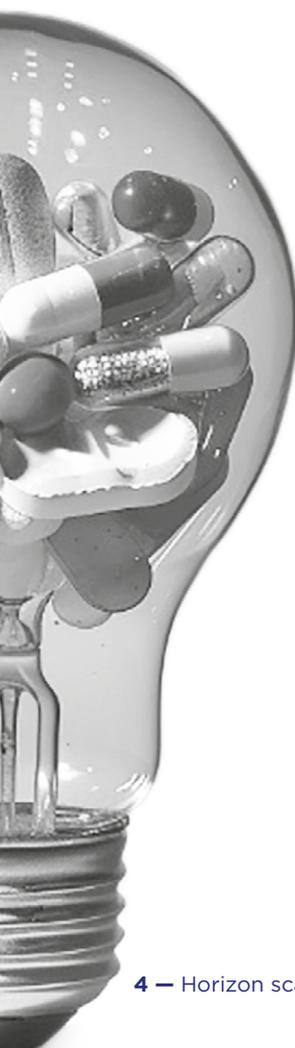
Coup de rétro au début du XX^e siècle. Nous sommes dans les années 1920, les antibiotiques brisent les certitudes en permettant de soigner des infections bactériennes autrefois fatales, comme la tuberculose ou la pneumonie. Un demi-siècle plus tard, dans les années 80, l'arrivée des antirétroviraux change radicalement la lutte contre le VIH/SIDA. Ce virus, autrefois synonyme de condamnation à mort, devient une pathologie chronique sous contrôle, offrant une espérance de vie quasi normale aux malades. Les vaccins contre des maladies comme la poliomyélite et, plus récemment, contre le COVID-19, sont, quant à eux, des outils essentiels pour la prévention à grande échelle, changeant ainsi la vie de millions de personnes dans le monde.

Nous pourrions également citer les avancées formidables dans les cancers avec des traitements ciblés, les avancées en hématologie et dans les maladies rares...

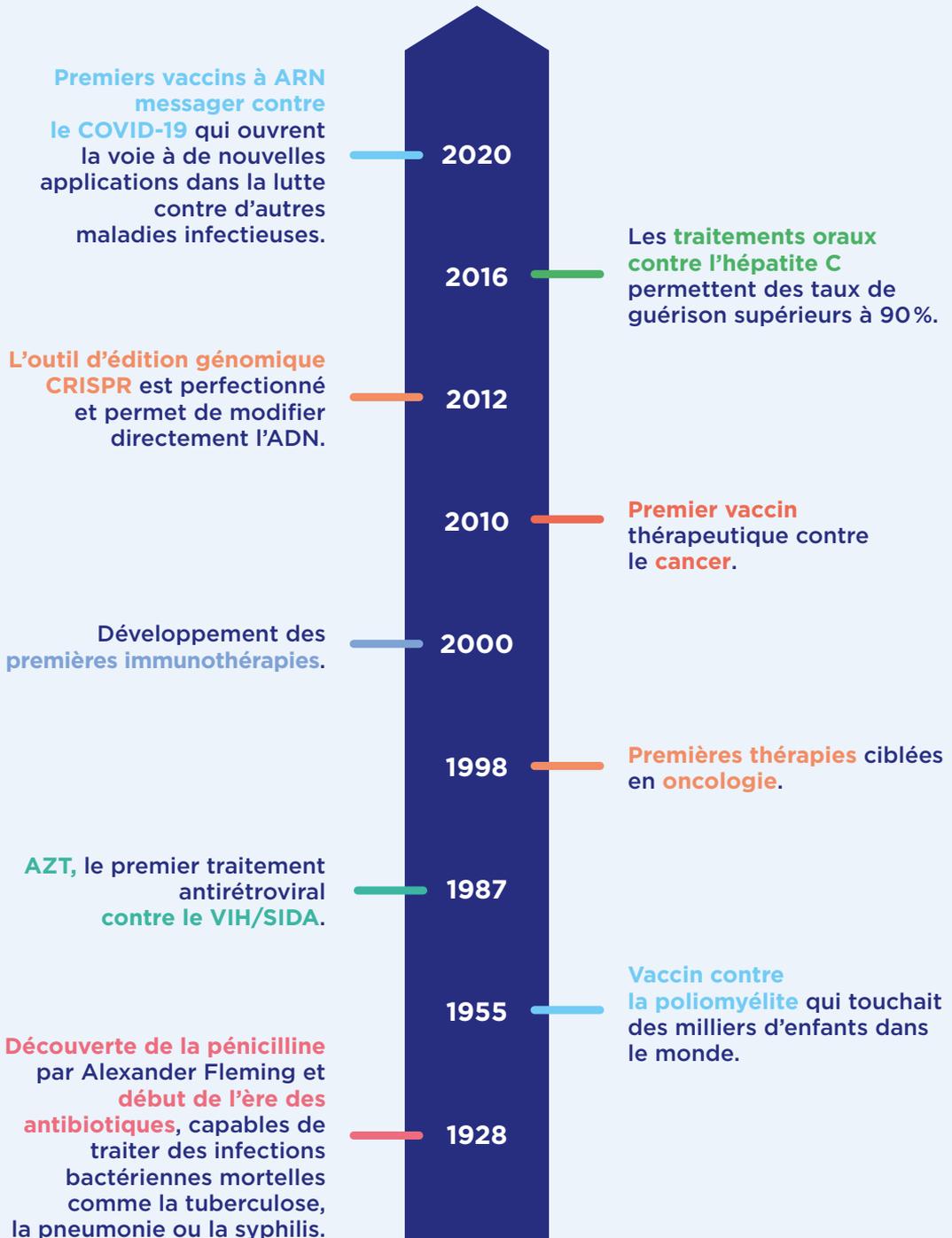
Mais ces victoires ne doivent pas masquer les nombreux combats que nous avons encore à mener contre certains cancers encore très agressifs, le diabète, les maladies neurologiques (Alzheimer...). Pour les gagner, l'arsenal de la recherche ne cesse de s'enrichir d'armes inédites qui ont démontré leur potentiel, à l'instar de la thérapie cellulaire et de la thérapie génique.

L'horizon du progrès thérapeutique semble sans limite. Reste à faire en sorte que chacun puisse en bénéficier et que nos systèmes de santé soient en mesure de les intégrer. Une plus grande visibilité des innovations à venir devient alors indispensable pour en anticiper les coûts et les conditions d'accès. C'est précisément l'objectif de notre rapport prospectif sur les innovations médicamenteuses.

Focus sur les principaux enseignements de l'étude.



Ces médicaments qui ont changé la vie des patients



LE MÉDICAMENT, UN SECTEUR TRÈS INNOVANT

Chaque année, des avancées médicales redessinent les frontières de la médecine et marquent des tournants décisifs. L'hépatite C, autrefois une maladie chronique difficilement guérissable, peut désormais être éliminée chez plus de 95% des patients en seulement quelques semaines, grâce à des traitements révolutionnaires dont le premier a été disponible fin 2016. Plus récemment, c'est la mucoviscidose qui a fait un saut de géant. Ce qui était autrefois une maladie mortelle devient, pour la majorité des malades, une pathologie chronique maîtrisée grâce à une nouvelle thérapie. Et ces derniers mois, le traitement préventif contre la bronchiolite a considérablement réduit les hospitalisations des nourrissons, offrant un soulagement pour des milliers de familles. Les avancées dans les thérapies géniques permettent de traiter des maladies rares et génétiques, comme l'amyotrophie spinale, en ciblant directement les causes sous-jacentes au niveau moléculaire.

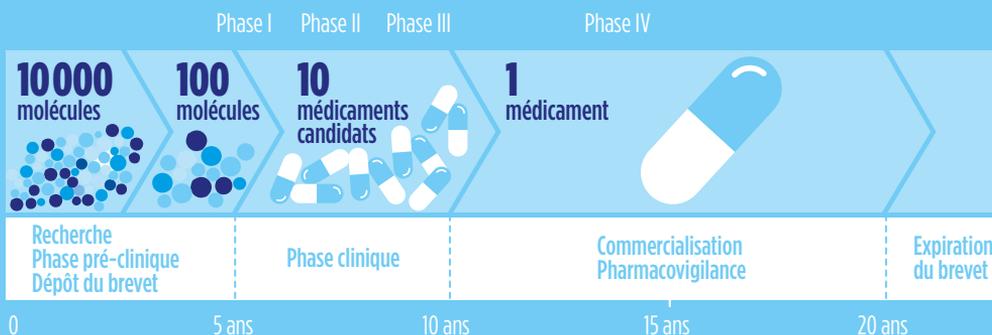
Mais il ne faut jamais l'oublier : toutes ces innovations sont le fruit d'un travail colossal de recherche en amont. Le parcours du médicament est long, risqué et coûteux et s'articule autour de trois grandes étapes :

→ **La recherche** au cours de laquelle des milliers de molécules sont soumises à une batterie de tests afin d'étudier leurs propriétés chimiques et pharmacologiques et repérer celles qui pourraient avoir un intérêt thérapeutique. L'objectif est d'identifier des molécules qui, en fonction des découvertes de la recherche fondamentale, pourront répondre à un besoin médical, lutter contre une maladie, ou encore améliorer la qualité de vie des patients.

→ **Les essais pré-cliniques** pour sélectionner une molécule ayant un intérêt thérapeutique potentiel et qui pourrait devenir un médicament. Ces tests sont réalisés sur des cellules (*in vitro*) et des animaux (*in vivo*). L'objectif est double : évaluer l'innocuité, la tolérance et l'efficacité du nouveau médicament sur plusieurs modèles, à ses différents stades de développement, et déterminer les doses à administrer à l'homme lors de la première phase d'essais cliniques.

→ **Le développement clinique et pharmaceutique** pour tester le candidat médicament sur l'homme par la réalisation d'essais cliniques. La phase 1 teste la tolérance/innocuité. La phase 2 permet d'évaluer l'efficacité du produit et de définir

→ Les différentes phases de la recherche clinique et le cycle de vie du médicament



la dose optimale. Enfin, au cours de la phase 3 (études « pivots »), le médicament est administré à plusieurs centaines, voire milliers, de patients, afin d'apprécier son efficacité et sa bonne tolérance.

En moyenne, on estime qu'il faut tester entre 5 000 et 10 000 molécules pour qu'une seule atteigne finalement le marché en tant que médicament approuvé. C'est comme chercher une aiguille dans une botte de foin géante. Cela peut prendre en moyenne une dizaine d'années. Ces efforts sont soutenus par des investissements massifs, avec des coûts de recherche et développement atteignant en moyenne 2,6 milliards de dollars par nouveau médicament⁽¹⁾.

Et bonne nouvelle, l'activité de recherche ne faiblit pas dans l'industrie pharmaceutique. Parmi les 271 AMM approuvées par l'Agence européenne du médicament entre 2021 et mi 2023, 45% ont concerné des nouvelles substances actives.

Actuellement, près de 1800 programmes de recherche clinique sont en cours dans le monde et ils pourraient aboutir au développement de plus de 600 potentielles nouvelles molécules d'ici 2027.

(1) <https://www.europeanpharmaceuticalreview.com/news/28197/cost-develop-win-marketing-approval-new-drug-2-6-billion-according-tufts-center-study-drug-development/>

→ **Activité de recherche clinique
et nouvelles molécules
pour 2027**

1 787

programmes de recherche clinique
au 28/07/23

1 127

médicaments en développement
(ciblant environ 600 mécanismes d'action différents)

660

nouvelles molécules potentielles
d'ici 2027

→ **Le médicament,
un cycle d'innovation très... long**



12 à 18 mois pour un nouveau smartphone



3 à 5 ans pour une nouvelle voiture



5 à 10 ans pour un nouvel avion



10 à 15 ans pour un nouveau médicament



POUR SOIGNER QUOI ET COMMENT ?

L'oncologie (25% des molécules en développement) **et la neurologie** (16% des molécules en développement) **dominent les recherches actuelles**, suivies de près par l'infectiologie et les troubles métaboliques. Malgré des taux d'échec extrêmement élevés, des maladies comme Alzheimer figurent parmi les priorités, soulignant l'urgence de trouver des solutions à des besoins médicaux non couverts. Apparaissent également des indications aux besoins médicaux non ou mal couverts, parfois de mauvais pronostic et ce, en dépit de taux d'attrition très élevés.

Les entreprises du médicament investissent massivement dans des pathologies difficiles, souvent à mauvais pronostic. Cela montre une vraie possibilité d'évolution dans la prise en charge de certaines maladies comme la leucémie myéloïde aiguë ou encore le diabète de type 1. **L'industrie pharmaceutique mène des recherches là où le besoin est fort, quelle que soit la difficulté**, et cela notamment au bénéfice des maladies rares, qui ne sont plus orphelines d'efforts de recherche importants.



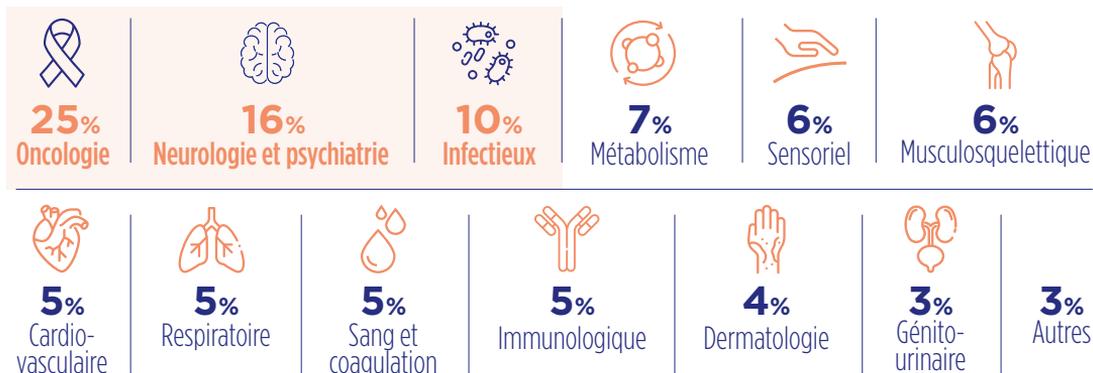
Pour comprendre

QU'EST-CE QUE LE TAUX D'ATTRITION ?

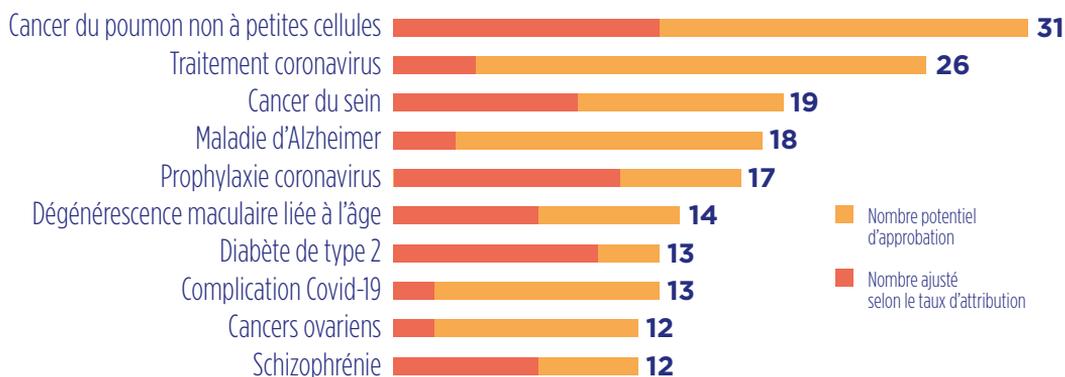


Dans le domaine de la recherche de nouveaux médicaments, **le taux d'attrition désigne le pourcentage de molécules ou de candidats-médicaments qui échouent à passer les différentes étapes du développement**. En d'autres termes, c'est le nombre de projets de recherche qui sont abandonnés avant d'aboutir à un médicament commercialisable. Imaginons qu'une entreprise commence avec 100 molécules en phase de recherche. Au fil des essais précliniques (tests en laboratoire et sur animaux) et cliniques (tests sur des humains), beaucoup de ces molécules vont échouer. Certaines ne seront pas efficaces, d'autres pourraient présenter des effets secondaires trop graves. Si à la fin du processus, seulement 1 molécule sur 100 est transformée en médicament, cela signifie que 99 molécules ont échoué. Le taux d'attrition serait donc de 99%.

→ Principales aires thérapeutiques concernées par la recherche clinique



→ Top 10 des indications ciblées par les programmes de recherche clinique en phase 3

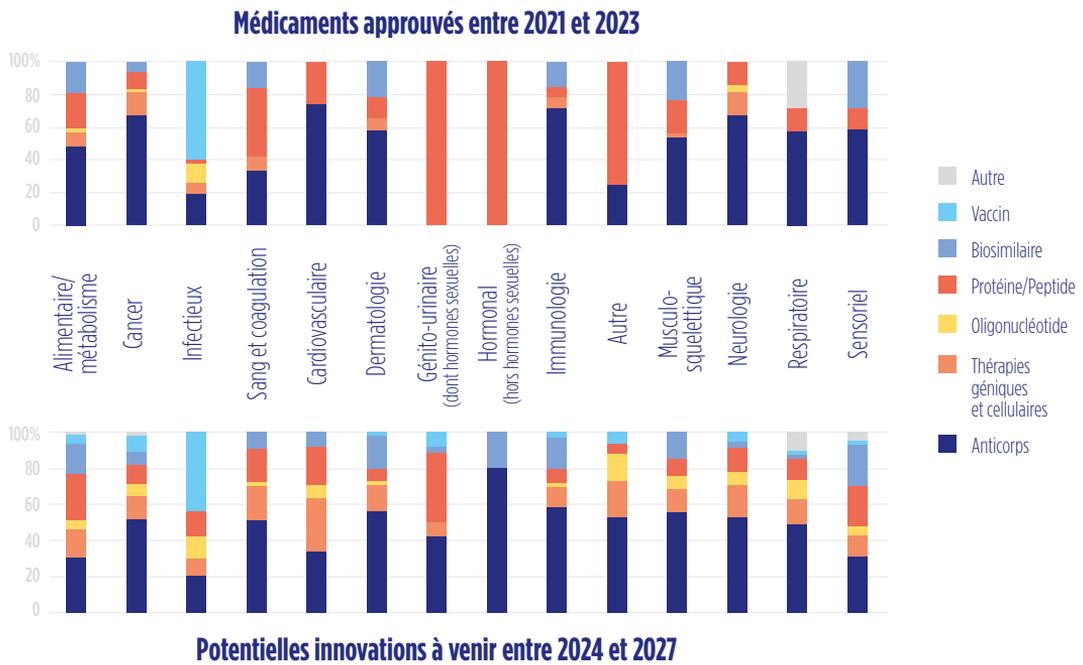


Prenons l'exemple de la maladie d'Alzheimer qui fait partie des indications les plus représentées dans les programmes de recherche clinique. Bien que les taux d'échec y soient extrêmement élevés, les laboratoires continuent d'investir pour trouver des traitements efficaces. Entre 1998 et 2017, sur 150 médicaments qui ont fait l'objet de recherches, seuls 4 ont été approuvés⁽²⁾. Actuellement, près de 18 thérapies sont en phase 3 de développement.

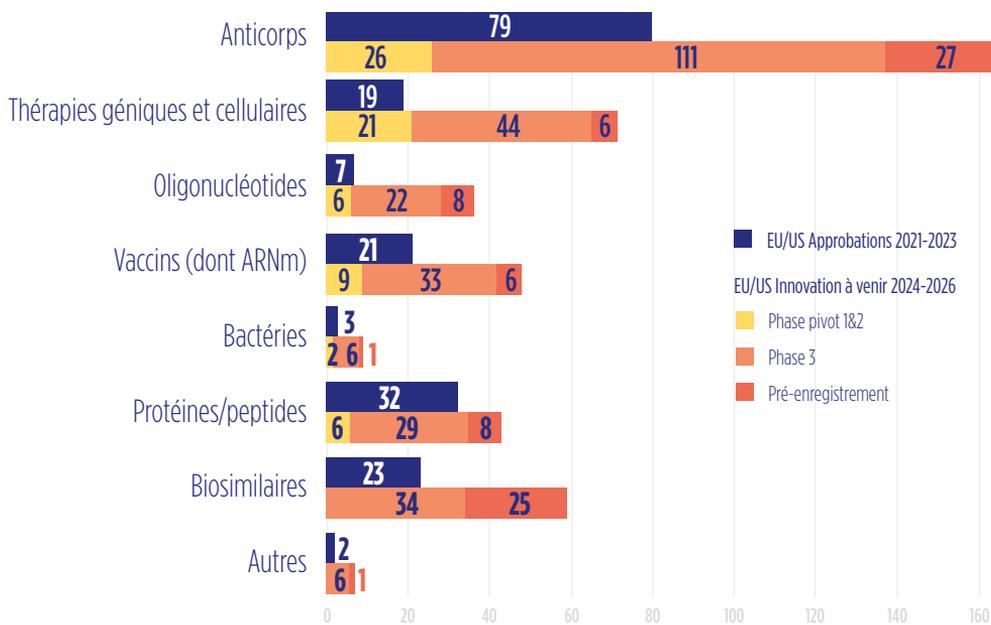
(2) PhRMA. Researching Alzheimer's Medicines: Setbacks and Stepping Stones, 2018.

La répartition entre les médicaments biologiques et chimiques est stable (respectivement 40 % et 60 %) mais les médicaments biologiques concernent des aires thérapeutiques de plus en plus variées. Bien qu'ils soient majoritairement représentés par des anticorps (43 % des biothérapies en développement), d'autres types émergent également : vaccins thérapeutiques, thérapies géniques et cellulaires, oligonucléotides... Cette diversification peut vraiment modifier les prises en charge de certaines maladies. C'est le cas notamment des thérapies géniques et cellulaires.

→ Les aires thérapeutiques ciblées par les biomédicaments se diversifient



→ Nombre de thérapies biologiques récemment approuvées ou en développement



LES GRANDS TYPES DE MÉDICAMENTS BIOLOGIQUES ACTUELLEMENT EN DÉVELOPPEMENT



ANTICORPS

Les anticorps sont des protéines qui s'accrochent sur leur cible pour la neutraliser et permettre son élimination. Ils sont détruits dans l'estomac et seraient donc inefficaces s'ils étaient pris par voie orale. Pour cette raison, **tous les anticorps sont administrés par voie injectable**. Un anticorps monoclonal est fabriqué par un clone unique de cellules en culture et conçu pour une cible unique bien précise. 85 DCI différents d'anticorps monoclonaux sont disponibles sur le marché français aujourd'hui dans le traitement de maladies inflammatoires chroniques (maladie de Crohn, polyarthrite rhumatoïde, psoriasis...), de cancers et du rejet de greffe. Ils ont révolutionné de nombreuses prises en charge.



THÉRAPIE GÉNIQUE

La thérapie génique est une stratégie thérapeutique qui consiste à **faire pénétrer des gènes dans les cellules ou les tissus d'un individu pour traiter une maladie**. Deux approches existent : **soit injecter directement le matériel génétique fonctionnel** (solution d'ADN nu, liposomes ou vecteur viral) **soit le multiplier d'abord en laboratoire** dans des cellules mutées de l'organisme.



THÉRAPIE CELLULAIRE

La thérapie cellulaire consiste à **greffer des cellules** afin de **restaurer la fonction d'un tissu ou d'un organe**. Un exemple est celui du champ des cellules souches qui fait appel aux capacités de ces cellules de se différencier en divers types cellulaires pour reconstituer des structures cellulaires et tissulaires, détruites ou manquantes dans certaines pathologies.



OLIGONUCLÉOTIDE

Les oligonucléotides sont des **courts segments de chaînes d'acides nucléiques** (ADN ou ARN), **qui se lient à un ARN cible pour en modifier l'expression**, afin de traiter des maladies.



PROTÉINES/PEPTIDES

Un peptide thérapeutique est **une petite chaîne d'acides aminés** (fragment de protéine) **pour imiter des molécules naturelles** présentes dans le corps **et interagir avec des récepteurs spécifiques**, régulant ainsi des processus biologiques précis.

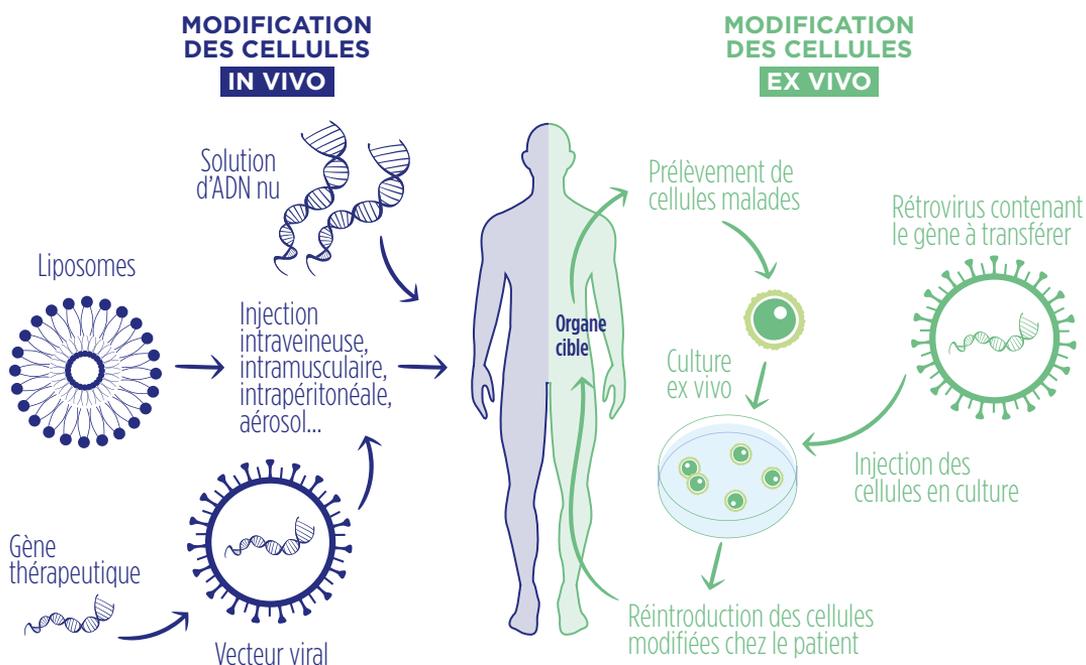
L'ESPOIR DES THÉRAPIES GÉNIQUES

Les thérapies géniques sont des **approches médicales innovantes** qui visent à traiter ou à guérir des maladies en modifiant les gènes ou les cellules d'une personne. Elles constituent un espoir très important en médecine et représentent 16 % des biothérapies en développement (phases avancées d'essais cliniques).

La thérapie génique consiste à introduire, supprimer ou modifier des gènes dans les cellules d'un patient pour soigner une maladie.

Deux approches existent : soit injecter directement le matériel génétique fonctionnel (solution d'ADN nu, liposomes ou vecteur viral), soit le multiplier d'abord en laboratoire dans des cellules mutées de l'organisme.

→ Les deux voies de la thérapie génique



Le premier essai de thérapie génique chez l'homme remonte à 1995 avec le traitement d'un patient atteint d'immunodéficience sévère grâce à l'injection de cellules souches et de lymphocytes génétiquement modifiés. Un premier pas, transformé dans les années 2000 par un succès thérapeutique obtenu chez des enfants atteints d'une autre forme de déficit immunitaire. En 2016, un garçon âgé de 13 ans atteint de la drépanocytose a été traité en France avec succès par thérapie génique. Une première mondiale. L'adolescent, qui souffrait d'une forme particulièrement sévère de drépanocytose, a vu la disparition de ses symptômes, comme les crises douloureuses, l'anémie chronique, la fatigue et des atteintes aux articulations qui l'empêchaient parfois même de marcher. De nombreux essais sont en cours dans d'autres maladies rares et en oncologie. La thérapie génique apparaît comme un formidable vecteur d'innovation en donnant au système immunitaire la capacité de détruire les cellules cancéreuses.

Certaines thérapies géniques utilisent des cellules vivantes ou modifiées.

Ces cellules peuvent être prélevées sur le patient lui-même (autologue) ou provenir d'un donneur (allogénique). Certaines de ces thérapies, appelées CAR-T (*Chimeric Antigen Receptor*) utilisent des cellules du système immunitaire (plus précisément des lymphocytes T) modifiées génétiquement pour produire un récepteur antigénique à leur surface qui les rend capables de reconnaître et de détruire les cellules cancéreuses.

Ces thérapies sont très prometteuses pour le traitement de maladies incurables ou graves, comme les cancers, les maladies génétiques rares, les maladies immunologiques ou certaines maladies dégénératives.

Actuellement, plus de 350 thérapies géniques sont en cours de développement à des stades différents. L'oncologie représente 1/3 des thérapies géniques *in vivo* et 86 % des thérapies géniques *ex vivo*. 60% des thérapies géniques (*ex vivo* et *in vivo*) concernent par ailleurs des maladies rares. Parmi les thérapies géniques qui peuvent arriver dans les prochaines années, apparaît une première vague de thérapies *in vivo* qui vont avoir des modalités d'injection très variées. On constate également que les traitements par cellules CAR-T, cantonnés jusqu'alors au cancer, font l'objet de recherches dans d'autres domaines thérapeutiques.

Ces thérapies nécessitent un circuit lourd pour l'industriel et pour l'hôpital. Techniquement, les cellules sont d'abord prélevées chez la personne atteinte de cancer, puis modifiées génétiquement, multipliées en laboratoire et, enfin, réintroduites dans le corps de la personne par voie intraveineuse. Si les essais cliniques sont concluants, cela implique une indispensable réorganisation du système de soins à court-terme.

Malheureusement, le nombre de sièges sociaux des petites et moyennes entreprises impliquées dans le développement de thérapies géniques et cellulaires, lesquelles représentent 88 % des programmes, est bien moins importants en Europe qu'aux États-Unis.

C'est l'un des grands enseignements de ce premier Horizon scanning : l'Europe est à la traîne, en nombre de thérapies approuvées et en rapidité d'approbation réglementaire.

Il y a une compétitivité européenne à redynamiser !

Dates clés sur les cellules CAR-T

Développements continus et nouvelles indications

— Les thérapies CAR-T continuent d'évoluer et d'être testées pour d'autres types de cancers, notamment les myélomes multiples et d'autres tumeurs solides, bien que ces derniers restent plus difficiles à cibler.

Première approbation par la FDA

— La FDA (Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux) approuve le premier traitement à base de cellules CAR-T pour traiter la leucémie lymphoblastique aiguë chez les enfants et les jeunes adultes.

Deuxième génération de CAR-T

— Amélioration des récepteurs CAR avec des modifications pour inclure des signaux de co-stimulation, ce qui augmente l'efficacité des cellules CAR-T et leur durée de vie dans l'organisme.

Concept initial des récepteurs CAR

— Les chercheurs commencent à explorer l'idée de récepteurs "chimériques" (CAR - *Chimeric Antigen Receptors*) qui pourraient permettre aux cellules T du système immunitaire de reconnaître et d'attaquer des cellules cancéreuses.

2020

2018

2017

2012

2002

1993

1989

Approvisionnement commercial de Yescarta

— La FDA approuve un autre traitement CAR-T pour les patients adultes atteints de lymphome diffus à grandes cellules B, un type de cancer du sang.

Premiers succès cliniques majeurs

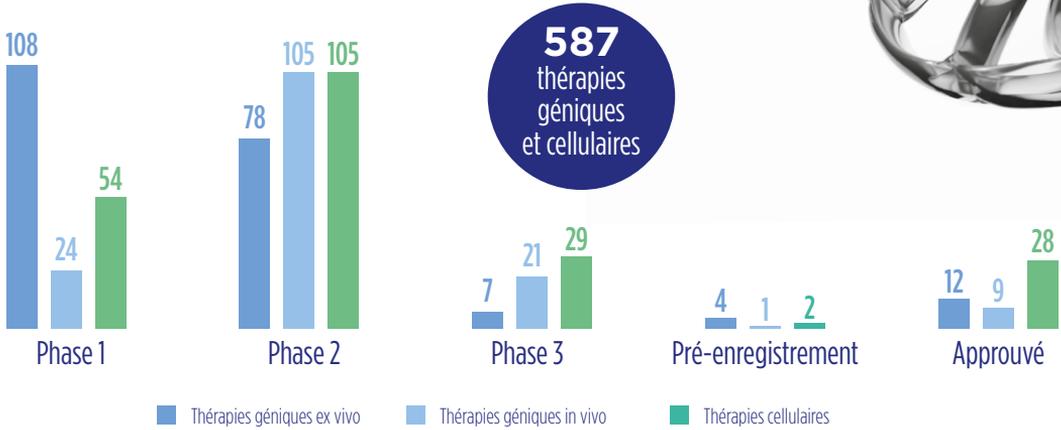
— Des patients atteints de leucémie réfractaire à d'autres traitements montrent une rémission complète après avoir reçu des thérapies à base de cellules CAR-T. Cela marque une avancée majeure dans le traitement du cancer.

Première génération de CAR-T

— Le premier modèle fonctionnel de cellule CAR-T est développé en laboratoire. Les premières versions montrent une efficacité limitée, mais elles posent les bases des futures améliorations.

→ Thérapies géniques et cellulaires en développement

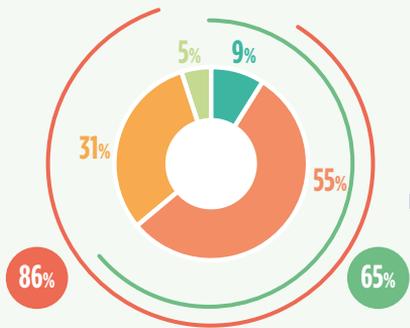
Répartition par phases de recherche clinique et par typologies de thérapies



→ Pathologies concernées par les thérapies géniques

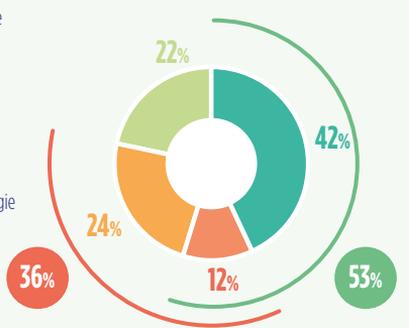
368 programmes de thérapies géniques

ex vivo

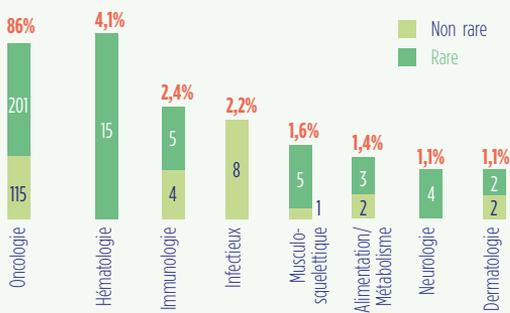


231 programmes de thérapies géniques

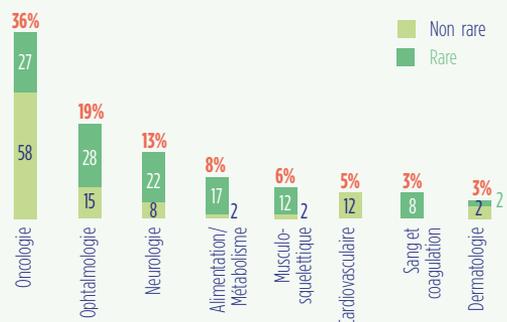
in vivo



Principales aires thérapeutiques des thérapies géniques ex vivo

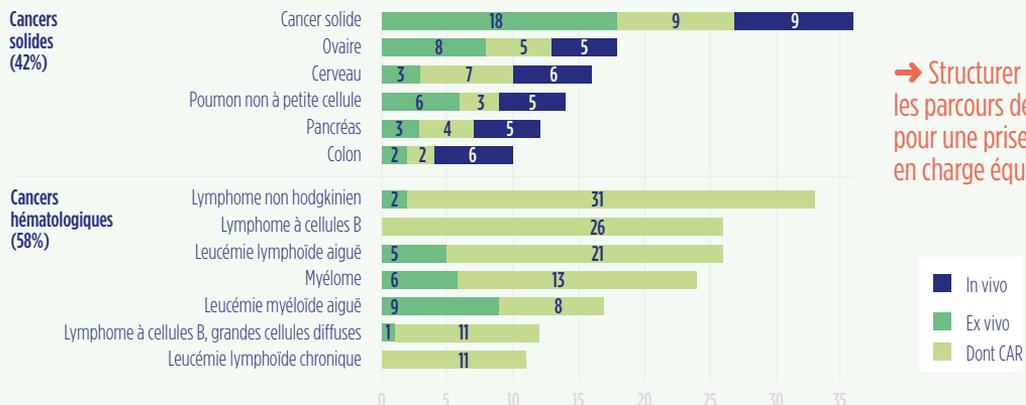


Principales aires thérapeutiques des thérapies géniques in vivo



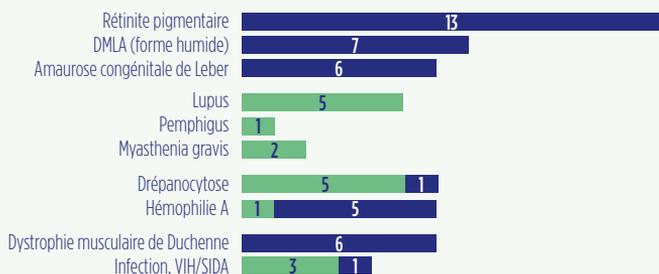
→ Principales indications ciblées par les thérapies géniques en oncologie et hors oncologie

Indications comportant plus de 10 thérapies en développement (phase 1 à Approuvée)



→ Structurer les parcours de soins pour une prise en charge équitable

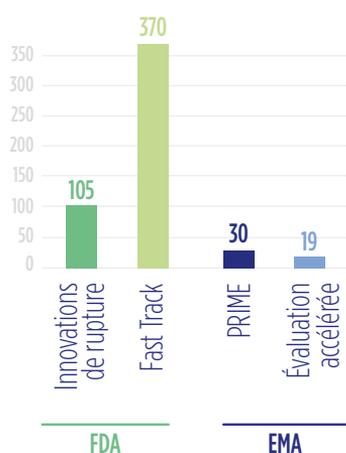
Principales indications non cancéreuses en développement (tout stade)



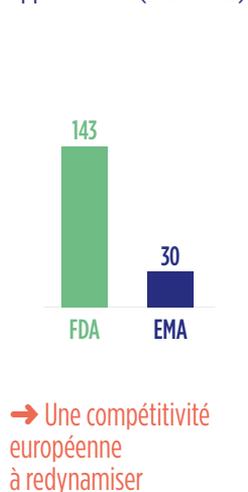
42% des principaux programmes de R&D portent sur des cancers solides et de premières applications de thérapies géniques ex vivo hors oncologie émergent

→ Une Europe qui suit

Nombre de programmes ayant bénéficié de procédures accélérées (2021-2023)



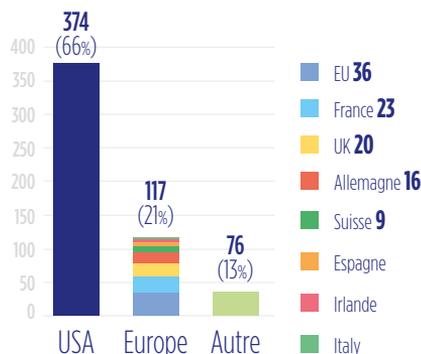
Nombre de premières approbations (2021-2023)



Thérapies géniques et cellulaires

66% des entreprises hors Top 40 ont leur siège social aux US (37% EU vs US parmi le Top 40)

Siège social des entreprises hors Top 40 qui portent des programmes (phase 1 à Approuvée)



Interview

Marina Cavazzana,

cheffe de service de biothérapie et thérapies innovantes à l'hôpital Necker AP-HP, université Paris cité, directrice du Centre d'investigation clinique en biothérapie, INSERM, AP-HP, Institut Imagine



Nous constatons une arrivée massive des thérapies géniques dans des aires thérapeutiques de plus en plus variées.

Qu'en pensez-vous ?

Tout d'abord, c'est une très bonne nouvelle parce que ces thérapies vont guérir ou *-a minima-* apporter un bénéfice clinique transformatif dans des maladies qui n'ont pas encore de traitement. Mais cela soulève deux défis importants. D'abord, le coût pour notre système de santé. Va-t-on pouvoir les financer et à quel prix ? Ensuite, l'impact sur l'hôpital qui va être très important.

Comment les thérapies géniques vont-elles impacter l'hôpital ?

De multiples façons. Nous avons un défaut de préparation des centres de référence des maladies concernées au niveau de la prévention de la toxicité et du suivi de l'efficacité de ces médicaments. Ces thérapies entraînent parfois des effets cliniques non attendus qui nécessitent un suivi à la carte, au lit du malade, qu'un service classique n'est pas en mesure de réaliser. Les circuits ne sont pas toujours bien précis et

les intervenants sont nombreux et peu formés à la distribution de ces produits. Une des façons d'améliorer et de fluidifier le circuit serait d'avoir une collaboration la plus précoce possible entre les industriels et les centres, notamment dès l'écriture des protocoles de recherche clinique. Cela permettrait d'éviter que l'hôpital ne soit submergé en se retrouvant face à une phase 3 sans avoir été formé en amont au protocole.

Vous soulevez un enjeu important de formation des professionnels...

Exactement, il faut former tout l'écosystème, c'est énorme. De plus en plus, il faut concevoir des bras contrôles virtuels, tenir compte des données de vie réelle, mettre en place des études d'efficacité... il faut du personnel formé à cela. Comme vous le mentionniez, il y a de nombreux essais cliniques en cours sur les thérapies géniques mis en place par des industriels. Mais il faut s'attendre aussi à une arrivée conséquente du côté des académiques.

Interview

Sylvain Auvity,

pharmacien MCU-PH à l'hôpital Necker-Enfants malades à Paris



Nous constatons une arrivée massive des médicaments de thérapie innovante (MTI) dans des aires thérapeutiques de plus en plus variées. Est-ce que cela peut avoir des conséquences sur l'hôpital et l'organisation de la délivrance des médicaments ?

Bien sûr ! Actuellement nous avons déjà des MTI assez variés car nous travaillons essentiellement sur des maladies rares, nous utilisons la très grande majorité des références présentes à l'AP-HP, en plus des essais cliniques. Leur utilisation est croissante. En 2023, nous réalisons 41 préparations de thérapies innovantes, alors qu'en décembre 2024, en avons assuré déjà plus de 360. Et ce n'est pas tout. Il faut également avoir conscience que le paradigme « un médicament de thérapie innovante = une administration unique » ne fonctionne plus. Ce que nous voyons arriver de plus en plus, ce sont des médicaments de thérapie génique in vivo (voir infographie page 13) ou de thérapie cellulaire avec des administrations qui doivent être répétées, parfois au long cours, à une fréquence plus ou moins rapprochée selon les schémas.

L'impact sera colossal car les volumes générés par patient risquent de devenir considérables.

Les hôpitaux sont-ils prêts ?

Difficilement. Le cadre réglementaire actuel ne distingue pas les sous-types de MTI. Or leur impact peut être très différent. Par exemple, les CAR-T cell sont assez simples à gérer (malgré leur stabilité courte) avec généralement une poche à décongeler (même si cela est de moins en moins vrai !), leurs contraintes étant essentiellement liées à la logistique de réception et de stockage en azote liquide. En revanche, d'autres thérapies géniques demandent jusqu'à 13 heures de temps par patient (dont 10h de temps pharmaceutique) versus 20 minutes pour une préparation de chimiothérapie conventionnelle. Et avec l'arrivée de ces thérapies à administration répétée ou séquentielle, ce temps engagé sera à reproduire plusieurs fois pour chaque patient. C'est impossible !

Il y a également des problématiques au niveau des équipements et des locaux, la plupart du temps non conformes aux bonnes pratiques établies en 2023.

Dans ces conditions, il sera difficile de traiter tous les patients qui en ont besoin et l'égalité d'accès aux soins ne pourra pas être assurée.

Dans l'épydermolyse bulleuse, nous avons une file active pédiatrique de 30 patients en France et nous ne pouvons réaliser que 4 traitements par semaine avec nos moyens initiaux...

La perte de chance pour les patients est un danger réel. Que faudrait-il faire pour y remédier ?

D'abord des investissements forts en termes de ressources humaines et d'équipements. Ensuite, il y a aussi des pistes d'efficience à creuser. Aujourd'hui, un vaccin à ARN messenger se prépare sur une paillasse en quelques minutes. Une thérapie génique à ARN messenger demande un protocole spécifique - avec des pièces et du personnel dédiés, des équipements particuliers - qui entraîne ce temps de préparation de 10 heures. Quelle est la différence ? Simplement le cadre réglementaire ! Si l'on y introduisait plus de précision sur ce qui doit être concerné/encadré, ce serait une première façon efficace et peu coûteuse de

désengorger le circuit et de traiter plus de patients.

Par ailleurs, il y a la question de l'inégalité territoriale à résoudre.

Dans le cadre des thérapies géniques administrées de façon répétée (majoritaires dans les essais cliniques en cours), il faut que le patient soit sur place parfois plusieurs fois par semaine, ce qui demande une proximité géographique importante. Et ce problème est malheureusement déjà une réalité avec des patients qui sont ainsi exclus de la recherche clinique pour certaines thérapies. C'est un sujet à anticiper dès maintenant pour la translation en post-essai clinique, car il y a tout un maillage à créer et de nombreux aspects techniques à résoudre.

4 propositions du Leem

Cette étude prospective le montre bien, les perspectives d'innovations thérapeutiques de ruptures sont sans précédent, apportant pour certaines des espoirs de guérison dans des aires thérapeutiques sans alternative satisfaisante aujourd'hui. Les thérapies géniques et cellulaires vont couvrir quasiment toutes les aires thérapeutiques. Comment se préparer à leur accueil ? Leur implémentation sera très exigeante et très structurante pour le système de santé. En outre, l'innovation est plus importante et plus rapidement disponible aux États-Unis qu'en Europe. En cause nos procédures réglementaires moins attractives ou moins efficaces. Comment y remédier et adresser le challenge de reprendre une position de leader ?

Le Leem a fait 4 propositions pour permettre un accès rapide et équitable aux innovations pour tous les patients qui en ont besoin.

- 1.** Co-construire une approche prospective de l'innovation au niveau national pour anticiper l'arrivée des innovations.
- 2.** Accompagner, faciliter et unifier au niveau national les procédures d'accréditation des centres et les filières d'autorisation délivrées par les ARS et en rendant possible l'extension des certifications à différentes indications.
- 3.** Définir une stratégie d'organisation des systèmes hospitaliers pour absorber l'augmentation des flux de patients.
- 4.** Mettre en place les outils nécessaires pour accompagner l'accord à la performance.

Interview

3 questions à Thibaut Victor-Michel,

président de la commission
Recherche & Innovation du Leem



Pourquoi cet Horizon Scanning ?

L'anticipation des innovations pour l'ensemble des parties prenantes du système de santé (régulateurs, organismes de financement, monde médical) devient indispensable. L'objectif est avant tout d'assurer l'accès aux innovations pour tous les patients qui en ont besoin. Une analyse anticipée de deux à trois ans avant l'arrivée sur le marché des médicaments permet de mesurer la portée des innovations à attendre, de préparer les nouvelles logiques d'évaluation des médicaments, d'anticiper l'impact organisationnel, voire budgétaire, sur les systèmes de santé en place.

Comment avez-vous réalisé cette étude ?

Nous avons mené une analyse des innovations thérapeutiques susceptibles d'obtenir une autorisation de mise sur le marché par l'EMA ou la FDA à l'horizon 2027 (extraction au 30 juin 2023).

L'analyse prospective a été conduite sur la base des essais cliniques à promotion industrielle ayant des sites d'investigation en Europe et aux États-Unis (source Citeline). En complément de ce travail, nous avons réalisé un focus particulier sur les thérapies géniques et cellulaires (extraction au 18 décembre 2023), depuis les premières phases de recherche clinique jusqu'aux produits déjà disponibles.

Quelles sont les perspectives ?

Cette étude révèle que le volume d'innovations thérapeutiques à venir est important. Si l'on veut que les patients en France et en Europe aient un accès rapide et équitable à ces traitements, il faut s'assurer qu'ils soient financés et que les parcours de soin soient anticipés pour effectuer les changements nécessaires sur nos territoires.

GLOSSAIRE

AMM

Autorisation de Mise sur le Marché (approbation officielle délivrée par les autorités sanitaires permettant la commercialisation d'un médicament).

ARS

Agences Régionales de Santé.

DCI

Dénomination Commune Internationale (nom générique unique attribué à une substance pharmaceutique, standardisé mondialement pour identifier les médicaments indépendamment de leur marque).

CAR-T

Chimeric Antigen Receptor T-cells (lymphocytes T modifiés génétiquement pour cibler les cellules cancéreuses).

CRISPR

Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats (technologie qui permet d'éditer l'ADN en coupant et modifiant des séquences spécifiques).

DMLA

Dégénérescence maculaire liée à l'âge.

EMA

Agence européenne du médicament.

FDA

Food and Drug administration (agence américaine du médicament).

leem

www.leem.org

Retrouvez-nous

 Leem

 LeemFrance

 LeemFrance

58 Boulevard Gouvion Saint-Cyr
Paris 17^e

Janvier 2025