





## Le 100 questions

Tout sur le médicament et ceux qui le font

2020







## 100 réponses

Virus émergents, production des médicaments, utilisation des données de santé, essais cliniques, vaccins... Autant d'enieux spécifiques au secteur pharmaceutique que la crise sanitaire de la Covid-19 a projetés sur le devant de scène ces derniers mois et que chacun aspire à mieux comprendre.

Il y a aussi ces innovations thérapeutiques qui bouleversent positivement le pronostic des maladies et la prise en charge des patients. Quelles sont ces révolutions ? Quel est leur coût ? Comment v accède-t-on ?

Vous trouverez dans ces pages une réponse concise et illustrée aux 100 questions les plus couramment posées sur le médicament, sa mise au point, son environnement, son encadrement et son apport aux patients. Un vade-mecum essentiel pour appréhender le progrès thérapeutique, les contours de la médecine de demain et l'importance d'une industrie du médicament stratégique pour la France.

Le panorama esquissé par les infographies de ce livret se prolonge sur le site internet du Leem (www.leem.org/100-questions) où sont approfondies chacune des thématiques, avec des mises à jour régulières.

Bonne lecture!

Le Leem

## Le médicament et sa mise au point

010	Comment serons-nous soignés en 2030?	
012	Pourquoi est-ce si long et difficile de mettre	
	au point un médicament?	
014	Faut-il obligatoirement tester les candidats	
	médicaments sur les animaux?	
016	Biodiversité: les entreprises du médicament	
	se mobilisent-elles pour sa défense?	
018	Comment classe-t-on les médicaments?	
020	L'innovation expérimentale, nouveau	
	modèle d'innovation?	
022	latrogénie : comment éviter les complications	
	liées aux médicaments?	
024	« Médicament service » : un modèle à créer?	
026	Pourquoi est-il difficile de mettre	
	au point des médicaments pour les enfants?	
028	Les antibiotiques, c'est fini?	
030	Comment l'imagerie accélère-t-elle	
032	l'innovation thérapeutique?	
032	Pourquoi les notices des médicaments semblent-elles si compliquées à comprendre?	
034	Que trouve-t-on sur une boîte	
034	de médicaments?	
036	Quel est le rôle de la recherche clinique?	
038	Quelle est la place de la France	
	dans la recherche clinique?	
040	Comment le médicament est-il surveillé	
	après sa mise à disposition?	
042	Les CAR-T cells, une révolution conceptuelle?	
044	Immunothérapie, la nouvelle frontière?	
046	La France est-elle dans la course	
	de la bioproduction?	
048	Thérapie génique : les traitements du futur?	
050	Où en est l'industrie du vaccin?	
052	Sérialisation des médicaments:	
	plus de sécurité pour les patients?	

Déchets d'activités de soins à risques infectieux

## Le médicament et son écosystème

060	Demain, de nouveaux patients?
062	Les start-up sont-elles les clés du progrès thérapeutique?
064	Innovation ouverte : pourquoi est-elle devenue incontournable?
066	Intelligence artificielle et données de santé : le mariage du futur?
068	Microbiote : le deuxième cerveau va-t-il permettre de mieux
	soigner les patients?
070	Médecine régénératrice : quelles avancées à ce jour?
072	Nanomédecine : vers une prise en charge des maladies de plus en plus précise
074	CRISPR-Cas9, l'outil révolutionnaire pour modifier le génome?
076	Vaccins : pourquoi sont-ils le fer de lance de la prévention?
078	Patients connectés: demain, tous médecins?
080	La médecine intégrative est-elle la médecine du futur, notamment
	dans la lutte contre le cancer?
082	L'épigénétique va-t-elle bouleverser notre approche des maladies?
084	Médecine de précision : en quoi accélère-t-elle le progrès thérapeutique?
086	Microfluidique : quel impact sur la prise en charge des patients?
880	Données de santé: quelle révolution nous attend?
090	Que faire face à la menace des virus émergents?
092	L'initiative pour les médicaments innovants (IMI) : quels objectifs?
094	Comment les entreprises du médicament gèrent-elles les questions
	éthiques et déontologiques?



Le médicament et son apport aux patients

056

les recycler?

(Dasri): comment les recycler?

Médicaments non utilisés : comment



124

098 Santé: comment vont les Français? 100 Quelles-sont les grandes étapes du progrès thérapeutique? 102 Quels sont les vecteurs d'innovation « à la manœuvre »? 104 Comment le suivi des essais cliniques permet-il d'anticiper le progrès thérapeutique? Les patients diabétiques profiteront-ils de nouveaux progrès? 106 108 La dépression : un fléau mondial? 110 Autisme: vers les premiers traitements? 112 Pourquoi n'y a-t-il toujours pas de médicament contre la maladie d'Alzheimer? 114 De nouvelles approches pour mieux lutter contre la maladie de Parkinson? 116 Cancers : vers une connaissance de plus en plus fine? 118 Leucémies: les nouveaux traitements ont-ils bouleversé la donne? 120 Les cancers de l'enfant sont-ils mieux pris en charge? 122

Où en est la prise en charge du phénomène croissant des allergies?

126 Maladies cardiovasculaires, quels progrès espérer? 128 Quelles avancées dans le champ des maladies de la vision? 130 Quelles avancées contre la sclérose en plaques? 132 Quels progrès dans la prise en charge de la polyarthrite rhumatoïde? 134 VIH-sida: bientôt vaincu? 136 Les maladies infectieuses vont-elles proliférer? 138 Maladies rares, patients oubliés? 140 Les maladies du foie vont-elles se multiplier? 142 Maladies mentales : quels progrès? 144 Que font les entreprises du médicament contre la tuberculose, le VIH et le paludisme?

Quelles innovations pour soigner les maladies de peau?

## Le médicament et son économie

Quel est le parcours du médicament? 150 Comment faire front contre les zoonoses? Production pharmaceutique: l'excellence française, mythe ou réalité? 154 Les médicaments innovants sont-ils vraiment si chers? 156 Régulation économique du médicament : pourquoi n'est-elle plus adaptée? 158 Comment s'organise l'accès aux médicaments innovants? 160 ATU : un accès précoce des patients aux médicaments à renforcer? 162 Pourquoi des médicaments génériques? Biosimilaires: des médicaments comme les autres? 166 Les médicaments d'automédication sont-ils des médicaments comme les autres? 168 Le médicament creuse-t-il le déficit de l'Assurance maladie? 170 Vers une organisation des soins plus efficiente? 172 Quel rôle pour la télémédecine? La médecine à domicile est-elle appelée à se développer? 176 Comment améliorer l'observance des traitements? 178 Quelles sont les instances de dialogue entre l'Etat et les entreprises du médicament? 180 Les inégalités de santé vont-elles se creuser? 182 Liste en sus : l'accès aux médicaments innovants est-il garanti à l'hôpital?

## Le médicament, secteur stratégique





186 Les Français ont-ils confiance dans leurs médicaments? 188 Actions de groupe en santé: une arme pour les usagers du système de santé français? 190 La France est-elle (encore) une grande terre d'accueil pour les investissements étrangers? 192 Fiscalité du médicament : la France championne d'Europe de la pression fiscale? 194 Le médicament français s'exporte-t-il bien? 196 Pénuries de médicaments: comment les réduire? 198 Compétitivité: la France est-elle toujours dans la course des nations innovantes? 200 Faux médicaments : comment lutter contre un fléau mondial? 202 Les Français consomment-ils trop de médicaments? 204 Comment les industries du médicament transforment-elles leurs métiers pour s'adapter à la médecine et aux soins du futur? 206 Comment se porte l'emploi dans les entreprises du médicament? 208 Information promotionnelle: pourquoi est-elle indispensable? 210 Le circuit du médicament est-il bien contrôlé? 212 Travailler avec une entreprise du médicament constitue-t-il un conflit d'intérêts? 214 Quels sont les enieux liés à la propriété industrielle? 216 Que font les entreprises du médicament lors des crises sanitaires mondiales?



SOMMAIRE



## Le médicament et sa mise au point

- O10 Comment serons-nous soignés en 2030?
- O12 Pourquoi est-ce si long et difficile de mettre au point un médicament?
- **014** Faut-il obligatoirement tester les candidats médicaments sur les animaux?
- O16 Biodiversité: les entreprises du médicament se mobilisent-elles pour sa défense?
- **018** Comment classe-t-on les médicaments?
- 020 L'innovation expérimentale, nouveau modèle d'innovation?
- 022 latrogénie : comment éviter les complications liées aux médicaments?
- **024** « Médicament service » : un modèle à créer?
- **026** Pourquoi est-il difficile de mettre au point des médicaments pour les enfants?
- **028** Les antibiotiques, c'est fini?
- O30 Comment l'imagerie accélère-t-elle l'innovation thérapeutique?
- O32 Pourquoi les notices des médicaments semblent-elles si compliquées à comprendre?
- **Que trouve-t-on sur une boîte de médicaments?**
- **036** Quel est le rôle de la recherche clinique?
- **Quelle est la place de la France dans la recherche clinique?**
- 040 Comment le médicament est-il surveillé après sa mise à disposition?
- **042** Les CAR-T cells, une révolution conceptuelle?
- **044** Immunothérapie, la nouvelle frontière?
- **046** La France est-elle dans la course de la bioproduction?
- **048** Thérapie génique : les traitements du futur?
- **050** Où en est l'industrie du vaccin?
- **052** Sérialisation des médicaments: plus de sécurité pour les patients?
- **054** Déchets d'activités de soins à risques infectieux (Dasri) : comment les recycler?
- **056** Médicaments non utilisés : comment les recycler?

## EN 2030, LES FRANÇAIS SERONT SOIGNÉS MIEUX ET AUTREMENT





## **DÉFIS 2030**



## DYNAMIQUES À L'ŒUVRE



## **LEVIERS DU PROGRÈS**

**BESOINS** -

- Vieillissement de la population
- Perte d'autonomie
- Polypathologies

L'INNOVATION EXPÉRIMENTALE

LA MÉDECINE À DOMICILE

**DE L'OFFRE DE SOINS** 

**AU PARCOURS DE SANTÉ** 

**LES LEVIERS SCIENTIFIQUES** 

CRISPR-Cas9, microbiote. microfluidique, vaccination, immunothérapie. épigénétique. nanomédecine, médecine

**ATTENTES** -

**ENJEUX** 

DE SANTÉ

- Progrès thérapeutique
- Information
- Participation
- Bien-être

**LE « MÉDICAMENT SERVICE »** 

LES AVANCÉES **THÉRAPEUTIQUES** CAR-T cells, thérapies

géniques, nouvel atlas du cancer, fin de l'errance diagnostique dans les maladies rares, compréhension de la vulnérabilité génétique à la dépression. immunothérapies contre le diabète de type I...

- Obésité
- Addictions
- Pollution
- Suicide
- Allergies
- Antibiorésistance

Vaccination

**NOUVELLE ARTICULATION** MÉDECINE DE VILLE/HÔPITAL SECTEUR MÉDICO-SOCIAL

L'INGÉNIERIE **ET LES PROCESS** 

Données et intelligence artificielle, médecine intégrative, approche intégrée de la technologie de pointe, patient connecté et autonome...

 Fractures territoriales

- Inégalités de santé
- Inégalités d'accès
- Ressources contraintes

LE QUESTIONNEMENT ÉTHIQUE



**POINTS CRITIQU** 



**VISION 2030** 

### **NOUVEAUX TRAITEMENTS**

- Médecine de précision
- Solution santé pour les maladies chroniques
- Médicaments qui guérissent
- Parcours de prévention

Le patient au cœur du système de santé

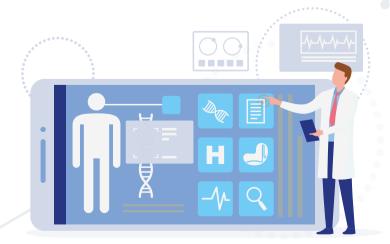
Parcours de soins, parcours de santé, parcours de vie

Croissance des investissements nécessaires en santé

Territorialisation des politiques de santé

## Comment serons-nous soignés en 2030?

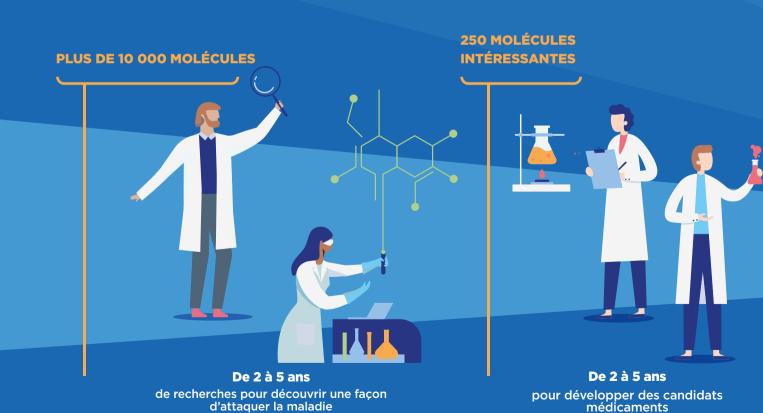
Dans son étude prospective « Santé 2030 » publiée en 2019, le Leem esquisse le visage de la médecine à horizon 2030. Verdict? Une vague d'innovations sans précédent aura fait avancer la mise au point de traitements plus efficaces et mieux adaptés aux caractéristiques de chaque patient et le système de santé aura été réorganisé de fond en comble.





## Pourquoi est-ce si long et difficile de mettre au point un médicament?

DE L'IDÉE AU PRODUIT, IL S'ÉCOULE AU MOINS UNE DÉCENNIE



d'attaquer la maladie

L'élaboration et le développement d'un nouveau médicament s'inscrit dans un processus de sélection très long et très strict, avec des tests effectués sur plus de 10 000 substances différentes, avant qu'une seule puisse être commercialisée avec succès.



## **10** ans

Nombre d'années de travail nécessaires à l'élaboration et au développement d'un nouveau médicament.

## 1,5 milliard d'euros

Investissement moyen consenti pour y parvenir.<sup>1</sup>

## 10

Nombre de candidats médicaments obtenus au terme de la phase de recherche.

## 10 MOLÉCULES EN TEST CLINIQUE



## De 4 à 7 ans

pour prouver l'efficacité d'un candidat médicament

## **1 MÉDICAMENT**

- Environ 10 ans de travail
- 1 chance sur 1 000 de réussir
- Des centaines de chercheurs impliqués
- 1,5 Md€ pour un succès

Source: Leem
(1) Tufts University. Center for the Study of Drug Development, 2018.

## **75**%

Part des maladies infectieuses apparaissant pour la première fois chez l'humain et provenant de l'animal.

## **-40**%

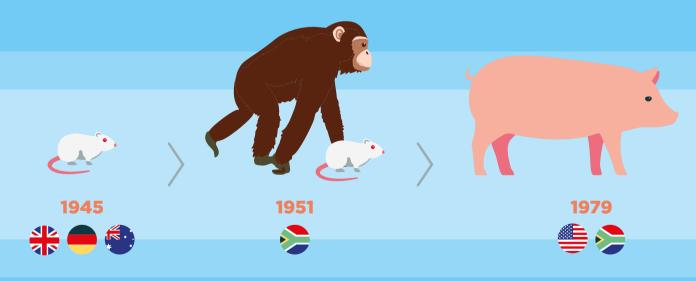
Baisse du recours aux animaux à des fins d'expérimentation en France depuis 1990 grâce au développement du screening in vitro.

## 208

Nombre d'organisations ayant signé une lettre de soutien à la recherche animale en Europe, dont le CNRS, l'Inserm, l'université d'Oxford...

## Faut-il obligatoirement tester les candidats médicaments sur les animaux?

C'est sur des chiens que Louis Pasteur a testé le premier vaccin contre la rage. La recherche animale participe grandement à la compréhension des maladies et à la découverte de traitements. Les chercheurs diminuent le nombre d'animaux utilisés mais ils ne peuvent s'en passer.



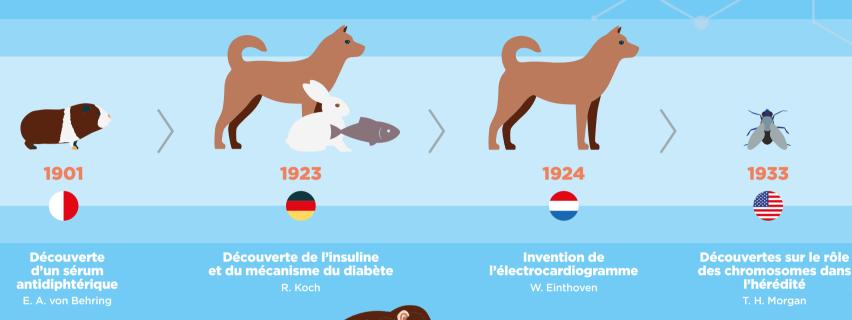
Découverte de la pénicilline

A. Fleming, E. B. Chain & H. W. Florey Mise au point du vaccin contre la fièvre jaune

Invention de la tomographie assistée par ordinateur (scanner)

> A. M. Cormack & G. N. Hounsfield

## LES GRANDES DÉCOUVERTES LIÉES À LA RECHERCHE ANIMALE











2008

Découverte du virus du sida



2014

Découverte d'un système d'orientation spatiale dans le cerveau

J. O'Keefe, M.-B. & E. Moser

*Source : www.recherche-animale.org* 

## 100 millions d'hectares

Perte mesurée de forêt dans les régions intertropicales entre 1980 et 2000, permettant la mise en contact des humains et des microorganismes.<sup>1</sup>



Nombre de plantes médicinales inscrites à la Pharmacopée française.<sup>2</sup>

## **60**%

Part de la population de la planète ayant recours à des médicaments traditionnels provenant de l'écosystème.<sup>3</sup>

1) Kareshet al.2012, "The Lancet"; Joneset al., 2013 PNAS, Combeet al.2017, Emerg. Microbes Infect. 2) Ordre des pharmaciens. 3) Organisation mondiale de la santé.



## Biodiversité: les entreprises du médicament se mobilisent-elles pour sa défense?

L'extinction d'espèces animales et végétales représente une très grave menace pour l'humanité, à plus d'un titre. La disparition de plantes médicinales essentielles au traitement de certaines pathologies graves, comme le cancer, est très préoccupante. La défense de la biodiversité est donc clairement un enjeu essentiel pour les entreprises du médicament.





Source : ministère de la Transition écologique.

## PRÉSERVER LA BIODIVERSITÉ, C'EST PRÉSERVER LA SANTÉ

68%

des habitats menacés au niveau européen sont présents en métropole

C'est le cas des prairies de fauche, de certaines dunes ou des glaciers

19 424

Nombre d'espèces endémiques en France (4/5 sont

(4/5 sont en outre-mer)

22%

Part d'espèces endémiques en outre-mer (3% en métropole)

18%

des espèces menacées au niveau européen sont présentes en métropole

C'est le cas du lynx, du macareux moine ou de l'esturgeon

La biodiversité

en France en 2018

81%

des écosystèmes européens sont présents en métropole

Ce chiffre illustre la grande richesse de la biodiversité française



2/JOUR

Nombre de nouvelles espèces découvertes par la science en France

52% d'insectes

90% en outre-mer

53%

Part du territoire métropolitain peu anthropisé

(forêts, prairies, tourbières, falaises, marais, glaciers, landes, plages, éboulis, dunes, garrigues)

1% Surfaces en eau

5% Surfaces artificialisées

41% Surfaces agricoles

24%

des Français jugent que l'érosion de la biodiversité est un des problèmes environnementaux les plus préoccupants

## 4

Nombre de thérapies géniques à la disposition des patients en 2019.

## 100

Nombre de thérapies géniques en développement en 2019.



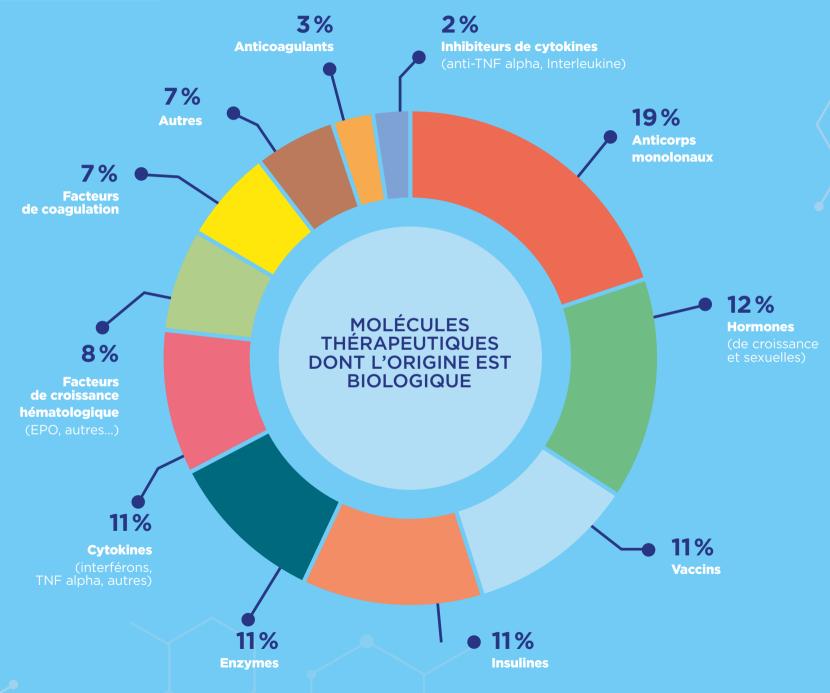
On distingue deux grandes familles : les médicaments chimiques - les plus anciens - et les médicaments biologiques, fabriqués à partir d'organismes vivants, tels que des cellules ou des tissus vivants, qui sont les médicaments de demain. Les thérapies cellulaires, géniques et tissulaires forment la catégorie des médicaments de thérapie innovante.

### **DE QUOI PARLE-T-ON?**

« On entend par médicament toute substance ou composition présentée comme possédant des propriétés curatives ou préventives à l'égard des maladies humaines ou animales, ainsi que toute substance ou composition pouvant être utilisée chez l'homme ou chez l'animal ou pouvant leur être administrée, en vue d'établir un diagnostic médical ou de restaurer, corriger ou modifier leurs fonctions [organiques] », précise le Code de la santé publique.

Source : Leem

## LES MÉDICAMENTS DU FUTUR SERONT DES BIOMÉDICAMENTS



## L'innovation expérimentale, nouveau modèle d'innovation?

D'ici à 2030, un nouveau modèle d'innovation pour les traitements aura émergé dans un schéma d'apprentissage associant recherche fondamentale, recherche expérimentale, recherche clinique et recherche épidémiologique. Il partira d'un modèle conceptuel, nourri par des bases de données partagées et par l'identification des cibles, pour revenir au patient puis au modèle conceptuel. Le modèle humain prendra de plus en plus d'importance, à côté du modèle numérique, dans tous les domaines de la recherche fondamentale en sciences de la vie.

Nombre de thérapies ciblées disponibles

en oncologie.1

**50**%

Part des patients concernés par une thérapie ciblée en 2030, contre 10 à 20 %

actuellement.

1) Leem, "Santé 2030".

Source : Leem

## **MODÈLE SÉQUENTIEL**

### RECHERCHE FONDAMENTALE

Acteurs publics...

## **RECHERCHE APPLIQUÉE**

Acteurs privés...

## RECHERCHE CLINIQUE

CHU

### PROCESSUS DE VALIDATION

PARTIES PRENANTES EXCLUES

des innovations et des autorisations de mise sur le marché (entreprises privées & pouvoirs publics)

## FINANCEMENT & PRISE EN CHARGE

### **DIFFUSION**

Visite médicale, formation continue

### **PATIENT**

# Compréhension Biologie des systèmes Epidémiologie Recherche translationnelle Recherche clinique

Lors du développement clinique, on assiste à une diminution de la taille des cohortes en ciblant uniquement les patients répondeurs et en ne testant pas les molécules sur les patients chez qui des réponses toxiques ont été identifiées.

L'utilisation des biomarqueurs permet de modifier les échelles traditionnelles de développement : le nombre de patients testés en phases II et III diminue et la durée de la phase II est réduite.

L'élimination de molécules inefficaces de façon précoce au cours du développement permet de **réduire les coûts et d'augmenter le taux de succès.** 

## latrogénie: comment éviter les complications liées aux médicaments?

MÉDECIN



Erreurs de PRESCRIPTION

L'informatisation de la prescription réduit ce risque.

Erreurs de TRANSCRIPTION

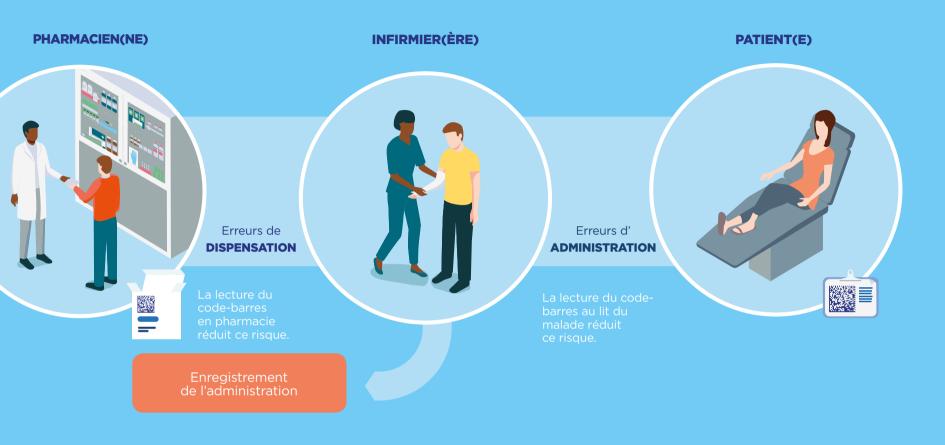
La lecture du code-barres au lit du malade réduit ce risque



La iatrogénie médicamenteuse désigne les effets indésirables que l'on peut imputer aux médicaments et/ou les interactions médicamenteuses ayant des conséquences sur la santé d'une personne. La lutte contre la iatrogénie passe par le développement d'une véritable culture du bon usage du médicament au sein de l'ensemble de la chaîne pharmaceutique et des professionnels du soin, mais aussi de la population.



## LES POINTS À RISQUE DE LA PRESCRIPTION DU MÉDICAMENT AU PATIENT



20%

Part des hospitalisations de patients de plus de 80 ans dues à la iatrogénie médicamenteuse.<sup>1</sup>

**45**%

Pourcentage des cas dans lesquels les complications liées aux médicaments seraient évitables 4

Nombre de médicaments consommés quotidiennement, en moyenne, par les 75-84 ans.

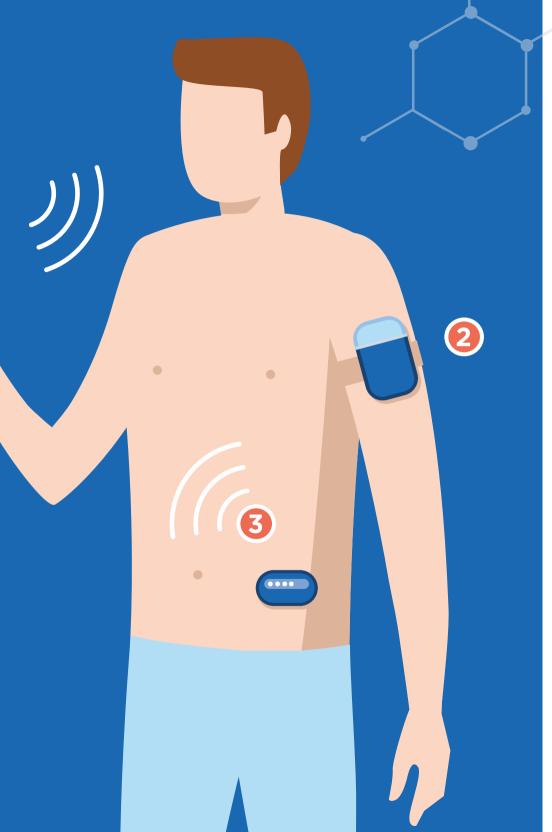
Source : Leem

1) https://reflexeiatrogenie.com

## « Médicament service » : un modèle à créer?

Le « médicament service » est un modèle émergent. Il résulte de la fusion de la thérapie et du médicament avec ce qui permet de l'injecter ou de l'administrer, et avec ce qui permet ensuite de mesurer et suivre le traitement, son efficacité et l'évolution des indicateurs clés de la pathologie du patient. Grâce au « médicament service », ce dernier sera placé au cœur du système de santé. Il est un levier essentiel pour accroître la valeur des traitements en vie réelle.





UN EXEMPLE

DE «MÉDICAMENT SERVICE»:

LE PANCRÉAS ARTIFICIEL

UN TERMINAL MOBILE DÉDIÉ

A partir du capteur, il commande la pompe à insuline. Toutes les informations sont transmises à un service de télémédecine (en lien avec un diabétologue) qui peut intervenir en cas de besoin.

2 UNE POMPE À INSULINE

Il s'agit d'une petite pompe sans bouton ni connexion physique à un dispositif de contrôle. Elle est contrôlée par le terminal mobile dédié.

UN CAPTEUR DE GLUCOSE

Le système comprend un appareil de mesure continue du glucose. Placé sur le ventre, il est connecté via Bluetooth au terminal, qui comprend un algorithme personnalisé déterminant les doses d'insuline à injecter.

Source : Leem, « Santé 2030 ».



Part des nouvelles autorisations de mise sur le marché européennes qui concernent des médicaments pédiatriques.<sup>1</sup>

40

Nombre de centres ayant une expertise pédiatrique reconnue dans le réseau européen de recherche pédiatrique (Enpr-EMA).

1) Agence européenne des médicaments (EMA).

Source : Rapport Agence européenne des médicaments, 2018.

## Pourquoi est-il difficile de mettre au point des médicaments pour les enfants?

Les enfants ne sont pas des adultes en miniature, leur organisme ne réagit pas de la même manière aux médicaments. Les essais cliniques menés chez les adultes sont difficilement extrapolables. Par ailleurs, mener des essais chez les enfants se révèle plus complexe. En dépit de ces contraintes, les industriels, stimulés par le règlement européen sur les médicaments pédiatriques, ont accéléré le développement de médicaments adaptés aux enfants.

## ENTRE 2007 ET 2015, 31 NOUVEAUX MÉDICAMENTS ONT ÉTÉ AUTORISÉS POUR UN USAGE PÉDIATRIQUE





Oncologie





Rhumatologie

Néonatalogie





## 42

Nombre d'antibiotiques en développement dans le monde, dont 13 en phase III.¹ C'est insuffisant pour répondre aux besoins et anticiper les demandes.

## 10 millions

Nombre de décès causés par une maladie infectieuse d'origine bactérienne en 2050 si rien ne change.

## 40 millions d'euros

Enveloppe allouée par la France en 2018 au programme prioritaire de recherche dédié à la lutte contre l'antibiorésistance.

1) Pew Charitable Trust, mars 2019

Source: Santé publique France.



de bactéries devenues résistantes.

une prise de conscience mondiale,

de vitesse. Car, si rien ne change,

les maladies infectieuses d'origine bactérienne pourraient redevenir

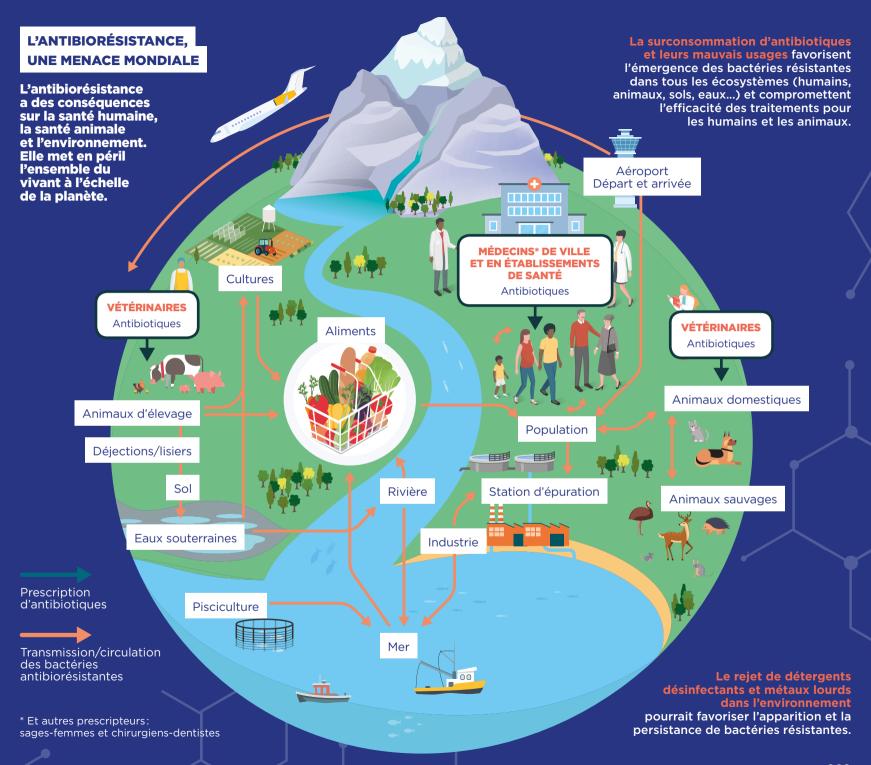
l'une des premières causes de mortalité dans le monde en 2050.

et des initiatives partenariales tentent

– l'antibiorésistance – a suscité

de prendre ces superbactéries

La montée de ce phénomène

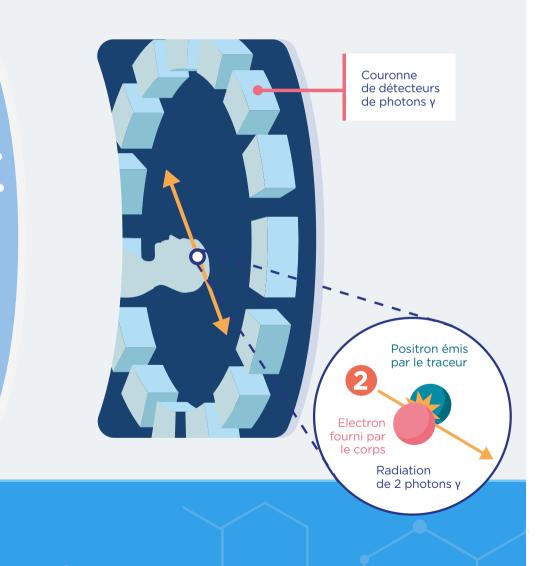


## Comment l'imagerie accélère-t-elle l'innovation thérapeutique?

L'utilisation de l'imagerie in vivo très tôt dans le processus d'évaluation des candidats médicaments accélère le développement de molécules thérapeutiques ciblées. C'est notamment le cas dans le suivi thérapeutique et le bilan des récidives des cancers, mais aussi dans des pathologies neurodégénératives comme les maladies d'Alzheimer ou de Parkinson.







TOMOGRAPHIE PAR ÉMISSION
DE POSITRONS (TEP)
DANS LA DÉTECTION
DES CELLULES TUMORALES

- Le fluor-18 est un substitut du glucose consommé en grande quantité par les cellules cancéreuses. Le marquage au fluor-18 va permettre de visualiser les zones où est assimilé ce sucre. Il est incorporé au glucose puis administré au patient.
- Le traceur radioactif fluor-18 émet des positrons qui s'annihilent avec les électrons environnants. Cette réaction émet deux photons qui partent dans des directions diamétralement opposées.
- L'ordinateur va calculer l'endroit exact où a eu lieu l'annihilation. C'est le traitement informatique des données qui va permettre de reconstituer une image 2D ou 3D.

## En 2018,

1 161 scanners TDM, 95 IRM et 2 322 salles de radiologie étaient en place sur le territoire français.¹

1) Statista Research Department, août 2019.

Source: CEA

Pourquoi les notices des médicaments semblent-elles si compliquées à comprendre?

La notice est bien plus qu'un simple mode d'emploi du médicament. Elle est la traduction, dans un langage adapté aux utilisateurs, de l'ensemble des informations connues et validées par les autorités de santé. Elle doit intégrer à la fois des contraintes réglementaires et la complexité de certains traitements. La notice fait l'objet d'efforts constants pour garantir sa lisibilité, sa clarté et sa facilité d'utilisation.

49%

des Français se reportent à la notice en cas d'effets secondaires des médicaments.<sup>1</sup>

1) Observatoire sociétal du médicament. 2014

Source: Leem



## LES FRANÇAIS ET LA NOTICE



84%

des Français font confiance à la notice pour les informer sur les médicaments

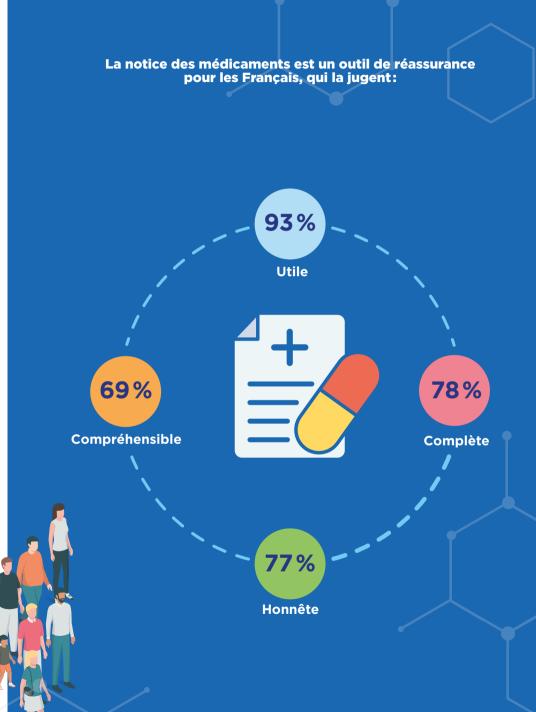
La notice est lue systématiquement par :

**76**%

des Français lorsqu'ils achètent pour la première fois un médicament prescrit sur ordonnance

**54%** 

des Français lorsqu'il s'agit des médicaments qu'ils ont l'habitude de prendre





## Que trouve-t-on sur une boîte de médicaments?

Les médicaments sont contenus dans une boîte d'origine qu'il est primordial de conserver intacte. Elle est en effet plus facile à reconnaître, le nom étant habituellement écrit en gros caractères. La date de péremption est bien visible, ainsi que les logos sur la sécurité d'emploi. Par ailleurs, les comprimés ou gélules sont mieux protégés et la notice permet de répondre aux questions des patients. La boîte est donc un outil essentiel de bon usage du médicament.

- 1 Code produit (CIP 14)
- 2 Numéro de lot
- NOUVEAU
  Numéro de série
  unique par boîte

Date de péremption

4 Code Datamatrix
Sont encodés à l'intérieur
les 4 mentions
obligatoires de la
traçabilité (CIP 14,
n° lot, n° de série,
date de péremotion)

Nom

Posologie

Cadre rouge ou vert Médicaments uniquement sur ordonnance

## **RECTO**



## **NOM**

**DCI**\* (Nom de la (les) molécule(s) si au moins trois substances actives)

## DOSAGE

Forme pharmaceutique

Nom en braille

Médicament autorisé n° AMM Nom de l'entreprise qui commercialise

### **ET AUSSI**

- Contre-indications
- Mise en garde
   Tenir hors de portée
   des enfants
- Indication thérapeutique

\*Dénomination commune internationale

• Mode ou voie

d'administration

de conservation Conserver entre 2 et 8°C

2 pictogrammes possibles

Conduite automobile Femme enceinte

au réfrigérateur

Précautions particulières

Tenir à l'abri de la lumière

• Hologramme de sécurité

Les mentions portées sur la boîte sont toutes reprises dans la notice avec plus de détails. La notice comporte des informations supplémentaires (effets indésirables...) qu'il est important de lire avant de faire usage du médicament.

# NOM - DCI - DOSAGE Espace libre sur lequel le pharmacien peut inscrire la posologie Composition qualitative et quantitative Excipients

Source: Leem

## Quel est le rôle de la recherche clinique?

Très encadrée, la recherche clinique est une étape clé du développement du médicament qui doit être testé sur l'homme. Pratiquée en partenariat avec les hôpitaux, elle contribue au niveau élevé d'expertise médicale des professionnels hospitaliers en France et fait profiter les patients des soins les plus prometteurs le plus tôt possible.



741

Nombre d'essais cliniques autorisés par l'Agence nationale de la sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) en 2018.<sup>1</sup>

(1) Rapport d'activité de l'ANSM 2018.

Source: Leem

# LES QUATRE ÉTAPES D'UN ESSAI CLINIQUE

	OBJECTIFS	DURÉE	EFFECTIFS	RÉSULTATS
PHASE	Sécurité     du médicament      Etude du devenir     dans l'organisme	De quelques jours à quelques mois	Petit nombre de volontaires	70 % des produits expérimentés franchissent le cap des essais de phase I
<b>\</b>				
PHASE	<ul> <li>Efficacité du produit</li> <li>Détermination de la posologie optimale</li> </ul>	De quelques mois à 2 ans	Petits groupes homogènes de patients (de 10 à 40)	1/3 des produits testés franchissent le cap des essais de phases I et II
<b>\</b>				
PHASE	<ul> <li>Etude du rapport bénéfice/risque</li> <li>Comparaison avec les traitements existants s'ils existent</li> </ul>	1 an ou plus	Plusieurs centaines de malades	De 70 à 90 % des médicaments entrant en phase III sont retenus pour une demande d'AMM
PHASE	<ul> <li>Essais réalisés une fois le médicament autorisé</li> <li>Meilleure tolérance du médicament</li> </ul>		Nombre de patients souvent important (jusqu'à plusieurs dizaines de milliers de personnes)	Evaluation de la tolérance à grande échelle: détection d'effets indésirables très rares, non détectés en phase d'essais

# La France se situe au 4º rang européen

en termes de participation aux essais cliniques industriels mondiaux en 2017.

038

# Quelle est la place de la France dans la recherche clinique?

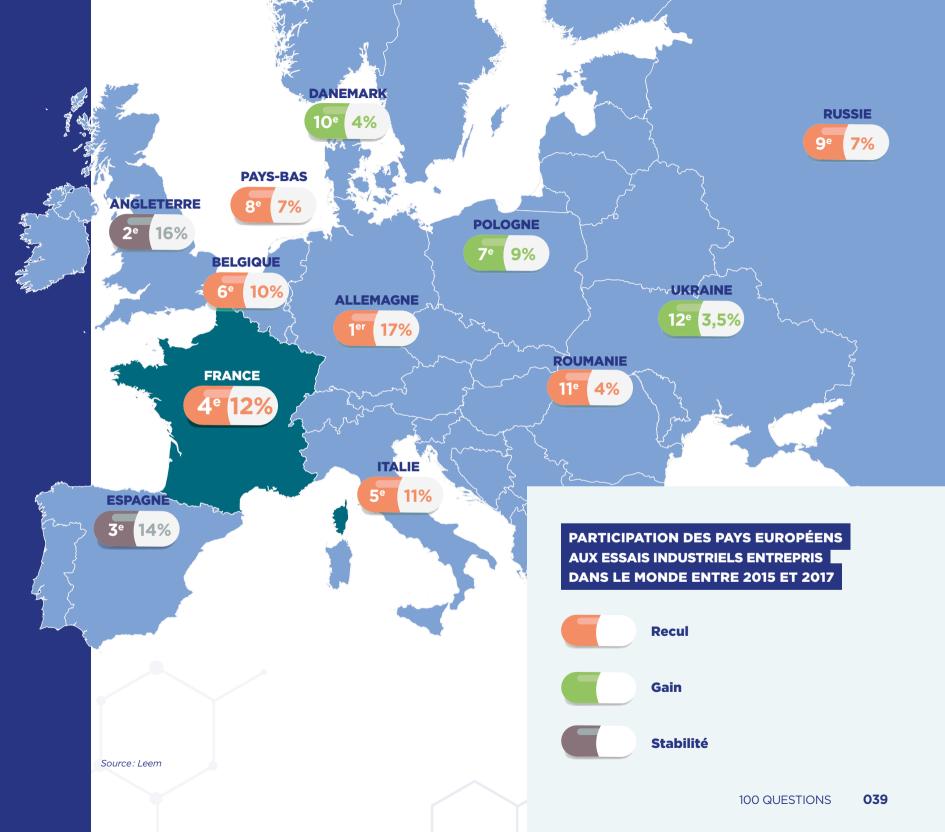
En 2017, plus de 2 600 essais cliniques sur le médicament ont été entrepris par les industriels dans le monde. La France a pris part à près de 12 % d'entre eux et se situe au pied du podium européen. L'oncologie est le domaine prédominant de la recherche clinique dans l'Hexagone, avec une participation à 19 % des nouveaux essais industriels mondiaux et à 45 % des essais industriels réalisés sur le territoire.



100 QUESTIONS







# 20192

Nombre d'effets indésirables déclarés par le public en 2018.<sup>1</sup>

31

Nombre de centres régionaux de pharmacovigilance (CRPVs) sur le sol français.



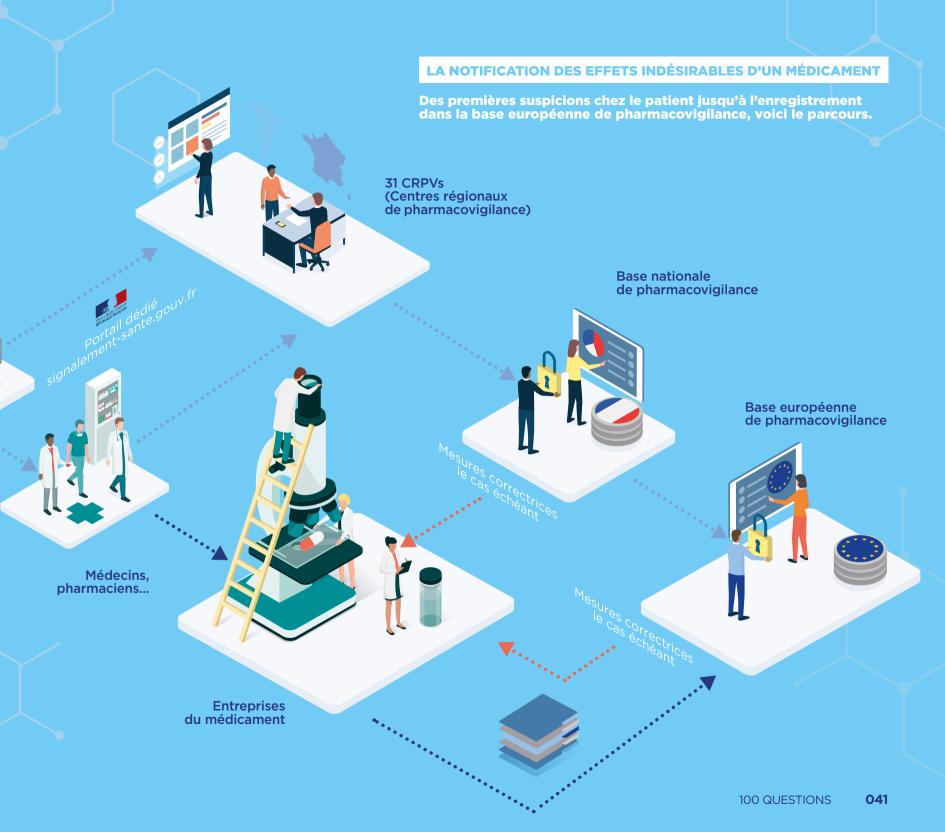
La pharmacovigilance est le système de surveillance des médicaments une fois qu'ils sont mis à la disposition des malades. Elle a pour objectif premier de garantir la sécurité des patients. Ce système, qui repose sur la notification spontanée, permet en effet de repérer et prévenir les risques potentiels ou avérés d'effets indésirables. Les entreprises du médicament participent activement à cette surveillance.



Patients et associations de patients

1) Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

Source: Leem 2019



Nombre de médicaments de ce type disponibles en France pour soigner les lymphomes réfractaires.

200 Nombre d'essais en cours dans le monde, dont 175 pour mettre au point des traitements contre les maladies rares.

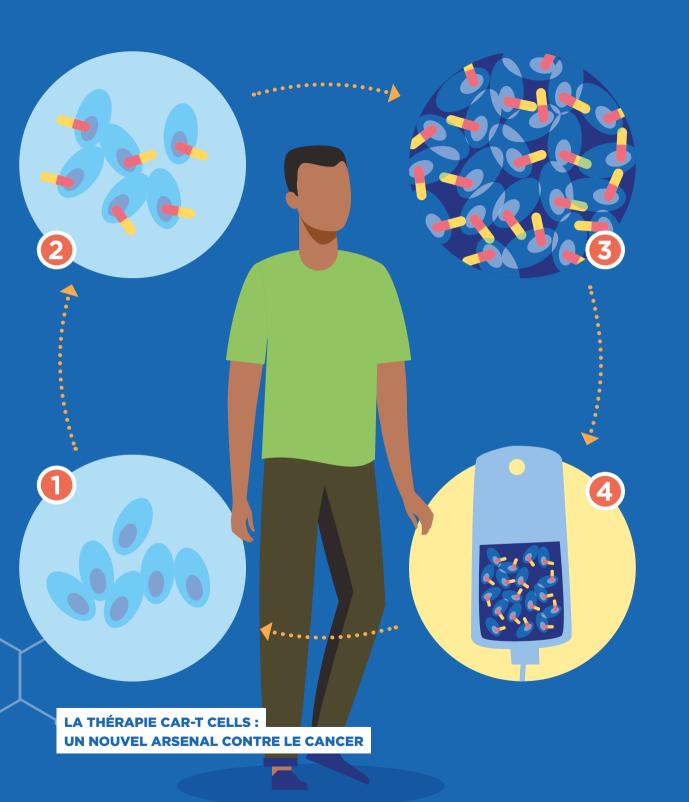


Source: INCa 2019.

Ils sont ensuite modifiés génétiquement pour exprimer un récepteur particulier capablede reconnaître les cellulescancéreuses Les CAR-T cells, une révolution conceptuelle?

La thérapie génique par les CAR-T cells (ou cellules CAR-T) constitue une nouvelle forme d'immunothérapie en plein développement. Elle repose sur la modification génétique des propres lymphocytes T d'un patient afin que ceux-ci soient en mesure de reconnaître et de détruire les cellules cancéreuses. La poursuite des essais cliniques sur ces médicaments innovants pour en améliorer l'efficacité est un enjeu majeur de ces prochaines années.

Les lymphocytes T sont prélevés dans le sang du patient

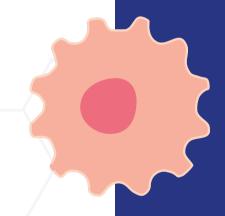


Ces cellules T modifiées sont mises en culture en laboratoire où elles se multiplient par millions

Ces cellules, les CAR-T, sont réinjectées au patient. Elles sont maintenant en mesure d'attaquer spécifiquement les cellules cancéreuses Nombre d'immunothérapies spécifiques ayant une autorisation de mise sur le marché!

# 1375

Nombre d'essais cliniques en immunothérapie anticancéreuse.<sup>2</sup>



1) Institut national du cancer (INCa).
2) www.clinicaltrials.gov
3) « Nouvelles pratiques en immuno-oncologie : une révolution et un immense défi scientifique et médical », de S. Champiat et J.-C. Soriat, in *Medecine/Sciences*; juillet 2017.

Source: INCa.

# Immunothérapie, la nouvelle frontière?

Fondée sur la mobilisation des défenses immunitaires du patient pour combattre sa maladie, l'immunothérapie révolutionne la prise en charge des cancers mais aussi d'autres pathologies. Cette nouvelle arme thérapeutique a notamment permis des rémissions de cancers métastatiques à une fréquence jamais observée auparavant. Pour révéler tout son potentiel, elle doit aujourd'hui relever de nombreux défis, parmi lesquels l'identification des malades répondeurs à ces traitements et la compréhension de leur toxicité.

# **15** %

Pourcentage des patients répondeurs aux immunothérapies en monothérapie. Les patients atteints de mélanome ou de lymphome hodgkinien ont des taux de réponse de 40 % et 60 %.<sup>3</sup>

# UNE NOUVELLE ARME THÉRAPEUTIQUE CONTRE LE CANCER

L'exemple des traitements anti-PD-1 ou anti-PD-L1 (nivolumab et pembrolizumab)

**CELLULE IMMUNITAIRE INACTIVE** Liaison normale du système de défense **CELLULE IMMUNITAIRE ACTIVE** Récepteur PD-1 Liaison normale du système de défense Protéine PD-L1 **CELLULE CANCÉREUSE** Traitement anti-PD-1 Traitement anti-PD-L1 **CELLULE CANCÉREUSE** 

ne vise pas directement la tumeur. Elle agit

patient pour le rendre apte à

# La France est-elle dans la course de la bioproduction?

En 2017, 4 nouveaux médicaments sur 10 étaient des médicaments biologiques. Et ce ratio ne cessera de croître dans les années à venir. La production de ces thérapies biologiques innovantes est donc un enjeu majeur. La France possède une bonne capacité de bioproduction qu'elle doit rendre encore plus performante pour rester compétitive.



3

Nombre de sites de bioproduction appartenant à des groupes internationaux parmi les 32 recensés sur le territoire français.<sup>1</sup>

1) Leem-AEC Partners, Cartographie de la bioproduction en France, janvier 2018.

Source: Leem



- 1 LFB (Lille)
  Dérivés du plasma
- Biocodex (Beauvais)
  Médicaments probiotiques
- Sanofi Pasteur (Val-de-Reuil) Vaccins
- Yposkesi
  (Corbeil-Essonnes)
  Thérapies géniques
  (ex vivo et in vivo)
- Novasep (Pompey)

  Diverses biomolécules
- Sanofi (Vitry-sur-Seine)
  Anticorps divers
- 7 CELLforCURE (Les Ulis)
  Thérapies géniques
  ex vivo, thérapies cellulaires
- EFB (Les Ulis)
  Dérivés du plasma
- ABL Europe
   (Illkirch-Graffenstafen)
   Vecteurs viraux
- Octapharma (Lingolsheim)

  Dérivés du plasma
- Novasep (Le Mans)
  ADC
- Firalis (Huningue)
  Anticorps divers
  (mAbs et polyclonaux)
- Novartis (Huningue)
  mAbs
- EFS (Saint-Herblain)
  Thérapies cellulaires,
  vecteurs viraux
- BE Vaccines
  (Saint-Herblain)
  Vaccins, vecteurs viraux
- Clean Cells (Boufféré)
  Thérapies cellulaires,
  vecteurs viraux
- EFS (Besançon)
  Thérapies cellulaires



- Pierre Fabre
  (Saint-Julien-en-Genevois)
  Anticorps divers
  (mAbs et ADC)
- Sanofi Pasteur (Marcy-l'Etoile) Vaccins
- Sanofi Pasteur (Neuville-sur-Saône) Vaccins
- Sanofi Genzyme (Lyon)
  Anticorps polyclonaux,
  vecteurs viraux,
  extractionprotéique
- Accinov (Lyon)

  Plateforme d'innovation
- Bio Elpida (Saint-Priest)

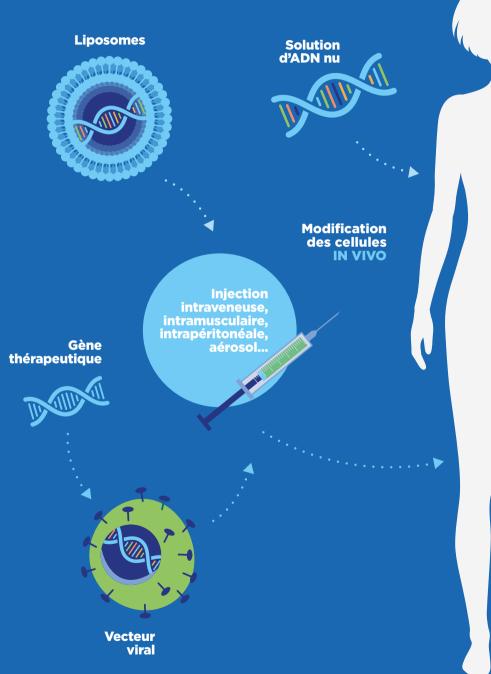
  Dérivés du plasma
- Mérial (Saint-Priest)
  Vaccins vétérinaires
- EFS (Saint-Ismier)
  Thérapies cellulaires
- PX'Therapeutics
  (Grenoble)
  Vaccins, anticorps divers,
  extraction protéique,
  micro-organismes entiers
- Merck KGaA
  Biodevelopment
  (Martillac)
  mAbs
- LFB (Alès)
  mAbs et autre protéines
  recombinantes,
  extraction protéique
- EFS (Toulouse)
  Thérapies cellulaires
- Sanofi (Aramon)
  Enzymes, extraction
  protéique
- Virbac (Carros)
  Vaccins et protéines
  recombinantes vétérinaires
- Genbiotech (Antibes)

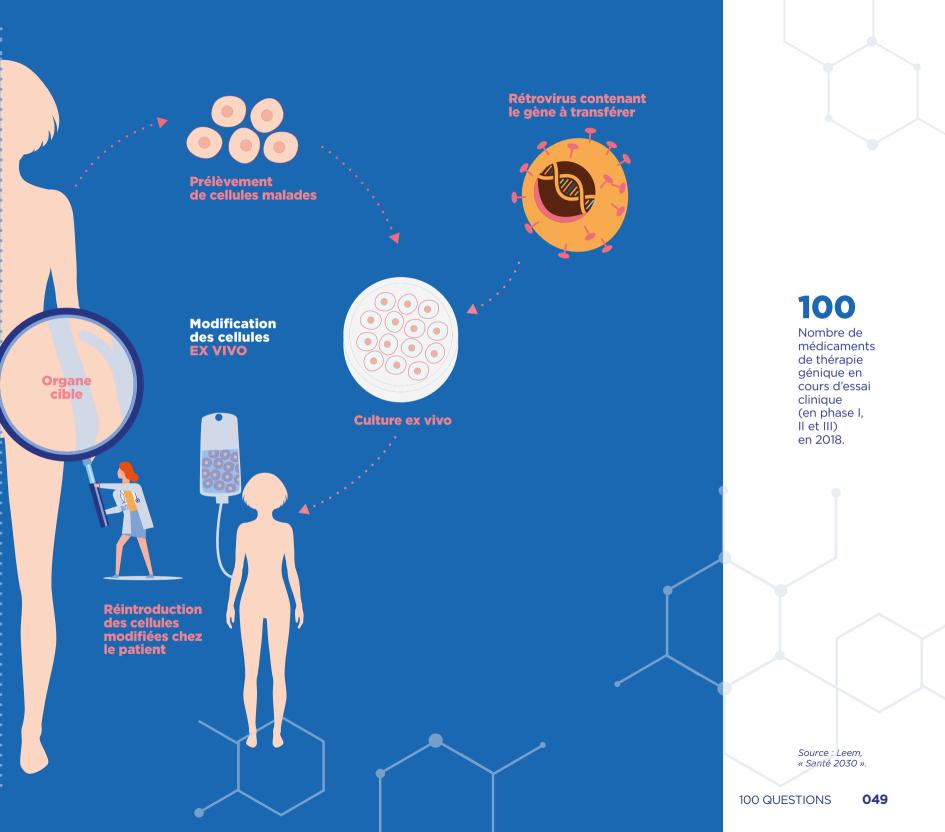
  Diverses capacités

# LES DEUX VOIES DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE

# Thérapie génique: les traitements du futur?

La thérapie génique consiste à introduire du matériel génétique dans les cellules d'une personne pour soigner une maladie. Elle offre de nouvelles armes de lutte contre le cancer, les maladies neurodégénératives, infectieuses ou cardiovasculaires. C'est un domaine en plein essor, qui enregistre de véritables succès. Plusieurs médicaments de thérapie génique sont sur le marché, en Europe, aux Etats-Unis et en Chine. mais ils demeurent onéreux car les technologies industrielles permettant de les produire à grande échelle font encore défaut.





# 2 et 3 millions

Nombre de vies sauvées chaque année grâce à la vaccination.<sup>1</sup>

# 1,5 million

Nombre de vies supplémentaires qui pourraient être sauvées en améliorant l'accès aux vaccins.<sup>1</sup>

# Plus de 50

Nombre de vaccins ou conjugaisons de vaccins aujourd'hui à la disposition de la population française pour prévenir 29 maladies infectieuses.<sup>2</sup>

**75**%

Part des vaccins produits en Europe.

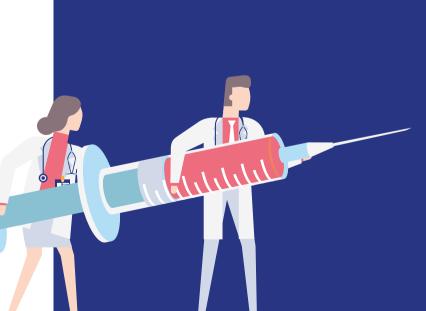
 Organisation mondiale de la santé (OMS).
 Plateforme Comité Vaccins.

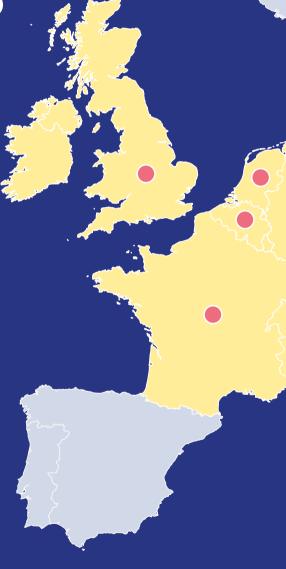
Leem 2018. 3) Vaccines Europe.

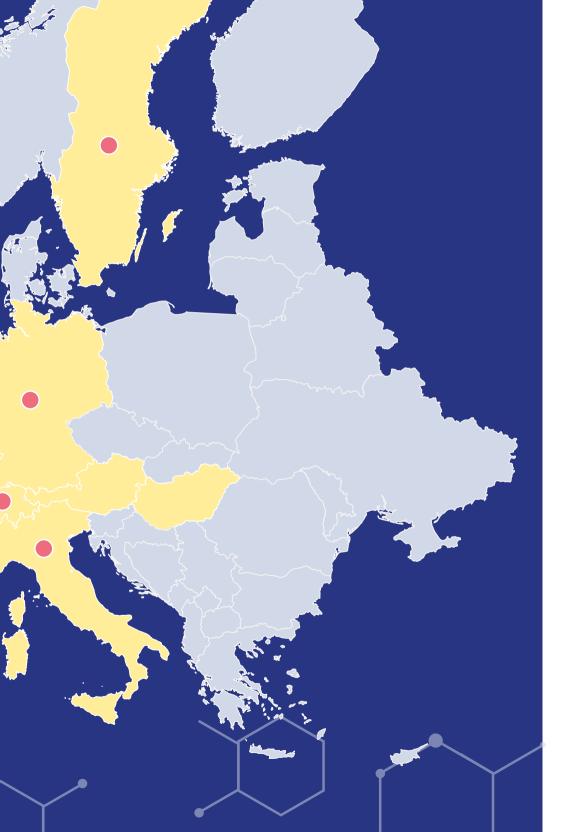
Source : d'après des données de Vaccines Europe.

# Où en est l'industrie du vaccin?

Fer de lance de la production mondiale, l'Europe maintient ses efforts de recherche de nouveaux vaccins, à hauteur de 2 milliards d'euros par an. En 2018, 258 vaccins ou combinaisons de vaccins étaient en développement.







# L'EUROPE, UN LEADER DE LA PRODUCTION DE VACCINS

27 sites de production répartis dans 11 pays de l'Union européenne (UE)

Le terme de vaccin s'applique à une dose de vaccin utilisée pour traiter une maladie ou à un vaccin combiné destiné à traiter plusieurs maladies.

# L'EUROPE, UN LEADER DE LA RECHERCHE DE NOUVEAUX VACCINS

Pour innover dans le domaine des vaccins, l'Europe s'appuie sur 12 centres de recherche répartis dans 8 pays de l'UE



# Sérialisation des médicaments: plus de sécurité pour les patients?



• Date d'expiration

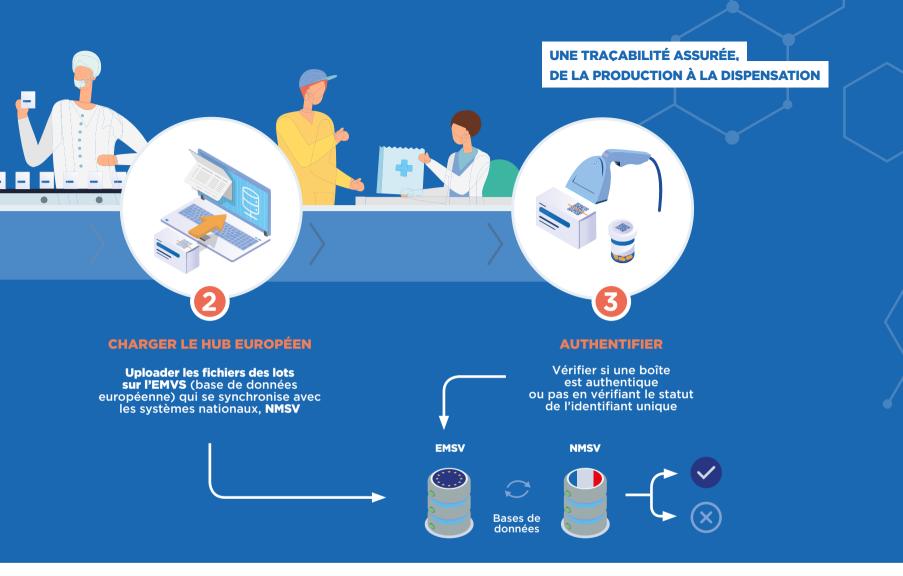
N° de série

Identifiant contenu dans un **Datamatrix** 

Code

produit
• N° de lot

La sérialisation des médicaments vise à assurer la traçabilité de chaque produit et son authenticité face à un trafic de médicaments contrefaits en constante progression. Depuis le 9 février 2019, chaque nouvelle boîte de médicaments dispose d'un numéro de série, qui est enregistré dans une base de données nationale et européenne. Grâce à cette technologie, le patient bénéficie d'un accès encore plus sécurisé aux médicaments de qualité.



1 médicament sur 10 vendus dans le monde est une

contrefacon.

Entre 200 000 et 400 000 euros

Coût moyen pour adapter une seule ligne de production au dispositif de sérialisation à la boîte.

Source: Leem

# Déchets d'activités de soins à risques infectieux (Dasri) : comment les recycler?

Les entreprises du médicament sont directement concernées par l'élimination des déchets d'activités de soins à risques infectieux (Dasri), qui concernent 22 pathologies. Elles sont parties prenantes de l'éco-organisme Dastri, qui organise, depuis 2012, la collecte et l'élimination de ces déchets considérés comme dangereux.









Lorsqu'elle est pleine, le PAT actionne la fermeture définitive de sa BAA et l'apporte en point de collecte (PDC) : pharmacie, décheterie...



Les BAA pleines sont stockée dans des contenants distribuéspar les opérateurs Dastri.





Un opérateur Dastri collecte et échange les contenants pleins contre de nouveaux vides. 83 %

Part des Dastri collectés en France en 2018, soit 2 points de plus qu'en 2017. 17 930

Nombre de points de collecte du réseau Dastri sur le territoire, soit 1 point de collecte pour 10 000 habitants.

Nombre d'entreprises du médicament qui adhèrent à l'éco-organisme Dastri.

# UN DISPOSITIF DE COLLECTE BALISÉ ET SÉCURISÉ

Toutes les pharmacies ont l'obligation réglementaire de remettre gratuitement des boîtes à aiguilles (BAA) aux patients en autotraitement (PAT). Il existe trois formats de BAA.



1,5L















piquants, coupants et tranchants (PCT) dans sa BAA. Il la referme après chaque traitement







vers un site de prétraitement pour désinfection ou incinération.







contre de nouveaux vides.

Source : Dastri.

# Médicaments non utilisés: comment les recycler?

Acteurs responsables, les entreprises du médicament agissent quotidiennement pour limiter l'impact environnemental de leurs activités. Elles ont ainsi mis en place, dès 1993, Cyclamed, un éco-organisme agréé par l'Etat qui collecte les médicaments périmés ou non utilisés (MNU) issus des ménages.





# EN 2019, LA COLLECTE RECULE, MAIS LE DISPOSITIF CYCLAMED DEMEURE PERFORMANT







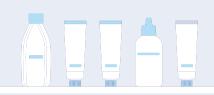
**EN OFFICINE** 

-1,27%

de médicaments vendus en 2019 par rapport à 2017 COLLECTE DES MNU

-1,40%

par rapport à 2018



MAINTIEN DE LA PERFORMANCE

62%

de la collecte par rapport au gisement

En 2019 en France

**159**g

/habitant /an

de médicaments non utilisés, périmés ou non, ont été valorisés



21487

officines proposent la collecte de vos médicaments non

# 10 452 tonnes

Volume de MNU collecté en 2018. Valorisés à des fins énergétiques, ils permettent d'éclairer et de chauffer 7 000 logements toute l'année.

194

Nombre de laboratoires contribuant au financement de Cyclamed par une cotisation sur chaque unité de conditionnement mise sur le marché en ville.

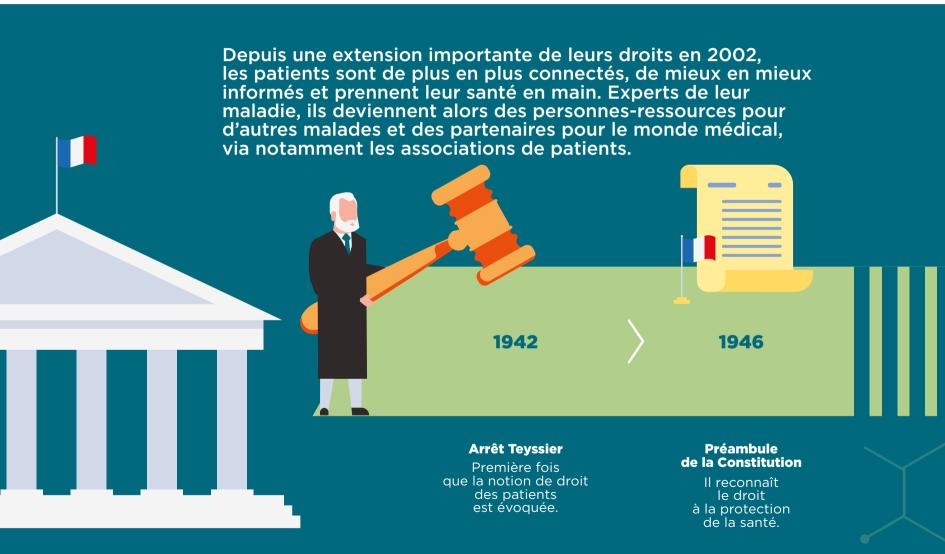
Source: Cyclamed



# Le médicament et son écosystème

060	Demain, de nouveaux patients?
062	Les start-up sont-elles les clés du progrès thérapeutique?
064	Innovation ouverte : pourquoi est-elle devenue incontournable?
066	Intelligence artificielle et données de santé : le mariage du futur?
068	Microbiote : le deuxième cerveau va-t-il permettre
	de mieux soigner les patients?
070	Médecine régénératrice : quelles avancées à ce jour?
072	Nanomédecine : vers une prise en charge des maladies
	de plus en plus précise?
074	CRISPR-Cas9, l'outil révolutionnaire pour modifier le génome?
076	Vaccins : pourquoi sont-ils le fer de lance de la prévention?
078	Patients connectés: demain, tous médecins?
080	La médecine intégrative est-elle la médecine du futur,
	notamment dans la lutte contre le cancer?
082	L'épigénétique va-t-elle bouleverser notre approche des maladies?
084	Médecine de précision : en quoi accélère-t-elle le progrès thérapeutique?
086	Microfluidique : quel impact sur la prise en charge des patients?
880	Données de santé: quelle révolution nous attend?
090	Que faire face à la menace des virus émergents?
092	L'initiative pour les médicaments innovants (IMI) : quels objectifs?
094	Comment les entreprises du médicament gèrent-elles
	les questions éthiques et déontologiques?

# Demain, de nouveaux patients?



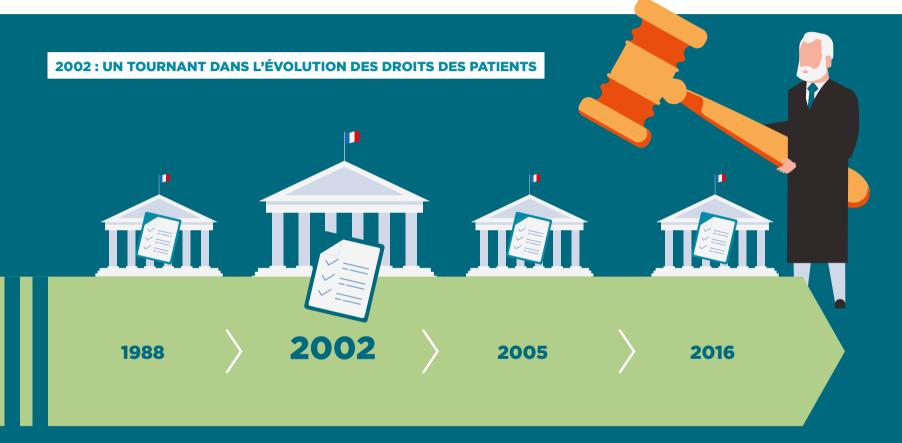
# Plus de **2600**

Nombre d'associations de patients constituées en France.¹ Depuis la loi de 2002, elles se multiplient et étendent le champ de leurs prérogatives.

# 2009

Création de la première Université des patients, qui intègre dans les parcours universitaires diplômants en éducation thérapeutique des patients-experts issus du monde associatif.

1) Association Voix des patients. *Source : Leem.* 



# **Loi Huriet**

Elle formalise le droit au consentement.

## **Loi Kouchner**

Elle consacre deux principes: le consentement libre et éclairé du patient aux actes et traitements qui lui sont proposés, et le droit du patient d'être informé sur son état de santé.

# Loi Leonetti

Elle crée de nouveaux droits en faveur des malades et des personnes en fin de vie.

# Loi de modernisation du système de santé

Elle renforce les droits et la sécurité des patients.

# AIRES THÉRAPEUTIQUES

**Oncologie** 

**Maladies infectieuses** 

Système nerveux central

Système immunitaire

**Métabolisme** (diabète, obésité)

Ophtalmologie et organes des sens

Maladies génétiques

Inflammation

Rhumatologie / appareil locomoteur

Appareil cardiovasculaire

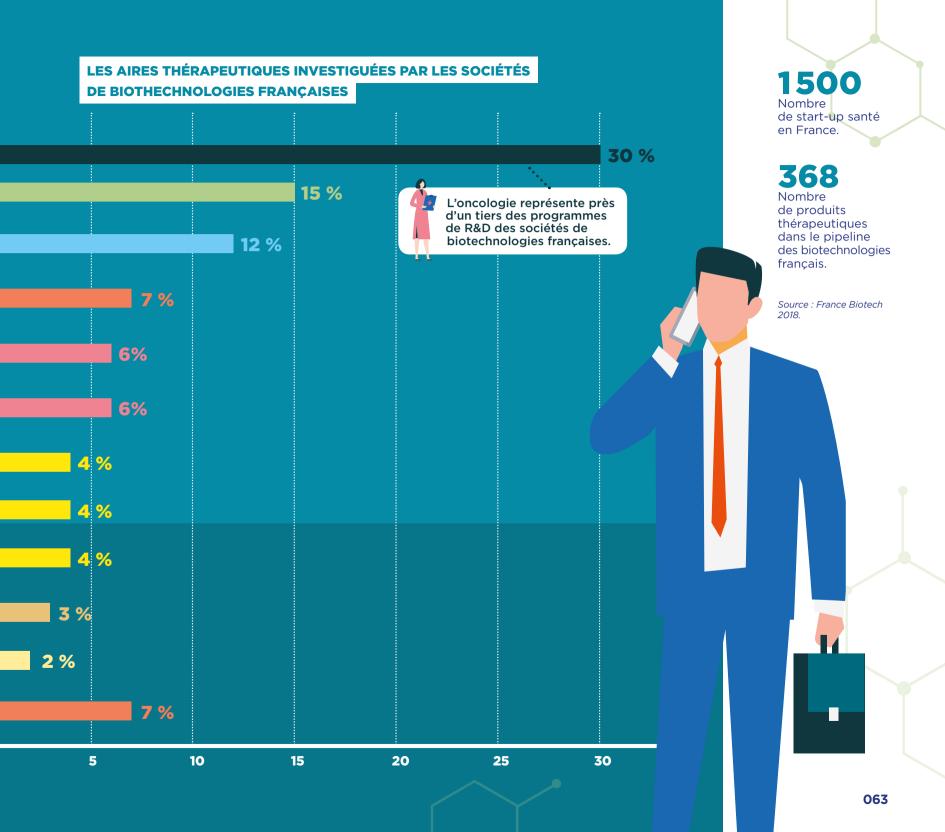
**Dermatologie** 

**Autres** domaines

# Les start-up sont-elles les clés du progrès thérapeutique?

Aujourd'hui, l'innovation en santé est très souvent issue de jeunes pousses positionnées depuis les phases amont jusqu'aux premiers stades des essais cliniques, aussi bien pour les médicaments que pour les dispositifs médicaux, le diagnostic et les solutions numériques de santé. Un potentiel immense. D'où l'importance d'accompagner leur croissance, qui se heurte à des lacunes dans le financement privé.





# Innovation ouverte: pourquoi est-elle devenue incontournable?

L'industrie pharmaceutique a adopté précocement les pratiques d'innovation ouverte. L'essor des biotechnologies, souvent développées par des start-up extérieures au Big Pharma, l'intensité technologique à l'œuvre dans le secteur, la complexité liée au développement des technologies et l'hétérogénéité des blocs de savoirs à posséder ont encouragé des modalités de R&D plus collaboratives pour mettre au point de nouveaux médicaments.

L'ENTREPRISE



# 2,2 milliards de dollars

Coût moyen de développement d'un nouveau médicament. Il a doublé depuis 2010.<sup>1</sup>

1) Etude Deloitte, 2019.

Source: www.bluenove.com

# L'ÉMERGENCE DE L'INNOVATION COLLABORATIVE **AU SEIN DE L'ENTREPRISE**

L'innovation ouverte consiste à ouvrir le développement de l'innovation non plus seulement aux patients, aux start-up, à des communautés d'innovation spécialisées, à des universités, à des (via des hackathons par exemple) ou aux concurrents.



Logistique

De l'intérieur vers l'extérieur (essaimage)

**INNOVATION OUVERTE** 

De l'extérieur vers l'intérieur (fusion/acquisition, joint venture)



**Universités** 

d'autres industries

Start-up

Acteurs

# Intelligence artificielle et données de santé: le mariage du futur?

L'intelligence artificielle (IA) sera au cœur de la médecine de demain. Le recueil et le partage de données de santé de plus en plus nombreuses sont la condition sine qua non à son déploiement dans le domaine du soin. Suivi des patients à distance, opérations assistées par ordinateur ou robot, prothèses intelligentes, traitements personnalisés: les perspectives sont enthousiasmantes.

# UNE RÉVOLUTION POUR LES MALADIES CHRONIQUES

Diabète, maladies cardiovasculaires et respiratoires... Avec le vieillissement de la population, le nombre de personnes atteintes de maladies chroniques augmente, et les objets connectés s'apprêtent à révolutionner leur suivi dans le temps.

+548 000 personnes atteintes d'au moins une pathologie chronique d'ici 2020 (évolution 2015-2020)

# **OBJETS CONNECTÉS ET MALADIES CHRONIQUES: 4 AVANTAGES**

- Surveiller les constantes du patient en continu
- Adapter les soins et traitements de façon individualisée
- Faciliter la coordination des spécialistes
- Apporter des premières expertises et éviter certaines consulations (rétinographie, éléctrocardiogramme...)



**8 FRANCAIS SUR 10** 

se déclarent prêts à être équipés d'objets connectés pour suivre leur maladie chronique

# +30%

## par an

Rythme de création d'entreprises (ETI, PME, start-up) spécialisées dans l'IA en France depuis 2010.

### **IMPLANT**

Il mesure en permanence le rythme cardiaque, la glycémie, effectue des analyses sanguines et déctecte les anomalies.

### **SMARTPHONE**

Une application compile toutes les données de santé dans un profil partagé avec les professionnels de santé.

### **TEE-SHIRT CONNECTÉ**

Avec ses nanocapteurs, il évalue la qualité de l'environnement (pollution de l'air).

# **MONTRE CONNECTÉE**

Munie d'un tracker, elle mesure l'activité physique, le sommeil, le stress...

# LE CORPS, SOURCE DE DATA

Avec le boom des objets connectés, le corps devient une source intarissable de données permettant à l'individu de « piloter» sa santé au quotidien.

# **161 MILLIONS**

D'APPAREILS DE SANTÉ CONNECTÉS EN 2020

SOIT +120% PAR RAPPORT À 2016



# En 2018

le projet européen MetaHIT a permis d'identifier l'ensemble des génomes microbiens intestinaux (métagénome) par séquençage haut débit.



# **DE QUOI PARLE-T-ON?**

Le microbiote est l'ensemble des micro-organismes (bactéries, virus, parasites, champignons non pathogènes, dits « commensaux ») hébergés par le corps humain. Le microbiote intestinal contient la plus importante communauté bactérienne.



LE MICROBIOTE INTESTINAL EN CHIFFRES

# 10<sup>13</sup> bactéries

virus et surtout phages (n'infectant que les bactéries), champignons De 300 à 500 espèces

par individu parmi un total de 1500 à 2000 espèces répertoriées dans les fèces humaines

# De 500000 à 600000 gènes bactériens par individu au sein d'un catalogue répertorié de plus

bactériens par individu au sein d'un catalogue répertorié de plus 10 millions de gènes bactériens (à comparer aux 22000 gènes du génome humain)

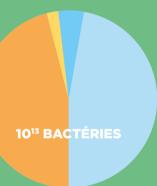
Source: Dethiefsen et al., Nature, 2007



Bouche



Peau



Colon

BACTÉRIES SYMBIOTIQUES DU CORPS HUMAIN



**Œsophage** 



**Estomac** 



Vagin



**Firmicutes** 



Actinobacteria



Proteobacteria



Autres phyla



**Bacteroidetes** 

# Microbiote: le deuxième cerveau va-t-il permettre de mieux soigner les patients?

De plus en plus d'études montrent une corrélation entre la diversité du microbiote, le mode de vie et la survenue de pathologies inflammatoires ou métaboliques chroniques. Ces dernières années, les recherches dans ce domaine ouvrent de nouvelles voies prometteuses pour comprendre l'origine de nombreuses maladies, notamment le diabète.

# Médecine régénératrice : quelles avancées à ce jour?

Depuis quinze ans, la médecine régénératrice suscite un grand espoir. En 2018, deux malades atteints de dégénérescence maculaire de la rétine ont recouvré la vue après une greffe de cellules sur le fond de leur rétine. Et les progrès de l'impression 3D offrent des perspectives intéressantes. Pourtant, le nombre de traitements effectivement commercialisés reste limité aujourd'hui. En cause notamment : des financements insuffisamment ciblés et une réglementation trop floue.

### **DE QUOI PARLE-T-ON?**

La médecine régénératrice consiste à réparer une lésion ou un organe malade en remplaçant les parties endommagées par un nouveau tissu cellulaire créé à cet effet. Elle repose sur la thérapie cellulaire et sur l'utilisation de cellules souches.

# **QUELQUES DÉFINITIONS**

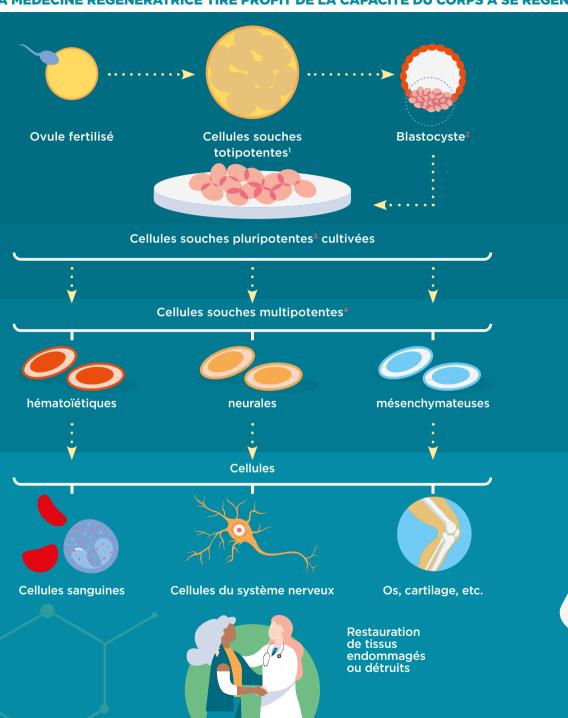
- **CELLULES TOTIPOTENTES** 
  - Cellules souches capables d'engendrer un organisme entier
- 2 BLASTOCYSTE

Composé d'une centaine de cellules, il forme le bouton embryonnaire dont sont dérivées les cellules souches embryonnaires

- CELLULES PLURIPOTENTES
  Cellules qui peuvent se transformer
  en tout type de cellule du corps
- 4 CELLULES MULTIPOTENTES
  Cellule primitive de la moelle
  osseuse, capable de se différencier
  en n'importe quelle cellule du sang



# LA MÉDECINE RÉGÉNÉRATRICE TIRE PROFIT DE LA CAPACITÉ DU CORPS À SE RÉGÉNÉRER



# 49 milliards de dollars

Poids estimé du marché de la médecine régénératrice d'ici à 2021.<sup>1</sup>

# Plus de **350**

Nombre d'essais cliniques de thérapie cellulaire testant les potentialités d'autoréparation du corps humain en 2016.

# 10

Nombre de produits issus de cellules souches actuellement sur le marché en France. Aucun n'a été produit sur le sol français.<sup>2</sup>

1) CellCAN.

2) Leem, « Santé 2030 ».

Source : TPE Nanotechnologie.

# Nanomédecine : vers une prise en charge des maladies de plus en plus précise?

L'ÉCHELLE DE LA NANOMÉDECINE

**CELLULE SANGUINE** 7 micromètres Millimètre

(10<sup>-3</sup> mètre)

De 1 à 5 micromètres

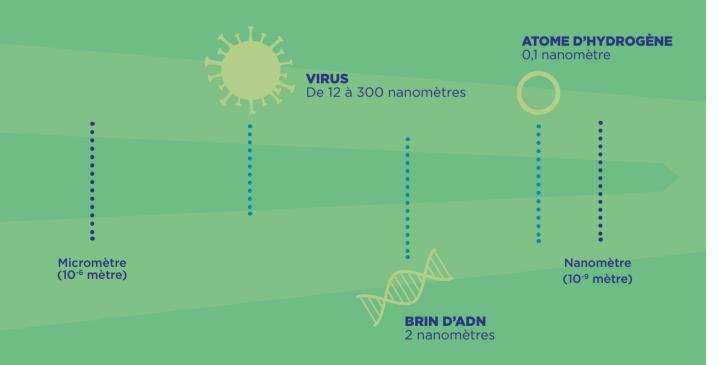
Centimètre

(10<sup>-2</sup> mètre)

500 000 fois plus petits que l'épaisseur d'un cheveu, les nanomédicaments soulèvent d'immenses espoirs pour la médecine de demain, dans le cancer tout particulièrement. Ils ont une efficacité supérieure et une toxicité moindre par rapport aux thérapies conventionnelles.

#### **DE QUOI PARLE-T-ON?**

Un nanomédicament est l'association d'un principe actif avec un nanovecteur de 10 à 100 fois plus petit qu'une cellule vivante, et dont le rôle est d'encapsuler et de véhiculer efficacement le principe vers sa cible sans endommager les cellules saines autour.



## 156 milliards de dollars

Poids du marché mondial des nanotechnologies de santé, en 2017. Un marché dominé par les Etats-Unis et qui connaît une croissance de 15 % par an en moyenne.<sup>1</sup>

1) Etude Orbis Resarch, 2018.

Source : vidéo Leem, 2014.



#### 10000

Nombre de publications scientifiques consacrées à CRISPR-Cas9.1

#### 3000

Nombre de laboratoires utilisant CRISP-Cas9 dans le monde.

1) PubMed, 2019.

Source : Leem, « Santé 2030 ».

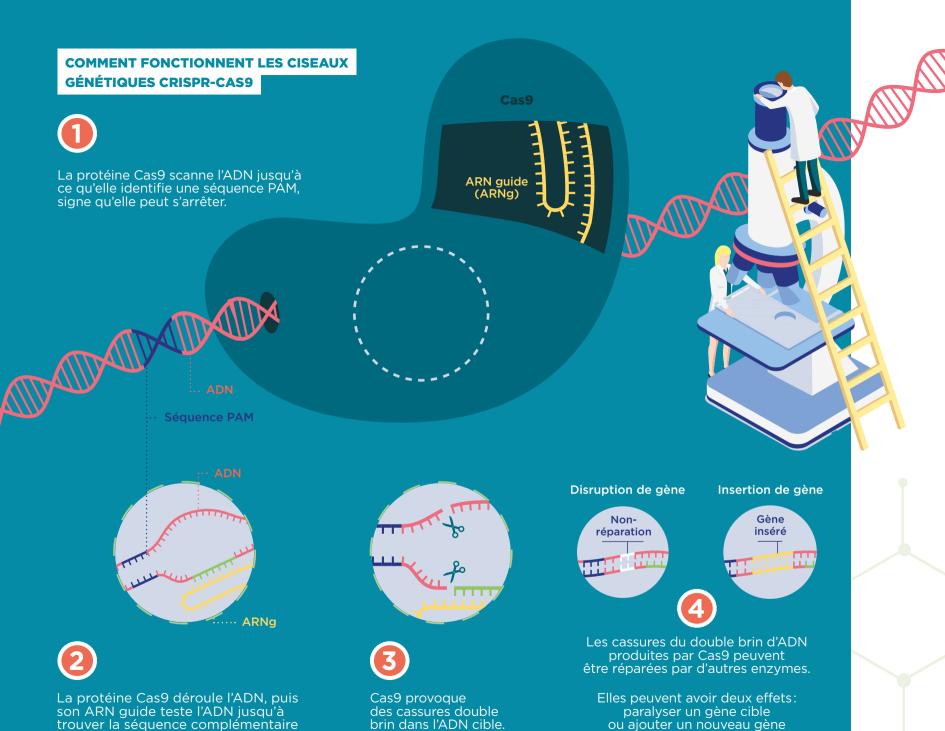
# CRISPR-Cas9, l'outil révolutionnaire pour modifier le génome?

Cette technique mise au point en 2015 étend les possibilités de la génétique à l'infini : mieux comprendre le rôle des gènes, corriger un ADN défectueux, mettre au point de nouveaux modèles animaux et élaborer de nouvelles stratégies thérapeutiques. Mais si les espoirs sont immenses, les conséquences éthiques, génétiques et environnementales qu'elle engendre sont encore à évaluer.

#### **DE QUOI PARLE-T-ON?**

**CRISPR-Cas9** est un outil qui permet de modifier simplement et rapidement le génome. Cette découverte technique a été désignée « découverte scientifique de l'année 2015 » par la prestigieuse revue *Science*.



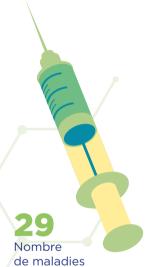


adéquate et s'y arrimer.

à l'endroit de la cassure.

# 2/3

Part des parents d'enfants nés entre 2017 et 2018 se déclarant favorables aux obligations vaccinales.¹



Nombre
de maladies
infectieuses
que la vaccination
est aujourd'hui
capable
de prévenir.

1) Santé publique France.

Source: Leem

## Vaccins: pourquoi sont-ils le fer de lance de la prévention?

Les vaccins ont sauvé des millions de vies à travers le monde, depuis les premières vaccinations contre la variole au XVIII<sup>e</sup> siècle. En se protégeant soi-même, on protège aussi la collectivité du développement de graves épidémies, et notamment les personnes les plus fragiles (femmes enceintes, nourrissons, personnes immunodéprimées ou âgées).



#### **UNE PROTECTION INDIVIDUELLE ET COLLECTIVE**

#### **JE FAIS VACCINER MON ENFANT**

#### JE LE PROTÈGE

vacciner je protège son organisme contre les risques d'infection.





#### JE PROTÈGE LES AUTRES

J'empêche les maladies de se propager et je protège les populations les plus fragiles.

#### **JE FAIS UN ACTE CITOYEN**

#### CAR AVEC UN TAUX DE VACCINATION INSUEFISANT

la maladie se propage dans une partie de la population. Seules les personnes vaccinées sont protégées mais pas les autres.



#### CAR SANS VACCINATION

la maladie se propage dans la population. Tout le monde risque d'attraper et de transmettre la maladie.





#### CAR AVEC UN TAUX DE VACCINATION SUFFISANT

Les personnes vaccinées protègen les personnes non vaccinées.

# Patients connectés: demain, tous médecins?

Web santé, applis connectées, « quantified self » (mesure des données relatives à son corps et à ses activités), téléconsultations... Les informations et données de santé déferlent de toutes parts. Mais si les patients sont de mieux en mieux informés et de plus en plus impliqués dans leur santé, rien ne peut remplacer l'expertise des professionnels.

#### POUR QUELLES RAISONS N'UTILISEZ-VOUS PAS LES APPLICATIONS SANTÉ?

**42%** 

Je les ai utilisées temporairement, elles ne me sont à présent plus utiles 26%

Je n'en ai pas trouvé qui conviennent à mes besoins

1/4 des Français ont déjà eu recours à des objets connectés en santé, principalement des hommes jeunes et urbains.

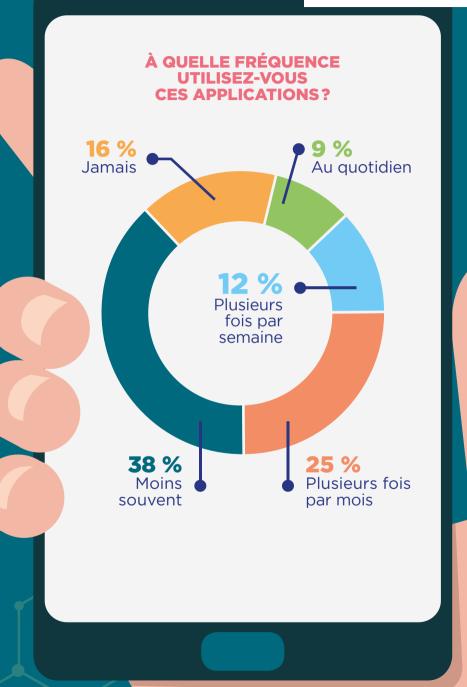
Parmi les personnes ayant téléchargé au moins une application santé, moins de 10 % les utilisent régulièrement, et 54 % très rarement ou jamais.

21%

J'ai téléchargé ces applications par curiosité, je ne comptais pas m'en servir 17%

J'ai des doutes sur la fiabilité des données mesurées

#### LES OBJETS CONNECTÉS, NOUVEAUX PARTENAIRES SANTÉ DES FRANÇAIS?



#### 500

millions

Nombre de personnes dans le monde qui utiliseraient aujourd'hui des applications santé sur leur téléphone mobile.<sup>1</sup>

60%

Part des Français consultant des informations santé en ligne, dont 80 % sur des sites spécialisés.

#### 100000

Nombre d'applications mobiles dans le champ de la santé.<sup>2</sup>

1) «Les applications de santé en questions », Le Monde, 7 mars 2015. 2) Conseil national de l'Ordre des médecins.

Source : sondage Ifop 2017 pour le ministère des Solidarités et de la Santé.

# La médecine intégrative est-elle la médecine du futur, notamment dans la lutte contre le cancer?

Face aux multiples stratégies déployées par les cellules cancéreuses pour contourner, résister et échapper aux traitements, chercheurs et médecins se tournent de plus en plus vers une approche intégrée, au plus proche de l'intelligence de la maladie et de l'environnement du patient. Un changement de prisme s'opère en matière de prise en charge du cancer pour écrire des équations intégrant de nouvelles inconnues et fabriquer des médicaments à la carte.

Part de la population atteinte de cancer traitée par ce qui est démontré chez 3 % des patients.

#### LE PATIENT AU CŒUR DE LA THÉRAPIE

Quelle que soit la stratégie thérapeutique choisie. et aussi fine et précise que puisse être l'analyse en amont de la tumeur et de son environnement. la rémission/quérison d'un cancer dépend aussi de la capacité du patient à faire face à l'annonce et à la cascade d'analyses et de traitements auxquels il va être soumis. à pouvoir compter sur son environnement proche et à être en mesure de réintégrer une vie sociale et professionnelle active après le cancer.

Source : Leem, « Santé 2030 ».



Rationalité scientifique



#### THÉRAPIE INTÉGRATIVE



Ancrage familial, dynamique sociale

Capacité de résilience, de mobilisation

# L'épigénétique va-t-elle bouleverser notre approche des maladies?

L'avènement de l'épigénétique a modifié la manière de penser les pathologies héritables en y incluant la dimension environnementale. Il est aujourd'hui admis que des anomalies épigénétiques contribuent au développement de maladies comme le cancer. Cette idée a ouvert de nouvelles voies de recherche et conduit au développement de médicaments, appelés « épidrogues », qui agissent sur les mécanismes épigénétiques pour éliminer les marquages anormaux.

#### **◆······ADN**

#### **MÉTHYLATION DE L'ADN**

Un groupe méthyle (un facteur épigénétique présent dans certains régimes alimentaires) peut marquer l'ADN et agir comme activateur ou répresseur de gène.

**Chromosome** 

Chromatine .....

Groupe méthyle (CH3)



Source: hinnovic.org

2,7 milliards de dollars

Poids du marché mondial des épidrogues anticancéreuses en 2016, qui enregistre une croissance de 25 % par an. Les acteurs sont maioritairement américains.

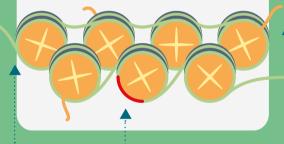
#### COMMENT LES MÉCANISMES ÉPIGÉNÉTIQUES AFFECTENT LA SANTÉ

#### **DE QUOI PARLE-T-ON?**

L'épigénétique est l'étude des changements héréditaires dans la fonction des gènes, ayant lieu sans altération de la séquence de l'ADN. Pour prendre une métaphore, la génétique renvoie à l'écriture des gènes, l'épigénétique à leur lecture.

#### **HISTONES**

Les histones sont des protéines autour desquelles l'ADN s'enroule et se compacte pour permettre la régulation des gènes.



**Histone** 

Queue d'histone --

ADN inaccessible Gène inactif

#### MÉCANISMES ÉPIGÉNÉTIQUES AFFECTÉS PAR CES FACTEURS ET PROCESSUS

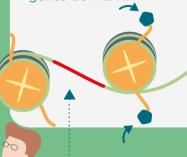
- Développement (in utero et enfance)
- Composés chimiques dans l'environnement
- Droques / médicaments
- Vieillissement
- Alimentation

#### **PATHOLOGIES**

- Cancers
- Maladies auto-immunes
- Troubles mentaux
- Diabètes

#### **MODIFICATION DES HISTONES**

La fixation des facteurs épigénétiques aux queues des histones modifie le degré avec lequel l'ADN est enroulé autour des histones et la disponibilité d'activation des gènes de l'ADN.





**ADN inaccessible Gène inactif** 

Facteurs épigénétiques

#### 6500

Nombre de tests déterminants pour l'accès à une thérapie ciblée effectués en 2016 à l'Institut Curie, structure pionnière en médecine de précision dans la lutte contre le cancer.

Nombre de thérapies ciblées actuellement disponibles en cancérologie.<sup>1</sup>

# Médecine de précision: en quoi accélère-t-elle le progrès thérapeutique?

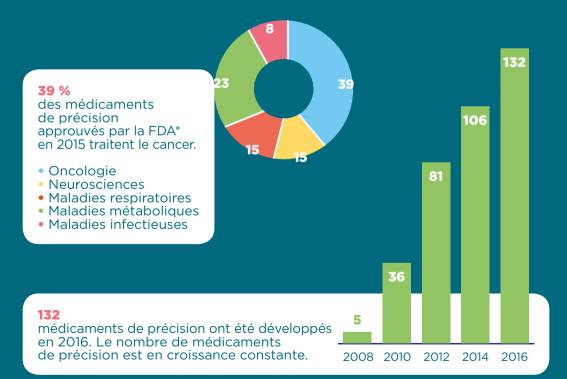
Au lieu de prescrire le même traitement à tous les patients atteints de la même pathologie, la médecine de précision (ou personnalisée) repose sur la prescription du traitement le plus adapté à chaque patient. Des biomarqueurs pharmacogénomiques permettent notamment de cibler le traitement optimal pour chacun. La médecine de précision est devenue incontournable en cancérologie.

#### MÉDECINE DE PRÉCISION ET INTELLIGENCE ARTIFICIELLE : DÉJÀ UNE RÉALITÉ



#### **1 PATIENT SUR 24**

Aujourd'hui, pour un patient aidé, les 10 médicaments les plus prescrits aux Etats-Unis échouent à améliorer la condition de 3 à 24 autres patients traités.



#### **1 MÉDICAMENT SUR 4**

approuvé par la FDA\* est un médicament de précision.



des molécules développées en oncologie sont des médicaments de précision.



#### **50** %

des mutations génétiques peuvent être ciblées par un médicament de précision.

\* Food and Drug Administration.

#### 10000 fois plus vite pour

10000

fois

moins cher

Gains apporté par la microfluidique pour tester des molécules.<sup>1</sup>

Avec

400 personnes

**50** laboratoires

**50** start-up

la France fait partie des nations leaders du domaine.<sup>1</sup>

1) Leem, « Santé 2030 ».

Source: Institut Pierre-Gilles de Gennes.

## Microfluidique: quel impact sur la prise en charge des patients?

Cette technique permettant d'analyser molécules et cellules beaucoup plus rapidement et à moindre coût ouvre de fantastiques débouchés. Généralisation des biopsies liquides, diagnostics ultraprécis et traitements très ciblés sont à la portée des start-up du secteur. La microfluidique augmente les perspectives d'une médecine personnalisée de plus en plus précise, notamment en cancérologie.





#### **UNE RÉVOLUTION GLOBALE**



#### SANTÉ

Diagnostic précoce et à bas coût, dépistage du cancer, périnatalité.



#### AGROALIMENTAIRE

Criblage, analyses chimiques.



#### **BIOTECHNOLOGIES**

Cellule unique, organes sur puce, pharmacie (libération contrôlée. criblage).



#### ÉNERGIE

Amélioration des procédés d'extraction plus verts, désalinisation de l'eau, biogaz.



Purification de l'eau, conversion du CO<sub>2</sub>, dépollution, décontamination, traitement de l'air.



#### COSMÉTIQUE

Crèmes, antitranspirants.

#### LE HEALTH DATA HUB, DISPOSITIF FRANÇAIS DE PARTAGE DES DONNÉES EN SANTÉ CRÉÉ EN 2019

#### 1000

#### dollars

Montant (approximatif) pour obtenir le séquençage du génome d'un individu, en une journée, grâce au séquençage à haut débit. Le premier séquençage complet du génome avait pris quinze ans et coûté près de 3 milliards de dollars.1

Données génétiques
Données génétiques
Données moléculaires
Données cliniques
Données en vie réelle,
etc.

Données génétiques
Données de santé

Données collectés
collectés
de santé

1) Institut Pasteur.

Source : Leem, « Santé 2030 ».



#### 1er SEMESTRE 2019

- Création du Hub
- Implémentation de la gouvernance
- Lancement des projets pilotes



#### 2° SEMESTRE 2019

- Première version du catalogue des données
- Première version de la plateforme technologique avec des utilisateurs « tests »
- Premiers résultats des projets pilotes

- Le Health Data Hub
  est un guichet d'accès
  unique à l'intégralité
  des données de santé
  soutenues par la solidarité
  nationale.
- Il collecte les données de santé et consolide le patrimoine des données de santé déjà disponibles.
- Il propose des outils pour créer des algorithmes d'analyse :
  - des outils en open source, (R. Milk. Python...),
  - des outils en accès privé,
  - des outils de R&D.
- Il permet d'apparier et d'analyser des données et met à disposition des jeux de données appariées et documentées.



#### 2020-2022

- Enrichissement progressif du catalogue des données
- Amélioration continue de la plateforme technologique
- Identification et déploiement des hubs locaux
- Sélection et accompagnement de projets prioritaires de façon récurrente

### Données de santé: quelle révolution nous attend?

La collecte, l'agrégation et l'anonymisation d'un très grand nombre de données de santé vont révolutionner le diagnostic médical et les traitements. Les essais cliniques gagneront en efficacité et les nouveaux traitements seront accessibles plus rapidement. L'accès de plus en plus large aux gisements de données de santé est par conséquent décisif.



**7** e

Position du SARS-CoV-2 dans la lignée des coronavirus ayant infecté l'humain.

4

Nombre de coronavirus occasionnant chaque année des infections bénignes. Deux ont déjà provoqué par le passé des formes sévères : le SARS-CoV-1 de 2003 et le MERS-CoV

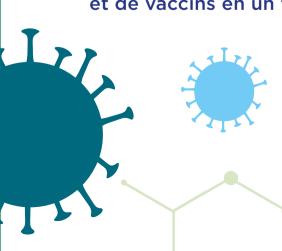
**321** 

de candidats vaccins contre le coronavirus à l'étude dans le monde en septembre 2020.1

1) Nature Drug Discovery, 4/09/2020.

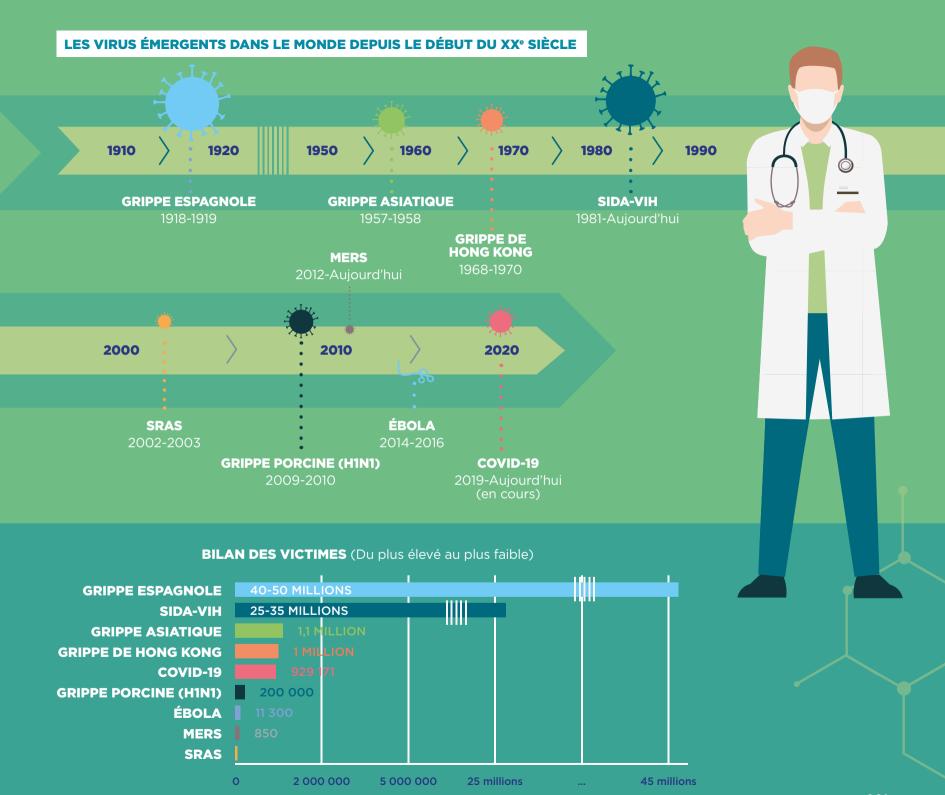
Source : Johns Hopkins University, septembre 2020. Que faire face à la menace des virus émergents?

Des épidémies dues à de nouveaux virus ont éclaté régulièrement depuis les années 1960, mais aucune n'a pris l'ampleur de la pandémie de SARS-CoV-2 des premiers mois de 2020. La plupart des pays atteints ont mis en place des mesures d'urgence de confinement et de dépistage avec, en parallèle, une mobilisation des acteurs de santé pour assurer la meilleure prise en charge possible des patients et la recherche de médicaments et de vaccins en un temps record.









## L'initiative pour les médicaments innovants (IMI): quels objectifs?

Lancé en 2008 sur impulsion européenne, IMI (Innovative Medecines Initiative) est le plus vaste partenariat public-privé au monde dans le domaine des sciences de la vie. Doté de 3,3 milliards d'euros, le deuxième volet, 2014-2020, vise à accélérer la mise à disposition de traitements dans des pathologies nécessitant des innovations de rupture : maladie d'Alzheimer, diabète, arthrose, pathologies liées au vieillissement, etc.

#### **NOMBRE DE PROJETS PAR PAYS**

179 • Angleterre 18 • Autriche 153 • Allemagne 15 • Finlande

132 • France

90 • Pays-Bas

78 • Espagne

78 • Italie

61 • Belgique

50 • Suisse

35 • Suède 25 • Danemark

14 • Portugal

13 • Irlande

9 • Grèce

8 • Hongrie

8 • Pologne 7 • Norvège

7 • République tchèque

5 • Luxembourg

IMI.

À PROJETS

UN ACCÉLÉRATEUR

4 • Islande

4 • Slovénie

3 • Serbie

2 • Croatie

1 • Chypre 1 • Estonie

1 · Kosovo

1 • Lettonie



#### 5,3 milliards d'euros Budget

Budget du consortium IMI à ce jour.

148
Nombre
de projets
développés.

**3688**Nombre de participants impliqués.

**3800**Nombre de publications.

Source : EFPIA

100 QUESTIONS

093

Nombre de membres siégeant au Codeem depuis octobre 2017 (contre 11 auparavant), parmi lesquels des experts en éthique et déontologie, des représentants des parties prenantes, des représentants des industriels et des magistrats.

#### ÉTHIQUE ET TRANSPARENCE : LE PARI DE L'AUTORÉGULATION

Le Codeem, un dispositif central dans les relations des industriels avec la société

- Il élabore les dispositions déontologiques professionnelles (DDP), qui réunissent l'ensemble des engagements déontologiques applicables à la profession, et veille à ce qu'elles soient respectées.
- Il émet des recommandations en matière de pratiques responsables et adaptées à l'environnement de la santé.
- Il mène un travail de sensibilisation auprès des entreprises du médicament qui peuvent le saisir pour avis.
- Il assure un rôle de médiation lors de litiges et de sanctions en cas de non-respect des règles déontologiques.

des entreprises du médicament disposent d'une charte éthique ou d'un code de déontologie





81 %
de l'effectif est formé
à l'éthique
et à la compliance

# Comment les entreprises du médicament gèrent-elles les questions éthiques et déontologiques?

En plus du cadre législatif existant (charte de la visite médicale, loi « anti-cadeaux », codes de bonnes pratiques internationaux, encadrement de la publicité des produits pharmaceutiques...), les entreprises du médicament ont mis en place des outils d'autorégulation de leurs pratiques éthiques et déontologiques.

En 2001, elles ont créé un organe indépendant de veille sur ces questions : le Codeem. Ce dernier a élargi sa saisine aux lanceurs d'alerte en 2017.

Source: Codeem.

#### SOMMAIRE



## Le Médicament et son apport aux patients

- **098** Santé : comment vont les Français?
- 100 Quelles-sont les grandes étapes du progrès thérapeutique?
- 102 Quels sont les vecteurs d'innovation « à la manœuvre »?
- 104 Comment le suivi des essais cliniques permet-il d'anticiper le progrès thérapeutique?
- 106 Les patients diabétiques profiteront-ils de nouveaux progrès?
- 108 La dépression : un fléau mondial?
- 110 Autisme: vers les premiers traitements?
- Pourquoi n'y a-t-il toujours pas de médicament contre la maladie d'Alzheimer?
- 114 De nouvelles approches pour mieux lutter contre la maladie de Parkinson?
- 116 Cancers: vers une connaissance de plus en plus fine?
- 118 Leucémies: les nouveaux traitements ont-ils bouleversé la donne?
- Les cancers de l'enfant sont-ils mieux pris en charge?
- 122 Où en est la prise en charge du phénomène croissant des allergies?
- **124** Quelles innovations pour soigner les maladies de peau?
- 126 Maladies cardiovasculaires, quels progrès espérer?
- 128 Quelles avancées dans le champ des maladies de la vision?
- 130 Quelles avancées contre la sclérose en plaques?
- 132 Quels progrès dans la prise en charge de la polyarthrite rhumatoïde?
- 134 VIH-sida: bientôt vaincu?
- 136 Les maladies infectieuses vont-elles proliférer?
- 138 Maladies rares, patients oubliés?
- Les maladies du foie vont-elles se multiplier?
- 142 Maladies mentales : quels progrès?
- Que font les entreprises du médicament contre la tuberculose, le VIH et le paludisme?

### Santé: comment vont les Français?

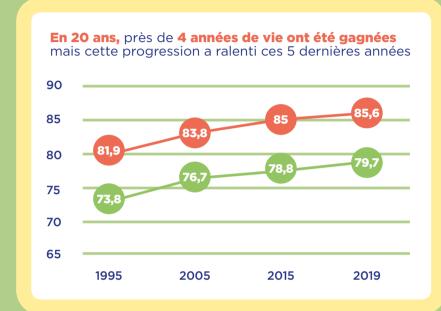
L'espérance de vie à la naissance continue d'augmenter en France mais l'espérance de vie en bonne santé, sans maladie, amorce un déclin depuis quelques années. En cause : les pathologies chroniques liées au vieillissement. Aujourd'hui, la santé est la source de préoccupation numéro 1 des Français.

#### 81 %

Part des Français se disant préoccupés par leur santé ou celle de leurs proches. Devant la question des ressources (68 %), de l'emploi (66 %), du logement (55 %) ou de la retraite (53 %).<sup>1</sup>

1) Enquête BVA 2015, « Les Français et leurs préoccupations de la vie quotidienne ».

#### ESPÉRANCE DE VIE ET MORTALITÉ, OÙ EN EST-ON?



L'écart d'espérance de vie à 35 ans entre cadres et ouvriers est de plus de 6 ans chez les hommes et de 3,2 ans chez les femmes (2009-2013)



Source: Insee 2020.

#### CANCERS ET MALADIES CARDIOVASCULAIRES: PREMIÈRES CAUSES DE DÉCÈS EN FRANCE (2013)

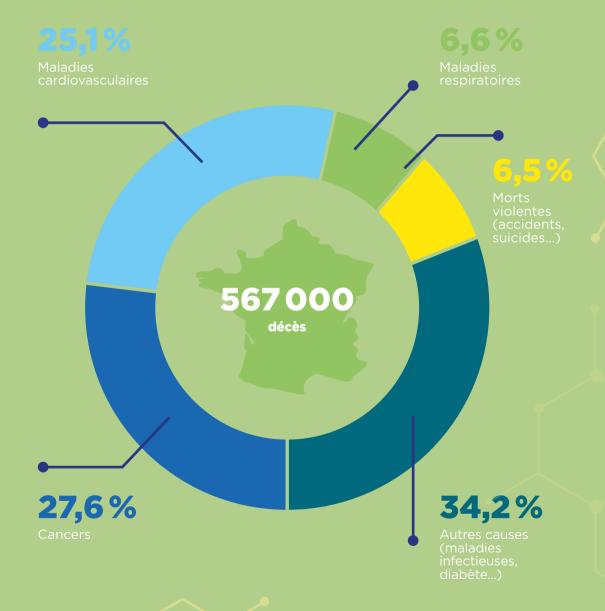
40 %
Part des Français estimant que l'état de santé de la population dans son ensemble s'est dégradé au cours des dernières années.

92 %

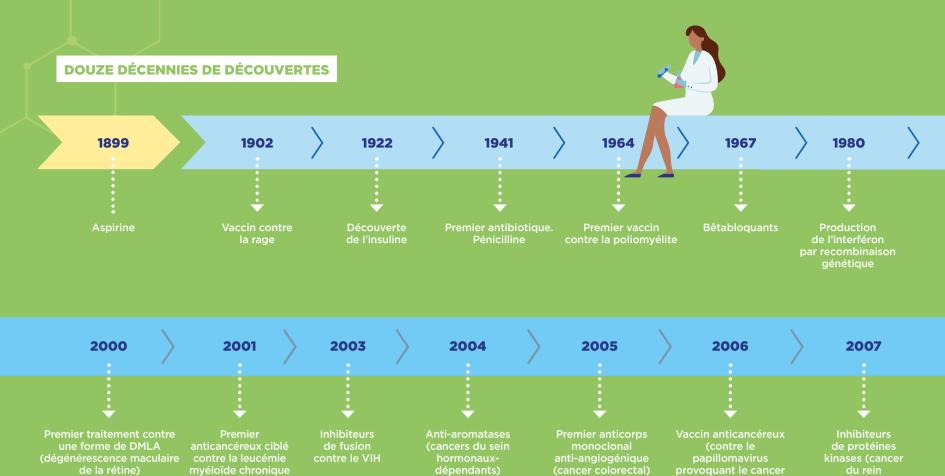
Part des Français faisant confiance aux professionnels de santé pour prendre soin d'eux. Ils sont 85 % à faire confiance aux médicaments.

**75** %

Part des Français se disant très inquiets concernant l'avenir de notre système de santé.



Source : Leem, « Santé 2030 ».

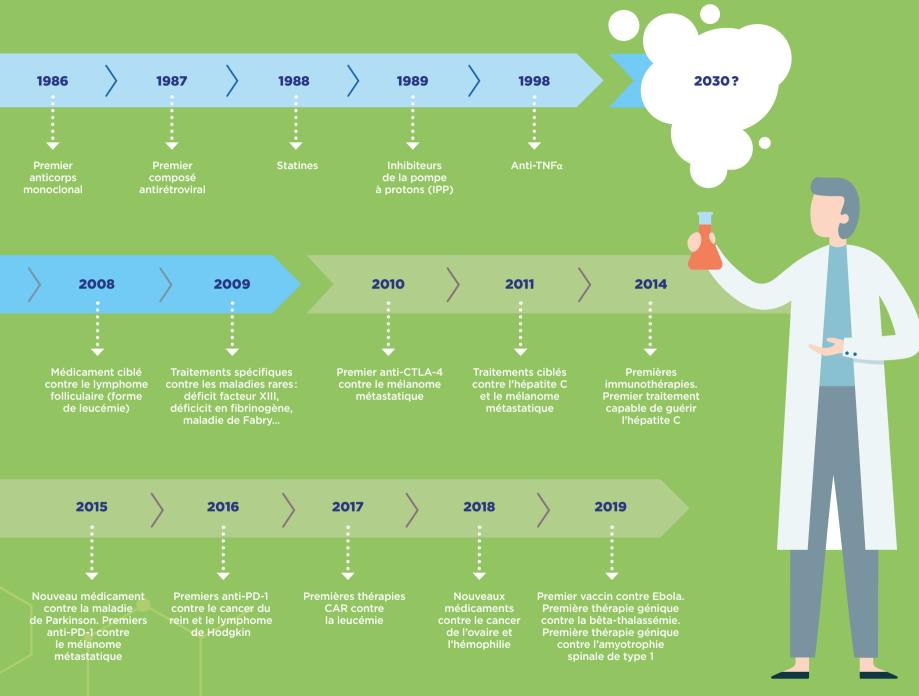


## Quelles-sont les grandes étapes du progrès thérapeutique?



du col de l'utérus)

Grâce à l'effort conjugué des chercheurs, des cliniciens et des entreprises du médicament, de nombreux médicaments, d'une efficacité toujours croissante, ont été découverts au cours du dernier siècle, et notamment depuis la fin de la Seconde Guerre mondiale.



Source : Leem

# Quels sont les vecteurs d'innovation « à la manœuvre »?

Durant les années 1990-2000, des progrès importants ont été réalisés dans la connaissance du génome et dans la mise au point de médicaments innovants grâce aux biotechnologies. Les médicaments issus du vivant (immunothérapies, CAR-T cells, thérapies géniques...) et de l'utilisation de nouveaux vecteurs d'innovation (CRISPR-Cas9, intelligence artificielle, nanotechnologies...) bouleversent la donne dans les années 2010-2020 et ouvrent la voie à toujours plus de progrès thérapeutique à l'horizon 2030.

Nombre de leviers identifiés pour le progrès thérapeutique d'ici 2030, dont 8 ont réellement émergé depuis 2013.

Source: Leem, « Santé 2030 ».

#### LA RÉVOLUTION TECHNOLOGIQUE ET THÉRAPEUTIQUE



1980

#### SCIENCES DU VIVANT, BIOLOGIE DESCRIPTIVE

 Barrières explicatives à la suite de l'essor de la biologie moléculaire
 Cloisonnement

#### **TECHNOLOGIES**

- Essais, erreurs
- Extrapolations (approches séparées, virologie, microbiologie)

#### **INNOVATIONS ALÉATOIRES**

 Chimie combinatoire, process de drug dicovery, innovations liées
 à une école de pensée



#### 2000

#### SCIENCES DU VIVANT, ÉMERGENCE DE LA BIOLOGIE DES SYSTÈMES

• Barrières de la complexité et du traitement des masses de données

2030

#### BIOLOGIE DES SYSTÈMES ET APPROCHE INTÉGRATIVE

· Barrières éthiques

#### **TECHNOLOGIES**

- Techniques expérimentales et de traitement de l'information biologique
  - Bio-informatique et simulations numériques
    - Imagerie cellulaire
  - Génétique à grande echelle (génotypage, puce à ADN...)
  - Ciblage moléculaire «omique» (génomique, protéomique, transcriptomique...)

#### **INNOVATIONS BIOLOGIQUES**

Emergence du génie génétique
 Biomédicaments:
 protéines recombinantes,
 anticorps monoclonaux...

#### **TECHNOLOGIES**

- CRISPR-Cas9
- Epigénétique
- Microbiote
- Microfuidique
- Intelligence articicielle/data
- Nanotechnologies
- Thérapie cellulaireThérapie génique
- Vaccins
- Immunologie

#### **INNOVATIONS DE RUPTURE**

- Nanomédicaments, pilules intelligentes
- Médecine régénérative
- Reprogramation
- Epigrogues
- Immunothérapies
- ARN interférents
- Combinaisons
- de thérapies

Multidisciplinarité: association physique-chimie -biologie-informatique-mathématiques

Intégration et transdisciplinarité

#### De 2 à 3 ans

Durée d'anticipation idéale pour analyser les innovations avant leur arrivée sur le marché.



Source : Leem, « Santé 2030 ».

#### DES BASES D'ESSAIS CLINIQUES POUR ANTICIPER LES INNOVATIONS THÉRAPEUTIQUES

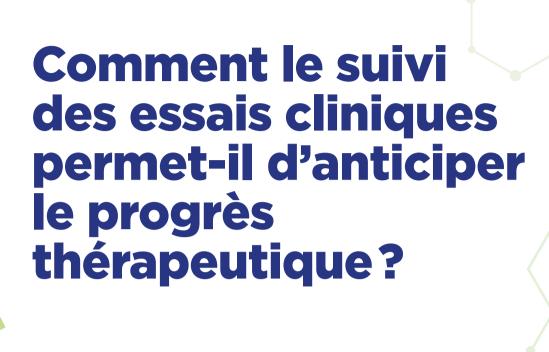
AIRE THÉRAPEUTHIQUE	ESSAIS CLINIQUES - PHASES I, II ET III	
	Base Innovation du Leem, novembre 2019	Base Evaluate, juillet 2017
CANCER	5 097	4 006
MALADIES CARDIOVASCULAIRES	1 017	445
DIABÈTE	513	264
VIH / SIDA	98	82
MALADIE DE PARKINSON	129	65
MALADIE D'ALZHEIMER	171	143
MALADIES DE LA VISION	525	<b>288</b> selon les chiffres PharmaProject de septembre 2018
SCLÉROSE EN PLAQUES	non recensée	32
MALADIES DU FOIE	non recensée	132
MALADIES RARES	non recensée	1 362 selon les chiffres de Cartellis Database de mai 2018

#### MÉTHODOLOGIE DE CALCUL

La base Innovation du Leem recense les essais interventionnels de phases I, II et III concernant des médicaments biologiques auxquels participe au moins un sponsor industriel. Les essais pris en compte ont démarré après janvier 2013. Sont exclus de la base les essais ayant lieu uniquement en Asie et en Afrique.

#### MÉTHODOLOGIE DE CALCUL

La base Evaluate recense tous les essais cliniques interventionnels de phases I, II et III concernant des médicaments chimiques et biologiques issus de la recherche académique, associative ou industrielle du monde entier.



L'anticipation des innovations devient indispensable pour préparer les nouvelles logiques d'évaluation des médicaments, estimer les impacts organisationnels et budgétaires sur les systèmes de santé et mesurer la portée des nouveaux outils. Les systèmes de détection précoce, comme la base Innovation du Leem, s'appuient sur les bases d'essais cliniques existantes pour collecter et compiler les informations disponibles, principalement sur les phases II et III.

#### 65 ans

Age moyen du diagnostic, mais la maladie touche aussi de plus en plus de jeunes, y compris des adolescents, voire des enfants.

### 438 millions

Nombre de diabétiques dans le monde d'ici 2030.<sup>1</sup>

## 8,1 milliards d'euros

Coûts liés au diabète en France en 2018. Ils sont en forte augmentation et représentent 5 % des dépenses de l'Assurance maladie.<sup>2</sup>

41%

Part des patients atteints d'un diabète de type 2 suivant correctement leur traitement.<sup>3</sup>

1) Organisation mondiale de la santé. 2) www.ameli.fr 3) Etude de l'Agence régionale de santé et IMS Health.

# Les patients diabétiques profiteront-ils de nouveaux progrès?

Pancréas artificiel, stylos à insuline intelligents, nouvelles classes de médicaments... L'industrie pharmaceutique travaille activement à la mise au point de nouveaux traitements ou de dispositifs médicaux innovants pour améliorer la qualité de vie des patients diabétiques. Mais l'augmentation du nombre de personnes concernées dans le monde reste très préoccupante. Le diabète de type 2 représente 90 % des cas de diabète. Il concerne près de 3,7 millions de personnes en France, mais entre 20 et 30 % des adultes diabétiques ne sont pas diagnostiqués.

AVC
Neurodégénérescence

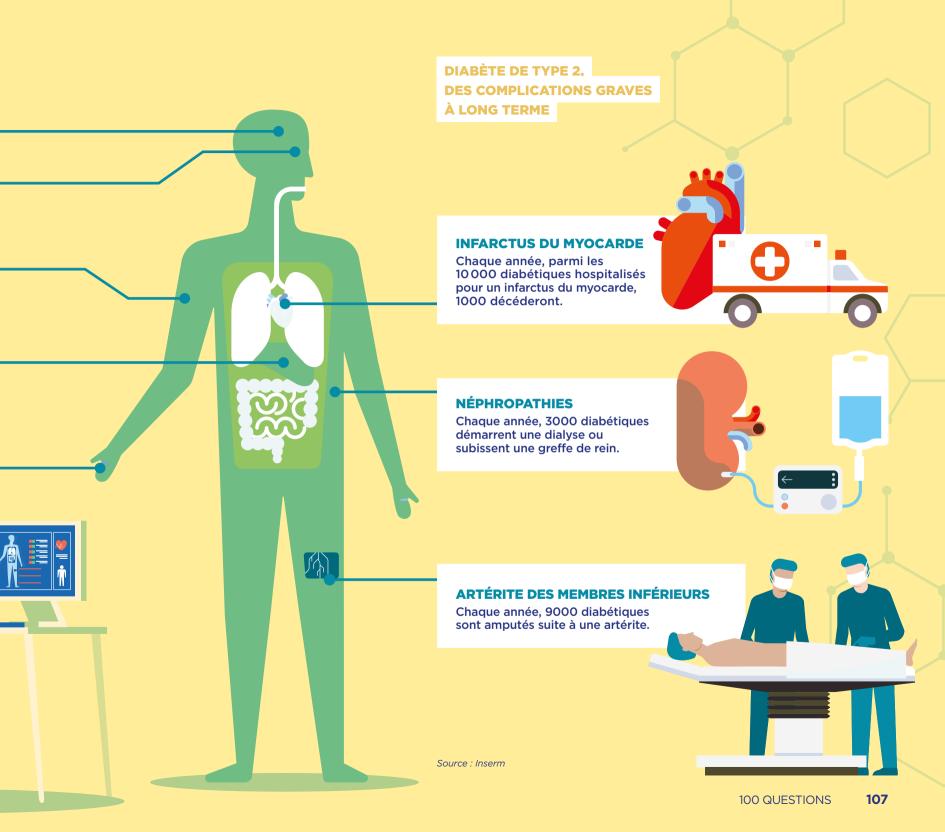
Rétinopathies

Cicatrisation

Maladies
hépatiques

Neuropathies périphériques





# La dépression : un fléau mondial?

La dépression concerne 300 millions de personnes de tout âge à travers le monde. Ce trouble mental courant est particulièrement handicapant et peut conduire au suicide. La maladie peut être soignée grâce aux médicaments et à la psychothérapie, mais entre 15 et 30 % des dépressions seraient résistantes aux traitements. Les chercheurs explorent de nouvelles pistes pour mieux les prendre en charge.

1/5

Part des Français ayant souffert ou qui souffriront d'une dépression au cours de leur vie. Premiers concernés : les femmes de 35 à 44 ans, les personnes de moins de 45 ans, les chômeurs et autres inactifs, les personnes veuves ou divorcées et celles déclarant des revenus faibles.<sup>1</sup> Entre **35** et **40**%

Part des rémissions n'étant pas obtenues avec un premier traitement.<sup>2</sup>

Environ 40

Nombre de molécules en cours de développement pour traiter cette affection.



### LES SYMPTÔMES DE LA DÉPRESSION

Pour que le diagnostic de dépression soit posé, le patient doit présenter au moins cinq de ces symptômes, presque tous les jours depuis au moins deux semaines, dont obligatoirement l'un des deux premiers.



### **TRISTESSE**

quasi-permanente, avec parfois des pleurs (humeur dépressive)



### PERTE D'INTÉRÊT ET DE PLAISIR

pour les activités quotidiennes, même celles habituellement plaisantes



### **RALENTISSEMENT**

quasi-permanente, avec parfois des pleurs (humeur dépressive)



### IDÉES DE MORT OU DE SUICIDE

récurrentes, sentiment que la vie ne vaut pas a peine d'être vécue



### SENTIMENT DE DÉVALORISATION

et de culpabilité excessif ou inapproprié



### **FATIGUE**

souvent dès le matin (asthénie)



### DIFFICULTÉS D'ATTENTION,

de concentration et de mémorisation



### TROUBLES DU SOMMEIL

avec, en particulier, des insomnies matinales



### PERTE D'APPÉTIT

souvent associée à une perte de poids

Source: Sciences et Avenir, 2019.

### Autisme: vers les premiers traitements?

Le trouble du spectre de l'autisme (TSA) regroupe un ensemble de troubles neurologiques caractérisés par des dysfonctionnements dans les interactions sociales, la communication, les comportements et les activités. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement capable d'améliorer très significativement la qualité de vie des personnes souffrant d'autisme. Mais les projets de recherche se multiplient et de nombreuses pistes sont explorées.







### L'AUTISME EN CHIFFRES

### **37% DES** FRANÇAIS pensent, à tort, que l'autisme est un trouble psychologique<sup>2</sup>



### autistes sont scolarisés en maternelle, 2 jours ou moins<sup>3</sup>

1/3 DES ENFANTS

### **1 ENFANT SUR 100**

présente un TSA (trouble du spectre de l'autisme)



### **4 FOIS PLUS**

de garçons que de filles sont diagnostiqués autistes

13%





### **3 FOIS PLUS**

d'hospitalisations longues (+ 292 jours) en psychiatrie pour les personnes atteintes d'un TSA que pour les autres patients 4

### 2003

Identification du premier gène impliqué dans les troubles autistiques par l'équipe de Thomas Bourgeron, professeur en génétique humaine à l'Université Paris-Diderot.

### **Environ**

Nombre de gènes impliqués dans les troubles autistiques identifiés par plusieurs équipes à travers le monde.

- 1) Institut Pasteur
- 2) OpinionWay, 2002. 3) MEN — DEPP
- 4) ATIH, données 2015.

Source: Secrétariat l'Etat chargé des personnes handicapées.

## Pourquoi n'y a-t-il toujours pas de médicament contre la maladie d'Alzheimer?

La maladie d'Alzheimer est la conséquence d'une lente dégénérescence des neurones. On estime que 900 000 personnes en sont atteintes en France. A ce jour, il n'existe aucun traitement susceptible de guérir cette pathologie. Les mécanismes en cause ne sont toujours pas totalement élucidés et apparaissent particulièrement complexes. D'où la difficulté à trouver des molécules efficaces pour combattre la maladie.

225000

Nombre de nouveaux cas diagnostiqués tous les ans en France (une personne toutes les 3 minutes).<sup>1</sup>

Nombre
de médicaments
actuellement
sur le marché.
Ils ne sont plus
remboursés par
la Sécurité
sociale depuis
juin 2018
car leur
efficacité
a été jugée trop
faible au regard
des effets
secondaires.

**82** 

Nombre d'essais cliniques en cours à promotion industrielle.<sup>2</sup>

Fondation
 Médéric Alzheimer.
 Base Innovation
 du Leem, mars 2019.

Source : illustrations adaptées de fondationalzheimer.org

### UNE LENTE DÉGÉNÉRESCENCE DU CERVEAU

Au cours de la maladie d'Alzheimer, des lésions caractéristiques envahissent progressivement plusieurs régions du cerveau.



Lobe occipital Lobe pariétal Lobe temporal Lobe frontal

Le cortex se recroqueville et endommage les régions associées à la pensée, à la planification et à la mémoire.



Le rétrécissement est particulièrement marqué dans l'hippocampe, une région du cortex qui joue un rôle essentiel dans la formation de nouveaux souvenirs.



des espaces remplis de fluide à l'intérieur du cerveau, grossissent.

### LES 10 SIGNES ET SYMPTÔMES DE LA MALADIE D'ALZHEIMER



- 2 Difficultés à réaliser des gestes et des actes de la vie courante
- **3** Troubles du langage
- 4 Troubles des fonctions exécutives
- 5 Jugement amoindri

- 6 Difficultés à reconnaître les objets ou les personnes
- 7 Troubles de l'orientation dans le temps et l'espace
- 8 Modifications comportementales
- 9 Changements d'humeur et de personnalité
- 10 Difficultés face aux notions abstraites



### 1%

Part des plus de 65 ans concernés par la maladie. L'âge moyen des malades lors du premier diagnostic est de 59 ans.

### 1/3

Part des personnes malades affirmant avoir déjà interrompu leur traitement. Dans 45 % des cas, cette rupture était liée aux effets secondaires.¹

### 47

Nombre de molécules développées par les entreprises du médicament pour traiter cette maladie.

1) Association France Parkinson, 2015.

## De nouvelles approches pour mieux lutter contre la maladie de Parkinson?

La maladie de Parkinson est la deuxième maladie neurodégénérative la plus fréquente en France, après la maladie d'Alzheimer. Elle est caractérisée par une dégénérescence progressive des cellules nerveuses de certaines régions du cerveau. A l'heure actuelle, les seuls traitements disponibles prennent en charge les symptômes de la maladie, mais les progrès réalisés en neurosciences ouvrent de nouvelles pistes de recherche. Tant pour ralentir son évolution que pour tenter de la guérir.

### 1

### LES NEURONES À DOPAMINE...

Le cerveau comporte 800 000 neurones à dopamine qui sont situés dans la substance noire (partie supérieure du tronc cérébral).





### **UNE DÉGÉNÉRESCENCE DES NEURONES PRODUISANT LA DOPAMINE**

d'œil

de la parole

Problèmes

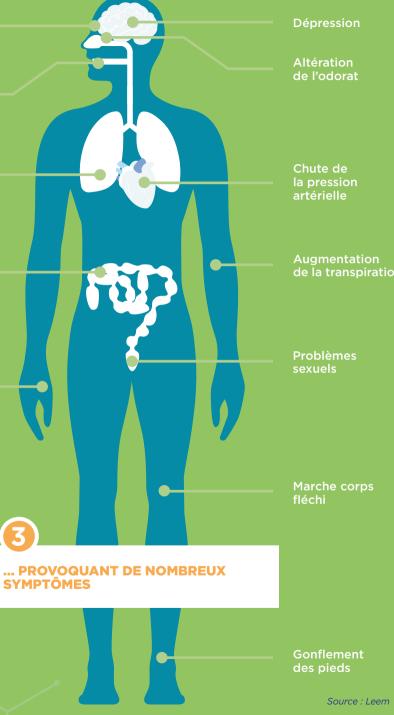
hypertonie musculaire,

de la transpiration

### ... VICTIMES DE DÉGÉNÉRESCENCE

Leur dégénérescence se traduit par un déficit de dopamine, molécule servant de messager entre deux neurones.

C'est lorsque la production de dopamine chute de 50 à 70 % qu'apparaissent les premiers symptômes.



### Cancers: vers une connaissance de plus en plus fine?

Aujourd'hui, nombre de cancers sont guéris et la mortalité continue de baisser: - 2 % par an chez les hommes et - 0,7 % chez les femmes entre 2010 et 2018. Ces bons résultats s'expliquent en partie par des diagnostics plus précoces et une meilleure prévention. Surtout, la recherche, particulièrement active dans ce domaine, a conduit à une connaissance plus pointue des tumeurs et à l'essor de traitements « sur mesure » plus efficaces. Les thérapies ciblées et l'immunothérapie sont en effet appelées à devenir les piliers de la prise en charge du cancer.

41%

Part des cancers pouvant être évités en modifiant nos habitudes de vie.<sup>1</sup>

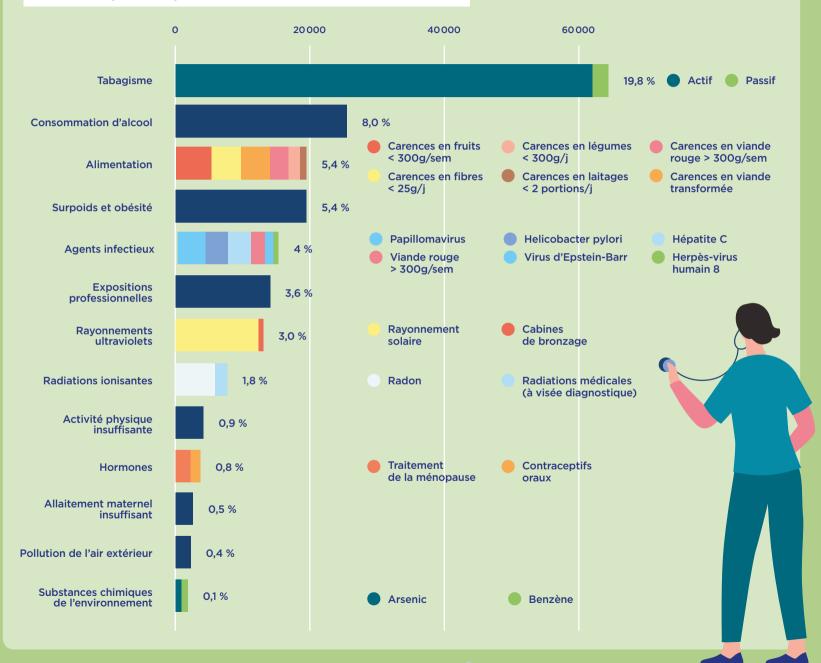
3463

Nombre d'essais cliniques à promotion industrielle en cours de développement.

1) Bulletin épidémiologique hebdomadaire n° 21, juin 2018.

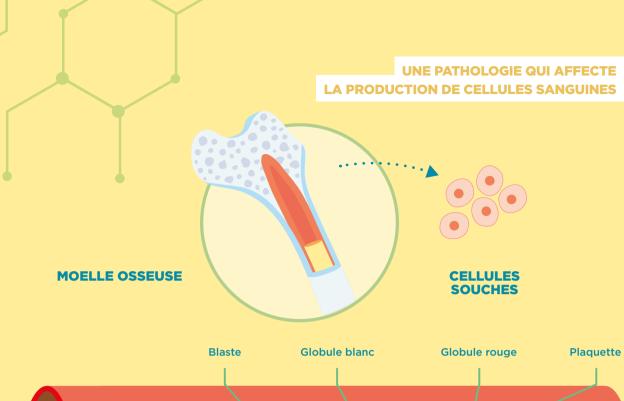
Source: Fondation Arc et International Agency for Research on Cancer.

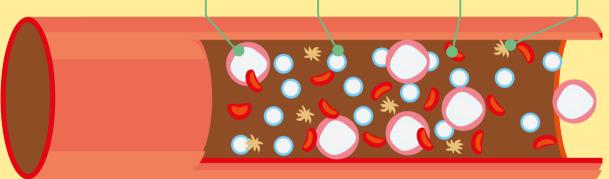
### NOMBRE DE NOUVEAUX CAS DE CANCER ATTRIBUABLES AU MODE DE VIE ET À L'ENVIRONNEMENT EN FRANCE, EN 2018, PARMI LES ADULTES DE 30 ANS ET PLUS



### Leucémies: les nouveaux traitements ont-ils bouleversé la donne?







### **VAISSEAU SANGUIN**

1

### Les cellules souches,

contenues dans la moelle osseuse, produisent les cellules sanguines qui sont à l'origine des globules blancs, des globules rouges et des plaquettes 2

### En cas de leucémie.

des cellules immaturés prolifèrent dans le sang (blastes, précurseurs des lymphocytes B ou T, dans 9 cas sur 10) 3

### La présence des blastes

empêche le développement des globules rouges qui transportent l'oxygène et des plaquettes qui aident le sang à coaguler



Nombre de personnes atteintes de leucémie chaque année.<sup>1</sup>



1) Santé publique France. Source : INCa

1/440

Proportion d'enfants atteints d'un cancer avant l'âge de 15 ans.

### Plus de

**60** 

Nombre de types de cancers pédiatriques.

## Les cancers de l'enfant sont-ils mieux pris en charge?

Grâce aux progrès de la recherche, 80 % des enfants atteints de cancers dans les pays développés sont guéris, contre 20 % il y a quinze ans. Cependant, nombre d'entre eux souffrent de séquelles. Le 8 mars 2019, une loi a été promulguée pour renforcer la prise en charge des cancers pédiatriques. Elle prévoit notamment la possibilité de solliciter des patients mineurs pour des essais cliniques.

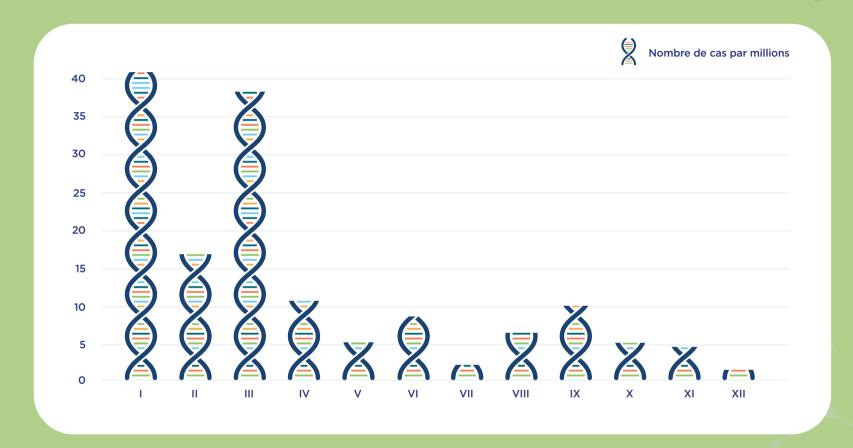
### 12

Nombre de mesures pouvant être mises en œuvre rapidement pour soutenir et faire progresser l'oncologie pédiatrique selon le collectif IMPACT réuni par le Leem en 2019. Elles portent notamment sur l'accès à l'innovation, la qualité et la sécurité des soins, mais aussi l'accompagnement global des enfants et de leur famille pendant et après la maladie.



Source: INCa

### INCIDENCE DES CANCERS PÉDIATRIQUES SUR LA PÉRIODE 2007-2011 SELON LA LOCALISATION CANCÉREUSE



I: Leucémies, syndromes myéloprolifératifs et myélodysplasiques

III: Lymphomes et néoplasmes réticulo-endothéliaux

III: Tumeurs du système nerveux et diverses

tumeurs intracrâniennes et spinales

IV: Tumeurs du système nerveux sympathique

V: Rétinoblastomes

VI: Tumeurs rénales

VIII: Tumeurs hépatiques

VIII: Tumeurs malignes osseuses

IX: Sarcomes des tissus mous et extra-osseux

X: Tumeurs germinales, trophoblastiques et gonadiques

XI: Mélanomes malins et autres tumeurs malignes épithéliales

XII: Autres tumeurs malignes

### Où en est la prise en charge du phénomène croissant des allergies?

La proportion d'allergiques en France ne fait qu'augmenter depuis les années 1970. Il existe des traitements efficaces, qui se heurtent cependant aux formes les plus sévères, dont les polyallergies et l'asthme. Pour ces cas les plus graves, les stratégies thérapeutiques ciblées apportent de nouveaux espoirs. 24 %

Part des Français souffrant d'une rhinite allergique.<sup>1</sup>

**30** %

Part des rhinites non traitées évoluant vers un asthme, or ce dernier est directement associé à plus de 60 000 hospitalisations et près de 900 décès par an.<sup>2</sup>



Haute Autorité de santé.
 Santé publique France.

Source: Chreapharma.

### LES RÉACTIONS DE L'ORGANISME AU CONTACT D'UNE SUBSTANCE ÉTRANGÈRE (ALLERGÈNE)

### **FORMES D'ALLERGIES**



L'asthme



Le rhume des foins (rhinite allergique)



La dermatite atopique, l'eczéma



L'allergie aux médicaments



La conjonctivite



L'urticaire



Les allergies alimentaires

### **CAUSES**



Pollens



Moisissures



Acariens ou poils d'animaux



Latex & produits chimiques



**Certains aliments** 



Médicaments



Piqûres d'insectes

### 16 millions

Nombre de Français concernés par des maladies de peau. 80 % d'entre eux souffrent de deux maladies.<sup>1</sup>

**79** 

Nombre de laboratoires impliqués dans la recherche sur les pathologies dermatologiques en France.

 Société française de dermatologie.
 PhRMA.

Source: www.francetvinfo.fr

### LES 12 AFFECTIONS CUTANÉES LES PLUS COURANTES EN FRANCE

1

### L'ACNÉ

33,3 milions de Français



2

### L'ECZÉMA

ou dermatite atopique, 2,5 millions de Français



4

### LES MALADIES DU CUIR CHEVELU

hors pelade, 2,3 millions de Français





### **LES MYCOSES**

2,2 millions de Français





### LES TACHES BRUNES

1,8 million de Français





### **LES VERRUES**

1,7 million de Français





### L'HERPÈS

1,22 million de Français





### LES ALLERGIES SOLAIRES

1,19 million de Français

















### LES "GRAINS DE BEAUTÉ"

jugés suspects par les patients, 1,1 million de Français



# Quelles innovations pour soigner les maladies de peau?

Très fréquentes, les affections dermatologiques, au premier rang desquelles l'acné, le psoriasis et l'eczéma, concernent un tiers des Français. Plus graves mais heureusement moins fréquents, les mélanomes touchent entre 5 000 et 6 000 nouveaux patients chaque année. De nouveaux traitements fondés sur l'immunothérapie et des thérapies ciblées sont en constante progression.

### Près de 500

Nombre de nouveaux traitements en cours de développement en dermatologie en 2018.<sup>2</sup>

### 400

Nombre de personnes qui décèdent d'une maladie cardiovasculaire chaque jour en France.<sup>1</sup>

### 234

Nombre d'essais cliniques à promotion industrielle en cours dans le domaine des maladies cardiovasculaires en 2018.<sup>2</sup>

## Maladies cardiovasculaires, quels progrès espérer?

Les maladies cardiovasculaires demeurent la première cause de mortalité chez les femmes et les plus de 65 ans. Et le vieillissement de la population fait craindre une explosion de leur nombre au cours des prochaines décennies. La promotion d'un mode de vie sain ne suffit pas. Pour les endiguer, la détection rapide des patients à haut risque cardiovasculaire est primordiale. Dans ce domaine, l'intelligence artificielle, couplée à l'imagerie, ouvre la voie à de nombreux progrès. Sur le plan curatif, les espoirs reposent sur la thérapie cellulaire pour régénérer le cœur.

 Fédération française de cardiologie.
 Base Innovation, Leem. 2018.

Source : adaptation du schéma de la CNAMTS. 2010

### LES DIFFÉRENTES MALADIES CARDIOVASCULAIRES SELON LEUR LOCALISATION

Accident vasculaire cérébral (AVC)

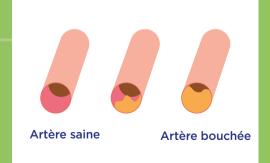
Angine de poitrine (Angor) Infarctus du myocarde

Artérite

Artérite des membres inférieurs



Les maladies cardiovasculaires désignent l'ensemble des Elles sont causées, pour une large part, par des dépôts de cholestérol sur les parois des artères. Ces dépôts finissent par gêner, voire empêcher la circulation du sang qui alimente le cœur, le cerveau ou les jambes, provoquant angines de poitrine, infarctus, accidents vasculaires cérébraux (AVC), artérite, etc. Hormis l'hérédité, le sexe et l'âge, les maladies cardiovasculaires ont toutes en commun un certain nombre de facteurs de risque la mauvaise alimentation.



### 1,5 million

Nombre de personnes en France souffrant d'une déficience visuelle en 2017, dont 235 000 sont aveugles et 1,2 million malvoyants.

### 163

Nombre d'essais à promotion industrielle en cours dans le champ des maladies de la vision en 2018.1

### Quelles avancées dans le champ des maladies de la vision?

D'immenses progrès ont été réalisés ces dernières années en ophtalmologie, avec notamment l'émergence de nouvelles thérapeutiques (thérapie génique, biothérapie, rétine artificielle). L'espoir est de voir reculer enfin la cécité, qui touche 36 millions de personnes dans le monde.

# 128 100 QUESTIONS

### **DE QUOI PARLE-T-ON?**

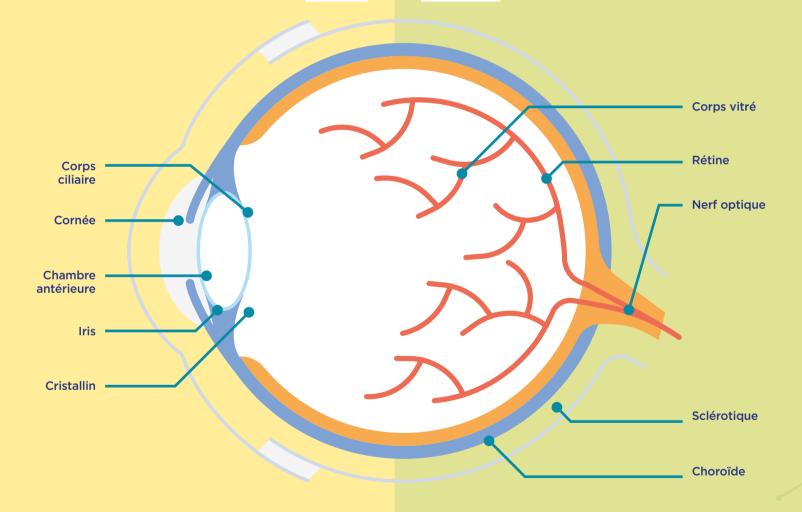
On distingue les maladies de la partie antérieure de l'œil — opacification du cristallin (cataracte) — des maladies de la partie postérieure de l'œil : atteinte de la rétine (DMLA, rétinite pigmentaire, étinopathie diabétique, rétinoblastome...), maladies du nerf optique (génétiques, toxiques et surtout glaucomes).

### **DE NOMBREUX ASPECTS DE LA VUE AFFECTÉS**

Acuité, champ visuel, perception des couleurs ou des contrastes... les maladies de la vision affectent de nombreux aspects de la vue.

**AVANT** 

ARRIÈRE



1) Base Innovation, Leem, 2018.

Source: Leem, «Santé 2030»

### **Environ 110 000**

Nombre de personnes suivant un traitement contre la SEP en France, dans le cadre d'une affection de longue durée (ALD), avec un ratio de 2,4 femmes pour 1 homme.<sup>1</sup>

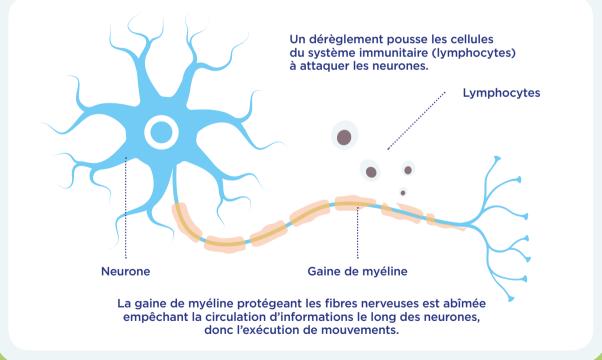
30

Nombre de traitements en cours de développement en 2018, dont 9 en phase I, 7 en phase II, 11 en phase III et 2 en phase d'évaluation.<sup>2</sup>

Assurance maladie.
 PhRMA.

Source: Schéma adapté de LP Infographie. T.H





### PRINCIPAUX SYMPTÔMES

Troubles visuels et de la mémoire

Troubles de l'équilibre

Troubles des sphincters

Troubles sexuels

de la coordination et de la marche

# Quelles avancées contre la sclérose en plaques?

Les traitements contre la sclérose en plaques (SEP) ont beaucoup progressé, notamment dans les formes rémittentes de la maladie, passant de 1 à 13 médicaments à disposition des patients en une vingtaine d'années. Aujourd'hui, l'objectif des chercheurs est de développer des traitements dans les formes progressives.

0,3 %

Part de la population adulte française concernée par la maladie.1

### 80

Nombre de médicaments développés dans le champ des maladies auto-immunes. dont fait partie la polvarthrite rhumatoïde.2



1) Haute Autorité de santé. 2) PhRMA.

Source: Leem

### Quels progrès dans la prise en charge de la polyarthrite rhumatoïde?

La prise en charge de cette pathologie chronique invalidante touchant les articulations a été profondément bouleversée grâce à une meilleure connaissance de ses mécanismes, ce qui a permis la mise au point de traitements ciblés. Malgré ces avancées, les rémissions sont rares et les guérisons inexistantes pour le moment. Mais l'identification de nouvelles cibles potentielles et les travaux sur le microbiote annoncent de nouveaux développements thérapeutiques. Et la thérapie cellulaire pourrait bien jouer un rôle décisif dans la réparation des tissus lésés par l'inflammation.

### Toutes les articulations peuvent être touchées



**Rachis** cervical

Genou



Epaule



Hanche



**Poignet** 

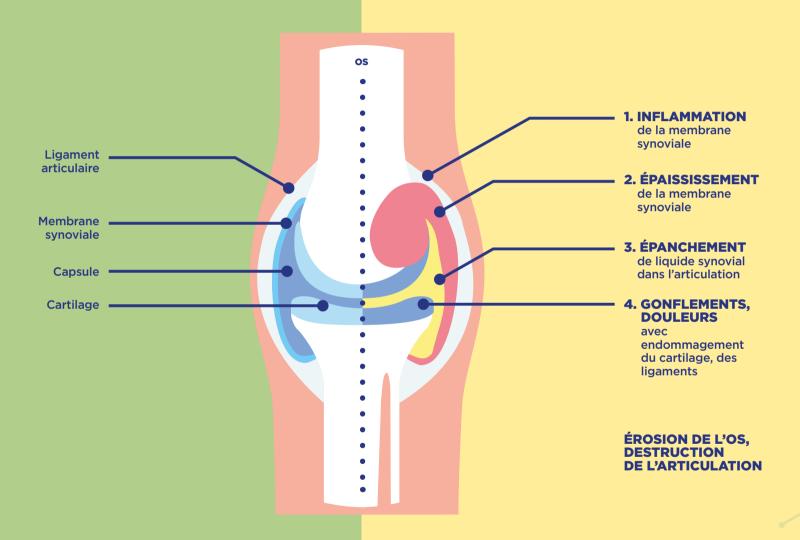
Main



des doiats

### COMMENT LA POLYARTHRITE RHUMATOÏDE ATTAQUE LES ARTICULATIONS

### L'exemple de l'articulation du genou



**ARTICULATION NORMALE** 

**ARTICULATION MALADE** 

VIH-sida: bientôt vaincu?

Depuis le début des trithérapies, à la fin des années 1990, avec près de 15 prises de médicaments à heure fixe jour et nuit, les traitements ont beaucoup progressé et la qualité de vie des malades s'est nettement améliorée. La recherche d'un vaccin et de nouveaux traitements à longue durée d'action avance à grand pas. Mais si les médicaments parviennent aujourd'hui à stopper l'évolution du VIH. ils ne permettent pas une quérison complète.

CONTRE LE VIH, UN ÉVENTAIL DE POSSIBILITÉS





### 6000

Nombre de nouvelles contaminations recensées chaque année en France.<sup>1</sup>

### 24000

Nombre de personnes qui seraient séropositives sans le savoir en France.<sup>1</sup>

### **52**

Nombre de traitements et vaccins en cours de développement à travers le monde, parmi lesquels 32 antirétroviraux, 16 vaccins et 4 médicaments de thérapie génique.<sup>2</sup>

1) Haut Conseil de la santé publique, 2018.

2) PhRMA.

Source : adapté d'un schéma de l'association Aides, 2019.

### 1 milliard de dollars

Dotation du Fonds d'action contre l'antibiorésistance, créé en juillet 2020 à l'initiative de plus de 20 sociétés pharmaceutiques de premier plan, et dont l'objectif est de mettre à la disposition des patients de 2 à 4 nouveaux antibiotiques d'ici 2030.

### Les maladies infectieuses vont-elles proliférer?

La lutte contre les maladies infectieuses semble ne jamais avoir de fin. Alors que la découverte des antibiotiques et la mise au point de nombreux vaccins et antiviraux pouvaient laisser espérer un contrôle des virus et des bactéries, l'explosion des épidémies (MERS, Sras, Zika...), jusqu'à la récente pandémie de Covid-19, montrent qu'il n'en est rien. L'urbanisation galopante, la déforestation et l'augmentation de la population mondiale, qui atteindra les 9 milliards en 2025, amplifient les risques d'émergence ou réémergence de maladies virales. Et l'urgence d'accélérer la mise au point de nouveaux traitements.



### **AMÉRIQUE**

- **Zyka** 2013 Polynésie
- Parasite Cryptosporidiosis– 2005Amérique du Nord
- **Maladie de Lyme** 2000 Etats-Unis
- **4 Virus du Nil occidental** 2007 Etats-Unis
- 5 **Grippe porcine (A/H1N1)** 2009/2010
  Mexique

- 6 Hantavirus 2001/2007 Panama
- Fièvre jaune 2008 Brésil. Bolivie
- **8** Dengue (fièvre hémorragique) 2014 Brésil

**Zyka** – 2014/2015

9 Brésil



### **AFRIQUE**

- Fièvre de Lassa 2010
- Méningite 2005 Burkina Faso
- **Fièvre jaune** 2008/2010 Guinée, Liberia, Ghana
- **Ebola (fièvre hémorragique)**Gabon, Congo-Brazzaville 1996
  Rép. Dém. du Congo 1999
- Variole du singe, Virus Marburg — 1996/1997 Rép. Dém. du Congo
- **15 Ebola (fièvre hémoragique)** 2000 Ouganda
- **16 Ebola (fièvre hémoragique)** 2014 Guinée, Liberia, Sierra Leone, Nigeria
- **Ebola (fièvre hémoragique)** 2017/2019 Rép. Dém. du Congo

### **ASIE**

- Bactérie Escherichia coli O157

   1999

  Japon
- 19 Sras 2003 Chine
- Grippe aviaire (H5N1) 1999 Grippe aviaire (H7N9) — 2013 Hong Kong
- Virus Nipah 1998/1999 Cambodge, Malaisie
- Dengue (fièvre hémoragique)

   2012/2013
- Coronavirus NCoV 2012
- Fièvre de la vallée du Rift 2000
  Arabie saoudite Yémen
- **SARS-CoV-2** 2019/2020 Chine

### **OCÉANIE**

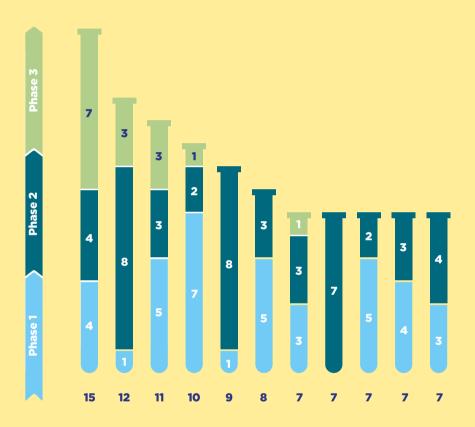
- **26 Virus Hendra** 1996 Australie
- **Encéphalite japonaise** 2009 Australie, Indonésie
- **28** Epidémie de dengue 2017 Nouvelle-Calédonie

### **EUROPE**

- **29** Maladie de Creutzfeldt-Jakob 1996 Grande-Bretagne
- Salmonelle multirésistante 2011 Bactérie Escherichia coli 0157 — 2002 Grande-Bretagne
- **31** Bactérie Escherichiacoli **0157** 2011 Danemark
- **32 Légionellose** 1999 Pays-Bas, Espagne
- **33** Virus du Nil occidental 2008 Italie

### LES MALADIES RARES LES PLUS EXPLORÉES

(médicaments en développement)



### Environ 200

Nombre médicaments ayant obtenu à ce jour une autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne dans le champ des maladies rares. 14 %

Part des essais cliniques qui concernaient les maladies rares en France en 2016-2017.

## Maladies rares, patients oubliés?

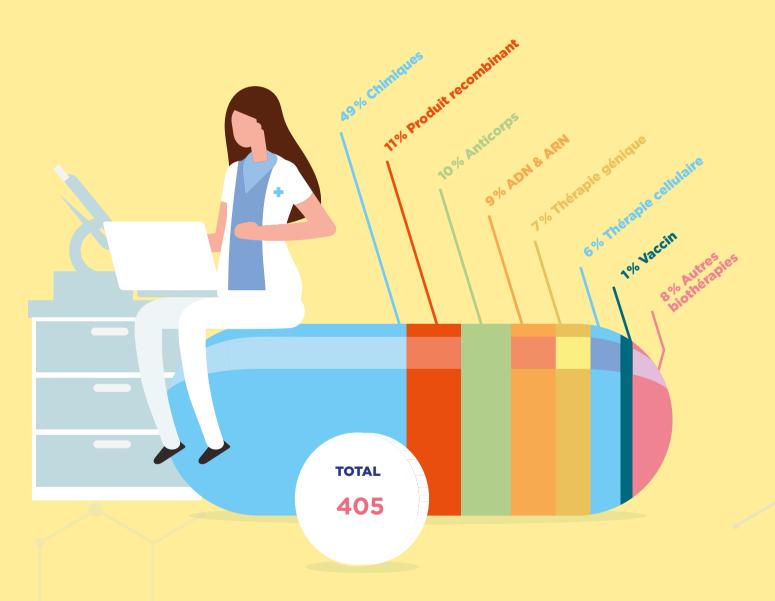
En France, 3 millions de personnes, dont 75 % d'enfants, sont atteintes par l'une des 7 000 maladies rares, pour lesquelles il n'existe le plus souvent pas de traitement curatif. Mais la mobilisation est forte pour cette cause. Et les patients français sont souvent les premiers en Europe à bénéficier de solutions thérapeutiques grâce à un dispositif d'accès précoce aux thérapies innovantes.

### **DE QUOI PARLE-T-ON?**

**Une maladie est dite « rare »** quand elle touche moins de 2 000 personnes. Ce sont le plus souvent des maladies d'origine génétique (dans 80 % des cas), sévères et d'évolution progressive, affectant fortement la qualité de vie des malades.

### LES GROUPES ANATOMIQUES DES MÉDICAMENTS EN DÉVELOPPEMENT

(statut orphelin en EU, hors cancer)



Source : Rapport sur le progrès thérapeutique, Leem, 2018.

### 5 %

Part de la population qui souffrirait de NASH (10 % aux Etats-Unis), mais ces chiffres sont en constante augmentation.

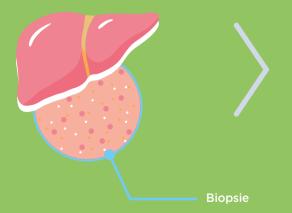
### 67

Nombre de médicaments actuellement en développement contre les maladies du foie.<sup>1</sup>

## Les maladies du foie vont-elles se multiplier?

Si l'incidence des différentes hépatites diminue globalement, les médecins s'inquiètent de l'augmentation des cas de stéatose hépatique non alcoolique ou NASH, aussi appelée « maladie du foie gras ». Liée à une alimentation trop riche en sucres et en graisses et à un mode de vie sédentaire, elle risque de se compliquer dans environ 20 % des cas. RÉVERSIBLE

**FOIE SAIN** 



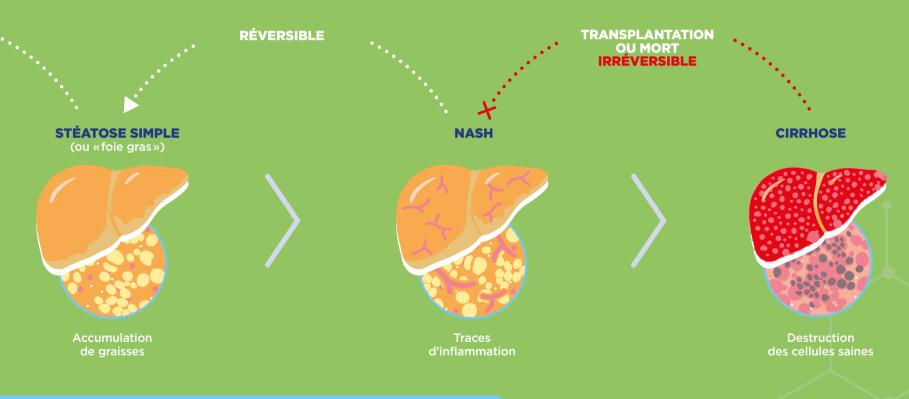
1) ANRS, 2018.

### PROGRESSION DE LA STÉATOSE HÉPATIQUE NON ALCOOLIQUE (NASH)

Cette maladie métabolique est réversible chez 80 % des patients. En revanche, elle évolue vers les stades plus sévères dans 20 % des cas.

**AUCUN SYMPTÔME** 





Source : adapté d'un article de la rubrique santé du site www.hfmtv.com

### **DES PATHOLOGIES SOUS-ESTIMÉES**



**400** millions de personnes dans le monde



**38,2%** des Européens de 18 à 65 ans (durant les 12 derniers mois)



20%
des enfants et adolescents
dans le monde

souffrent ou ont souffert de troubles mentaux



### 1 Français sur 5

soit 12 millions de personnes, souffrent actuellement d'un trouble mental



Les personnes atteintes de maladies mentales sont plus souvent

### victimes de violences

que la moyenne de la population

# Maladies mentales: quels progrès?

La prise de conscience des liens entre dérèglements inflammatoires et troubles psychiatriques majeurs fait partie des grandes avancées de la dernière décennie. En 2019, près de 140 traitements étaient en cours de développement dans le champ de la psychiatrie, dont 40 contre la dépression et 38 contre la schizophrénie. Le budget alloué à la recherche en santé mentale reste cependant trop faible face au nombre de personnes atteintes : près de 1 personne sur 3 souffre d'un trouble psychiatrique au cours de sa vie en France.

### 2,4 millions

Nombre de personnes souffrant de troubles psychiatriques prises en charge dans les établissements de santé français en 2018.<sup>1</sup>

### 9000

Nombre de décès par suicide en France chaque année.



1) Ministère des Solidarités et de la Santé.

Source : Institut Montaigne. 2016

### 600000

Nombre de personnes souffrant d'une forme de **tuberculose** résistante aux traitements dans le monde.¹

### **37,9** millions

Nombre de personnes vivant avec le VIH dans le monde en 2018, dont 1,8 million d'enfants.1

### 216 millions

Nombre de cas de **paludisme** dans le monde en 2016, contre 237 millions en 2010.<sup>1</sup>

1) Organisation mondiale de la santé.

Source: Fonds mondial, rapport 2019.

### Que font les entreprises du médicament contre la tuberculose, le VIH et le paludisme?

Dans ces trois pathologies très préoccupantes pour la santé publique mondiale, les entreprises du médicament sont impliquées dans des programmes internationaux de recherche de nouveaux traitements, d'accès aux soins et d'éducation à la santé, aux côtés d'ONG, d'instituts de recherche, de fondations privées et d'équipes de chercheurs.





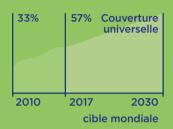
# LES VIES SAUVÉES **GRÂCE AU FONDS MONDIAL**

Résultats clés dans les pays où le Fonds mondial investit pour combattre les épidémies de sida, de tuberculose et de paludisme.

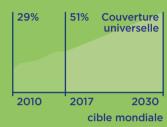


131 de moustiquaires distribuées





**UTILISATION DES MOUSTIQUAIRES** 

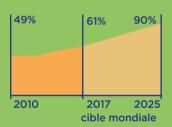


40%



de personnes atteintes de tuberculose sous traitement





# **TAUX DE SUCCÈS** THÉRAPEUTIQUE CONTRE LA TUBERCULOSE



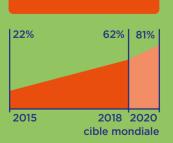


sous traitement antirétroviral contre le VIH

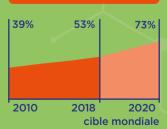
# **PERSONNES VIVANT AVEC LE VIH CONNAISSANT LEUR STATUT**



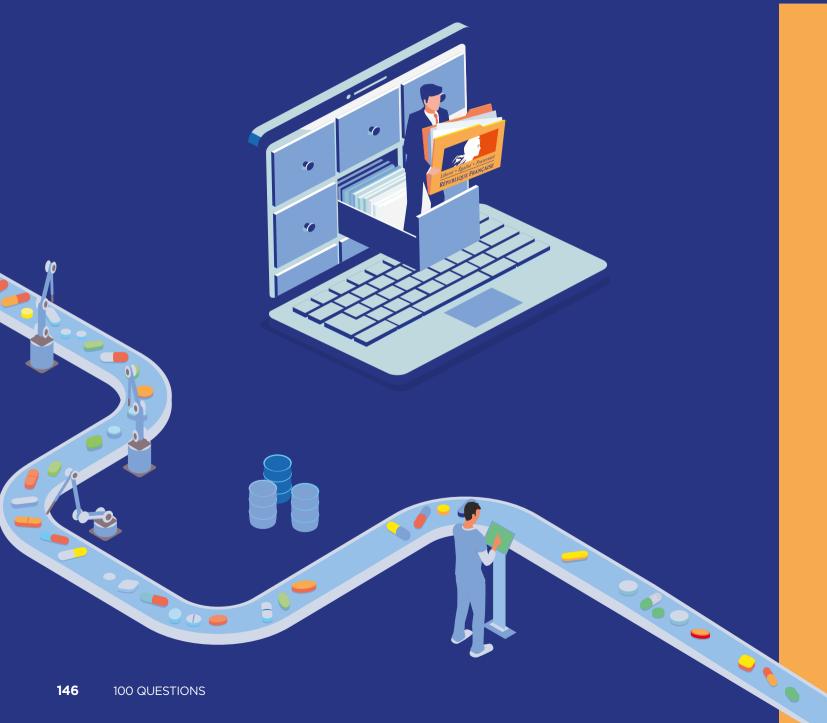
### **COUVERTURE EN ANTIRÉTROVIRAUX**



### **PERSONNES VIVANT AVEC** LE VIH DONT LA CHARGE VIRALE EST INDÉTECTABLE



# SOMMAIRE



# Le médicament et son économie

- 148 Quel est le parcours du médicament?
- **150** Comment faire front contre les zoonoses?
- 152 Production pharmaceutique : l'excellence française, mythe ou réalité?
- 154 Les médicaments innovants sont-ils vraiment si chers?
- 156 Régulation économique du médicament : pourquoi n'est-elle plus adaptée?
- **158** Comment s'organise l'accès aux médicaments innovants?
- 160 ATU : un accès précoce des patients aux médicaments à renforcer?
- 162 Pourquoi des médicaments génériques?
- 164 Biosimilaires: des médicaments comme les autres?
- Les médicaments d'automédication sont-ils des médicaments comme les autres?
- 168 Le médicament creuse-t-il le déficit de l'Assurance maladie?
- 170 Vers une organisation des soins plus efficiente?
- 172 Quel rôle pour la télémédecine?
- 174 La médecine à domicile est-elle appelée à se développer?
- 176 Comment améliorer l'observance des traitements?
- 178 Quelles sont les instances de dialogue entre l'Etat et les entreprises du médicament?
- 180 Les inégalités de santé vont-elles se creuser?
- Liste en sus : l'accès aux médicaments innovants est-il garanti à l'hôpital?



# Quel est le parcours du médicament?

# **UN PROCESSUS LONG. COÛTEUX ET COMPLEXE**





Découverte de la recherche **fondamentale** 



Parallèlement à la réalisation des essais cliniques, se déroule une phase de développement industriel. Le résultat des essais cliniques et du développement pharmaceutique et industriel constitue le dossier de demande de mise sur le marché (AMM).

Stratégie d'entreprise

























Dépôt du brevet.



Sélection des molécules à tester sur l'homme.

# **Essais cliniques**

Trois phases strictement encadrées par la loi pour évaluer la tolérance du médicament, son efficacité et son rapport bénéfices/risques.

## **Autorisation de mise** sur le marché (AMM)

Délivrée par l'Agence nationale du médicament et des produits de santé (ANSM) ou par l'Agence européenne du médicament (EMA).

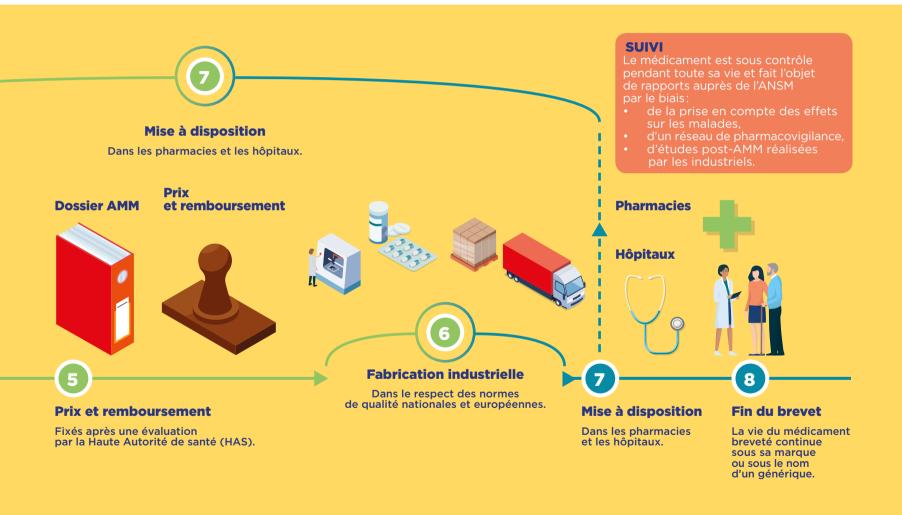
PRÉPARATION DU MÉDICAMENT (8-10 ANS)

Pour disposer d'une autorisation de mise sur le marché (AMM), tout nouveau médicament doit avoir franchi avec succès l'étape des essais cliniques qui ont permis de le tester, d'évaluer son efficacité au travers du rapport bénéfices/risques et d'identifier les effets secondaires potentiels.

# **10** ans

Temps qui s'écoule généralement entre la découverte en recherche fondamentale d'une molécule et la décision de mise sur le marché.

Source: Leem



**AUTORISATIONS ET MISE EN PRODUCTION (1-3 ANS)** 

**VIE D'UN MÉDICAMENT** 

# LE PROCESSUS D'ÉMERGENCE D'UNE ZOONOSE

Les 5 étapes de la transformation d'un agent pathogène uniquement animal en un agent pathogène exclusivement humain.

Ag exclu	STADE 1 gent pathogène usivement animal	STADE 2 Première infection	STADE 3 Epidémie limitée à un foyer	STADE 4 Epidémie longue, voire pandémie
Pas	de transmission à l'homme	Par l'animal seulement	Par l'animal surtout ou par l'homme (limité)	
	Ex : virus de la rag	ie		
	Ex : virus MERS			
	Ex : virus Ebola			
	Ex : virus VIH-1 ou	Sras		

#### STADE 5

Agent pathogène exclusivement humain

Interhumaine seulement



Source : schéma modifié d'après Wolfe et al. 2007

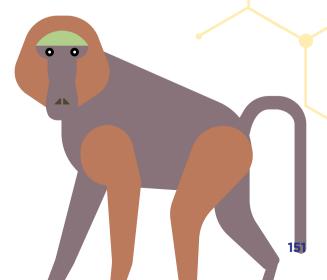
# Comment faire front contre les zoonoses?

Comme 60 % des maladies infectieuses émergentes, la Covid-19 est une zoonose, c'est-à-dire une maladie transmise de l'animal à l'homme. Face au risque sanitaire qu'elles représentent, les zoonoses sont devenues un enjeu majeur de santé publique. Les combattre suppose une mobilisation de tous les secteurs et disciplines pertinents à l'interface homme-animal-environnement à l'échelle mondiale comme locale. L'industrie pharmaceutique est au cœur de cette lutte en amont au sein de partenariats publics-privés pour anticiper les risques et mettre au point des traitements efficaces.

**75**%

Part des maladies animales émergentes pouvant contaminer l'homme.<sup>1</sup>

1) Organisation mondiale de la santé animale (OIE), 2019





Avec un tissu industriel reconnu, où interagissent de grands groupes internationaux et des PME innovantes, et une main-d'œuvre hautement qualifiée, la production pharmaceutique française est souvent citée comme une référence en Europe. Mais, en l'espace de dix ans, elle est passée de la première à la quatrième place européenne.

# LA FRANCE EST LE 4° PRODUCTEUR **EUROPÉEN DE MÉDICAMENTS**

Localisation de la production des 315 médicaments autorisés en Europe entre 2016 et 2019



271

Nombre de sites de production de médicaments (biologiques et chimiques) sur le territoire français.

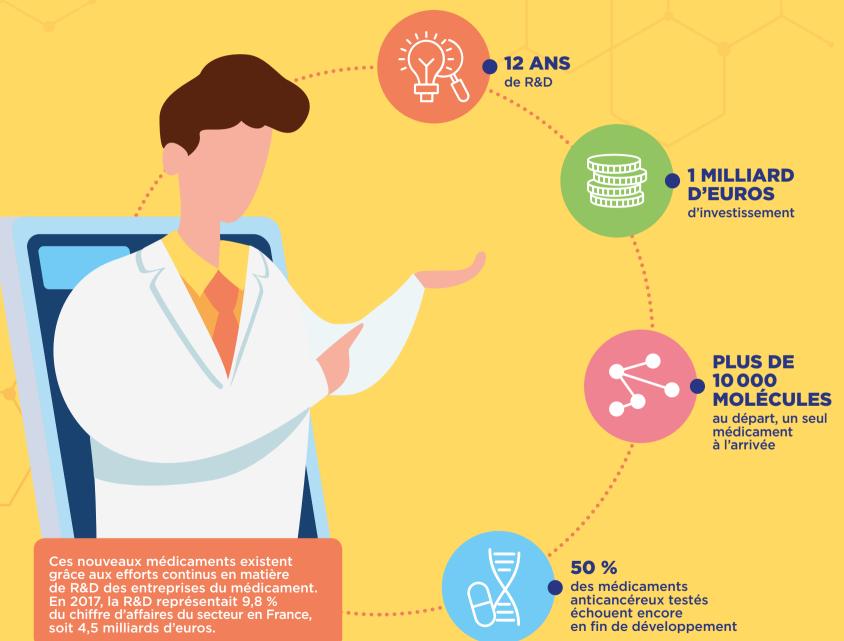
# 21,9 milliards d'euros

Montant de la production pharmaceutique française en 2017.

Source: Bilan économique du Leem 2020.

# LE PRIX DE LA NOUVEAUTÉ

Un médicament innovant, c'est :



Source: Leem

# 12318

### euros

Prix moyen d'un traitement anticancéreux innovant entre 2010 et 2016, par an et par patient.

# 2%

Part des dépenses de l'Assurance maladie consacrées au remboursement des médicaments anticancéreux.

# Les médicaments innovants sont-ils vraiment si chers?

L'arrivée de vagues successives d'innovations interroge la rationalité des prix et la prise en charge de ces traitements. Mais, contrairement aux idées reçues, le prix des médicaments innovants ne menace pas le budget de l'Assurance maladie, car leur poids dans les dépenses de santé reste infime, et la très grande majorité des médicaments en France ont un prix inférieur à la moyenne européenne.





# 12%

Part du médicament dans les dépenses de santé (contre 15 % il y a dix ans).

**45**%

156

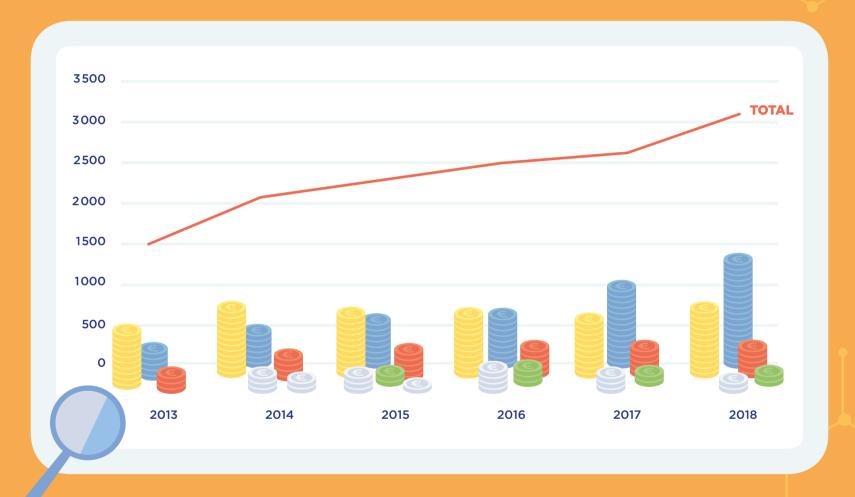
Poids des économies de la branche maladie supportées par le médicament dans le projet de loi de financement de la Sécurité sociale (PLFSS) pour 2020.

# Régulation économique du médicament : pourquoi n'est-elle plus adaptée?

La régulation économique du médicament menée depuis plus d'une décennie en France ne tient plus face au progrès thérapeutique. L'approche comptable court-termiste imposée par la loi de financement de la Sécurité sociale (LFSS) doit évoluer. A défaut d'anticipation, chaque innovation continuera d'être vécue comme un coût pour la collectivité quand c'est d'abord une opportunité pour les patients.



# LA CONTRIBUTION ANNUELLE DU MÉDICAMENT AUX ÉCONOMIES DE L'ASSURANCE MALADIE A PLUS QUE DOUBLÉ EN CINQ ANS





Source: Leem

# Comment s'organise l'accès aux médicaments innovants?

UN PARCOURS D'ACCÈS AU MARCHÉ LENT, COMPLEXE ET ILLISIBLE



**ATU\*\*\*** 

Pour maladie grave sans traitement approprié

# RECHERCHE → DÉPÔT DU BREVET

# ESSAIS PRÉ-CLINIQUES

(test sur des modèles animaux)

#### **ESSAIS CLINIQUES**

**Phase 1 :** essai sur un petit nombre de volontaires sains (évaluer la tolérance du médicament)

**Phase 2 :** essai sur un groupe de patients (évaluer l'efficacité du médicament)

**Phase 3 :** essai sur un plus grand nombre de patients (évaluer le rapport efficacité/tolérance)

Phase du développement du médicament (8-10 ans)

#### **AMM**

(autorisation de mise sur le marché)

Par l'Agence européenne du médicament (EMA). Procédure centralisée pour les médicaments innovants

> Par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM)

# ÉVALUATION PAR LA HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ (HAS)

# Avis de la commission de la transparence sur :

Le SMR\* en vue de l'admission au remboursement
L'ASMR\*\* en vue de la détermination de prix

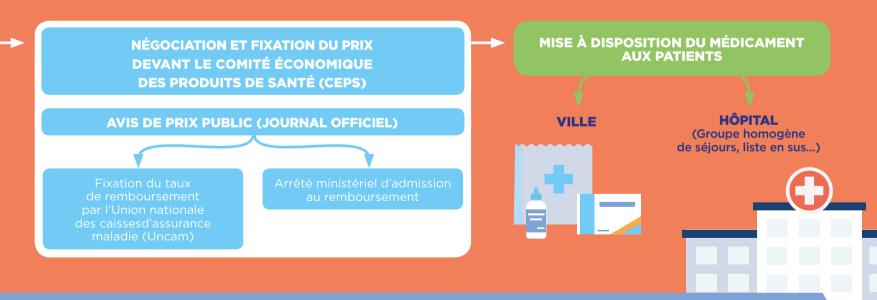
Avis (éventuel) de la CEESP\*\*\*\*
sur l'évolution
médico-économique

<sup>\*</sup> Service médical rendu, \*\* Amélioration du service médical rendu, \*\*\* Autorisation temporaire d'utilisation, \*\*\*\* Commission d'évaluation économique et de santé publique

Longtemps érigé comme un modèle en Europe, le parcours d'accès aux médicaments innovants en France est aujourd'hui fragilisé car inadapté aux innovations qui arrivent. Les critiques prennent une résonance particulière au cœur de la pandémie de Covid-19. Plus qu'une simple réflexion, une véritable transformation s'impose pour fluidifier ce parcours et garantir demain l'équité d'accès des patients aux traitements innovants.

# **POST-ATU**

Pas de nouveaux patients en ATU nominative • Pas de nouvelle ATU en cas d'extension d'indication



Phase d'autorisation, d'évaluation et de fixation du prix (environ 400 jours après l'AMM)

# ATU: un accès précoce des patients aux médicaments à renforcer?

L'autorisation temporaire d'utilisation (ATU) permet à des patients atteints de pathologies graves d'avoir accès à des médicaments innovants parfois plus d'un an avant leur mise sur le marché. Mais de nombreuses modifications des conditions de délivrance et de prise en charge des ATU ont peu à peu dégradé l'attractivité de ce dispositif unique en Europe. Alors que des innovations de rupture particulièrement coûteuses arrivent sur le marché, sa consolidation est cruciale.



#### **MALADIE GRAVE OU RARE**

et retard de traitement préjudiciable pour le patient

21629

Nombre total de patients inclus dans les ATU (de cohorte et nominatives) en 2018.<sup>1</sup>

Source: ANSM

# DES CONDITIONS D'ÉLIGIBILITÉ RESTREINTES ET ENCADRÉES

Les autorisations temporaires d'utilisation sont délivrées par l'Agence nationale de sécurité des médicaments et des produits de santé à titre exceptionnel et temporaire lorsque les conditions suivantes sont réunies :



**BESOIN MÉDICAL NON COUVERT** (absence d'alternative)

**28**%

Part des entreprises du médicament déclarant avoir renoncé à solliciter une ATU depuis la mise en place du plafonnement du coût des médicaments bénéficiant du régime d'accès précoce, en 2017.2



**BÉNÉFICES/RISQUES** PRÉSUMÉ FAVORABLE

1) ANSM, rapport d'activité 2018.

2) Enquête Leem, juin 2019.

# **55**%

Part des génériques dispensés en France produits sur le sol français.

# **37**%

Taux de pénétration des génériques en volume (19 % en valeur) en France, contre 50 % en moyenne dans les pays de l'OCDE, et même de 80 % en Allemagne.

# 1/3

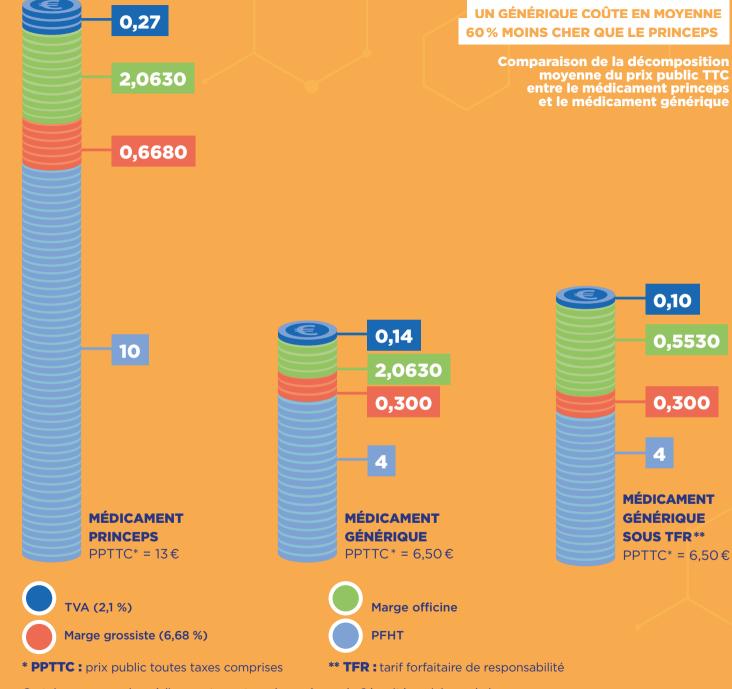
Part des génériques dans le marché des médicaments remboursables en 2016, contre 1/20 en 2000.

Source: Dossier Economie de la santé, vih.org, 23 septembre 2019

# Pourquoi des médicaments génériques?

Un médicament générique a strictement la même composition qualitative et quantitative en principe actif et la même forme pharmaceutique que la spécialité de référence (le princeps). Les industriels du médicament soutiennent et encouragent le développement du marché des génériques en France, car il permet de participer à la maîtrise des dépenses de santé, et ainsi de financer l'innovation de demain.





Certains groupes de médicaments sont remboursés par la Sécurité sociale sur la base du prix moyen de leur générique correspondant, la différence étant à la charge de l'assuré.



# 18

Nombre de nouveaux médicaments biosimilaires inscrits sur la liste de référence de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) en 2018.

# LE MARCHÉ DES BIOSIMILAIRES EN PLEINE FORME





# 1 milliard d'euros

Seuil que le marché des biosimilaires pourrait dépasser en France en 2022.

Environ 1,2 milliard d'euros

Montant d'économies réalisées par les pouvoirs publics en France grâce aux biosimilaires.<sup>2</sup> 1) Etude du cabinet Xerfi 2) Comité économique des produits de santé (CEPS)

Source: GERS



# Biosimilaires: des médicaments comme les autres?

Ces copies de médicaments biologiques sont très proches des médicaments de référence (anticorps monoclonaux, insuline, etc.), mais la complexité des processus de production explique qu'ils ne soient pas strictement identiques, comme le sont les génériques, aux médicaments chimiques. Le marché des biosimilaires se développe très rapidement, à l'hôpital notamment.

Les médicaments d'automédication sont-ils des médicaments comme les autres?

Les médicaments d'automédication peuvent être achetés en pharmacie (et uniquement) sans ordonnance et ne nécessitent pas la prescription d'un médecin. Ils présentent les mêmes garanties de sécurité et de qualité que les médicaments de prescription médicale obligatoire. Mais, malgré l'intérêt qu'ils suscitent auprès des Français et des professionnels de santé et les économies que leur généralisation pourrait engendrer, l'automédication en France demeure l'une des plus faibles d'Europe.

8/10

Part des Français ayant eu recours à l'automédication en 2018.

1,7%

Progression de la vente des médicaments sans ordonnance en France sur dix ans, soit 8 % du marché des médicaments de ville, contre 12,6 % en Allemagne et 14 % en Italie.<sup>1</sup>

**LES PATHOLOGIES POUR LESQUELLES LES FRANÇAIS** S'AUTOMÉDIQUENT



46 % Maux de tête

Maux de ventre

Douleurs musculaires

18 %

Douleurs articulaires

Douleurs dentaires

**51** % Rhume

ou état grippal

41 % Maux de gorge

34 % Toux

18 %

Allergies ou sinusites chroniques **24** % Troubles digestifs

& manque de vitamines

Fatigue

19 %

Problèmes de peau

18 %

Problèmes de sommeil

13 % Problèmes de pieds



# 1.5 milliard d'euros

Montant d'économies réalisables en un an, à condition d'élargir le périmètre des médicaments d'automédication.

1) AESGP (Association européenne des spécialités pharmaceutiques grand public)

Source : Association française de l'industrie pharmaceutique pour une automédication responsable (Afipa).

# **50**%

Part des économies réalisées grâce au médicament dans le cadre de l'Ondam en 2019.

# Plus de **4** milliards d'euros

Montant des économies demandées aux acteurs de santé en 2020, le médicament contribuant à près de 50 % de ce dernier, soit 2 milliards d'euros.

# 90%

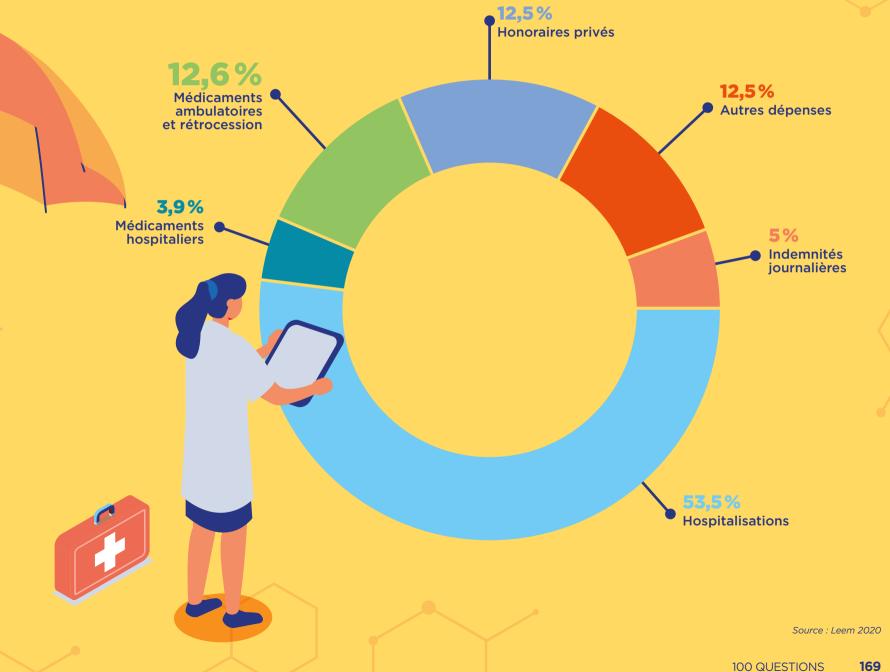
Part de la croissance des dépenses de l'Assurance maladie due aux 16 % d'assurés bénéficiant d'une prise en charge à 100 % au titre d'une affection de longue durée (ALD).

# Le médicament creuse-t-il le déficit de l'Assurance maladie?

Le médicament ne creuse pas le déficit de l'Assurance maladie : sa part dans les remboursements de cette dernière demeure stable, autour de 17 %, depuis 2005. Le médicament contribue même activement au respect de l'objectif national des dépenses d'assurance maladie (Ondam).



# EN 2019, LE MÉDICAMENT REPRÉSENTE 16,5% DES REMBOURSEMENTS DE L'ASSURANCE MALADIE



# 1029

Nombre d'établissements publics de santé en France en 2018<sup>1</sup>, dont:

31

centres hospitaliers régionaux/ universitaires (CHR/CHU)

**558** 

centres hospitaliers (CH)

92

centres hospitaliers spécialisés (CHS)

348

hôpitaux locaux (HL)

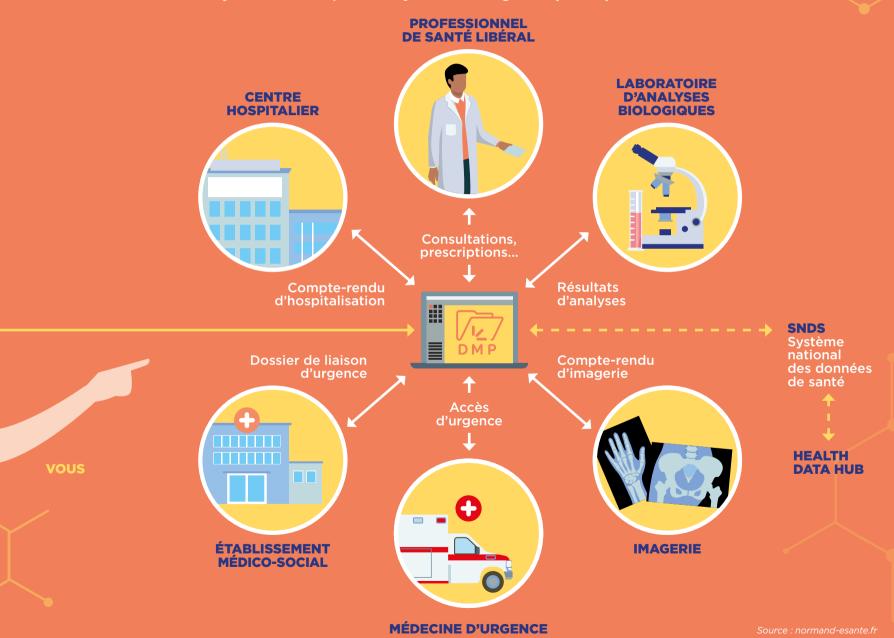
1) Direction générale de l'offre de soins (DGOS), 2018.

# Vers une organisation des soins plus efficiente?

Demain, en France, l'organisation des soins, et plus largement de la santé, reposera sur la prise en compte, pour chaque patient, de facteurs déterminants comme l'hygiène, le mode de vie, l'éducation, le milieu professionnel et l'environnement. Une évolution en profondeur de notre système de santé devra s'opérer pour réunir prévention, soins, suivi médico-social voire social autour des patients. Destiné à favoriser la collaboration entre les professionnels de santé, le dossier médical partagé (DMP) est un ingrédient clé de cette évolution.

# LE DOSSIER MÉDICAL PARTAGÉ (DMP). UN OUTIL CLÉ POUR UNE MEILLEURE PRISE EN CHARGE DES PATIENTS

Géré avec et pour les patients, ce «super dossier médical» placera ces derniers au centre de leur prise en charge. Ce ne sera plus à eux de s'adapter au système de santé, mais au système de s'organiser pour répondre à leurs besoins.



# **50**%

Part des Français se déclarant prêts à consulter un médecin via une consultation en télémédecine, en complément des consultations physiques avec son médecin traitant.<sup>1</sup>

# 322 millions d'euros

Montant d'économies annuelles que la télésurveillance dans la prise en charge de l'hypertension artérielle pourrait générer pour l'Assurance maladie.<sup>2</sup>

 1) Ipsos, 2018.
 2) Etude LaJaPF/ IQVIA, 2018.

# LES 5 ACTES DE TÉLÉMÉDECINE

# **TÉLÉCONSULTATION**



# **PATIENT**

Seul ou accompagné d'un professionnel de santé.

# **MÉDECIN**

Réalise le diagnostic ou la consultation à distance.

Dossier médical du patient.

# Vous avez dit télémédecine?

# Une activité médicale qui respecte entièrement vos droits

Dans le cadre d'un acte de télémédecine, tous vos droits en tant que patient ainsi que la déontologie médicale sont respectés. Vos données médicales restent confidentielles.

# De nombreux bénéfices pour votre santé

Accès rapide aux médecins spécialistes Prise en charge personnalisée Confort de vie Proximité Soins de qualité

# TÉLÉ-EXPERTISE



# **TÉLÉSURVEILLANCE**

### **PATIENT**

Recueil automatique ou par vous-même de données sur votre état de santé et sur le dispositif de recueil et transmission de ces données

# **MÉDECIN**

Interprète les données. Met en place une prise en charge adaptée.



INFIRMIÈRE

# **TÉLÉ-ASSISTANCE**

# MÉDECIN CENTRE 15

Réalise un premier diagnostic de l'état du patient. Oriente le patient vers la prise en charge la plus adaptée.



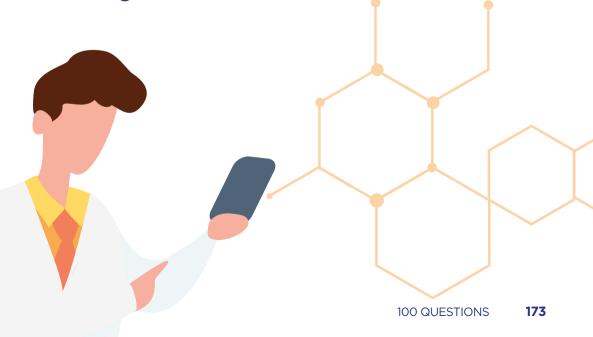
# **TÉLÉ-ASSISTANCE**



Source : Santé 2030

# Quel rôle pour la télémédecine?

Accessible à tous et remboursée par la Sécurité sociale depuis 2018, la télémédecine est une pratique médicale à distance utilisant les technologies de l'information et de la communication. Ses promesses sont nombreuses : elle peut notamment aider à lutter contre les déserts médicaux, améliorer le suivi et la qualité de vie des patients et participer à une meilleure gestion des crises sanitaires. Un atout pour développer une médecine plus efficiente et générer de substantielles économies.



# **3** millions

Nombre de patients ayant utilisé un dispositif de monitoring à domicile sous le contrôle de professionnels de santé en 2013.¹

# 200

# euros

Prix d'une journée d'hospitalisation à domicile, soit un coût 4 fois inférieur à une journée à l'hôpital.

# La médecine à domicile est-elle appelée à se développer?

Avec l'augmentation des maladies chroniques, le vieillissement de la population et la nécessité de désengorger les hôpitaux, le foyer devient le principal lieu d'administration des traitements. Cette évolution, permise notamment par le développement de matériels médicaux perfectionnés et d'outils numériques, préfigure un nouveau modèle de soins, où le professionnel de santé, secondé par les aidants, est à la fois pédagogue et accompagnant. A terme, la médecine à domicile concernera plus de la moitié de la population.

1) Etude de l'institut Berg Insight.

# LES FRANÇAIS ET LEURS MÉDECINS PLÉBISCITENT LA MÉDECINE À DOMICILE



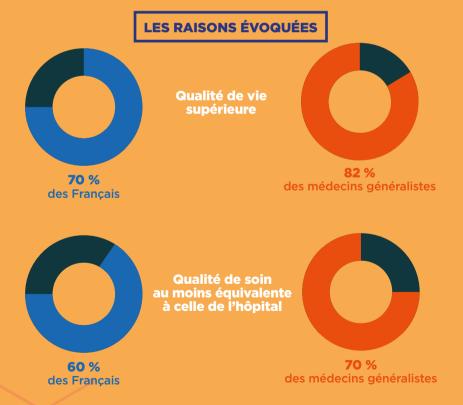
75 % DES MÉDECINS estiment que l'hospitalisation à domicile est moins coûteuse pour la collectivité.



3 FRANÇAIS SUR 4 se déclarent prêts à envisager une hospitalisation à domicile pour eux ou l'un de leurs proches.



Source : Leem, «Santé 2030»



# Comment améliorer l'observance des traitements?

LE TAUX D'OBSERVANCE VARIE FORTEMENT SELON LES PATHOLOGIES

Nombre de patients observants sur 100 patients dans la pathologie.









Près de la moitié des personnes atteintes d'une maladie chronique ne suivent pas leur traitement à la lettre. C'est la principale raison pour laquelle les patients ne retirent pas tous les bienfaits qu'ils pourraient en attendre. La bonne observance est donc un enjeu décisif que les entreprises du médicament s'efforcent de relever en diminuant les effets secondaires et le nombre de prises de médicaments, et en améliorant le suivi des traitements et l'information des patients.



**50**%

Réduction de la mortalité des maladies cardiovasculaires si l'observance des traitements est respectée.<sup>1</sup>

# 9,3 milliards d'euros

Dépenses engendrées par la non-observance en France chaque année.<sup>2</sup>

<sup>1)</sup> Académie nationale de pharmacie 2) Centre de réflexion de l'industrie pharmaceutique (Crip).

# Quelles sont les instances de dialogue entre l'Etat et les entreprises du médicament?

En France, deux instances définissent les orientations stratégiques du pays dans le domaine de la politique industrielle et de l'innovation en santé : le Comité stratégique de filière des industries et technologies de santé (CSF ITS) et le Conseil stratégique des industries de santé (CSIS). Le 8° CSIS de juillet 2018 marque un tournant dans le dialogue entre l'Etat et les entreprises du médicament. Rarement un gouvernement n'aura montré un tel niveau d'engagement pour l'innovation et l'accès des patients aux progrès thérapeutiques.





# LE COMITÉ STRATÉGIQUE DE FILIÈRE DES INDUSTRIES ET TECHNOLOGIES DE SANTÉ

Une instance permanente de discussion, dans le cadre de la conférence nationale de l'industrie (CNI)

## QUATRE THÈMES MAJEURS ONT ÉTÉ IDENTIFIÉS POUR 2019 :

**Bioproduction** 

**Antibiorésistance** 

Intelligence artificielle & santé

Renforcer la présence française à l'international

## **ET DEUX ACTIONS TRANSVERSES:**

Développer les compétences

Soutenir les PME



## LE CONSEIL STRATÉGIQUE DES INDUSTRIES DE SANTÉ

Une instance exceptionnelle, sous l'égide de Matignon, pour renforcer l'attractivité de la France

# **QUATRE AXES DE MESURES POUR L'ÉDITION 2018:**

Offrir à l'industrie et à la recherche un cadre d'exercice simplifié, stable et prévisible

et prévisible

Accueillir F
les innovations
de manière rationnelle le

Renforcer les écosystèmes recherche/ industrie/ soins

Faire de la France, en cinq ans, le 1<sup>er</sup> pays européen en recherche clinique

Source: Leem

# **20,4** années

Temps de vie moyen passé avec des incapacités modérées ou sévères chez les femmes en 2017, contre 16,8 années chez les hommes.

# **7** ans

Ecart d'espérance de vie entre un cadre de 35 ans et un ouvrier.<sup>1</sup>

# **55**%

Part des femmes ayant consulté un spécialiste dans l'année, contre 41,6 % des hommes.<sup>2</sup>

1) Santé publique France, 2018. 2) Irdes, données 2014. Les inégalités de santé vont-elles se creuser?

Alors que les pays occidentaux ont connu, au cours des cinquante dernières années, une très nette amélioration de l'état de santé de leur population, qui se traduit notamment par l'allongement de l'espérance de vie et le recul de certaines maladies, tous les individus n'en profitent pas également. Les indicateurs révèlent de grandes disparités entre les sexes, les catégories socio-professionnelles et les territoires en termes de recours et d'accès aux soins. Ces inégalités pourraient s'accroître d'ici 2030.

## L'ÉCART D'ESPÉRANCE DE VIE ENTRE LES HOMMES ET LES FEMMES DIMINUE MAIS DEMEURE SIGNIFICATIF En France, en 2019, l'espérance de vie à la naissance est de 79,7 ans pour les hommes et 85,6 ans pour les femmes. Ces cinq dernières années, les hommes ont gagné 0,5 an d'espérance de vie et les femmes 0,2 an.!





Source : Insee 2018, Centre d'observation de la société

## 3,7 milliards d'euros

Montant des dépenses de médicaments relevant de la liste en sus en 2018.1

4%

Augmentation des dépenses de médicaments relevant de la liste en sus en 2019. La moitié concerne 9 spécialités dont le chiffre d'affaires dépasse 100 millions d'euros.

4

Nombre de critères institués par le décret de 2016 pour inscrire un médicament sur la liste en sus, dont le coût et une amélioration significative du service médical rendu (SMR).

1) Rapport CEPS 2018.

Source: DGOS données ATIH

# Liste en sus: l'accès aux médicaments innovants est-il garanti à l'hôpital?

Les médicaments prescrits lors d'une hospitalisation sont compris dans un forfait versé à l'établissement de soins. Pour certains produits innovants et onéreux, il existe un mécanisme dérogatoire, dénommé «liste en sus ». Cependant, un décret de 2016 est venu restreindre les conditions d'intégration à la liste en sus et a introduit une inégalité dans l'accès à ces médicaments.



### MÉDICAMENTS DE LA LISTE EN SUS : UNE DÉPENSE DYNAMIQUE DEPUIS 2012

(en miliards d'euros)



### SOMMAIRE



## Le médicament, secteur stratégique

Quels sont les enjeux liés à la propriété industrielle?

Que font les entreprises du médicament lors

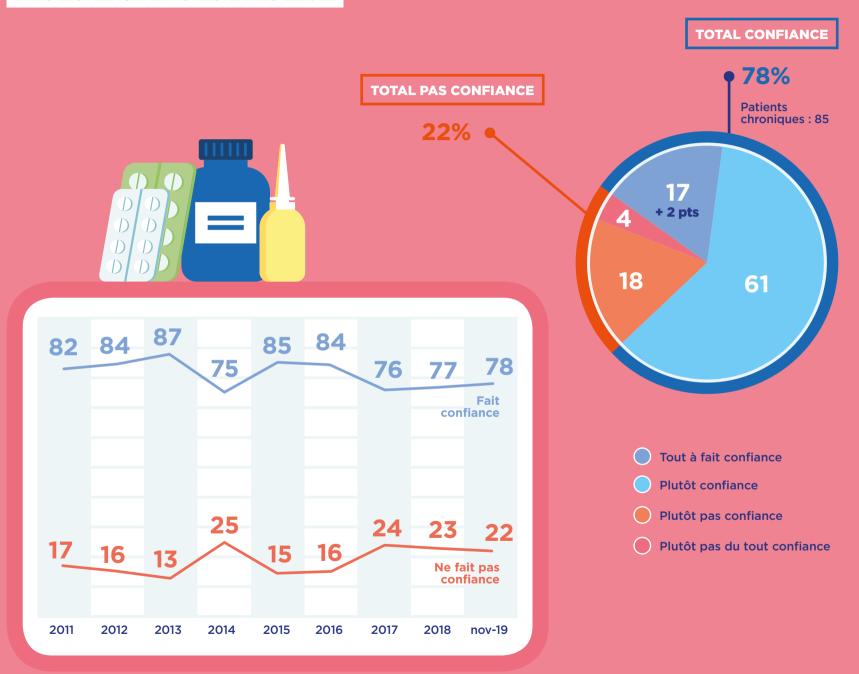
des crises sanitaires mondiales?

214

216

Les Français ont-ils confiance dans leurs médicaments? 186 188 Actions de groupe en santé: une arme pour les usagers du système de santé français? La France est-elle (encore) une grande terre d'accueil 190 pour les investissements étrangers? Fiscalité du médicament : la France championne 192 d'Europe de la pression fiscale? 194 Le médicament français s'exporte-t-il bien? Pénuries de médicaments: comment les réduire? 196 198 Compétitivité: la France est-elle toujours dans la course des nations innovantes? Faux médicaments : comment lutter contre un fléau mondial? 200 Les Français consomment-ils trop de médicaments? 202 Comment les industries du médicament transforment-elles leurs métiers 204 pour s'adapter à la médecine et aux soins du futur? Comment se porte l'emploi dans les entreprises 206 du médicament? 208 Information promotionnelle: pourquoi est-elle indispensable? 210 Le circuit du médicament est-il bien contrôlé? Travailler avec une entreprise du médicament 212 constitue-t-il un conflit d'intérêts?

### LA CONFIANCE DU GRAND PUBLIC DANS LES MÉDICAMENTS RESTE TRÈS ÉLEVÉE



## Les Français ont-ils confiance dans leurs médicaments?

Une étude Ipsos pour l'Observatoire sociétal du médicament de novembre 2019 révèle que la confiance des Français dans les médicaments demeure à un niveau élevé depuis dix ans. Cependant, ils sont davantage rassurés lorsque ces traitements sont prescrits par un médecin, qu'ils sont remboursés et de marque. Certains médicaments spécifiques (biologiques, biosimilaires, d'immunothérapie ou de thérapie génique) restent assez peu connus mais les Français qui les connaissent leur font plutôt confiance.

8/10

Part des Français ayant confiance dans les médicaments.

87 %

Part des Français ayant confiance dans les médicaments prescrits sur ordonnance, contre 66 % pour les médicaments sans ordonnance.

**76** %

Part des Français ayant confiance dans les vaccins.

86 %

Part des Français ayant confiance dans les médicaments d'immunothérapie.

Source : Observatoire sociétal du médicament, novembre 2019.

#### 12

Nombre d'actions de groupe lancées en France tous secteurs confondus depuis 2016.<sup>1</sup>

### Décembre 2017

Un rapport de la Cour des comptes a souligné les « limites du dispositif » actuel des actions de groupe.

1) Syndicat de la magistrature, décembre 2019.

### Actions de groupe en santé: une arme pour les usagers du système de santé français?

Lancées en 2016 en France sur le modèle des « class actions » américaines, les actions de groupe en santé devaient permettre aux usagers du système de santé français d'obtenir plus facilement réparation d'un préjudice corporel résultant d'un médicament ou d'un produit de santé. Quatre ans plus tard, ce dispositif livre un bilan décevant. En cause, la complexité, la longueur et le coût des procédures. En juillet 2019, une mission d'information sur le bilan et les perspectives des actions de groupe a été ouverte à l'Assemblée nationale. Ses conclusions sont attendues courant 2020.

#### UNE PROCÉDURE LONGUE, COMPLEXE... ET DISSUASIVE



Vous avez un préjudice matériel avec une entreprise ou un professionnel.



Vous alertez une association de consommateurs qui décide d'introduire en justice une action de groupe si elle le juge justifié.



Le juge se prononce sur :

- la recevabilité de l'action
- la responsabilité de l'entreprise ou du professionnel
- les critères d'indemnisation (modalités, montant...)
- les critères de rattachement au groupe d'autres consommateurs concernés

Si l'entreprise ou le professionnel est condamné, alors l'entreprise ou le professionnel doit lancer une campagne de publicité pour permettre aux autres

consommateurs concernés

de se déclarer.



Les consommateurs concernés se font connaître dans le délai imparti (entre 2 et 6 mois) et avec les pièces justificatives prévues par le jugement, ils rejoignent le groupe. Les victimes sont indemnisées en réparation du préjudice, soit directement par le professionnel, soit via l'association.



Et si l'entreprise ou le professionnel refuse d'indemniser certains consommateurs...



... alors, le juge tranche sur tous les cas puis clôture l'action de groupe.

Source: www.loiconso.gouv.fr

# La France est-elle (encore) une grande terre d'accueil pour les investissements étrangers?

La France demeure une terre de prédilection pour les investisseurs étrangers. En 2018, elle s'est imposée comme la deuxième destination des investissements étrangers (première pour les projets en R&D et dans l'industrie). Pour les investissements en santé, la situation est plus nuancée. La régulation économique du médicament, particulièrement pénalisante ces dernières années, a entraîné un recul des positions françaises en Europe en termes d'accès des patients aux innovations thérapeutiques, de recherche clinique, de production pharmaceutique et de stabilité fiscale et réglementaire.

#### 1027

Nombre de projets d'investissements étrangers accueillis en France en 2018, contre 1019 en 2017.

#### **78**%

Part des entreprises étrangères installées en France tirant un bilan positif de leur investissement sur le territoire.¹



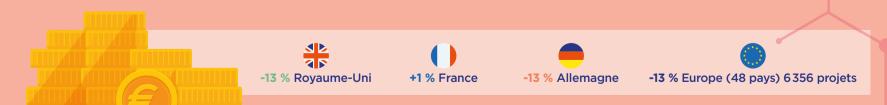
#### 88%

Part des cadres dirigeants étrangers estimant que la France est attractive.<sup>2</sup>

1) Sondage Kantar Public-Business France, septembre 2018.

#### INVESTISSEMENTS ÉTRANGERS : LA FRANCE PROGRESSE EN 2018, PASSE DEVANT L'ALLEMAGNE ET TALONNE LE ROYAUME-UNI





Source : baromètre EY de l'attractivité de la France, 2019.

## Fiscalité du médicament : la France championne d'Europe de la pression fiscale?



 Avec huit taxes et redevances sectorielles, l'industrie pharmaceutique française se situe en queue de peloton des pays européens en matière de politique fiscale attractive. Dans un environnement mondialisé, où la fiscalité s'affirme de plus en plus comme un outil de compétition entre les Etats, le poids excessif des taxes spécifiques et générales en France constitue un handicap de taille pour le rayonnement industriel du pays sur la scène internationale. Il est urgent de stopper ce phénomène de « désattractivité » qui frappe l'industrie pharmaceutique française.



l'Irlande toujours en pôle position, la Suisse double le Royaume-Uni, la France décroche..."



**ROYAUME-UNI** 



SUISSE



**IRLANDE** 



8

Nombre de taxes et redevances spécifiques à l'industrie pharmaceutique française. A titre de comparaison, l'Espagne et l'Italie n'en comptent que trois, l'Allemagne une seule et le Royaume-Uni aucune.

### +8<sub>à</sub>14

Augmentation du taux global d'impôt en France (selon les profils d'entreprises étudiés) entre 2016 et 2019, alors celui de ses voisins européens a tendance à diminuer.

#### +16 à 72

#### points

Ecart entre le taux global des prélèvements obligatoires sur les entreprises du secteur pharmaceutique français et celui appliqué chez nos principaux voisins européens.

Source : étude PwC Société d'Avocats pour le Leem, 2019.

#### **50**%

Part des médicaments fabriqués en France qui sont exportés.

#### **6,8**%

Part des exportations de produits pharmaceutiques dans les exportations totales de la France en 2019, pour un montant de 30 milliards d'euros.¹

1) Bilan économique du Leem 2020.

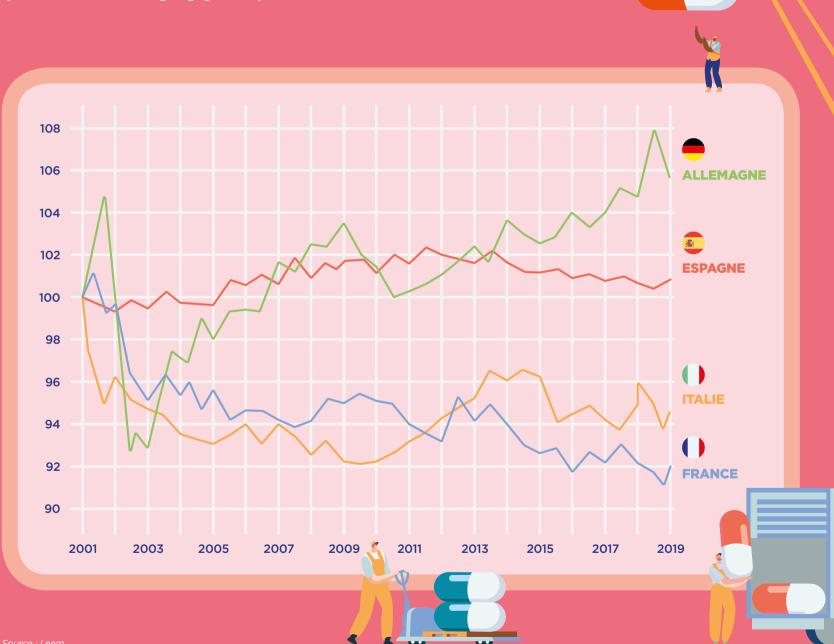
# Le médicament français s'exporte-t-il bien?

En 2019, l'industrie pharmaceutique est le 4° plus gros exportateur de la France, derrière l'aéronautique/aérospatiale, l'agroalimentaire et l'automobile. Le pays affiche en particulier un solide leadership sur les vaccins, puisque 85 % de sa production est exportée. Mais cette dynamique est fragile, notamment en raison de la régulation qui pèse sur le secteur. La France est ainsi le pays européen qui enregistre la plus importante baisse de ses parts de marché à l'exportation de médicaments depuis 2001.



#### UNE DÉGRADATION DE LA COMPÉTITIVITÉ DE LA FRANCE À L'EXPORT

Entre 2014 à 2019, les exportations françaises ont baissé de 2 points quand celles de l'Allemagne gagnent 4 points.



#### 31%

Part des Français confrontés au moins une fois à l'indisponibilité d'un médicament.

#### 1200

Nombre de signalements de rupture de stock de médicaments d'intérêt thérapeutique majeur (MITM) reçus par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) en 2019.

#### 38 jours

Durée moyenne de rupture d'approvisionnement en 2018. Elle était de 109,3 en 2016.

1) Tufts University. Center for the Study of Drug Development, 2018.

## Pénuries de médicaments: comment les réduire?

2%

Antiparasitaires & répulsifs

(ex : antipaludéens)

Face à l'augmentation des pénuries de médicaments, le secteur pharmaceutique a élaboré, en 2019, un plan d'actions visant à compléter le dispositif actuel de suivi et de gestion des stocks pour les traitements dont l'indisponibilité met en péril la vie des patients. Il préconise d'agir sur plusieurs leviers : revoir les mécanismes d'appel d'offres hospitaliers, favoriser la production de matières premières en Europe, renforcer le partage d'information entre les acteurs de la filière, encadrer la distribution en cas de tension et assurer un meilleur pilotage stratégique au niveau national et européen.

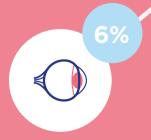


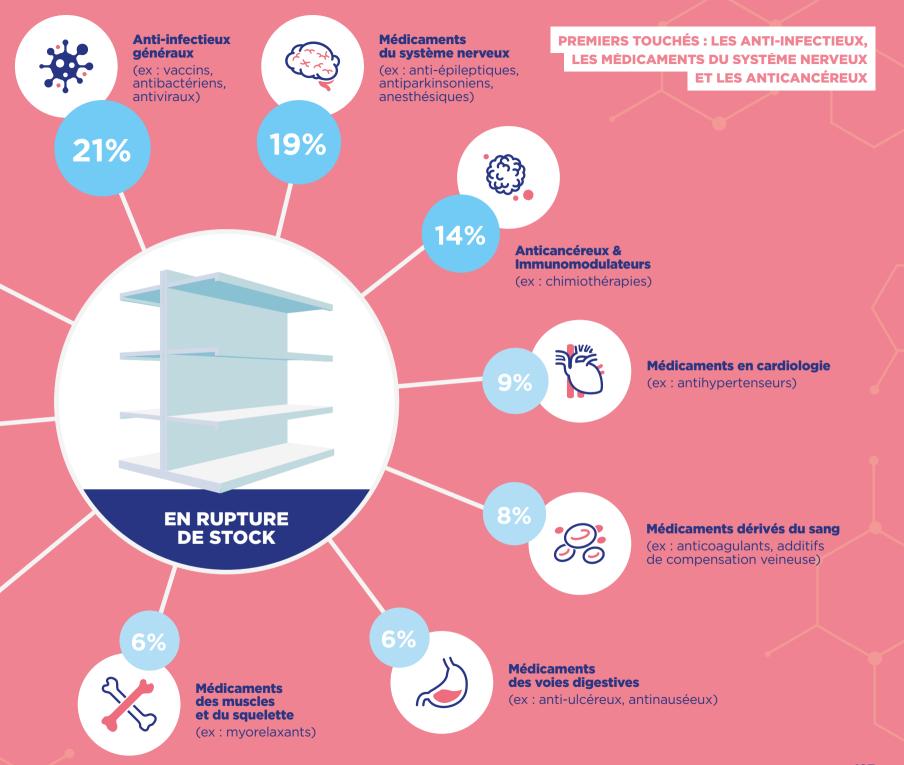
Médicaments du système respiratoire

(ex : traitement de l'asthme)

#### Médicaments des organes sensoriels

(ex : anti-infectieux ou antiglaucomateux pour veux ou oreilles)





### Compétitivité: la France est-elle toujours dans la course des nations innovantes?

La compétitivité française montre des signes de faiblesse. Dans de nombreux domaines stratégiques (accès des patients aux médicaments, fiscalité du secteur, instabilité réglementaire, coût de la main-d'œuvre...), le pays, qui bénéficie pourtant d'atouts significatifs en production et R&D, perd du terrain face à ses concurrents européens. Le Conseil stratégique des industries de santé (CSIS) de juillet 2018 marque un renforcement inédit du soutien de l'Etat aux industries de santé et à leurs innovations, afin de faire de la France l'un des leaders mondiaux en la matière.

#### **ROYAUME-UNI**

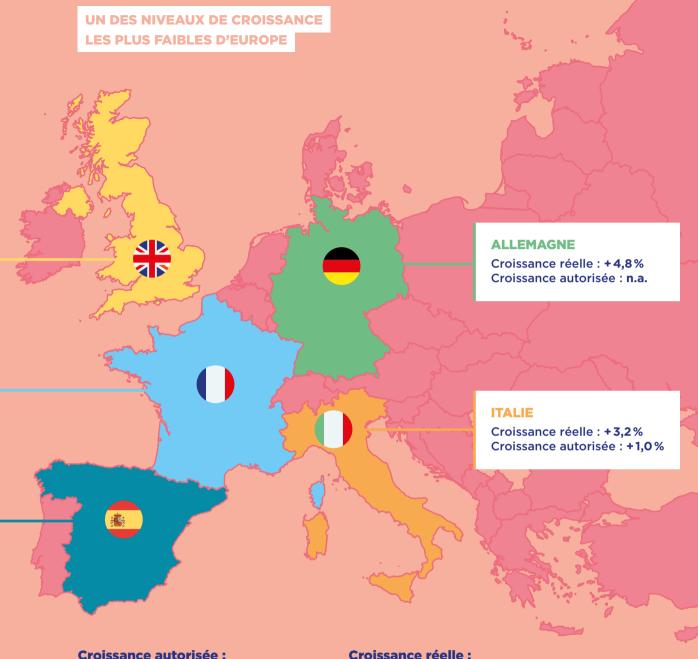
Croissance réelle: +9,6% Croissance autorisée: +2,2%

#### **FRANCE**

Croissance réelle: n.c. Croissance autorisée: +1,0 %

#### **ESPAGNE**

Croissance réelle: +4,3%
Croissance autorisée: +2.0%



#### Croissance autorisée :

taux de croissance des dépenses de médicaments au-delà duquel l'industrie pharmaceutique reverse au payeur public tout ou partie des dépenses excédentaires. taux de croissance du secteur avant le reversement lié au dépassement du taux de croissance autorisé.

Place de la France au classement de la compétitivité mondiale en 2019 (sur un total de 141 pays). Elle était au 17e rang en 2018.1

Croissance enregistrée par la France en 2019.

Baisse des investissements productifs entre 2010 et 2015.

<sup>1)</sup> Forum économique mondial.

# Faux médicaments: comment lutter contre un fléau mondial?

Un patient achetant ses médicaments sur internet a environ une chance sur deux de tomber sur un faux¹. Depuis 2003, les entreprises du médicament disposent d'un comité anti-contrefaçon qui fait le lien entre les industriels et les autorités (douanes, police, justice...) pour lutter contre ce trafic très préjudiciable pour la santé humaine, sur tous les continents. Une sécurité supplémentaire est apportée en février 2019 avec la sérialisation, qui consiste à attribuer un numéro unique à chaque boîte de médicaments, renforçant ainsi sa traçabilité.

#### 1/10

Part des médicaments falsifiés en circulation dans le monde (1/4 dans les pays en développement). Le sida, la tuberculose et le paludisme sont les trois maladies les plus concernées par ce fléau.¹

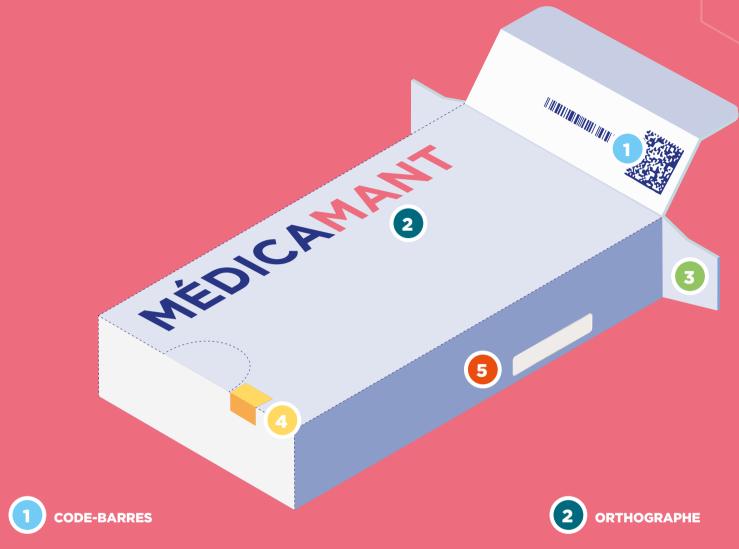
#### 150000

Nombre d'enfants africains âgés de moins de 5 ans décédés à cause de traitements falsifiés contre le paludisme en 2013.1

#### 13 millions

Nombre de médicaments falsifiés saisis en 2018 grâce à l'opération européenne MISMED 2.

1) Organisation mondiale de la santé (OMS).



Le code CIP à 13 chiffres vise à identifier chaque médicament remboursable dans la base de données nationale. Un code de traçabilité, appelé Datamatrix, remplace le traditionnel code-barres, qui constituait jusqu'à présent le seul moyen d'identifier un médicament.

Les faux médicaments présentent souvent une orthographe inexacte ou parfois proche du nom du vrai médicament.

#### 3 INTÉGRITÉ DE LA BOÎTE

Les boîtes de faux médicaments peuvent présenter des signes extérieurs attirant les doutes. Elles peuvent être prédécoupées et collées grossièrement à la main.



Ces étiquettes de sécurité permettent de garantir l'intégrité de l'emballage. Elles témoignent de sa non-ouverture avant distribution.



Les hologrammes, particulièrement difficiles à reproduire par les contrefacteurs, viennent compléter le dispositif de sécurisation de la boîte de médicaments.

## Les Français consomment-ils trop de médicaments?

La France est le seul pays européen dont la consommation médicamenteuse a diminué – et dans une proportion considérable – depuis 2004. Les politiques de maîtrise médicalisée menées par l'Assurance maladie et le développement d'actions visant à promouvoir le bon usage du médicament ont largement contribué à cette évolution. Les Français demeurent cependant les plus gros consommateurs d'antibiotiques.







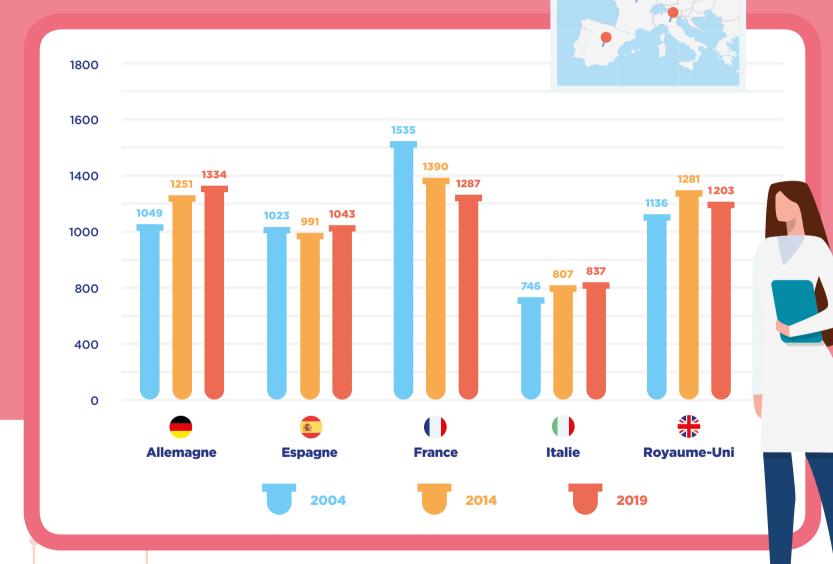
Consommation moyenne par an et par habitant de médicaments en France en 2018. Ce chiffre recouvre une très grande diversité: ce sont surtout les personnes âgées et celles atteintes de maladies graves qui consomment le plus. **16**%

Entre 2004 et 2019, la consommation de médicaments par habitant a baissé de 16 % en France, alors qu'elle augmentait de 27 % en Allemagne.<sup>1</sup>



### LES FRANÇAIS NE SONT PLUS LES PLUS GROS CONSOMMATEURS DE MÉDICAMENTS EN EUROPE

Evolution de la consommation de médicaments en unité standard par habitant. Marché ville (2004-2014-2019).



1) Bilan économique du Leem 2020.

Comment les industries du médicament transforment-elles leurs métiers pour s'adapter à la médecine et aux soins du futur?

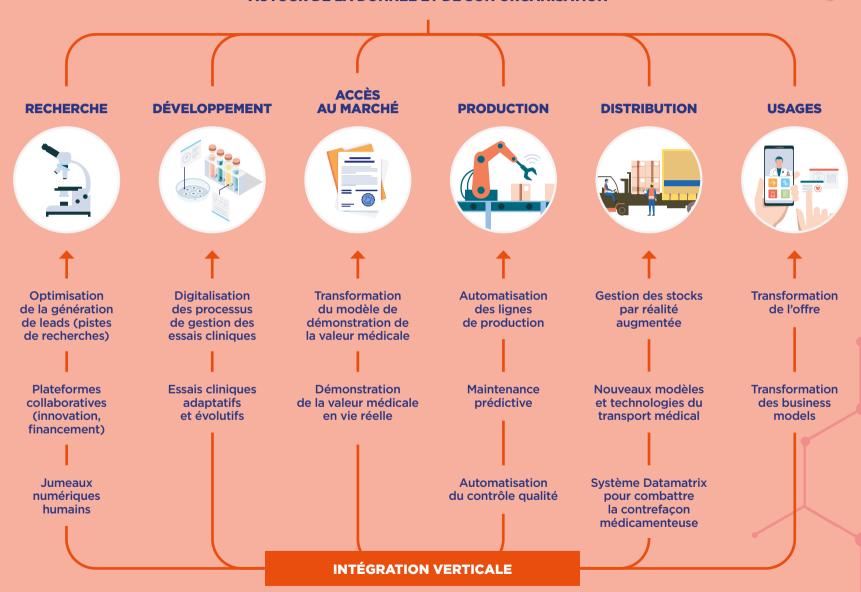
Les industries du médicament requièrent par essence des compétences pluridisciplinaires et un savoir-faire de haut niveau, que ce soit en R&D, fabrication, affaires réglementaires, commercialisation et surveillance du marché. Le poids grandissant de la biologie dans les activités de l'industrie pharmaceutique et la diffusion des technologies numériques dans tous les domaines engendrent des besoins fondamentalement nouveaux qui bouleversent l'ensemble des processus de la chaîne de valeur du secteur.



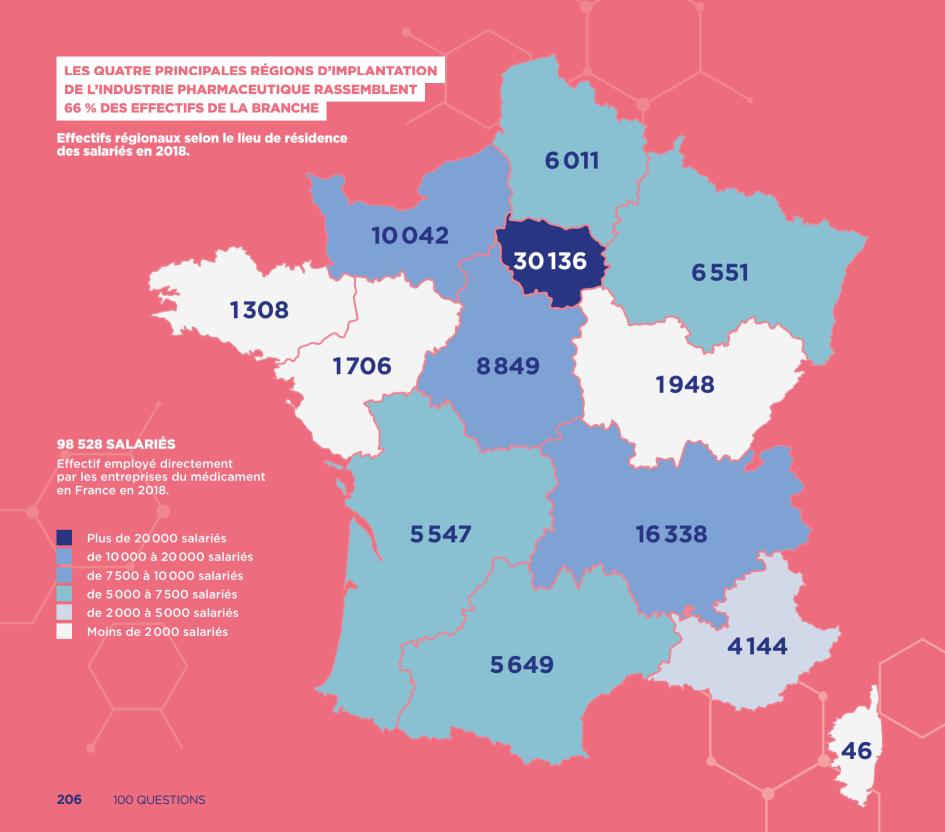
Nombre de technologies structurantes pour la filière santé : le cloud. la cybersécurité, le Big Data, l'intelligence artificielle. la robotique. la simulation numérique. les objets connectés et la réalité augmentée.

#### L'ENSEMBLE DES PROCESSUS DE LA CHAÎNE DE VALEUR EST TRANSFORMÉ PAR L'INDUSTRIE 4.0

#### CRÉATION D'UNE CHAÎNE DE VALEUR ORGANISÉE AUTOUR DE LA DONNÉE ET DE SON ORGANISATION



Source : Pôle interministériel de prospective et d'anticipation des mutations économiques (Pipame), 2019.



## Comment se porte l'emploi dans les entreprises du médicament?

Caractérisé par une forte stabilité, un salaire moyen élevé et une féminisation importante, l'emploi dans le secteur pharmaceutique poursuit sa dynamique. La branche production concentre la part la plus importante des salariés du secteur (44 % de l'effectif total), mais c'est en R&D que les effectifs ont le plus progressé en 2018 (+ 2 %). Quelques défis restent toutefois à relever dans les prochaines années, notamment à destination des jeunes et des seniors et des emplois dans le secteur de la bioproduction, où près de 1 000 postes devraient être créés.



10 000

Nombre d'embauches par an en moyenne depuis dix ans.

44,2 ans

Age moyen des salariés dans l'industrie pharmaceutique. Il augmente de près d'un an tous les trois ans.

**33,5**%

Part des salariés de plus de 50 ans dans les effectifs en 2018.

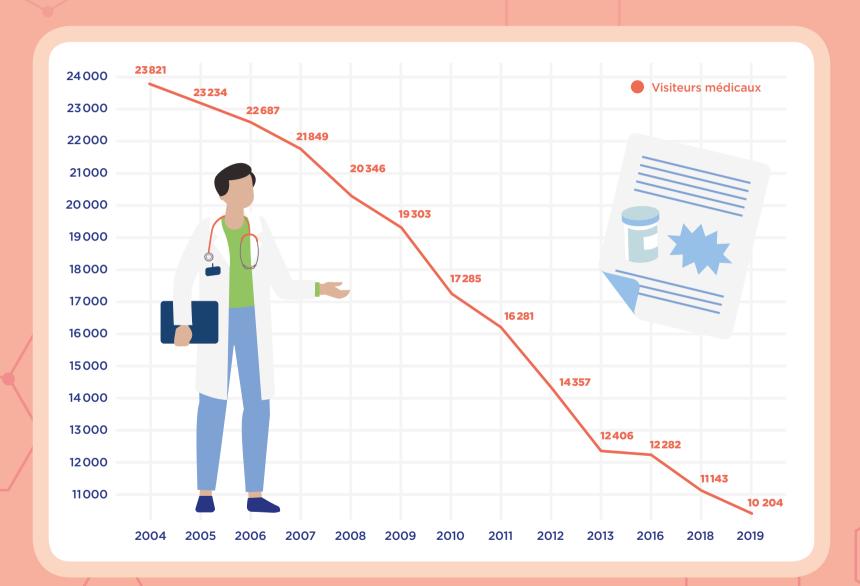
**15,4** %

Part des salariés de moins de 30 ans dans les effectifs en 2018.

Source: Leem 2018

#### DEPUIS 2004, LE NOMBRE DE SALARIÉS DE L'INFORMATION PROMOTIONNELLE DIMINUE RÉGULIÈREMENT

Evolution des effectifs de l'information promotionnelle entre 2004 et 2019.



#### **49** ans

Age moyen des salariés de l'information promotionnelle.

#### **73**%

Part des femmes dans la profession depuis cinq ans.

#### **20** ans

Ancienneté moyenne dans la profession (13 ans au sein de la même entreprise).

#### **Bac** +3

Equivalence du diplôme de visiteur médical



## Information promotionnelle: pourquoi est-elle indispensable?

Le nombre de salariés exerçant une activité d'information promotionnelle a diminué ces dernières années en raison de profondes restructurations, parmi lesquelles le virage numérique et un encadrement de plus en plus strict de la profession. Mais leur présence demeure indispensable, notamment pour délivrer aux professionnels de santé les informations qui leur permettront d'assurer un bon usage du médicament. Le métier monte en gamme pour l'adapter aux nouvelles exigences des médecins en termes de qualité d'information et à la complexité croissante des médicaments sur le marché.





## Le circuit du médicament est-il bien contrôlé?

En France, la fabrication des médicaments suit une procédure précise et réglementée. Un pharmacien contrôle toutes les phases du processus et valide le passage d'une étape à l'autre, depuis l'autorisation de mise sur le marché (AMM) jusqu'à la délivrance au patient. Précautions d'hygiène et de sécurité dans l'usine, surveillance étroite lors du conditionnement et du transport, vérification des dosages prescrits par le médecin... rien n'est laissé au hasard.



## Travailler avec une entreprise du médicament constitue-t-il un conflit d'intérêts?

Les liens de travail entre les entreprises du médicament et les professionnels de la santé sont essentiels pour améliorer la prise en charge des patients et favoriser le progrès thérapeutique. Il faut faire une distinction entre un lien, qui acte le fait que des personnes ou entités collaborent, et un conflit d'intérêts, qui, lui, est répréhensible. Pour prévenir ces derniers, la France s'est dotée d'un dispositif (la base Transparence santé) qui impose une transparence totale des relations entre les entreprises du médicament et les autres acteurs du monde de la santé.



BASE TRANSPARENCE SANTÉ
www.transparence.sante.gouv.fr



#### 820

Nombre d'entreprises inscrites sur la base de données publique Transparence santé, dont 334 entreprises du médicament.

#### 10 euros

Montant à partir duquel les entreprises du médicament sont tenues de rendre publics la rémunération et les avantages (dons, repas, frais de transport et d'hébergement...) perçus dans le cadre d'un contrat conclu avec un acteur de santé.

Source: étude IQVIA pour le Leem, 2019

#### **4**e

Rang de la France en matière de dépôt de brevets de médicaments dans le monde, mais avec 5 % des dépôts, elle se positionne très loin des Etats-Unis, qui dominent ce secteur.<sup>1</sup>

### Entre 12 et 15 ans

Durée pendant laquelle le médicament est protégé commercialement, ce qui reste inférieur à la protection de vingt ans théoriquement prévue par le brevet dans les autres secteurs industriels.

1) Ministère de l'Enseignement supérieur, de la Recherche et de l'Innovation.

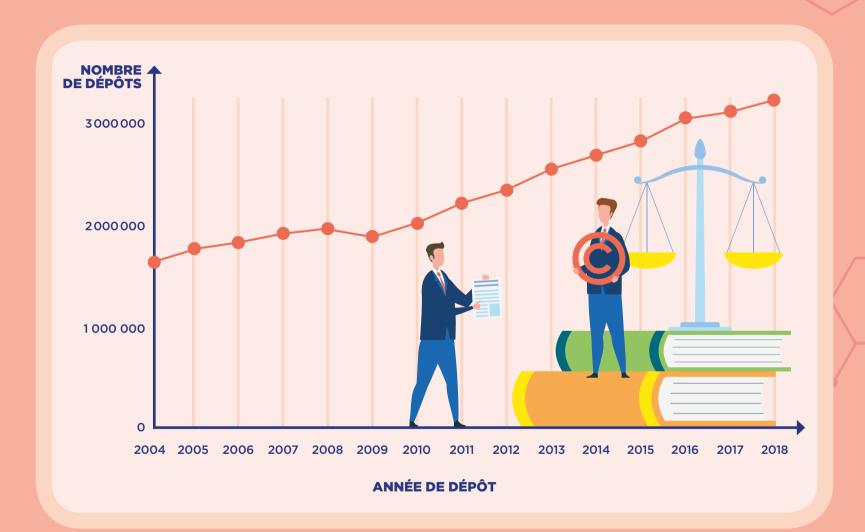
## Quels sont les enjeux liés à la propriété industrielle?

La propriété industrielle est l'un des éléments clés du développement de l'innovation. Seuls actifs valorisables par les jeunes entreprises technologiques, les brevets sont vitaux pour leur pérennité, d'où le déploiement de véritables stratégies dans ce domaine. Les grandes entreprises font face aux mêmes enjeux : peu de médicaments génèrent des gains suffisants pour couvrir l'ensemble des coûts de R&D engagés (entre 1 et 1,5 milliard d'euros). D'où l'importance du respect de la propriété intellectuelle que confère le brevet.



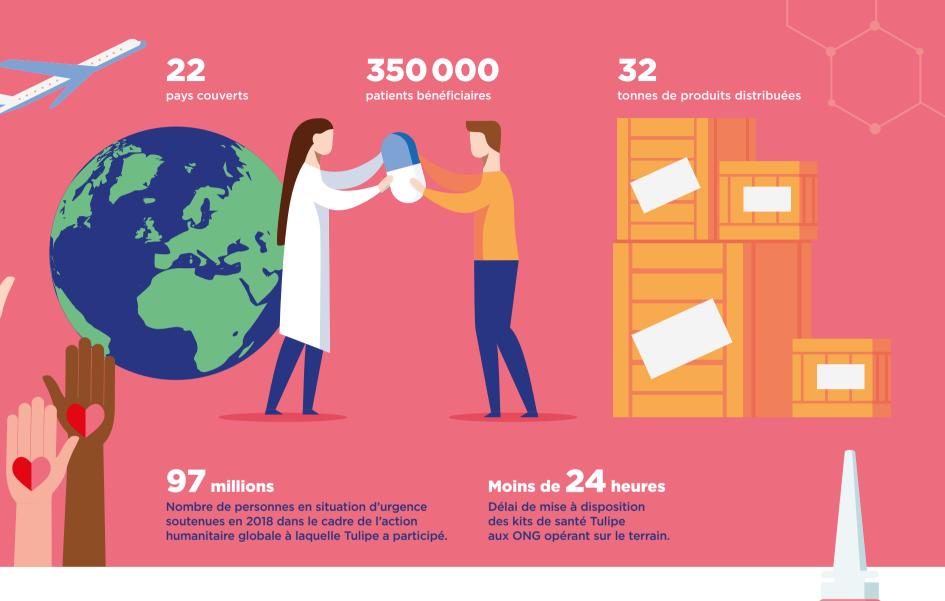
#### LES INNOVATEURS DU MONDE ENTIER ONT DÉPOSÉ 3,3 MILLIONS DE DEMANDES DE BREVET EN 2018

Soit une hausse de 5,2 % pour la neuvième année consécutive de croissance.





### Que font les entreprises du médicament lors des crises sanitaires mondiales?



Tulipe est la réponse des entreprises du médicament aux situations d'urgence. Créée en 1982, l'association fédère les dons des laboratoires pharmaceutiques et met à la disposition d'ONG référencées des kits de santé appropriés aux besoins immédiats des populations en détresse avec une extrême réactivité. Dans les années à venir, Tulipe prévoit d'étendre son action à la période « post-urgence » afin d'éviter une crise sanitaire aussi dévastatrice que la crise initiale.

Source : Tulipe.

## Pour en savoir plus



Une analyse prospective sur la santé de demain.

A télécharger sur www.leem.org



58, boulevard Gouvion-Saint-Cyr CS 70073 - 75858 Paris Cedex 17 Tél. : +33(0)1 45 03 88 88

f facebook.com/lemedicamentetmoi



in Leem

P

LeemFrance

www.leem.org/100-questions