

## Maladies rares : Préserver le caractère incitatif du règlement européen afin de poursuivre la dynamique d'innovation

En France, les maladies rares touchent près de trois millions de personnes, dont 75 % d'enfants. Enjeu de santé publique majeur, elles affectent fortement la vie des patients et restent malheureusement le plus souvent sans réponse thérapeutique.

### La France pionnière et engagée

Avec le lancement en 2005 du premier Plan National Maladies Rares, la France a été pionnière en Europe dans le domaine des maladies orphelines. Ce rôle précurseur a permis des avancées considérables dans l'amélioration et la structuration des actions de recherche, de diagnostic et de soins sur le territoire

Plus encore, la France a également été à l'origine de l'adoption en décembre 1999 d'un règlement européen orphelin (CE n° 141/2000) qui a constitué une véritable incitation au développement et à la mise sur le marché des médicaments destinés à prévenir ou diagnostiquer les maladies rares.

En effet, ce règlement prévoit une définition du médicament orphelin avec des critères harmonisés, une procédure d'autorisation de mise sur le marché (AMM) centralisée pour les produits destinés à traiter des maladies rares, une exclusivité commerciale (dix ans, prolongés à 12 ans en cas de plan d'investigation pédiatrique (PIP)).

**Pourtant, la réouverture du règlement européen par la Commission européenne pourrait remettre en cause ces dispositions favorables à l'innovation.**

### Un règlement européen dont le cadre incitatif est à préserver...

Les résultats de la mise en place du règlement sont positifs. Ainsi, celui-ci a permis de **passer de 8 traitements approuvés par l'Agence européenne des médicaments en 2000 à 190 en 2020.**

Les essais liés à la recherche clinique sur les maladies rares ont augmenté de 88 % entre 2006 et 2016.

Les essais cliniques portant sur des maladies rares représentent aujourd'hui 22 % des essais initiés par les industriels du médicament. Près de 2 800 essais cliniques en cours, dont une proportion importante est en phase avancée, seront susceptibles d'apporter des nouvelles réponses thérapeutiques dans les années qui viennent.

Enfin, 220 PME ont été créées, après l'entrée en vigueur du règlement, responsables du développement de 51 % des médicaments orphelins en Europe.

### **... pour permettre à l'innovation des entreprises du médicament d'apporter les solutions thérapeutiques de demain**

Même si certaines limites persistent : besoins médicaux non couverts, accès inégal entre les pays... il est néanmoins stratégique pour l'Europe de préserver un cadre incitatif. Sans lui, notre continent se priverait d'un outil indispensable à la recherche et au développement de l'innovation au bénéfice des patients européens ainsi qu'à sa compétitivité industrielle.

En son absence, on estime ainsi que 44 % des produits orphelins approuvés à ce jour n'auraient probablement pas pu être développés, et qu'environ 2 millions de patients européens n'auraient pas eu accès à un traitement.

*« Pour ces raisons, les entreprises du médicament demandent le maintien d'un système restant incitatif, prédictible et lisible afin de poursuivre la dynamique d'innovation pour fournir aux malades les meilleurs traitements possibles et répondre aux besoins médicaux non satisfaits. Plus que jamais, les entreprises du médicament souhaitent être étroitement associées aux politiques européennes visant à structurer la recherche au profit des patients atteints de maladies rares », conclut Frédéric Collet, Président du Leem.*

#### **Contacts presse Leem :**

Stéphanie BOU - 06 60 46 23 08 - sbou@leem.org

Virginie PAUTRE - 06 31 86 82 70 - vpautre@leem.org

Alice ROZNOWIEZ - 06 08 97 50 49 - aroznowied@leem.org