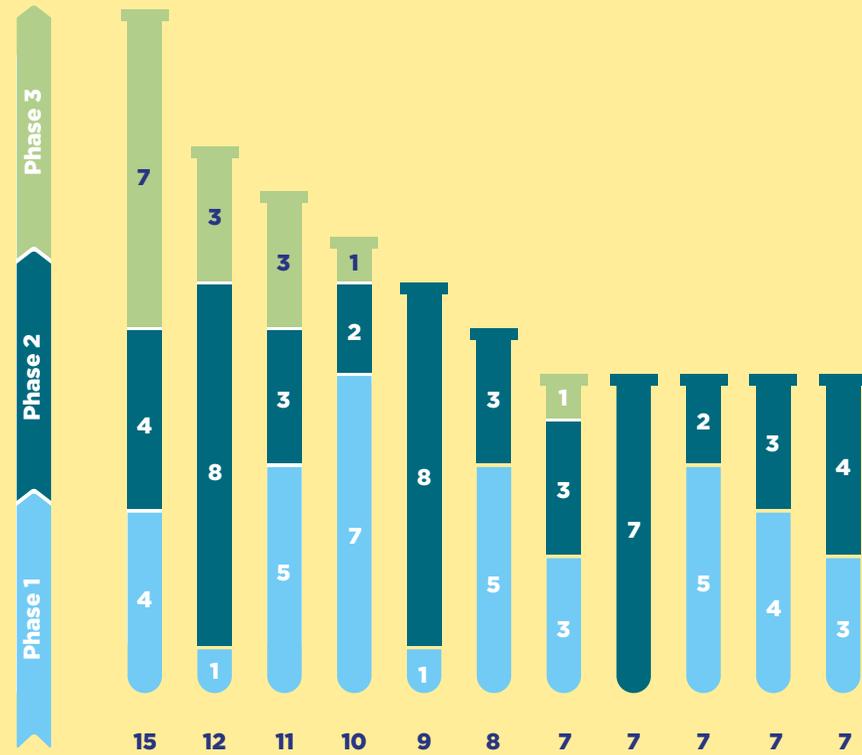


LES MALADIES RARES LES PLUS EXPLORÉES

(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 ?

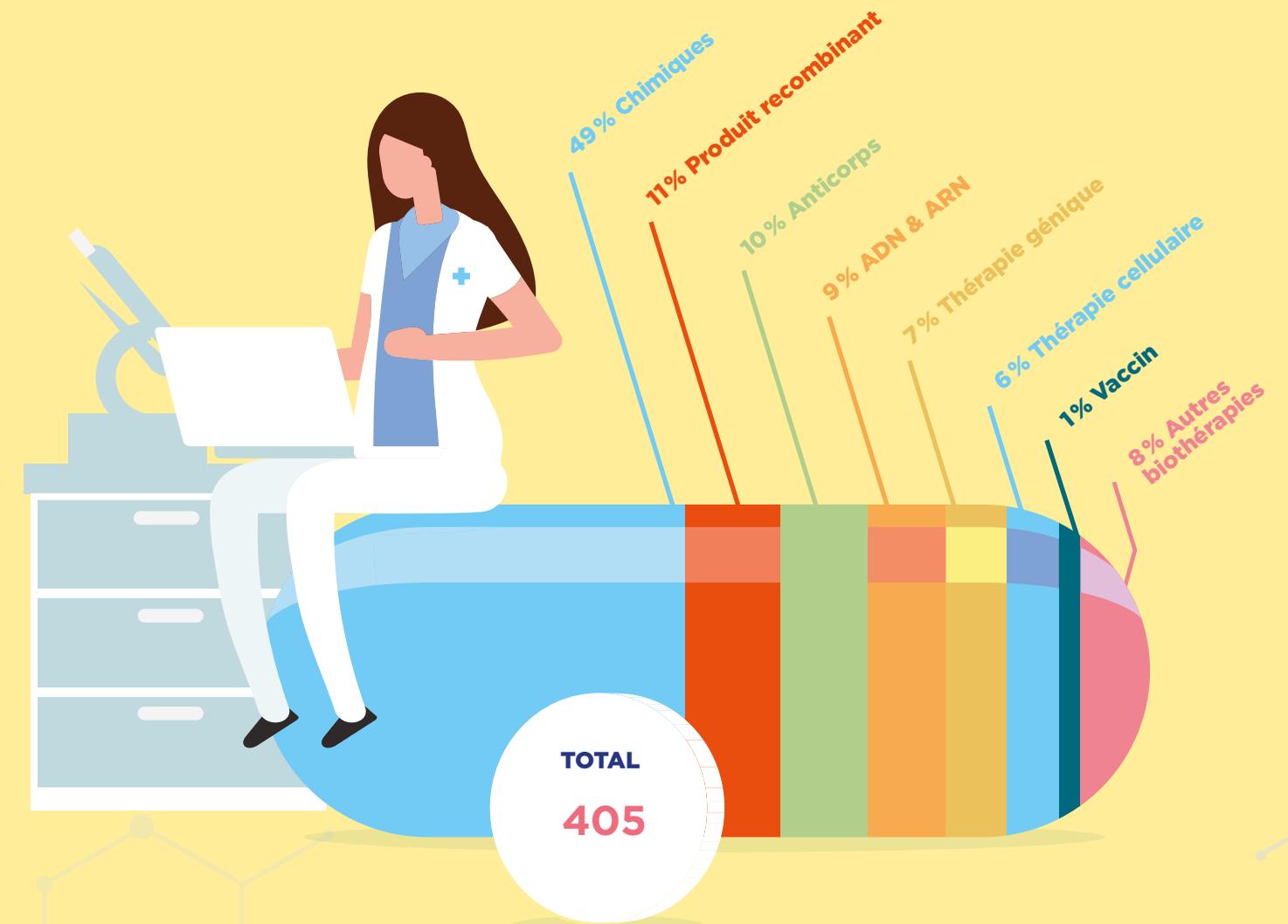
En France, 3 millions de personnes, dont 75 % d'enfants, sont atteintes par l'une des 7 000 maladies rares, pour lesquelles il n'existe le plus souvent pas de traitement curatif. Mais la mobilisation est forte pour cette cause. Et les patients français sont souvent les premiers en Europe à bénéficier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



TOTAL
405

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