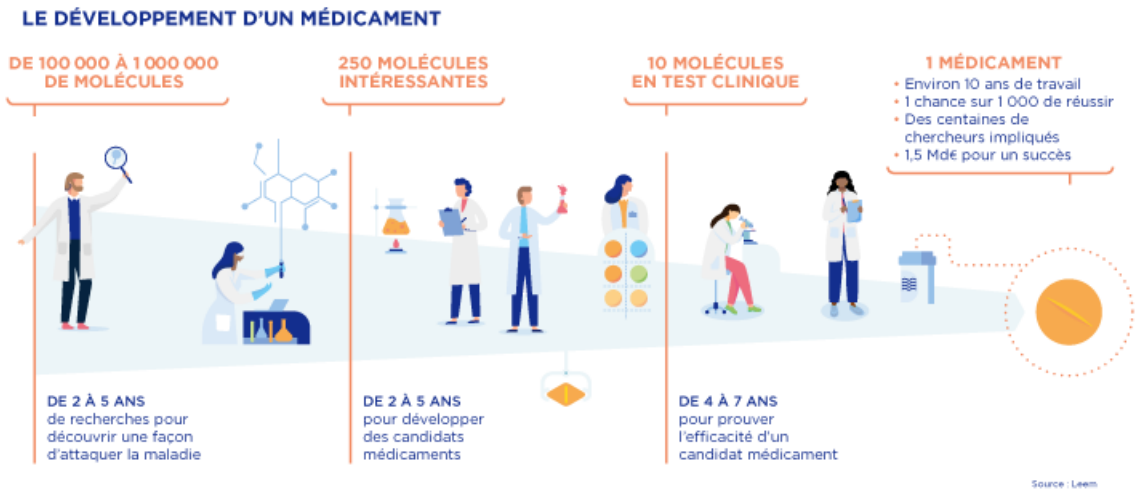
Pourquoi est-ce si long et difficile de mettre au point un médicament ?

L'élaboration et le développement d'un nouveau médicament demandent en moyenne un investissement de près de 1 milliard d'euros (1) et plus de dix ans de travail.
Ce développement s'inscrit dans un processus de sélection très strict, avec des tests effectués sur 10 000, 50 000 voire 100 000 substances différentes, avant qu'une seule puisse être commercialisée avec succès.
(maj : 26.04.2021)



Chiffres

10

c'est le nombre de candidats médicaments obtenus au terme de la phase de recherche.

10

Plus de dix ans de travail sont nécessaires à l'élaboration et au développement d'un nouveau médicament.

Contexte

- A l'origine de tout médicament, il y a une hypothèse de chercheurs basée sur des travaux antérieurs ou une découverte due au hasard.

La première phase du développement d'un médicament consiste en la découverte d'une molécule-cible : une

protéine, par exemple, dont les chercheurs supposent qu'elle est impliquée dans l'apparition d'une pathologie. Ces derniers espèrent qu'en bloquant ou en stimulant cette molécule-cible, ils pourront atténuer la maladie, voire la guérir.

- L'organisme humain est toutefois extrêmement complexe, et de nombreuses molécules différentes participent au déclenchement de la plupart des maladies. Le fait de toucher à un « rouage » isolé conduit rarement à une guérison.

- Une fois la cible identifiée, il s'agit de trouver des substances qui vont exercer une influence sur son action ou ses signaux. Les industriels travaillent alors à partir de gigantesques bibliothèques (les chimiothèques) qui comportent jusqu'à 2 millions de substances.

- Les substances sont mises individuellement en présence de la cible par un « screening » (criblage) à cadence élevée, ou à haut débit assuré, par des robots pouvant réaliser jusqu'à 200 000 tests par jour. Une modification identifiable (par exemple, une coloration du mélange) indique que la substance s'est effectivement fixée sur la cible.

- Les substances affichant au minimum une faible action sont analysées plus en détail, puis améliorées en plusieurs étapes.
La plupart du temps, les substances d'origine ne conviennent pas encore comme médicament, notamment parce qu'elles sont trop rapidement dégradées dans l'organisme.

- Les molécules identifiées sont testées de différentes manières avant tout essai sur l'homme. C'est la phase des études précliniques, qui comporte :
- La phase d'identification du produit : des essais d'efficacité sont réalisés sur des systèmes moléculaires inertes, sur des cellules et, enfin, sur l'animal. Le nouveau produit est identifié.
- La toxicologie : des études évaluent les risques d'effets secondaires des futurs médicaments.
- La pharmacocinétique et le métabolisme du médicament : ces études portent sur les propriétés pharmaceutiques de la molécule telles que son absorption, son métabolisme, sa distribution ou son élimination par l'organisme.

- Ces études dites « précliniques » permettent de dresser une carte d'identité de la molécule. C'est sur cette base que peuvent s'engager les études sur l'homme.

(1) Estimated Research and Development Investment Needed to Bring a New Medicine to Market, 2009-2018. Olivier J. Wouters, PhD1; Martin McKee, MD, DSc2; Jeroen Luyten, PhD3. JAMA. 2020;323(9):844-853. doi:10.1001/jama.2020.1166

Enjeux

Nos Actions