

La lettre de



Le think tank des entreprises émergentes et innovantes luttant contre les maladies rares - #1 - Oct.21

PLFSS pour 2022 Sommes-nous prêts à accueillir l'innovation ?



PLFSS 2022

Titre du CP sur le PLFSS

P.2

LE POINT DE VUE DE...

Antoine Ferry

P.3

ENTRETIEN AVEC...

Anne Perrot

P.4

AMENDEMENT

L'étalement de paiement

P.7

ÉDITO



Dr Olivier Mariotte
Président de nile

Permettre aux entreprises innovantes et émergentes luttant contre les maladies rares de faire comprendre leurs spécificités et les enjeux capitaux auxquelles elles sont confrontées est la raison d'être d'Orphan Organisation 7, think tank créé à l'initiative de nile.

Ces entreprises ont en commun d'être profondément investies, aux côtés des patients et des centres de recherche, dans l'élaboration de thérapies de rupture au profit des malades atteints de pathologies rares ou orphelines. Hélas, elles ont aussi en commun de faire face à d'importantes barrières, culturelles, procédurales ou comptables, empêchant la mise à disposition de ces thérapies.

Les choses changent, heureusement, et l'absence de vaccin français contre la Covid aura eu au moins un point positif : faire prendre conscience aux autorités et au grand public de la gravité de notre retard dans l'innovation en santé. Les réponses n'ont pas tardé, et l'engagement fort de l'ensemble des acteurs et du Gouvernement pour redorer le blason de la France est à saluer. Pour autant, rien n'est encore réglé, de nombreux points demeurent encore dans l'angle mort des réformes. C'est la vocation de cette newsletter que d'alerter sur ceux-ci. Soyons vigilants et soyons constructifs. C'est de l'avenir de la France dans l'innovation dont il s'agit, et plus encore de la santé des malades !



Orphan Organisation 7



orphanorganisation7.org

PLFSS 2022 : LES POLITIQUES ONT OUVERT UNE ROUTE QUE LES VOIES ADMINISTRATIVES RISQUENT DE RENDRE TORTUEUSE

Le think tank Orphan Organisation 7 estime que le Projet de Loi de Financement de la Sécurité Sociale (PLFSS) pour 2022 est un texte pouvant contribuer à redonner à la France une attractivité en matière d'innovation en santé et à garantir aux malades l'accès aux thérapies de rupture. En ce sens, la voie politique va dans la bonne direction. Orphan Organisation 7 estime cependant que certaines mesures, bonnes sur le fond, pèchent par leur complexité et leur forte administrativité, et pourraient gagner en efficacité et en clarté.

Oui à l'accès direct, non à la « compensation »

L'article 38 du PLFSS prévoit ainsi la mise en place d'une nouvelle procédure « d'accès direct », permettant aux produits de santé disposant d'une AMM, et n'étant pas passées par le dispositif d'accès précoce, d'être prises en charge par l'assurance maladie. Cette prise en charge a lieu après l'évaluation de la HAS, pour une durée d'un an et selon un niveau de compensation fixé par l'administration. Le think tank Orphan Organisation 7 y voit un outil utile pour permettre à des médicaments étant en procédure de négociation de prix d'être mis à disposition des malades.

Néanmoins, la méthode de fixation du prix du médicament dans ce dispositif pose question et éloigne ce dispositif du modèle allemand, duquel il est censé être inspiré. La « compensation » prévue par le texte ressemble en effet à une fixation avant l'heure du prix du produit par l'administration, selon des critères nouveaux qui ne ressemblent à rien de connu. Orphan Organisation 7 estime que la priorité partagée de l'administration et des entreprises doit être l'accès des patients aux produits de santé, que le dispositif de prise en charge hors

droit commun ait lieu avant l'AMM (par l'accès précoce) ou après celle-ci (par ce dispositif d'accès direct). Il est donc important que les conditions indemnitaires soient similaires entre les deux systèmes, sans quoi le dispositif « d'accès direct » risquerait de devenir une « voie de garage » peu attractive, peu lisible et aux faibles possibilités de négociation en sortie.

OO7 demande ainsi que le système de compensation soit remplacé par une logique identique à celle de l'accès précoce. Les entreprises doivent pouvoir fixer librement les montants des

médicaments, montants assortis des mêmes taux de remise que ceux prévus pour l'accès précoce.

Critère industriel dans la fixation du prix des médicaments : allons plus loin !

L'article 40 du PLFSS prévoit que la fixation du prix du médicament puisse « également tenir compte de l'implantation des sites de production, ayant pour finalité d'améliorer la sécurité d'approvisionnement du marché français ». Cette mesure est un pas en avant important dans la reconquête pharmaceutique française. Cependant, les choix des pays d'implantation des sites de production sont pris par des centres de décisions qu'il conviendrait aussi d'attirer sur le territoire français. L'implantation des sites industriels n'est pas la seule plus-value apportée par les entreprises innovantes et émergentes en santé en France devant être prise en compte dans la fixation du prix des produits de santé. En effet, ces entreprises investissent, embauchent, innover, créent des liens de recherche et d'innovation sur le territoire ; il est réducteur de n'envisager les investissements effectués en France que sous l'angle de la seule production.



LES PROBLEMATIQUES FRANÇAISES D'INNOVATION EN SANTÉ DANS LES MALADIES RARES

Avec environ 7000 maladies rares identifiées à ce jour, il me semble important de préciser un point majeur afin d'éclairer les lecteurs sur ces maladies qui sont trop souvent regroupées sous une seule et même entité alors que la réalité prouve que ce regroupement est inconcevable.

En effet, plus de 90% des maladies rares ne concerne que quelques centaines de patients en France, et dans près de 65% des cas moins de 5 patients sont atteints sur le territoire national.

Par ailleurs, si le règlement orphelin a été un fabuleux accélérateur pour la recherche et la mise sur le marché de nouveaux médicaments, ce dernier ne concerne que le statut particulier du médicament et les avantages qui y sont liés. Les médicaments orphelins doivent répondre à la directive 2001/83 comme n'importe quel autre médicament, avec l'ensemble des impacts réglementaires qui en découle et dont le retentissement financier est parfois considérable.

« Chaque année nous perdons des places en termes d'attractivité »

L'extrême rareté de certaines pathologies rend le développement et la commercialisation particulièrement délicates. La France, pionnière dans les maladies rares, est certainement l'un des pays européens le mieux structuré pour la prise en charge de ces maladies rares ; elle devrait donc représenter un attrait particulier pour les industriels pour l'ensemble des activités de recherche et développement. Malheureusement nous ne pou-

vons que faire le triste constat que chaque année nous perdons des places en termes d'attractivité.

Ce n'est pas la qualité des équipes de recherche ni les structures hospitalières qui sont en cause, mais le devenir des médicaments sur le territoire après l'AMM. En effet, l'évaluation d'un médicament



Antoine Ferry est Président-directeur général des laboratoires CTRS.

orphelin est particulièrement délicate en raison de populations manquant d'homogénéité, d'effectifs restreints dans les études, de critères de mesure de l'effet... Aussi, toute approche méthodologique classique ne peut aboutir qu'à une évaluation non adaptée à ces spécificités. S'en suit alors une cascade d'événements qui, malheureusement, conduisent parfois à la non-commercialisation du médicament en France voire à la fermeture de filiales françaises de PME européennes.

Ce constat est d'autant plus triste que nous disposons de l'ensemble des compétences pour avoir une évaluation de qualité, avec des médecins qui côtoient en permanence ces malades dans les centres de référence, et des associations de patients parfaitement structurées. Bien sûr, subsiste toujours cette suspicion permanente du « conflit d'intérêt » ; mais dans le cadre des maladies rares il est inévitable. J'irais même plus loin : il est souhaitable en tant qu'il s'agit en réalité d'un « lien d'intérêt » au seul bénéfice des malades.

Il est indispensable d'arrêter de se poser de mauvaises questions inutiles pour retrouver la place de leader que la France doit avoir dans la recherche sur les maladies rares et l'accès aux traitements.

« La lettre de Orphan Organisation 7 » est éditée par la société nile pour le compte du think tank Orphan Organisation 7. Sa distribution est gratuite.

Directeur de la publication : Dr Olivier Mariotte

Rédacteur : Vincent Daël

Couverture et crédits images : Pixabay, nile.

Coordonnées : nile, 65 rue Galande, 75005 Paris | orphanorganisation7.org | contact@orphanorganisation7.org

Les deniers mois ont été très riches en matières d'actualités pharmaceutiques. L'échec français dans la course au vaccin contre la Covid-19 a mis en lumière de larges angles morts dans la politique industrielle française. Comment dépasser cette situation et redorer le blason de l'innovation pharmaceutique française ? Nous avons posé la question à Anne Perrot.

Orphan Organisation 7 : Dans la note du Conseil d'Analyse Economique de janvier dernier dont vous avez été la co-auteure, vous dressiez un certain nombre de constats concernant l'innovation française en santé. Pourquoi, selon vous, la France a-t-elle "raté le coche" des dernières avancées thérapeutiques ?

Anne Perrot : Le travail que nous avons mené dans cette note a consisté à identifier, tout au long de la chaîne qui va de la découverte dans un laboratoire de recherche académique à la mise sur le marché d'un nouveau médicament, les éventuels « ratés » du système français. Ceci se déroule dans un contexte général marqué par le passage du règne de la chimie à celui de la biologie, ce qui s'accompagne de changements structurels auxquels la France, comme les autres pays, doit s'adapter : processus de recherche plus longs et plus coûteux, plus incertains aussi et souvent le fait, au stade du développement, de petites entreprises, les fameuses « biotechs ». Cette démarche nous a permis de dresser les constats suivants :

- la recherche publique française, déjà sous financée en 2011 si on la compare à l'Allemagne ou au Royaume Uni, a diminué de près de 30% entre cette date et 2018 (contre une augmentation de plus de 10% en Allemagne) ;
- joint au fait que les salaires des chercheurs sont en France d'environ 63% de leur niveau dans les pays de l'OCDE, ceci rend la recherche française peu attractive pour les jeunes chercheurs ;
- la France souffre d'un défaut de lien entre université et industrie : elle est classée 32ème sur ce critère par la Banque Mondiale, très loin der-

rière les pays comparables ;

- ces faits se traduisent par la faiblesse de la France en termes de nombre de brevets déposés, même si récemment, il y a des indices d'un redressement ;
- si la France est équipée pour mener un grand nombre d'essais cliniques et le fait dans certains secteurs avec grand succès (comme en oncologie), elle finance trop souvent sur fonds publics des essais cliniques ne respectant pas les bonnes pratiques scientifiques ;
- le « mille-feuille administratif » rend complexe la procédure de mise sur le marché d'un nouveau produit ; l'innovateur doit passer devant une multitude de commissions et d'autorités administratives qui poursuivent chacune un objectif particulier, ce qui alourdit considérablement sa charge administrative. Ainsi, il s'écoule 119 jours en Allemagne entre l'obtention de l'AMM et la mise sur le marché d'un nouveau produit, et 489 en France ;
- la place des génériques est faible en France (30% du marché, contre près de 80% en Allemagne ou au Royaume Uni), même si des mesures récentes viennent de renforcer les incitations à leur utilisation. Les liens entre pénétration des génériques et recherche pharmaceutique sont complexes et ambivalents. Mais il n'en demeure pas moins qu'un usage plus intense des génériques permettrait de dégager des économies qui pourraient être réaffectées à la recherche ;
- les prix des médicaments, fixés par le CEPS, sont fixés ex ante et ne sont pas révisés pour tenir compte des nombreuses données en vie réelle qui sont collectées aujourd'hui, ce qui aboutit parfois à une décorrélation entre ces



Anne Perrot est économiste et membre du Conseil d'Analyse Economique.

prix et la valeur des innovations.

Ce sont donc ces différentes failles que l'on devrait corriger, et c'est d'ailleurs ce à quoi s'est attaqué le plan Innovation Santé annoncé en juin.

007 : En juin dernier, à l'issue du Conseil stratégique des industries de santé (CSIS), le président de la République a annoncé une série de mesures qui permettraient de rattraper le retard français dans l'innovation en santé. En particulier, la future Agence de l'Innovation en Santé devrait permettre de favoriser le décloisonnement entre les acteurs et une meilleure visibilité en matière d'innovation thérapeutique. Selon vous, quels défis devra-t-elle relever en priorité ?

AP : Les mesures qui ont été annoncées à l'issue du CSIS vont toutes dans le bon sens : meilleur financement de la recherche publique, raccourcissement des circuits entre la recherche et l'industrie, meilleures incitations - à la fois salariales et en termes de qualité de l'environnement de travail - données aux jeunes chercheurs, etc.

L'Agence de l'Innovation en Santé répond aussi à l'un des défauts de gouvernance que nous avons identifiés, à savoir la complexité et le trop grand nombre d'interlocuteurs pour les innovateurs, puisqu'elle se propose de remplacer les différents interlocuteurs par un guichet unique. Toutefois, certains observateurs ont fait part de leur inquiétude de voir cette agence non se substituer, mais s'ajouter aux autres acteurs administratifs. Tout dépendra donc de son positionnement et de son périmètre de compétences. Au-delà des intentions, vertueuses sans aucun doute en l'occurrence, le diable est dans les détails...

Par ailleurs, un sujet capital nous semble être le numérique en santé. Au-delà de la recherche en biologie, les progrès majeurs vont également venir de la manière dont les données pertinentes sont collectées et utilisées pour

améliorer la santé. Ceci concerne aussi le médicament puisque les données « en vie réelle » permettent d'avoir une idée plus claire des bénéfices et des inconvénients liés à la prise d'un médicament. Les analyses menées sur les différents vaccins contre le Covid illustrent ce point parfaitement et ont permis de quantifier les « effets secondaires » allégués par certains. Les données permettent en effet de tirer profit rapidement des grandes quantités de données individuelles collectées dès lors que la plupart des médicaments sont administrés à de très nombreuses personnes après leur mise sur le marché.

007 : Pensez-vous qu'il faille en France une vraie politique de partenariat entre l'Etat et les entreprises innovantes en santé afin de permettre un accès rapide aux thérapies de rupture ? Par exemple, le think tank Orphan Organisation 7 propose une contractualisation offrant des garanties de prix soutenable pour les entreprises en échange d'investissements en France.

AP : L'idée que l'Etat puisse définir ses priorités en matière de recherche (sur certaines maladies, bien sûr et non sur des lignes de recherche définies, ce qui reste de la seule compétence des chercheurs eux-mêmes), lancer des « concours d'innovation » et contractualiser avec les innovateurs est bien sûr une très bonne idée. On pourrait imaginer des appels d'offre concertés entre Etats membres en Europe, et même bien au-delà, afin de permettre un engagement crédible et à l'avance de la part de ces états pour financer la recherche dans les domaines ainsi définis. Qui plus est, de tels financements lancés à l'avance rendent plus secondaire la question de la fixation du prix public du médicament dès lors que le coût de la recherche est couvert par un engagement *ex ante* de l'Etat.

FUTURE AGENCE DE L'INNOVATION EN SANTÉ : LES PRÉCONISATIONS DE 007



007 défend, de longue date, la création d'un comité d'interface représentant toutes les parties prenantes de l'innovation en santé, prenant l'un forme d'un guichet unique permettant un véritable partenariat entre autorités et entreprises. Cette vision que nous portons rencontre parfaitement la volonté du Gouvernement de créer une Agence de l'Innovation en Santé.

Cette future « AIS », encore à l'état de projet, devra selon 007 avoir des process s'imposant aux administrations, promouvoir l'accès au marché au bénéfice des entreprises émergentes et des produits innovants, ouvrir les financements à tous types d'acteurs grâce à une démarche de labellisation et un accompagnement personnalisé. L'ensemble de nos préconisations sont à retrouver sur le site internet orphanorganisation7.org.

PERMETTRE AUX PATIENTS FRANÇAIS L'ACCÈS AUX THERAPIES ORPHELINES INNOVANTES

Orphan Organisation 7 a accueilli avec beaucoup de satisfaction et d'espoir l'annonce faite, le 29 juin 2021, par le président de la République d'un « réinvestissement massif dans l'innovation en santé. « Décloisonner », « simplifier » et « accélérer » sont autant d'attentes des entreprises émergentes et innovantes du champ des maladies rares, auxquelles l'action politique semble vouloir répondre efficacement.

Plusieurs annonces démontrent une véritable écoute et une compréhension des enjeux de l'innovation en santé de la part du Gouvernement : la création d'une future Agence de l'innovation en santé, la facilitation des procédures d'essais cliniques, la volonté de prendre exemple sur le modèle allemand d'accès au marché, l'accélération de la croissance de l'ONDAM.

La France n'a plus le droit à l'erreur.

Les entreprises émergentes et innovantes luttant contre les maladies rares, dont OO7 est la collective, font cependant toujours face à des problématiques majeures d'accès au marché uniques en Europe et empêchant la mise à disposition de traitements essentiels dans les maladies orphelines. Malgré une ambition politique forte affichée, les prochaines années pourraient voir se renforcer ces freins à l'innovation.

En effet, l'augmentation d'investissements publics dans l'innovation en santé et l'amélioration des relations entre acteurs ne permettront pas de mettre à disposition des malades atteints de maladies rares des thérapies de rupture tant que ne seront pas réglées, notamment, les questions liées à l'évaluation des médicaments orphelins.

La France a besoin d'apporter des garanties. D'abord à elle-même, en permettant à des entreprises d'innover et d'investir sur son sol et ainsi de voir se développer un écosystème vertueux dans l'innovation en santé. Garantie ensuite aux entreprises, sous réserve bien entendu d'efficacité scientifique, d'obtenir pour les

thérapies qu'elles développent un prix soutenable, équivalent à ce qu'elles obtiennent dans d'autres pays européens. Garantie, enfin et surtout, pour les malades de bénéficier de thérapies de rupture qui, avec les révolutions scientifiques que l'on connaît, permettent d'obtenir d'immenses gains de qualité de vie, voire une guérison.

Evaluer les médicaments orphelins... Comme des médicaments orphelins.

L'article 3 du règlement européen CE n°141/2000 du Parlement européen et du Conseil dispose qu'un médicament est désigné « orphelin » lorsque « il n'existe pas de méthode satisfaisante de diagnostic, de prévention ou de traitement de cette affection ayant été autorisée dans la Communauté, ou, s'il en existe, que le médicament en question procurera un bénéfice notable à ceux atteints de cette affection ». Le droit européen reconnaît donc explicitement qu'il n'existe aucun médicament comparable à ceux désignés comme étant orphelins dans une indication précise.

Pourtant, les méthodes françaises d'évaluation des médicaments orphelins sont en contradiction avec le droit européen. En effet, trop souvent, des médicaments désignés orphelins par l'Union Européenne sont comparés, par la Haute Autorité de Santé comme par le Comité Economique des Produits de Santé, à d'autres médicaments. Ces comparaisons sont en contradiction avec les engagements européens de la France et scientifiquement illogiques. Les prix revendiqués par les industriels ne doivent pouvoir être mis en miroir que d'indicateurs médico-économiques (évaluant sur le long terme l'impact des traitements orphelins sur le patient ainsi que sur la société) et industriels (évaluant l'apport pour la France du développement d'une entreprise pharmaceutique sur son sol). En aucun cas un médicament orphelin ne peut voir son coût négocié en le comparant à un traitement considéré, au niveau européen, comme non satisfaisant dans l'indication concernée.

Le think tank Orphan Organisation 7 propose aux parlementaires de déposer des amendements sur certains projets et propositions de loi. En voici un exemple - la totalité des amendements proposés pour le PLFSS 2022 sont accessibles sur orphanorganisation7.org.

PROJET DE LOI DE FINANCEMENT DE LA SECURITE SOCIALE POUR 2022

ARTICLE ADDITIONNEL APRES L'ARTICLE 35

Dispositif

Il est ajouté un paragraphe à l'article L.162-16-6 du code de la sécurité sociale comme suit :

« V.- Le remboursement aux établissements d'une spécialité pharmaceutique mentionnée au premier paragraphe du présent article ainsi que le versement du paiement du prix de cette spécialité au laboratoire peuvent faire l'objet d'un étalement sur plusieurs années, sur proposition du laboratoire et avec l'accord du comité économique des produits de santé. Par voie conventionnelle entre le laboratoire et le comité économique des produits de santé, cet étalement de paiement est couplé à un contrat de performance conditionnant le versement du paiement sous réserve de l'atteinte d'indicateurs d'état de santé des patients. »

Exposé des motifs

Cet amendement vise à concrétiser une proposition formulée par l'Assurance Maladie dans son « Rapport Charges et produits » de juillet 2020.

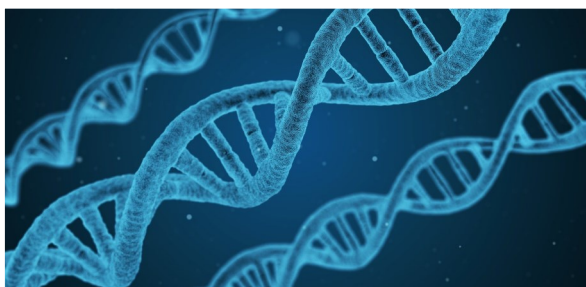
Les médicaments innovants biologiques élaborés dans le cadre de la lutte contre le cancer ou les maladies rares présentent des coûts souvent très élevés. Ceci se justifie par le nombre parfois très réduit de patient concernés par ces thérapies, dont le développement est très onéreux, ainsi que par l'efficacité de ces traitements. Par exemple, les thérapies géniques présentent la double caractéristique administration unique – effet sur le long terme (voire sur la vie entière). Vu la nature et la durée de l'effet attendus, il n'est pas rare que les prix demandés par les laboratoires pharmaceutiques, basés sur la valeur du traitement, dépassent le million d'euro par patient.

Afin d'éviter les à-coups budgétaires les années où de nombreux patients seraient traités, de ne pas limiter l'accès à ces traitements à certains profils de patients uniquement et de faciliter le pilotage de cet impact budgétaire sur plusieurs années, l'Assurance Maladie a émis l'idée que les thérapies géniques puissent voir leur remboursement et leur paiement au laboratoire étalés sur plusieurs années. Cet amendement rend cette technique budgétaire possible et laisse à la Caisse Nationale d'Assurance Maladie le soin de répercuter, en fonction de l'accord entre le laboratoire et le comité économique des produits de santé, cet étalement sur la comptabilité pluriannuelle de la sécurité sociale.

En outre, cet amendement offre la possibilité de coupler l'étalement de paiement à un contrat de performance passé entre le laboratoire et le comité économique des produits de santé. Un tel couplage permettrait de conditionner les remboursements et les versements des paiements à l'atteinte par le traitement de résultats évalués annuellement. Ce dispositif permettrait alors de partager le risque lié à l'incertitude clinique avec le laboratoire, alors que pour l'heure il ne pèse que sur les comptes sociaux. Il serait, en outre, une prise en compte budgétaire pertinente de ces thérapies innovantes dont les effets sont attendus pour perdurer sur le long terme et dont certaines se substituent à des traitements chroniques tout au long de la vie des malades. Ces thérapies innovantes présentent en effet bien souvent une efficience supérieure aux modalités de prise en charge actuelles, efficience pouvant être mesurée par des indicateurs médico économiques solides, à condition que l'on permette à ces indicateurs de se déployer sur le long terme.

ARN INTERFÉRENT : LA RÉVOLUTION SILENCIEUSE

ARNm : ces quatre lettres sont désormais entrées dans le langage courant d'une société frappée de plein fouet par le virus de la Covid-19. Elles sont l'acronyme d'**acides ribonucléiques messagers**, qui permettent de copier l'ADN d'une cellule afin de synthétiser des protéines extracellulaires et constituent la base technologique et scientifique utilisée par certains vaccins covid. Les vaccins et thérapies à base d'ARN messagers dont nous entendons aujourd'hui beaucoup parler ne sont pas l'unique classe de ces nouveaux médicaments exploitant le mécanisme naturel de l'ARN. Les ARN interférents, moins connus que leurs cousins messagers ont, eux, pour but d'empêcher l'expression d'un gène en ciblant l'ARNm et en l'empêchant de provoquer la production d'une protéine ou d'une enzyme. Ceci permet de bloquer certaines maladies à la source même de leurs causes.



La découverte de l'ARNi a été un événement scientifique majeur. Réalisée en 1998, elle a valu aux chercheurs Craig Mello et Andrew Fire d'obtenir en 2006 le prix Nobel de médecine. Le passage de la découverte scientifique à l'exploitation industrielle était cependant ardu : très fragile, l'ARNi a besoin, tout comme l'ARNm, d'être transporté dans le corps humain par des vecteurs. La biotech américaine Alnylam a été un des laboratoires qui a su relever ce défi et développer une plateforme thérapeutique extrêmement prometteuse. Deux vecteurs ciblant les cellules hépatiques ont ainsi été utilisés : les nanoparticules lipidiques qui, validées avec l'ARNi, ont également servi à stabiliser les vaccins à ARNm, ainsi que le GalNac, un sucre qui a permis la mise au point de traitements qui, avec seulement 2 injections sous-cutanée par an, ont

révolutionné la prise en charge de malades chroniques.

Ce développement lent, coûteux (le laboratoire a investi 3,5 milliards de dollars en recherche et développement au cours des 15 premières années, et ce sans le moindre revenu) a ouvert la voie à de véritables thérapies de rupture, notamment dans le champ des maladies rares ainsi que dans des maladies plus prévalentes et peut être à l'avenir dans des domaines tels que les maladies du système nerveux central, des maladies cardio-métaboliques ou

en infectiologie. Le premier médicament à base d'ARN interférent mis à disposition ciblait l'amylose héréditaire, maladie rare et mortelle touchant les fibres nerveuses. Il a permis aux malades d'immenses gains en qualité de vie, du « jamais vu » selon le Pr David Adams,

chef de service de neurologie à l'hôpital Bicêtre, interrogé par Sciences & Avenir en 2018.

La mise à disposition de ces thérapies innovantes basées sur une découverte fondamentale est une question d'ordre stratégique. En effet, à l'instar d'autres technologies, elle préfigure la médecine de demain pour les maladies chroniques, notamment parce qu'elle implique un changement de paradigme en termes de gestion de maladie et un impact transformatif. Cela nécessite de repenser le système d'accès au marché français au bénéfice d'une approche d'innovation ouverte, fondée sur la recherche de partenariats de long terme entre laboratoires, instituts de recherche, autorités et associations de patients.

Qui sommes-nous ?

Créée à l'initiative de Nile, Orphan Organisation 7 (OO7) se présente comme la collective des entreprises créatives et émergentes en santé dans le domaine des maladies orphelines. Les entreprises OO7 souhaitent apporter une solution thérapeutique innovante aux patients atteints de maladies rares. Le dénominateur commun des entreprises OO7 repose sur un fort potentiel de croissance, un investissement majeur dans la R&D en France et une fragilité économique importante.

OO7 regroupe Alnylam, bluebird bio, CTRS, Eusapharma, Intercept, Nanobiotix et Santhera et a vocation à réunir les entreprises confrontées aux mêmes problématiques. Fondée en 2007, Nile est une agence conseil en affaires publiques dédiée aux acteurs de santé.

