



## Table ronde 'Quel avenir pour les maladies rares en Europe? Révision du règlement européen et impact pour l'ensemble des acteurs français'

### RESUME DES DEBATS

30 juin 2021, 14:00 – 15:30

Le document suivant reprend les principaux points clés abordés lors de la table ronde 'Quel avenir pour les maladies rares en Europe? Révision du règlement européen et impact pour l'ensemble des acteurs français'.

Intervenants:

- **Daniel Scherman**, Directeur, Fondation Maladies Rares
- **Daria Julkowska**, adjointe à la direction, INSERM et ITGGB/coordinatrice du Programme Européen Conjoint sur la Recherche en Maladies Rares (EJP RD)
- **Dominique Riquet**, Député européen (Renew Europe)
- **Franck Mouthon**, Président, France Biotech
- **Michèle Auzias**, Membre du Conseil National, Alliance Maladies Rares (*orateur invité du public*)

Modéré par :

- **Antoine Mialhe**, Managing Director, Directeur du pôle Santé Bruxelles, FTI Consulting

Organisé en partenariat avec EUCOPE et France Biotech.

\*\*\*

La révision du règlement européen sur les médicaments orphelins est en cours et il est important que toutes les parties prenantes – que ce soit à titre personnel ou au nom d'une organisation – sont invitées à [répondre à la consultation](#) en cours lancée par la Commission Européenne et qui se clôturera le 30 juillet 2021.

Ci-dessous, les principaux points abordés lors de la table ronde regroupés par thème :

#### La législation sur les médicaments orphelins

- Il est difficile de développer des médicaments pour les maladies rares pour diverses raisons, notamment du fait du nombre limité de patients concernés ce qui limite l'intérêt des industriels, mais aussi du fait des connaissances limitées de nombreuses maladies rares, notamment des maladies ultra-rares.
- La législation européenne sur les médicaments orphelins est globalement une réussite puisque depuis son adoption près de 200 thérapies ont été développées et mises sur le marché.
- Malgré ces progrès indéniables, 95% des maladies rares n'ont aujourd'hui aucuns traitements.
- Grace aux mécanismes d'incitations, la R&D dans le domaine des maladies orphelines a augmentée de manière significative.
- Cependant certaines thérapies orphelines sont extrêmement onéreuses ce qui pose un problème en termes de disponibilité de certains traitements. La France à ce titre n'est pas très bien positionnée en Europe en termes d'accès.

- La révision de la législation sur les médicaments orphelins a identifié la question de l'accès comme un sujet prioritaire, l'ambition étant à la fois de maintenir un système d'incitations qui accélère la R&D tout en garantissant un accès à travers l'Europe aux thérapies une fois commercialisées.

### **Le rôle clé des associations de patients**

- Les associations de patients sont essentielles pour mieux comprendre les maladies rares. Les patients sont des experts indispensables qui contribuent à améliorer la R&D dans le domaine des maladies rares, où les données manquent et les connaissances scientifiques sont parfois limitées.
- La participation des associations de patients est particulièrement importante pour générer les données indispensables à la recherche. Sans données, il n'est pas possible de faire progresser la recherche.
- Aujourd'hui, il n'existe pratiquement aucun projet de recherche sur les maladies rares qui n'implique pas de patients.
- Le financement des associations de patients permet d'accélérer cette recherche et il serait pertinent d'envisager que ces associations soient en partie soutenues, notamment par le secteur public.

### **L'adaptation du cadre réglementaire aux maladies rares**

- Les questions réglementaires, notamment les procédures de validation des thérapies et de mise sur le marché ne sont pas adaptées aux maladies rares.
- Une approche plus personnalisée est nécessaire afin que les autorités puissent plus facilement et rapidement prendre des décisions telles que l'autorisation de mise sur le marché.
- L'accès aux données est un problème, notamment au sein de l'Union européenne où les bases de données ne sont pas intégrées.

### **Stimuler la recherche**

- Les mesures d'incitation en faveur des médicaments orphelins doivent encourager la R&D, notamment dans les 95% de maladies rares pour lesquelles il n'existe pas de solutions thérapeutiques.
- Il est impossible de mettre au point des traitements pour des maladies rares si la recherche fondamentale n'est pas menée. Stimuler la recherche fondamentale est donc un élément clé pour favoriser le développement de traitements qui pourront ensuite être développés lors d'essais cliniques menés par les industriels.
- Il est important de faciliter la recherche en permettant un accès aux données qui ne soit pas ralenti par des règles trop contraignantes et des demandes d'autorisation de la part de toutes les parties prenantes.
- Par ailleurs, il est essentiel d'optimiser le cadre dans lequel s'effectue la recherche, entre autres en disposant de meilleurs modèles précliniques qui prédisent les besoins cliniques.
- Les partenariats public-privé offrent des voies prometteuses pour plus d'innovation.
- Les investisseurs créent de la valeur en prenant des risques. Cette prise de risque doit être encouragée. Cela peut se faire en actualisant le cadre réglementaire pour encourager les investissements.



**Revoir la table ronde**

L'enregistrement de la table ronde est disponible ici ([lien](#)).