



## Communiqué de presse

### Refonte de l'accès précoce des médicaments : des avancées, des interrogations, et des insuffisances

30 novembre 2020

Alors que le Sénat étudie en deuxième lecture le projet de loi de financement de la sécurité sociale (PLFSS) pour 2021, le think tank Orphan Organisation 7, regroupant des entreprises émergentes en santé luttant contre les maladies rares, tient à saluer les avancées de clarification apportées à l'occasion de la réforme de l'accès aux médicaments avant Autorisation de Mise sur le Marché (AMM). Les membres de OO7 alertent néanmoins sur l'absence de réponses concrètes apportées aux entreprises porteuses de thérapies innovantes, dont la survie en France est menacée.

L'article 38 de ce projet de loi apporte des avancées importantes en matière de clarification et de simplification des mécanismes d'accès aux médicaments avant leur mise sur le marché. Ces dispositifs, au nombre de six, seront fusionnés en deux dispositifs distincts : l'accès précoce et l'accès compassionnel. L'évolution est importante, et permettra aux entreprises créatrices de thérapies innovantes de disposer d'une meilleure lisibilité des mécanismes légaux.

#### Des interrogations auxquelles il faut répondre dans l'intérêt des patients

OO7 tient néanmoins à souligner les interrogations que soulève cette réforme quant à la transition entre le modèle actuel et le futur dispositif impliquant un nouveau rôle pour la Haute Autorité de Santé (HAS). Par exemple, nous ne savons pas quel sera l'impact des critères de présomption d'innovation et de préexistence de traitement approprié sur l'accès aux médicaments innovants. Des clarifications doivent être apportées sur ces points ; en effet, le risque de voir ces critères devenir un filtre à l'innovation, au détriment des patients, est fort. Les associations de malades ainsi que les industriels, et plus particulièrement les entreprises OO7, doivent être associées à leur définition.

#### Une réforme sans bénéfice pour l'attractivité de la France

Malgré ces efforts de clarification du processus d'accès précoce, cette réforme sera sans effet sur les problématiques principales des entreprises émergentes en santé luttant contre les maladies rares. En effet, les difficultés d'accès au marché propres aux traitements portant sur ces maladies resteront inchangées : une prise en compte des spécificités de ces traitements de rupture et des entreprises qui les portent est nécessaire. Il manque, dans le processus, la prise en compte des investissements directs et indirects que font ces entreprises en France. Sans cette nouvelle mise en perspective, l'accès des patients aux traitements ainsi que la survie de ces entreprises en France resteront en péril, surtout à cause de revenus qui ne se concrétisent que trop tardivement.

L'écosystème français est pourtant favorable au développement de solutions thérapeutiques contre les maladies rares, grâce au tissu de chercheurs, de filières maladies rares et d'associations de malades. Il manque cependant une pierre essentielle à cet édifice : une politique ambitieuse d'investissement dans l'innovation industrielle, d'accompagnement économique des entreprises émergentes en santé et d'accès à des traitements de rupture. Alors même que ce PLFSS souhaitait favoriser l'accès aux thérapies innovantes, cette question essentielle pour permettre à la France de garder sa place dans le concert des nations qui comptent en matière de lutte contre les maladies rares reste sans réponse.