



European Alliance for Transformative Therapies

L'Union européenne a les moyens d'encourager l'innovation en matière de médicaments de thérapie innovante : les recommandations de l'Alliance TRANSFORM

À Paris, le 13 juillet 2023

La science progresse rapidement : sur les 93 thérapies géniques attendues prochainement, 28 devraient être disponibles en 2026. Celles-ci permettraient non seulement de traiter 5 000 patients atteints de maladies rares, mais représenteraient également un gain de 150 000 années de traitements. Ces chiffres illustrent bien les enjeux auxquels l'Union européenne va devoir faire face dans les années à venir : comment développer, financer et produire ces médicaments de thérapies innovantes (MTI) en Europe ? Lors du colloque organisé à l'Académie nationale de médecine le 6 juillet 2023 par l'Alliance européenne pour les Médicaments de Thérapies Innovantes (TRANSFORM), des représentants de parties prenantes françaises ont échangé sur les défis à relever à court, moyen et long terme pour encourager l'accès aux MTI, sources d'espoir pour les patients en Europe. La révision en cours du paquet pharmaceutique européen représente une occasion unique de mettre en place un cadre législatif et réglementaire permettant un accès sûr, efficace et rapide des patients aux MTI, ainsi qu'un environnement de recherche et développement dynamique et compétitif à travers l'Union européenne. Dès lors, la France devra mettre en œuvre les moyens nécessaires pour s'inscrire dans ce cadre.

Garantir la continuité des processus de mise à disposition des MTI auprès des patients et rendre l'exploitation des données en vie réelle plus efficiente

Les acteurs présents lors du colloque du 6 juillet 2023 ont constaté un manque de continuité dans les processus, de l'obtention de l'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) à l'obtention d'un prix et d'un remboursement, ainsi qu'une difficile mise à disposition des MTI auprès des patients. La possibilité donnée à l'Agence européenne du médicament (EMA) de pouvoir mener des consultations précoces et multipartites devrait permettre de fluidifier le dialogue et donc l'ensemble des démarches entreprises par les différents acteurs impliqués (académiques, praticiens, patients et industriels). En sus, le règlement HTA, qui entrera en vigueur à partir de 2025, devra permettre de mutualiser les procédures d'évaluations scientifiques au niveau européen, sans que celles-ci ne soient dédoublées au niveau national, afin de s'assurer que les délais d'accès soient les plus courts possibles. En outre, les données en vie réelle doivent être davantage prises en compte dans les évaluations scientifiques, afin de mieux comprendre l'effet des thérapies innovantes sur la qualité de vie des malades et leurs bénéfices sur le long terme. La production, l'analyse et l'utilisation de ces données permettent en effet de surmonter les incertitudes persistantes au moment de la mise sur le marché d'un MTI. La révision

du paquet pharmaceutique européen est l'occasion de systématiser le dialogue précoce avec les professionnels de la santé et les patients sur la collecte de ces données en vie réelle.

Assurer un maillage européen de l'expertise médicale

Il n'est pas possible pour un pays membre de l'Union européenne de concentrer l'ensemble de l'expertise nécessaire inhérente à un MTI, en particulier dans le cadre des maladies rares. Les soins transfrontaliers ont montré leurs limites face à l'hétérogénéité des modèles de remboursement des médicaments au sein de l'Union européenne. Les coopérations transfrontalières sont pourtant nécessaires pour garantir un meilleur accès à ces traitements. Elles doivent être soutenues par des investissements dans des infrastructures, pour mieux administrer des thérapies innovantes. De plus, un système de régulation cohérent et donnant davantage de visibilité aux acteurs est nécessaire. Ce dernier doit encourager le lancement d'essais cliniques au sein de l'Union Européenne, faciliter l'accès précoce des patients à ces thérapies (en particulier dans le cadre d'un accès compassionnel) et consolider l'expertise clinique au sein de l'UE.

L'importance du renforcement du diagnostic précoce et du dépistage néonatal

Une thérapie génique ou cellulaire est d'autant plus efficace si administrée précocement. Dans certains cas, le diagnostic tardif d'une maladie (exemple : l'amyotrophie spinale de type 2) peut amener le médecin à écarter l'option du traitement par thérapie génique ou cellulaire. Il est indispensable que l'Union européenne établisse de bonnes pratiques concernant le dépistage néonatal. Il existe là encore des disparités entre États membres : en France, sur la cinquantaine de maladies dépistables à la naissance, seules 13¹ font l'objet d'un dépistage systématique. Un chiffre en augmentation mais qui reste inférieur à d'autres pays européens tels que l'Italie (20), le Portugal (16) ou l'Ukraine (17)².

TRANSFORM, une alliance européenne pour encourager l'accès à des traitements innovants aux patients européens

A propos de TRANSFORM : TRANSFORM est une initiative multipartite, active au niveau européen, ayant pour but d'établir un dialogue constructif entre parties prenantes et décideurs politiques. L'initiative rassemble les acteurs clés du domaine des thérapies cellulaires et géniques. En s'appuyant sur des données issues d'étude et de partage d'expérience, TRANSFORM propose des recommandations communes visant à faciliter un accès sûr et rapide à ces thérapies innovantes dans l'ensemble de l'UE.

¹ <https://sante.gouv.fr/soins-et-maladies/prises-en-charge-specialisees/maladies-rares/DNN>

² https://www.medicinesciences.org/en/articles/medsci/full_html/2021/05/msc200524/T2.html

Les recommandations de l'alliance TRANSFORM sur la révision de la législation pharmaceutique européenne

- Adapter le cadre européen au contexte national, en mettant en place un dialogue précoce avec les acteurs, permettant d'identifier la présence d'une expertise à l'administration d'un médicament de thérapie innovante au sein des États membres ;
- Intégrer les soignants et les patients dans l'élaboration des critères permettant de qualifier les MTI prometteurs ;
- Travailler à l'élaboration de modèles de tarification et de remboursement adaptés aux MTI en s'appuyant sur des modèles existants tels que le paiement à la performance, le paiement par annuités, les accords fondés sur les résultats et les accords fondés sur le partage du risque ;
- Stimuler le lancement d'essais cliniques en Europe, en simplifiant les démarches administratives et en laissant la possibilité aux acteurs de déroger au règlement sur les OGM ;
- Soutenir la recherche translationnelle et faciliter les partenariats entre les universités, les centres experts, les hôpitaux et l'industrie ;
- Renforcer les parcours de soins transfrontaliers pour permettre aux patients d'avoir accès à un traitement au sein de l'Union européenne, quand celui-ci est disponible dans un État membre. Cela passe notamment par une meilleure visibilité des Centres de contacts nationaux auprès des patients ;
- Soutenir le travail réalisé par les plateformes d'ERN, diffusant de bonnes pratiques, notamment en matière de dépistage néonatal ;
- Renforcer le dialogue entre les acteurs (professionnels de santé, patients et industrie), pour mieux collecter et exploiter les données en vie réelle.