

Point presse

Contacts

Emilie Royere, Directrice générale
emilie.royere@eurobiomed.org
Téléphone : 04 91 13 74 65

Relations Presse : ATCG Press
Marie Puvieux : 06 10 54 36 72
presse@atcg-partners.com

twitter.com/poleeurobiomed
fr.linkedin.com/company/eurobiomed
www.eurobiomed.org

Point Presse RARE - 26 novembre 2015

rare  **2015**
Les rencontres Eurobiomed des Maladies Rares

MONTPELLIER, FRANCE
26 ET 27 NOVEMBRE 2015

Les maladies rares :
quelles attentes et quels enjeux
pour la société



RARE 2015

4ème édition

- RARE est devenue la rencontre de référence pour tous les acteurs du domaine, mais est aussi une vraie force de propositions en matière de politique publique :
 - stratégie de filières
 - système de codification
 - indicateurs de suivi
 - processus de labélisation des Centre de Référence Maladies Rares
 - ...
- Cette 4ème édition a pour objectifs de :
 - faire le point sur les avancées et perspectives d'accélération de la R&D
 - favoriser les partenariats de toutes sortes

Participants de RARE

tous les acteurs se retrouvent



Entreprises et investisseurs

Innovantes, grands groupes, sociétés de services



Chercheurs et cliniciens

Centres de références et de compétences



Associations de malades



Décideurs de la santé

Haute autorité de santé, CNAM, DGOS,...

Comité scientifique de RARE

Co-Présidence Christian Deleuze, Genzyme, et Didier Lacombe, Fédération française de génétique humaine

Entreprises

Actéliion – Alexion - Angels Santé – Biomarin – Celgene – CTRS – Genzyme – GSK - Kurma – LFB – Lysogene – Nassyane – Pfizer - Recordati/Orphan Europe – Shire – Swedish Orphan Biovitrum

Recherche et Institutions

CHU Montpellier et Centres de référence de Marseille, Paris, Nice, Strasbourg, Montpellier - BPI France - CNAM - Fédération française de génétique humaine - Fondation Maladies rares - IGAS - INSERM Transfert - LEEM - Ministère de l'industrie/Redressement productif/DGCIS - Ministère de la Recherche – Orphandev – Orphanet - USPO

Associations de malades

Association Française des Hémophiles - AFM Téléthon - Alliance Maladies Rares – Eurordis - Vaincre la Mucoviscidose - VML

Les maladies rares : quelles attentes et quels enjeux pour la société?

Rares lorsqu'elles sont considérées de manière isolée, les 7 000 maladies rares recensées à ce jour affectent plus de 36 millions de personnes en Europe, et près de 3 millions en France. A ce titre, elles constituent un enjeu majeur de santé publique, et un réel défi sociétal, scientifique, économique et technique. Seules une volonté politique forte, démontrée par deux Plans nationaux (PNMR), et supportée par la mobilisation de l'ensemble des acteurs, ont permis des avancées notables, mais encore insuffisantes, en matière de recherche, de diagnostic et de prise en charge des malades.

Afin de poursuivre efficacement notre action au service des patients, mais aussi d'envisager l'avenir et les défis posés à notre modèle, des échanges permanents entre les acteurs de la communauté des maladies rares sont indispensables. Faciliter ces échanges, offrir un lieu de rencontres et de partenariats unique, tels sont la philosophie et le cœur de la mission de RARE, dont la 4ème édition a lieu en novembre 2015.

Christian DELEUZE, Président - Genzyme SAS & Polyclonals

Les maladies rares concernent environ 5% des individus, soit 2 à 3 millions de français et près de 25 millions d'européens. La France a été pionnière dans ce domaine, avec l'émergence de 2 Plans nationaux de santé sur les maladies rares, grâce notamment au soutien des associations de patients concernés, et avec la labellisation de 132 centres de référence. La compréhension de la physiopathologie de ces maladies rares a permis des avancées sur l'étiologie des maladies communes et a ouvert des pistes d'innovations thérapeutiques. Grâce à une collaboration académique et industrielle, de nouveaux médicaments ont pu voir le jour dans ce domaine. Des questions se posent aujourd'hui au niveau de la société sur la place et l'intégration des patients atteints de maladies rares, ainsi que sur le modèle économique pour la prise en charge de ces maladies. Ce sont là les points forts de RARE 2015.

Pr Didier LACOMBE, Fédération Française de Génétique Humaine

RARE 2015

Sponsors et partenaires

- Avec le soutien de



- Gold sponsor



- Silver sponsors



- Sponsors



- En partenariat avec

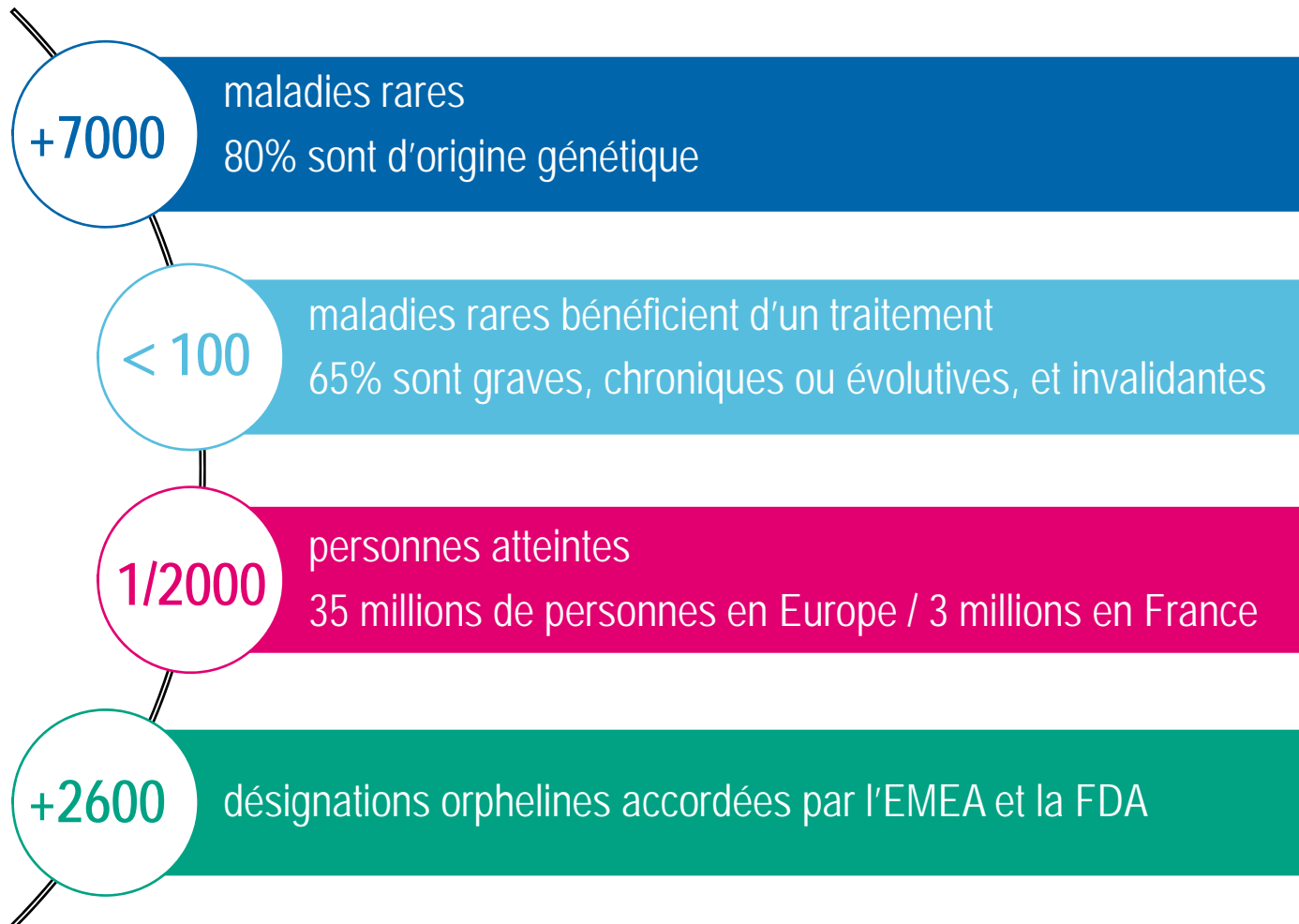


Point presse

Quelques données sur les maladies rares

Qu'est ce qu'une maladie rare ?

Chiffres clefs



Source : www.alliance-maladies-rares.org

Qu'est ce qu'une maladie rare ?

- Les maladies rares posent de nombreuses problématiques :
 - l'accès à l'information
 - le suivi médical dans un service expert
 - l'absence de traitement
 - les moyens et les délais de la recherche
 - l'isolement
 - la prise en charge sociale
 - l'accompagnement dans la vie quotidienne lié en particulier au handicap.
- Une maladie est dite « orpheline » quand il n'existe pas de traitement pour la soigner. La définition d'une maladie orpheline n'est donc pas la même que celle d'une maladie rare.
- Cependant, une très grande majorité de maladies rares sont des maladies orphelines et inversement. Il s'agit donc de termes qui désignent dans les faits le même groupe de pathologies.

Point presse

**Un contexte propice
au développement
de la recherche
en maladies rares**

Contexte européen favorable

Un secteur dynamique

Une Loi incitative

- règlement (CE) n° 141/2000 depuis décembre 1999
- En mai 2012, la Commission a procédé à la 1000e désignation de médicament orphelin

Un secteur biotechnologies dynamique

- 90% des 470 désignations orphelines accordées par la FDA en 2014 émanent de sociétés de biotechnologies*

70 désignations orphelines en Europe*

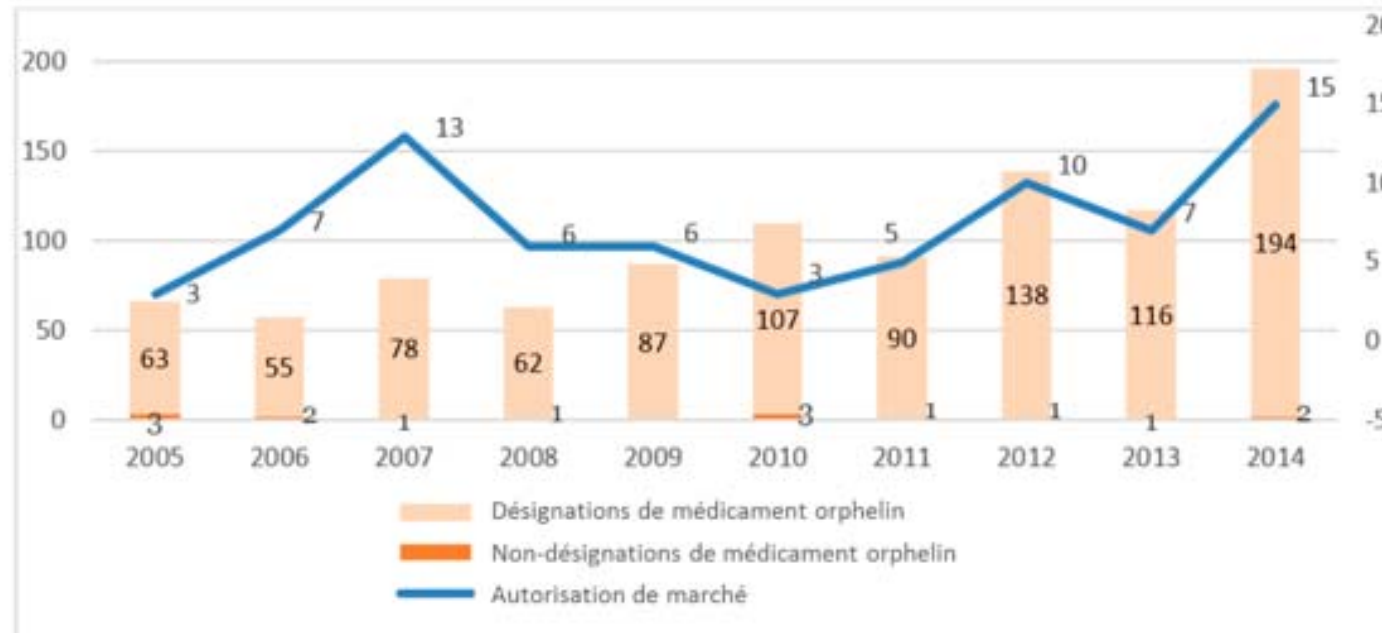
Environ 250 médicaments pour 400 maladies différentes**

*Leem 17/06/15 Innover dans le champ des maladies rares : les industriels du médicament accélèrent le mouvement

**Orphanet. Liste des médicaments orphelins en Europe. Avec désignation orpheline et autorisation de mise sur le marché européennes. Avril 2014

Contexte réglementaire européen

2014, l'année des médicaments orphelins



- En 2014, l'Agence européenne des médicaments (EMA) a autorisé la commercialisation de 15 médicaments orphelins, plus du double de ce qui avait été autorisé les années précédentes (à l'exception de 2012 et 2007)

source EMA

Contexte européen

« Laboratoire d'innovation »

Innovation

- Les maladies rares constituent un véritable « laboratoire d'innovation » pour des pathologies beaucoup plus fréquentes, comme le diabète ou la maladie d'Alzheimer.
- Elles sont en effet liées le plus souvent à un seul gène et sont donc plus faciles à étudier que les maladies plus répandues.

- 50% des causes de ces maladies demeurent inconnues

Exemple : l'étude de la progeria, maladie du vieillissement qui touche seulement 25 personnes en France, a permis de comprendre l'un des processus du vieillissement.

8 à 12
Nouveaux
médicaments
orphelins autorisés
en Europe chaque
année*

Tissu industriel

- La majorité des 50 laboratoires impliqués dans les maladies rares sont de petites ou moyennes entreprises

*Orphanet. Liste des médicaments orphelins en Europe. Avec désignation orpheline et autorisation de mise sur le marché européennes. Avril 2014

Un contexte national favorable business

Marché

- CA 2013 en France 650 millions € : soit plus de 10% du montant total des ventes de médicaments aux hôpitaux et une progression de plus de 15% par rapport à 2012*
- Croissance du marché mondial estimé entre 8 et 10% par an

Financement

- En 2013 l'AFM-Téléthon a créé avec BPI France un Fonds d'Amorçage dédié aux « Biothérapies innovantes et aux maladies rares », investissement dans 3 sociétés : Gensight, AAVLife Gensight et Step Pharma

5,6 M€ Innobio
investissement BPI
France dans des
sociétés maladies
rares en 2014
Lysogene
Alizé Pharma

* Rapport ANSM Analyse des ventes de médicaments en France en 2013 (juin 2014)

Un contexte national favorable en ordre de marche

Plan national

- 1^{er} plan national maladies rares 2005-2008 parmi les 5 priorités de santé publique
- 2^{ème} plan national maladies rares 2009-2014

Un tissu industriel qui accélère le mouvement

- 70 industriels impliqués*
- En 2012, 19% des essais cliniques à promotion industrielle dans le domaine des maladies rares (contre 13% en 2008)
- 450 molécules en cours de développement**

Production

- Genethon bioprod, le centre de production de médicaments de thérapie génique depuis 2013
- Généthon Lauréat du Concours Mondial « Innovation 2030 »
(phase 2), pour le développement d'un procédé de production industrielle de vecteurs de thérapie génique

* Leem 17/06/15 Innover dans le champ des maladies rares : les industriels du médicament accélèrent le mouvement

** Leem 30/06/15 RIR 2015 : 6èmes Rencontres Internationales de Recherche

Un contexte national favorable en ordre de marche

Innovation

- Appels à projets nationaux « ANR »
- Appels à projets européens « H2020 »

Fondation Maladies Rares

- 17 appels à projets de recherche lancés dont 7 nouveaux en 2014
- 169 projets de recherche soutenus dont 64 nouveaux en 2014 (1,8 M€)



DÉVELOPPONS

ENSEMBLE

L'INNOVATION

EN

SANTÉ

4 EXPERTISES
MÉTIERS / MARCHÉS

- MÉDICAMENTS
- DIAGNOSTICS
- DISPOSITIFS MÉDICAUX
IMPLANTABLES
- E-SANTÉ

5 DOMAINES D'EXCELLENCE
SCIENTIFIQUE

- CANCÉROLOGIE
- IMMUNOLOGIE
- NEUROSCIENCES
- INFECTIOLOGIE
- OPHTALMOLOGIE

www.eurobiomed.org

EUROBIOMED

Acteur de poids en santé

12 000

emplois directs
dans

4 300

chercheurs
dans

1^{er} réseau

français avec

1^{er} réseau

de diagnostic
en Europe

20

événements
organisés
En moyenne
par an

200

entreprises
LR et PACA

123

laboratoires /
centres publics
de recherche

253

adhérents
Équilibre
LR et PACA

1^{er} cluster

thématisé sur
l'immuno-
thérapie

150 projets de R&D financés
(depuis 2006)

2^{ème} pôle

de compétitivité
en nombre de
brevets
déposés

1,2 Mds €

d'investissement dans des
projets de R&D dont PIA

EUROBIOMED

Accompagnement de l'innovation

Développer la filière

- Animation et mise en réseau
- Renforcement de l'écosystème
- Développement de collaborations nationales et internationales
- Représentation de la filière vis-à-vis de tous les tiers
- Mise en œuvre d'événements

Structurer et accompagner le financement de projets de R&D

- Veille sur les appels à projets
- Identification de partenaires
- Accompagnement au montage et au financement
- Suivi jusqu'à la commercialisation

Proposer un accompagnement personnalisé aux entreprises

- Analyse stratégique
- Développement international
- Financement – Levée de fonds
- Stratégie réglementaire
- Développement commercial
- Industrialisation et production

EUROBIOMED

Pôle pionnier des maladies rares

- 60 adhérents du pôle travaillent dans le domaine des maladies rares
- Beaucoup de sociétés du territoire engagées dans le champ :
 - des sociétés de biopharmacie comme Sanofi, Innate Pharma, TxCell...
 - des start-ups comme Advicenne, Neurochlore, ProGeLife, Sensorion ou TherAchon, 5 des 15 biotechs retenues pour les RIB 2015
- 14 projets de R&D financés à ce jour :
 - tous les domaines : infectieux, inflammation, cancer, neurologie, maladies génétiques et métaboliques
 - investissement total de 25,8M€
 - 8 ANR, 4 FUI, 1 Oseo, 1 APRF
- Organisateur de l'évènement de référence du secteur en France : RARE, depuis 2009

Objectif d'EUROBIOMED : devenir une référence dans l'innovation dans la prise en charge des maladies rares