

PHARMASCOPE

N° 9 - Édition anniversaire



PHARMASCOPE
2024

**CONTINUUM + ET
L'ESSOR DES THÉRAPIES
DIGITALES**

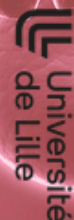
**L'APPROBATION
ACCÉLÉRÉE AU SERVICE
DES PATIENTS**

**LE LEEM : LE SYNDICAT
DES INDUSTRIES
PHARMACEUTIQUES**

**GILEAD ET LE SIDA :
UNE OPPORTUNITÉ DE TOUT CHANGER**



MACSF



REMERCIEMENTS

Bonjour à tous, et bienvenue sur cette neuvième, et pour nous dernière édition du PharmaScope.

Cela fait déjà un an que nous nous sommes lancés dans cette initiative impulsive, cette volonté de créer quelque chose qui soit utile aux autres, et qui nous fasse ressentir la passion que nous avons pour notre vocation.

Cette passion, nous espérons vous l'avoir fait ressentir au fil de nos pages, car ce que nous voulions transmettre par delà l'actualité, c'est une soif de sciences, de connaissances sur l'évolution du monde de la santé, et un désir de réellement comprendre l'écosystème dont nous faisons désormais partie.

Aujourd'hui, c'est au tour d'Estelle, Éloïse et Justine de reprendre le flambeau : elles ne récupèrent pas un format, mais bien l'idée de mettre à disposition de tous un support d'information pharmaceutique fiable, ludique et surtout gratuit, pour que la veille scientifique ne soit plus vue comme un devoir, mais bien comme un besoin curieux qui nous pousse à toujours en savoir plus.

Merci à tous pour cette année d'encouragements, de support et de soutien. Nous souhaitons beaucoup de courage aux nouvelles responsables du concept, car du courage il en faut ; mais au bout du compte, sachez que vous ne regretterez jamais de vous être embarquées dans l'aventure.

Sur ce chers lecteurs, et pour la dernière fois, nous vous souhaitons une excellente lecture !

Axandre, Fanélie, Nyaba et Alix,

Vos (anciens) rédacteurs du PharmaScope.



SOMMAIRE

Page 2

ACTUALITÉ

Gilead et le SIDA : une opportunité de tout changer

Page 8

AU COEUR DE L'INNOVATION

Continuum + et l'essor des thérapies digitales

Page 14

LINKEDIN TOP VOICES

Notre sélection

Page 16

À LA UNE

L'approbation accélérée : exploration d'un programme au service des patients

Page 21

FOCUS ENTREPRISE

Le LEEM : le syndicat des industries pharmaceutiques



ACTUALITÉ

GILEAD
& SIDA




GILEAD

**UNE
OPPORTUNITÉ DE
TOUT CHANGER**



GILEAD ET LE SIDA

UNE OPPORTUNITÉ DE TOUT CHANGER

Bien qu'en 2024 nous puissions nous réjouir que les porteurs du Virus de l'Immunodéficience Humaine (VIH) sous traitement bénéficient d'une qualité de vie parfois similaire à celle d'un individu sain, le Syndrome de l'ImmunoDéficience Acquisée (SIDA) résonne toujours comme une pathologie redoutable. Et pour cause : l'infection par le VIH est une pandémie qui, depuis son émergence il y a quarante ans, a fait plus de 42 millions de décès dans le monde (1). Ainsi, l'arrivée du lénacapavir - Sunleca -, un médicament annoncé comme ayant une efficacité de 100% dans la prévention du VIH chez les femmes, représente une avancée scientifique sans précédent contre ce fléau qui a fait des ravages dans les années 80.

VIH ET SIDA

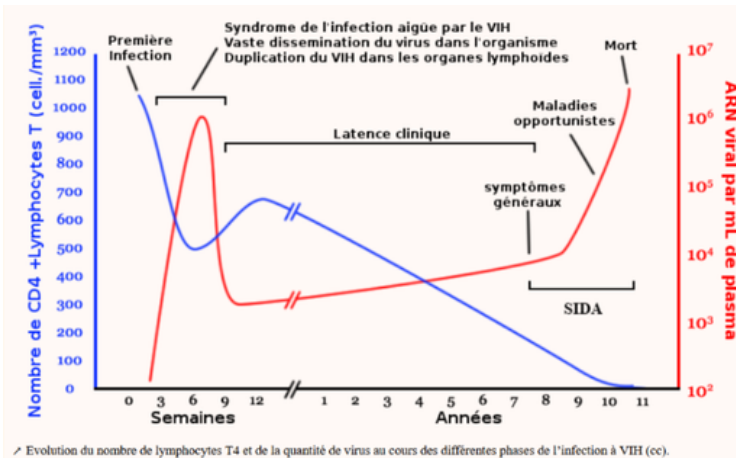
Le VIH est responsable d'une infection touchant des acteurs majeurs de notre immunité : les lymphocytes. Une fois entamée, cette infection évolue en trois phases si elle n'est pas dépistée et prise en charge à temps. Celle-ci débute par l'étape de primo-infection, qui correspond à l'intervalle de temps où le patient est porteur du virus mais n'a que très peu de moyens de s'en douter car à ce moment, l'infection est très souvent asymptomatique. En réalité, le patient est déjà immunodéprimé du fait que le virus se trouve en grande quantité dans l'organisme. S'ensuit une phase de latence, qui est une période durant laquelle le système immunitaire se bat contre le

virus afin de garder un taux de lymphocytes T CD4 (LTCD4) stable (2). Ces deux étapes sont à craindre dans la propagation du virus, à cause de leur caractère insidieux. En effet, c'est lors de cette intervalle que le porteur du virus risque de contaminer ses partenaires sans même qu'il ne s'en rende compte. Ce danger est d'autant plus réel, que la phase de latence peut durer de 1 jusqu'à 12 ans sans traitement (2). Enfin, lorsque le taux de LTCD4 est inférieur à 200/mm³, on parle de stade SIDA. Le patient est immunodéprimé et est sujet à des infections opportunistes qui peuvent s'avérer graves voire mortelles. Il est cependant important de souligner que l'on peut donc être VIH+ sans parler de SIDA.

Une fois dans l'organisme, le virus interagit avec des récepteurs spécifiques des LTCD4 afin de fusionner avec ces acteurs de l'immunité, pour ensuite les pénétrer et se désagréger en leur sein. Ce faisant, le virus libère des brins d'Acide Ribonucléique (ARN) qui lui permettront ensuite de s'intégrer dans l'ADN cellulaire par un mécanisme de transcription inverse : la réplication du virus est donc assurée. En parallèle, les protéines virales mûrissent dans le cytoplasme des cellules infectées, s'assemblent entre elles et se retirent de la cellule par bourgeonnement. Le virus est ainsi prêt à se disséminer et à infecter d'autres cellules immunitaires, et en particulier de nouveaux LTCD4 (3).

VIVRE AVEC LE VIH

Lors de l'émergence de la pandémie il y a 40 ans, le pronostic des patients séropositifs était très défavorable, avec une espérance de vie qui ne pouvait excéder les 2 années (5). Pour cause : à l'époque, il n'y avait pas de réel traitement. Les patients étaient pris en charge tardivement lorsqu'ils souffraient d'infections, avec des molécules très toxiques comme de la zidovudine ou du cotrimoxazole.



Du VIH au SIDA - Polytechnique insights (11)

VIH ET SIDA

La transmission interhumaine se fait par voie directe, c'est-à-dire par voie sexuelle, parentérale ou materno-foetale. La pathologie s'est vue attribuer le surnom de "la maladie des 4H"-homosexuels, héroïnomanes, Haïtiens, hémophile s- ou "le cancer gay". En effet, à l'époque comme aujourd'hui, les homosexuels hommes (HSH) représentent une population surexposée au virus, à tel point qu'il était faussement conçu que la pathologie ne se répandait que chez cette population.

Cette prévalence s'explique par des pratiques sexuelles favorisant l'entrée du virus par voie sanguine via des lésions, qui arrivent plus fréquemment dans les communautés homosexuelles masculines. Cela dit, selon les chiffres de Santé Publique France de 2011, la répartition de patients porteurs homosexuels/hétérosexuels est quasiment identique.

En parallèle, les pays du sud du continent africain sont les plus lourdement touchés, avec une prévalence pouvant atteindre les 30% de la population sur certains territoires (3). La troisième communauté la plus touchée est celle des toxicomanes, qui peuvent s'infecter en se partageant des seringues contaminées par un précédent utilisateur. En quelques chiffres pour l'année 2023, près de 40 millions de personnes vivaient avec le VIH dans le monde, 1,3 millions de personnes ont été infectées et 630 000 décès ont été comptabilisés des suites d'une maladie liée au SIDA (1).

La zidovudine, communément appelée AZT, est un inhibiteur de la transcriptase inverse (TI) dont les cellules infectées par le VIH se servent pour répliquer le virus. Si le mécanisme d'action de la molécule paraît ingénieux pour limiter la propagation du virus, il s'avère que l'AZT retarde la progression précoce du VIH, mais que cette amélioration n'est pas maintenue. À cela s'ajoute le fait que la zidovudine entraîne de lourds effets secondaires, comme des anémies, des neutropénies, ainsi que des faiblesses musculaires.

Il faut attendre 1996 pour que de réels traitements basés sur la trithérapie voient le jour (4). Encore le traitement de référence en 2024, la trithérapie se base sur la prise concomitante d'une combinaison d'inhibiteurs enzymatiques empêchant la réplication virale. Mais une fois encore, les médicaments utilisés sont délicats, car ils peuvent pour certains multiplier par 4 le risque de développer un diabète, un cancer ou encore des troubles cardiaques. De plus, les patients expriment une mauvaise tolérance pour ces molécules, qui devaient être prises à heure fixe et au nombre de 10 comprimés par jour (4).

DE NOS JOURS

Aujourd'hui, on traite presque tous les patients VIH+ avec 1 comprimé/jour en trithérapie. Le comprimé renferme à lui seul les différents mécanismes d'inhibition enzymatique, ce qui offre au patient une meilleure qualité de vie. En effet, en plus de la simplicité de prise, de nombreuses avancées ont permis un réel progrès thérapeutique : une bonne tolérance au long cours, des effets indésirables drastiquement réduits et

peu d'interactions médicamenteuses. À cela s'ajoute le fait que le comprimé peut être pris à n'importe quelle heure de la journée, et que le suivi du patient se fait annuellement. Toutes ces améliorations participent grandement à l'espérance de vie du patient VIH+, qui est en constante augmentation (4).

			
BIKTARVY	EVIPLERA ODEFSEY	TRIUMEQ	GENVOYA
Emtricitabine Ténofovir AF Bictégravir	Emtricitabine Ténofovir AF Rilpivirine	Lamivudine Abacavir Dolutégravir	Emtricitabine Ténofovir AF Élitégravir/ Cobicstat

Quelques spécialités commercialisées en France et leurs molécules

Le traitement permet de restaurer une immunité (CD4 > 500/mm³) chez les patients, et de maintenir une charge virale indétectable toute leur vie. Elle est attendue au bout de 6 mois de traitement. Plus elle est précoce, plus elle diminue la mortalité et la morbidité.

PRÉVENTION DES CONTAMINATIONS

La principale voie de transmission de l'infection en France est la voie sexuelle (3). À ce jour, le meilleur moyen de prévenir la transmission de l'infection reste l'usage du préservatif. Cela dit, une batterie d'autres dispositifs de lutte contre la propagation du virus est mise en place, la plus connue étant la prophylaxie pré-exposition (PreP). La PreP est un traitement en bithérapie pour les personnes qui n'ont pas le virus mais qui ont des pratiques à risque. Il s'agit d'un traitement à vie, qui permet de conserver le statut séronégatif malgré l'exposition au virus.

ATTENTION : LA PREP NE PROTÈGE PAS DES AUTRES IST.

Il existe également des traitements dits "post-exposition" ou "d'urgence" dans les cas où une personne a été exposée à une conduite à risque. Cela peut concerner les personnes vivant avec une personne infectée avec une charge virale détectable, dans des situations de partage de seringues, mais aussi dans les cas où un personnel de santé subit un accident avec exposition au sang. Dans le cas où la conduite a lieu dans les 48

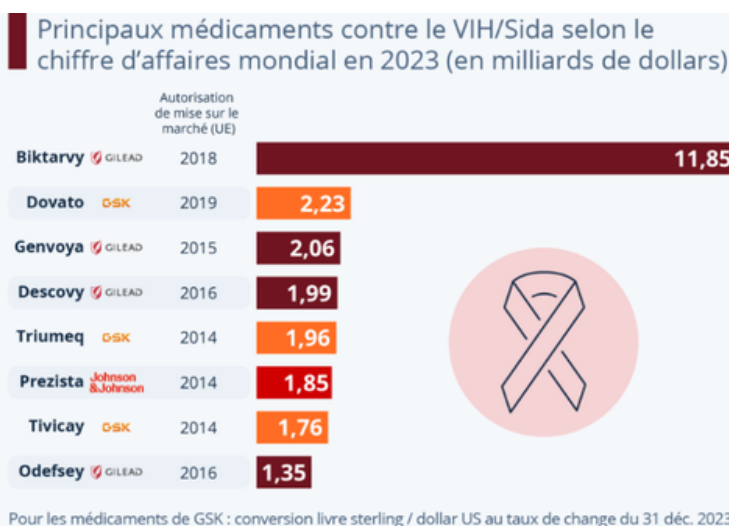
heures, les personnes exposées se verront proposer un traitement antirétroviral en se rendant dans un centre de dépistage anonyme et gratuit ou aux urgences du centre hospitalier.

Enfin en France, existent les Centres Gratuits d'Information, de Dépistage et de Diagnostic (CeGIDD), qui sont des centres de dépistage anonymes et gratuits. Dans ces centres, des personnes séropositives sont suivies par de nombreux infectiologues. Ce lieu permet également la réalisation de dépistages d'autres infections sexuellement transmissibles (IST), et la réalisation de la Prep. Malgré toutes ces initiatives, on estime à 200 000 le nombre de personnes vivant avec le VIH en France, et plus de 30% des Français ne se font pas dépister systématiquement après un rapport sexuel non protégé (5).

UNE RÉVOLUTION EN MARCHÉ

C'est dans ce contexte que le laboratoire américain Gilead Sciences a publié en juin dernier les résultats de son essai clinique concernant sa nouvelle molécule, le lénacapavir.

Le groupe pharmaceutique, qui a fait des médicaments contre le VIH l'une de ses spécialités, est aujourd'hui le numéro un du secteur. En effet, Gilead détient quatre des huit références de médicaments anti-VIH générant le plus de recettes à l'échelle mondiale, dont figure le Biktarvy qui représente à lui seul 40% du chiffre d'affaires du laboratoire, soit des ventes mondiales de 11,85 milliards de dollars en 2023 (6).



Principales spécialités anti VIH/SIDA commercialisées dans le monde - Statista (6)

Avec le lénacapavir, le laboratoire américain compte s'imposer une fois encore en tant que leader dans la prévention du VIH. Effectué auprès de 5 300 jeunes femmes de 16 à 25 ans sur 25 sites en Afrique du Sud et sur 3 sites en Ouganda, la phase 3 de l'essai PURPOSE 1, a permis d'évaluer à 100 % l'efficacité préventive du lénacapavir (7). Cela signifie qu'aucune participante du bras recevant les injections de la molécule n'a été infectée par le VIH, un résultat bien supérieur aux résultats obtenus dans le groupe témoin traité oralement par Truvada®, le médicament préventif à prise quotidienne (7). Un second essai clinique, PURPOSE 2, a été mené dans 7 pays incluant cette fois des hommes cisgenres, des hommes transgenres, des femmes transgenres et des personnes non binaires ayant des relations sexuelles avec des hommes. Ici aussi le résultat est sans appel : le lénacapavir, administré deux fois par an, a réduit les nouvelles infections de 96 % par rapport à l'incidence moyenne du VIH dans ces populations, des chiffres une fois de plus supérieurs à la prise quotidienne de Truvada (8).

Avec de tels résultats, le lénacapavir s'imposerait comme la référence en prophylaxie pré-exposition du VIH. Mais autant que ses résultats d'efficacité, c'est son rythme d'administration qui confère un large atout à la molécule : deux injections par an, réalisables lors de consultations médicales classiques, contre la prise quotidienne de comprimés ou des injections tous les deux mois pour les PreP actuelles (7).

QUAND LA SANTÉ PUBLIQUE PRIME SUR LES ASPECTS FINANCIERS

Suite à la large médiatisation de ces résultats, c'est une nouvelle ère dans le traitement du VIH qui voit le jour. À tel point que ce sont des organisations non gouvernementales (ONG) qui mettent la pression sur Gilead Sciences pour qu'ils rendent accessible leur molécule au plus grand nombre. "Gilead a l'opportunité de sauver le monde. De sauver le monde, [du sida]" a déclaré Winnie Byanyima, directrice exécutive de l'Onusida, le programme de l'Organisation des Nations unies (ONU) destiné à coordonner l'action pour lutter contre la pandémie de VIH. Car s'il est incontestable que ce médicament représente une

révolution majeure dans la prévention du VIH, son prix, lui, ne fait pas l'unanimité : environ 40 000 dollars US par an et par patient (9). Ce n'est pas la première fois que le laboratoire américain fait l'objet de polémiques sur le prix de ses médicaments. Déjà en 2013, Gilead proposait des molécules très efficaces contre l'hépatite C (Sovaldi, Harvoni, Epclusa et Vosevi), mais leur arrivée sur le marché avait déclenché une vive controverse en raison de leurs prix initiaux, jugés exorbitants pour la sécurité sociale : plus de 40 000 € par patient (10). La directrice exécutive de l'Onusida demande alors au laboratoire d'autoriser la fabrication générique du lénacapavir, qui pourrait être produit "pour moins de 100 dollars par personne et par an". De son côté, Gilead prévoit de rendre disponible le lénacapavir en accès ouvert pour tous les participants de l'étude, et de lancer les démarches réglementaires pour une autorisation mondiale pour soutenir le lancement du lénacapavir en tant que traitement préventif en 2025 (8). Ils n'ont cependant pas encore réagi à la demande de l'Onusida.

DES OBJECTIFS MONDIAUX

Les objectifs de l'Organisation Mondiale de la Santé concernant le VIH sont triples : que 90% des personnes séropositives connaissent leur statut sérologique, que 90% des personnes qui connaissent leur séropositivité reçoivent des traitements antirétroviraux et que 90% des personnes sous traitement aient une charge virale indétectable. Si en 2023 30,7 millions de personnes avaient accès à une thérapie antirétrovirale (1), seulement la moitié des personnes infectées par le VIH sont traitées dans certaines zones du monde comme en Europe de l'Est, en Asie centrale, en Afrique du Nord et au Moyen-Orient (9). Ainsi, avec le Sunleca, Gilead apporte une arme redoutable dans la lutte contre la propagation du virus, à condition que la molécule soit accessible au plus grand nombre. "[Gilead pourrait] entrer dans l'Histoire en autorisant la fabrication générique du lénacapavir [...] et pourrait devenir l'entreprise qui remporte un prix Nobel. La récompense ne vient pas seulement de l'argent" appuie la directrice exécutive de l'Onusida (9).



Visuel issu d'une campagne de sensibilisation
Aides

DE NOUVELLES PISTES EXPLORÉES

Aujourd'hui on traite les patients de manière à ce qu'il n'y ait pas de propagation du virus. C'est l'une des raisons pour laquelle, en France, les préservatifs sont remboursés depuis janvier 2023 pour les moins de 26 ans. En termes de traitement, le dogme actuel reste la trithérapie, mais le développement de la bithérapie peut être proposé à certains patients pour améliorer leur qualité de vie. Celle-ci est envisageable pour les patients très observants sous trithérapie après plusieurs années, avec un taux de LTCD4 supérieur à 500/mm³ depuis 1 an.

On propose la bithérapie pour réduire les risques cardiovasculaires et métaboliques liés à la trithérapie. Un des risques de la bithérapie est le manque de contrôle du virus, notamment en cas de mutation de ce dernier.

Il existe aussi des traitements injectables à rythme d'une injection tous les 2 mois mais seuls quelques patients y ont accès. Des vaccins ont été développés mais aucun efficace n'a encore été mis au point à ce jour.

Des cas de rémissions ont été recensés chez des patients ayant bénéficié d'une greffe de moelle osseuse, mais ce point de recherche est fermé, tant il concerne peu de patients et le caractère onéreux de ce genre d'intervention.

Toutes ces innovations ont permis qu'on aborde le VIH non plus comme une maladie mortelle, mais comme une maladie chronique. Depuis 2015, au moment de la contamination, l'espérance de vie d'une personne infectée par le VIH est la même que celle d'une personne du même âge non infectée par le VIH (3). Mais malgré tout cela,

aujourd'hui, on ne guérit pas du VIH.

D'AUTRES DÉFIS À RELEVER

En France, la majorité des séropositifs ont une charge virale indétectable, ce qui confère à ces patients une vie quasiment normale. Cependant, les années SIDA ont traumatisé plusieurs générations, et par conséquent, les séropositifs sont vus comme des gens mourants. À l'époque, les séropositifs ne pouvaient pas devenir policier, militaire ni même juge ou autres fonctions administratives : cette discrimination s'appelle la sérophobie, et constitue un des aspects les plus négatifs dans le vécu des patients atteints du virus. Aujourd'hui encore, ce décalage persiste entre la société et les avancées de la médecine. Selon l'étude Toluna Harris Interactive menée en 2024, 87% des Français estiment qu'il est possible d'être contaminé par le virus après une relation sexuelle vaginale non-protégée avec une personne porteuse du virus sous traitement, et pour 71% des 35-49 ans, le VIH est vu comme une maladie dont on meurt aujourd'hui (5). Enfin, l'étude montre que plus de 20% des Français estiment que l'on peut être contaminé par le VIH en étant piqué par le même moustique qu'une personne séropositive, ou en échangeant de la salive via un objet (5). Ces chiffres montrent que plus que des innovations thérapeutiques, ce sont également les mentalités des sociétés qui doivent évoluer pour permettre aux patients VIH+ d'améliorer leur qualité de vie.





AU COEUR DE L'INNOVATION

CONTINUUM +
ET L'ESSOR DES
THÉRAPIES DIGITALES



CONTINUUM +

ET L'ESSOR DES THÉRAPIES DIGITALES










Le 9 juillet 2024, la commission (CNEDiMTS) a adopté définitivement son avis favorable à la prise en charge anticipée, dite PECAN, d'un dispositif médical numérique (DMN) de télésurveillance en oncologie.

Les thérapies digitales ou "thérapies numériques" (en anglais "Digital Therapeutics » ou DTx) peuvent être définies comme des traitements scientifiquement validés sous forme de solutions numériques (applications mobiles, dispositifs connectés) pour prévenir, gérer ou traiter un trouble médical ou une maladie (1).

Ces thérapies digitales utilisent des logiciels et des outils numériques nécessaires à :

- la prévention de troubles ou de maladies ;
- la gestion de troubles ou de maladies ;
- le contrôle de troubles ou de maladies.

Cette nouvelle manière de prendre en charge les patients est en constante croissance, et les autorités de santé sont encore en pleine réorganisation pour être les plus efficaces possible dans l'évaluation de ces solutions. En ce sens, la HAS publie en 2021 sa première classification des thérapies digitales :

	Description	Nombre de catégories	Personnalisation	Autonomie
Niveau A	Services support aux patients, aux aidants ou aux professionnels dans le cadre de soins ou d'optimisation du parcours de soins ou la gestion médico/socio administrative sans action directe sur la santé des patients.	1 catégorie	 / 	
Niveau B	Information générale de l'utilisateur non personnalisée sur les conditions de vie, les règles hygiéno-diététiques, les pathologies/handicaps ou tout état de santé (au sens large du terme), les parcours de santé, de soins ou de vie, etc. Fournit également des supports ou outils de formation.	1 catégorie		
Niveau C	Aide à la vie, à la prévention, au dépistage, au diagnostic, à l'observance, à la surveillance ou au traitement d'une pathologie, d'un état de santé ou dans le cadre d'une situation de handicap. Sans autonomie de la solution numérique dans la gestion de la décision thérapeutique.	8 catégories		
Niveau D	Gestion autonome de la décision après analyse des données et diagnostic afin d'ajuster automatiquement, le traitement à administrer, sans intervention humaine.	1 catégorie		

Classification simplifiée des thérapies digitales - HAS (2)

Malgré ces avancées dans la reconnaissance de l'essor des thérapies digitales en France, les prévisions suggèrent un grand retard de l'Hexagone par rapport aux États-Unis.



■ Amérique du Nord ■ Amérique latine ■ Europe de l'Ouest
 ■ Europe Centrale/Est ■ Chine et Grand Est ■ Sous-continent Indien
 ■ Reste de l'Asie ■ Afrique et Moyen-Orient

Prévisions sur la répartition du marché des thérapies digitales pour fin 2024

Adapté de Juniper Research, 2019 (3)

Qu'est ce qui rend le marché français si particulier et difficile ?

La France dispose d'un système de santé couvrant l'immense majorité des dépenses liées aux soins, si bien que la santé est souvent considérée comme "gratuite" au sein du pays. Une situation qui est à double tranchant pour les start-up ou laboratoires souhaitant mettre une spécialité sur le marché. En effet, il existe alors 2 cas de figure :

1- L'intérêt pour la santé publique de la spécialité est démontré, alors celle-ci est remboursée par la Sécurité Sociale sur le territoire ; dans ce cas, les patients sont peu difficiles à convaincre, ils sont conseillés par leur médecin et n'ont quasiment rien à payer pour leur traitement, que celui-ci soit médicamenteux ou digital.

2 - L'intérêt n'a pas pu être démontré ; alors, bien que la solution puisse arriver sur le marché, elle ne sera pas remboursée. Les Français n'ayant pas l'habitude de payer pour leur santé, il sera extrêmement complexe de convaincre les patients de prendre en charge eux-mêmes une thérapie.

Le modèle économique de la e-santé en France est alors grandement soumis aux organismes de régulation : or, pour démontrer l'efficacité d'une thérapie, il faut un investissement financier conséquent permettant de réaliser un essai clinique.

C'est dans ce cadre qu'intervient l'article 51 du PLFSS (Projet de Loi de Financement de la Sécurité Sociale) 2018.

Le Projet de Loi de Financement de la Sécurité Sociale est un texte voté chaque année avant la mi-octobre, qui vise à maîtriser les dépenses de la sécurité sociale, au regard des recettes prévues de l'État. Pour ce faire, il fixe notamment l'ONDAM (Objectif National des Dépenses d'Assurance Maladie), une enveloppe répartie entre les différents corps de santé pour une durée d'un an. Le PLFSS est rédigé en collaboration par la direction de la Sécurité Sociale et le gouvernement, puis est voté tel un projet de loi classique (4).



LEEM (5)

UNE DISPOSITION QUI POUSSE À L'INNOVATION

L'article 51 du PLFSS 2018 est un dispositif permettant d'expérimenter de nouvelles solutions de santé.

Son objectif est de promouvoir des organisations innovantes contribuant à améliorer le parcours des patients, l'efficacité du système de santé, l'accès aux soins ou encore la pertinence de la prescription des produits de santé (6).

Alors que les parcours de santé se mettent progressivement en place pour assurer une prise en charge globale des patients, il s'agit d'une véritable opportunité pour tester de nouvelles approches. Ce dispositif permet de déroger à de nombreuses règles de financement de droit commun, applicables en ville comme en établissement hospitalier ou médico-social, et d'accéder à un soutien financier, notamment par les Fonds d'Innovation du Système de Santé (FISS) (7).

Sont éligibles les expérimentations portant notamment sur la coordination du parcours de santé, la pertinence et la qualité de la prise en charge sanitaire, sociale ou médico-sociale, la structuration des soins ambulatoires et l'accès aux soins.

La validation d'une proposition de projet se fait sur la base de 4 critères :

- Le caractère innovant ;
- La faisabilité ;
- La capacité à être diffusé ;
- Son rapport qualité / prix (6).

Les projets sélectionnés sont par la suite accompagnés par les ARS (Agences Régionales de Santé), pour mettre en place une expérimentation sur leur territoire. Si celle-ci est probante, alors l'évaluation du dispositif sera favorable, et celui-ci pourra être généralisé à l'ensemble du territoire national.

5 ans après la parution de l'article 51 en Île de France, c'est déjà 40 expérimentations différentes qui se sont déployées sur la région francilienne.

CONTINUUM + : UNE SOLUTION AYANT BÉNÉFICIÉ DE CE DISPOSITIF

Continuum + est une application de télésurveillance médicale de patients adultes atteints d'un cancer sous traitement systémique. Elle permet notamment de relever les constantes cliniques, de grader les événements indésirables, d'évaluer l'observance ou encore de mesurer la qualité de vie des patients (8).

La CNEDiMTS (Commission Nationale d'Évaluation des Dispositifs Médicaux et des Technologies de Santé) a ainsi adopté définitivement son avis favorable au remboursement de la solution Continuum+ Connect : grâce à cette décision, le dispositif médical peut être remboursé de manière anticipée, et ce depuis septembre 2024.

La CNEDiMTS est la commission de la HAS qui examine toute question relative à l'évaluation en vue de leur remboursement par l'assurance maladie et au bon usage des dispositifs médicaux et des technologies de santé.

Quelle particularité ? Contrairement à la plupart des applications de télésurveillance disponibles sur le marché, l'évaluation des constantes et le suivi peuvent être réalisés à trois niveaux, selon le degré d'autonomie du patient :

- Par une infirmière à domicile, permettant une plus grande exhaustivité sur le contrôle des différents paramètres et un meilleur monitoring du patient ;
- Par le pharmacien d'officine, favorisant les retours du patient et aidant le pharmacien à apporter une aide la plus adaptée possible ;
- Par le patient lui-même, ce qui apporte une plus grande flexibilité sur la récolte de ses informations.

LE DISPOSITIF PECAN

En plus de l'article 51, une autre disposition de la HAS permet aux applications de santé de voir le jour plus facilement en France.

Le dispositif PECAN (Prise En Charge Anticipée Numérique) permet une prise en charge dérogatoire, d'une durée d'un an, par l'Assurance Maladie, d'une solution numérique de santé. À condition que celle-ci soit suffisamment mature, l'exploitant a la possibilité de finaliser la démonstration du bénéfice clinique apporté par sa solution, tout en étant déjà remboursé de manière anticipée.

L'objectif ? Accélérer la mise sur le marché des dispositifs médicaux numériques (DMN) thérapeutiques ou des activités de télésurveillance médicale.

Mis en application le 30 mars 2023 dans le cadre du plan d'investissement France 2030 (10), le dispositif PECAN a fait l'objet de 29 candidatures, ANS et HAS cumulées, à la date d'avril 2024 (11).

Aujourd'hui, tous les indicateurs sont au vert pour le développement des thérapies digitales. En moyenne depuis 3 ans, l'écosystème des DTx progresse de 50% chaque année, faisant de celui-ci un secteur porteur pour les années à venir (12).

Nous sommes probablement encore aux prémices d'un nouveau référentiel de prise en charge pour les patients atteints de pathologies chroniques. Néanmoins, dans le contexte actuel, il reste difficile de démontrer un bénéfice clinique significatif pour obtenir un remboursement pérenne par les organismes payeurs, ce qui amène de nombreuses start-up innovantes à demeurer dans l'incertitude quant à l'avenir de leurs solutions.



PECAN : Le processus d'évaluation par la HAS

Webinaire PECAN / G-NIUS, 04/2024 (9)





LinkedIn Top Voices

DE NOMBREUX SUPPORTS EXISTENT SUR LES RÉSEAUX SOCIAUX, AFIN DE SE FORMER ET S'INFORMER SUR LES ENJEUX ET ACTUALITÉS DE L'INDUSTRIE PHARMACEUTIQUE...

QUELLES SONT LES PERSONNALITÉS À SUIVRE POUR RESTER À JOUR SUR NOTRE DOMAINE ?



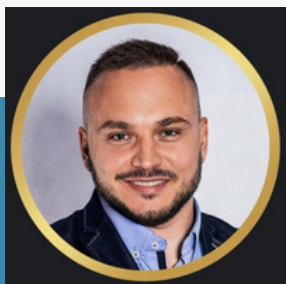
Nathalie Lahitte

Issue d'une formation pharmaceutique x HEC, Nathalie Lahitte est la fondatrice du podcast Pharma Minds, qui met en lumière les talents de la santé !



Nicolas Schmitz

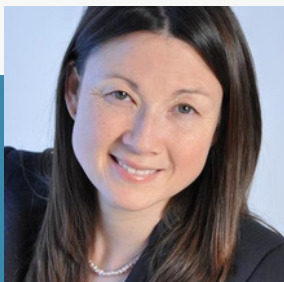
Nicolas est expert en analyse de marché : il publie régulièrement des récapitulatifs de l'actualité industrielle, et des statistiques pertinentes sur le secteur.



Błażej B.

Błażej met à disposition de nombreuses statistiques, classements et autres, qui donnent une vision globale de l'environnement pharmaceutique industriel actuel.

LinkedIn Top Voices



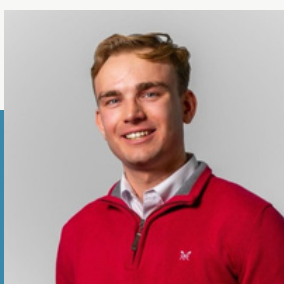
Caroline Mascret

Caroline reste attentive aux publications de la presse spécialisée, et repartage de nombreux articles relatifs au secteur de la santé pour une veille scientifique facilitée !



Sam Gibbons

Sam est consultant en industrie pharma, et est spécialisé dans le domaine des thérapies géniques et cellulaires. À suivre pour ne manquer aucune news dans ce domaine !



Spencer Knight

Spencer offre des actualités diverses sur le panorama industriel et académique mondial, en particulier dans les domaines de l'oncologie et des thérapies innovantes.



Jeffrey C. Martin

Jeffrey publie de nombreux supports et schémas pour comprendre le fonctionnement des thérapies innovantes, comme les CAR-T cells ou les immunothérapies.



David Mercier

David est un entrepreneur santé qui communique majoritairement sur les soft-skills et les compétences de management les plus importantes de la pharma.

À LA UNE

Exploration de l'**approbation accélérée**, un programme au service des patients





L'APPROBATION ACCÉLÉRÉE

EXPLORATION D'UN PROGRAMME AU SERVICE DES PATIENTS

L'obtention d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) sous un format accéléré est aujourd'hui une solution permettant un accès rapide à des traitements innovants. Les laboratoires pharmaceutiques et institutions de recherche peuvent y avoir recours sous différentes formes à travers les continents. Dans cette dynamique, l'Europe propose depuis mars 2016 le *PRiority MEdicine* (PRIME), instauré par les instances réglementaires européennes. Aux États-Unis, on parle de quatre programmes distincts développés au cours des dernières décennies pour optimiser la prise en charge de maladies graves et potentiellement mortelles, souvent associées à des options thérapeutiques limitées. Parmi ces programmes, l'approbation accélérée, mise en place par la Food and Drug Administration (FDA) en 1992, permet d'obtenir une AMM pour des traitements en phase précoce (phase I et II en recherche clinique). Au cours des 20 dernières années, on constate un accroissement du recours à cette modalité avec plus de 35 traitements mis sur le marché.

LE SCÉNARIO DE L'APPROBATION ACCÉLÉRÉE, UN POSITIONNEMENT HISTORIQUE

L'adoption de la loi Kefauver en 1962 aux États-Unis uniformise l'approbation des médicaments par la FDA par un recours à une voie réglementaire traditionnelle de mise sur le marché. Ce modèle est basé sur une exigence de preuve de sécurité et d'efficacité au moyen d'essais cliniques à l'initiative du promoteur.

Dans ce contexte il est important de rappeler qu'un essai clinique est une investigation qui doit être autorisée par les autorités de santé et prenant en moyenne une dizaine d'années. Dans le meilleur des cas, un essai clinique débouche sur une obtention de mise sur le marché du traitement mis en cause, à la suite de l'analyse des résultats. Un essai clinique se déroule en quatre phases :

La phase I évalue sur un petit nombre de volontaires sains ou malades la tolérance, la toxicité et la pharmacocinétique de la spécialité dans l'organisme en escalade de dose. Elle permettra de déterminer la dose recommandée qui sera testée lors de la deuxième phase.

La phase II précise l'activité clinique et pharmacologique du traitement sur un nombre plus conséquent de participants. Elle permet également d'affiner la dose optimale du traitement.

La phase III est un essai randomisé et comparatif exercé en population élargie, permettant de savoir où se positionne le traitement par rapport au traitement de référence ou à un placebo. Il est essentiel de déterminer la balance bénéfice risque du traitement pour convenir de ce qu'il peut apporter dans une indication.

La phase IV consiste à suivre l'activité du traitement au long terme après son autorisation de mise sur le marché. Elle va permettre d'identifier des effets indésirables ou des complications tardives (1).

QUEL EST LE RÔLE DE LA RECHERCHE CLINIQUE ?

Les trois phases d'essais sont des étapes incontournables car leurs résultats conditionnent la mise sur le marché du nouveau médicament. Elles sont complétées d'études dites « post-AMM » (phase IV), car intervenant après la mise sur le marché du médicament. Elles évaluent le médicament dans la vraie vie, c'est-à-dire lorsqu'il est prescrit à grande échelle.



	OBJECTIFS	DURÉE	EFFECTIFS	RÉSULTATS
PHASE I	<ul style="list-style-type: none"> Sécurité du médicament Etude du devenir dans l'organisme 	De quelques jours à quelques mois	Petit nombre de volontaires	70 % des produits expérimentés franchissent le cap des essais de phase I
PHASE II	<ul style="list-style-type: none"> Efficacité du produit Détermination de la posologie optimale 	De quelques mois à 2 ans	Petits groupes homogènes de patients (de 10 à 40)	1/3 des produits testés franchissent le cap des essais de phases I et II
PHASE III	<ul style="list-style-type: none"> Etude du rapport bénéfice/risque Comparaison avec les traitements existants s'ils existent 	1 an ou plus	Plusieurs centaines de malades	De 70 à 90 % des médicaments entrant en phase III sont retenus pour une demande d'AMM
PHASE IV	<ul style="list-style-type: none"> Essais réalisés une fois le médicament autorisé Meilleure tolérance du médicament 		Nombre de patients souvent important (jusqu'à plusieurs dizaines de milliers de personnes)	Évaluation de la tolérance à grande échelle : détection d'effets indésirables très rares, non détectés en phase d'essais

Organisation d'un essai clinique (2)

En parallèle de ce modèle, la crise sanitaire du Sida dans les années 80 fait émerger un sentiment d'urgence dans le développement de meilleures thérapies. Ce paradigme conduit à la mise en place de la libération précoce et de l'accès compassionnel de l'azidothymidine (également appelée zidovudine ou AZT) avant son approbation par la FDA en 1987.



L'AZT, le premier traitement du sida (3)

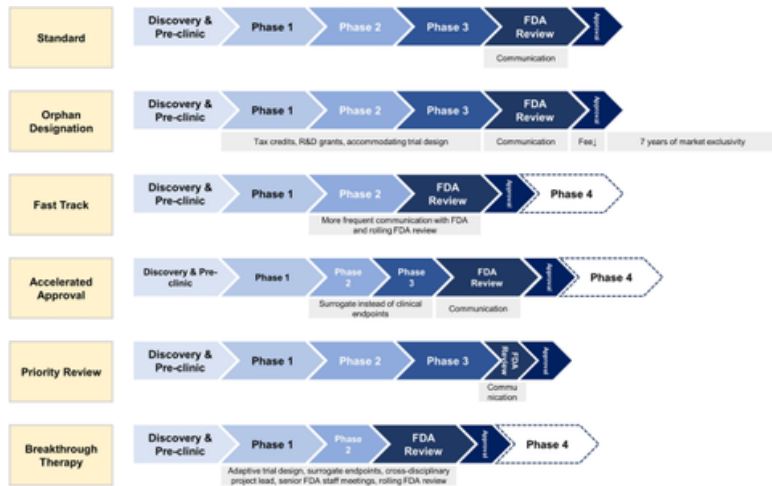
Dans cette dynamique, l'autorité de santé instaure une législation d'approbation accélérée au début des années 90 (4). Cette réglementation permettait un accès rapide à des traitements dans des affections graves répondant à un besoin médical non satisfait.

En 2012 ce programme se précise avec l'adoption du **Food and Drug Administration Safety Innovations Act** (FDASIA). Ce texte permet à la FDA d'exploiter le potentiel des essais d'extension lors des phases I d'un essai clinique, permettant ainsi de gagner un temps précieux dans les processus d'approbation (5).

COMMENT S'ORGANISE L'ÉLIGIBILITÉ ET LE RECOURS À CETTE PROCÉDURE ?

Cette procédure est généralement utilisée pour les maladies où l'évolution est particulièrement longue et nécessitant une période prolongée pour mesurer le bénéfice clinique attendu. Divers cancers mais aussi certaines maladies virales et auto-immunes peuvent présenter cette problématique. En effet, sur ce type de pathologies, la croissance tumorale ou la charge virale peuvent être évaluées rapidement mais la démonstration d'un effet sur la survie ou la morbidité peut être plus fastidieuse, nécessitant de longs essais cliniques. Cette solution pourrait également être adaptée aux pathologies aiguës, où le bénéfice clinique attendu d'un médicament peut être compliqué à obtenir. Pour être éligible au programme, la FDA demande que le traitement se positionne sur une pathologie grave en démontrant un avantage significatif par rapport aux thérapies disponibles (6). Lors de la procédure traditionnelle de demande d'AMM, il s'écoule de nombreuses années avant de démontrer qu'un traitement est efficace. L'approbation accélérée mise en place par la FDA permet d'écourter ce temps en modifiant les modalités d'évaluation habituelles d'un médicament. En effet, le FDASIA apporte une modification à la loi fédérale sur les aliments, les cosmétiques et les médicaments (FD&C Act) pour créer l'approbation accélérée. Cette approbation s'appuiera sur l'évaluation d'un paramètre de substitution ou d'un paramètre clinique intermédiaire (7).

Un critère de substitution se comporte comme un marqueur. Ce marqueur peut être une mesure de laboratoire, un examen d'imagerie, un signe physique ou autre mesure censée prédire le bénéfice clinique mais qui en soit, n'entre pas dans la définition de preuve de bénéfice clinique. De la même façon, un critère clinique intermédiaire est une mesure d'un effet thérapeutique qui est considéré comme raisonnablement susceptible de prédire ce même bénéfice, par une influence sur la morbidité et la mortalité.



Les programmes d'approbation accélérée aux États-Unis (13)

ÉTUDE DE CAS : UNE APPROBATION ACCÉLÉRÉE ACCORDÉE AU REPOTRECTINIB LORS D'UN ESSAI DE PHASE I

Ces nouveaux critères sont en revanche évalués et acceptés avec beaucoup d'exigence par les autorités de santé, ils doivent être adéquats et bien contrôlés. Ces critères sont généralement évalués en phase I et II et plus spécifiquement en phase I d'« expansion ».

La phase I d'expansion, également appelée phase I « dose-escalation », se réfère à l'étape ultérieure d'un essai clinique de phase I, où le traitement expérimental a déjà démontré une certaine efficacité et tolérabilité dans un petit groupe initial de patient. Elle va permettre de recueillir des données préliminaires d'efficacité, de caractériser les effets indésirables à diverses doses et d'explorer des sous-groupes spécifiques.

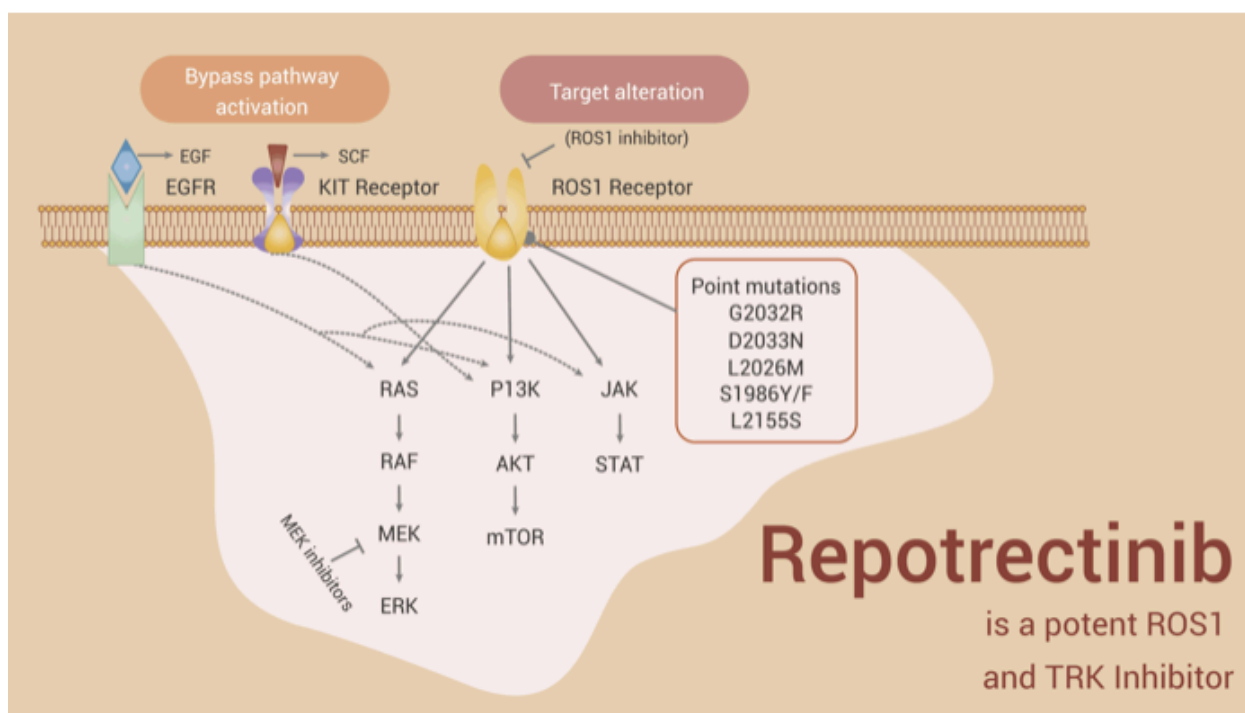
L'essai TRIDENT-1 est une étude de phase 1-2 non randomisée, évaluant la sécurité, la tolérance et la pharmacocinétique de l'activité anti tumorale du repotrectinib, une thérapie ciblée qui a fait l'objet d'une approbation accélérée, le 13 juin dernier (8).

L'expression « phase 1-2 » signifie que cette étude de phase 1 se déroule en 2 étapes. Lors de la première étape, les patients recevront du repotrectinib tous les jours à dose croissante afin de déterminer la dose la mieux adaptée lors de la deuxième. Durant la deuxième étape, les patients recevront du repotrectinib per os à la dose préalablement choisie lors de la première étape.

Il est tout de même demandé par la FDA au laboratoire un certain nombre de prérequis permettant d'assurer la conformité réglementaire. D'une part, l'entreprise devra soumettre pendant la période d'examen préalable à l'approbation, une copie de l'ensemble du matériel promotionnel destiné à être diffusé ou publié dans les 120 jours suivant l'approbation de commercialisation. L'entreprise pharmaceutique devra également réaliser des essais de confirmation post-autorisation permettant de vérifier le bénéfice clinique. En effet, l'approbation peut être retirée par la FDA si les essais ne parviennent pas à vérifier le bénéfice clinique ou ne démontrent pas un bénéfice suffisant pour justifier les risques associés au médicament (6).

Cette approbation a été accordée pour les patients adultes et pédiatriques à partir de 12 ans, atteints de tumeurs solides présentant un réarrangement du gène ALK, ROS1 et NTRK1-3 diagnostiqué histologiquement ou cytologiquement. Le repotrectinib est ainsi indiqué dans le cadre de tumeurs localement avancées ou métastatiques, pour lesquelles la résection chirurgicale est susceptible d'entraîner une morbidité grave, ou ayant progressé après une tentative de traitement (6). Le repotrectinib, développé par Turning Point Therapeutics, fonctionne comme un inhibiteur de tyrosines kinases, enzymes impliquées dans le développement des tumeurs solides.

L'objectif de cet essai est notamment d'évaluer l'activité anti tumorale du repotrectinib chez les patients ayant une tumeur solide avancée et porteuse du réarrangement des gènes précédemment cités. Les principaux critères intermédiaires de jugement d'efficacité étaient le taux de réponse global (ORR) et la durée de réponse (DOR).



Mécanisme d'action du Repotrectinib (9)

Turning Point Therapeutics a utilisé l'Assessment Aid, qui permet à un laboratoire de soumettre des données sur son produit en amont de la soumission formelle de demande d'AMM. Cette procédure permet de faciliter l'évaluation du dossier par la FDA. Cette demande a obtenu un examen prioritaire accéléré, une approbation accélérée, une désignation de thérapie révolutionnaire et une désignation de médicament orphelin. En effet, l'indication présente une forme de fusion génétique très rare pouvant être isolante pour les patients et créant une urgence thérapeutique (10).

AVANTAGES ET CONTROVERSES DE L'APPROBATION ACCÉLÉRÉE

Cette désignation a montré de nombreux avantages notamment en ce qui concerne la rapidité avec laquelle les traitements sont mis à disposition des patients présentant de lourdes pathologies. On retrouve des succès notables avec par exemple l'approbation accélérée accordée au ponatinib en mars 2024 chez les patients adultes diagnostiqués d'une leucémie aiguë lymphoblastique positive au chromosome de Philadelphie.

Cette approbation a été accordée à la suite de l'évaluation des résultats de l'essai clinique de phase II PhALLCON, qui a comparé le ponatinib à l'imatinib (11). De plus, ce type d'approbation peut être accordé en phase I d'expansion, permettant d'établir rapidement un taux de réponse d'un traitement pour une pathologie. Une fois cette approbation acquise, une phase II de confirmation peut suffire à confirmer les résultats initiaux ce qui allège fortement le schéma traditionnel d'un essai clinique. Ces essais peuvent en parallèle affiner la dose et la fréquence d'administration ainsi que le nombre de thérapies combinées aux traitements. La désignation accélérée a un réel impact sur l'industrie pharmaceutique, permettant aux laboratoires de développer plus rapidement des traitements innovants et ainsi d'intensifier leur valeur sur un marché où la concurrence est omniprésente. Cependant, cette procédure a également fait l'objet de critiques, avec une potentielle insuffisance de données sur la sécurité au long terme. À cela s'ajoutent des cas où les approbations se sont vues révoquées par la FDA, soulevant de nombreuses questions quant à la significativité scientifique de ce modèle (12).



FOCUS ENTREPRISE

LE LEEM



LE LEEM

UN PILIER DE L'INDUSTRIE PHARMACEUTIQUE EN FRANCE

Cet article a été rédigé avec l'aide de Mohammed-Bey Attar, étudiant en 6ème année de pharmacie à la faculté de pharmacie de Lille. Il a récemment intégré le master Market Access et Évaluation Médico-Économique de l'Université Paris-Saclay, en alternance en médico-économie au sein du laboratoire Amgen. Ancien stagiaire à la direction des affaires économiques du Leem à Paris, Mohammed-Bey a eu l'opportunité de découvrir cette entreprise pendant presque 6 mois.

QU'EST-CE QUE LE LEEM ?

Le Leem (Les Entreprises du Médicament) est l'organisation professionnelle des entreprises pharmaceutiques en France. Créé en 2002, il succède au Syndicat National de l'Industrie Pharmaceutique (SNIP). Le Leem compte 267 entreprises membres, dont 50 % de TPE/PME, impliquées dans la recherche et développement, la fabrication, l'exploitation et la distribution de médicaments à usage humain. Le secteur emploie plus de 100 000 personnes dans plus de 150 métiers, avec 271 sites de production en France, dont 32 de bioproduction.

Le Leem représente, défend et promeut les intérêts de l'industrie pharmaceutique. Il joue un rôle crucial dans l'écosystème de la santé en France en étant à la fois un porte-parole de l'industrie et un catalyseur d'innovation et de collaboration.

COMMENT S'ORGANISE LE LEEM ?

Le Conseil d'administration du Leem, composé de 40 dirigeants d'entreprise élus pour quatre ans, est l'autorité politique qui fixe les orientations stratégiques de l'organisation.

La représentativité est assurée par la participation de six familles géographiques : grands laboratoires français, moyens laboratoires français, petits laboratoires français, laboratoires européens, laboratoires américains, et laboratoires japonais et autres nationalités.

COMMISSIONS STRATÉGIQUES ET EXPERTES

Le Leem est structuré autour de sept commissions stratégiques et deux commissions expertes transverses, toutes travaillant selon une feuille de route bien définie et validée par le Conseil d'administration.

1. Accès des patients aux progrès thérapeutiques ;
2. Financement et régulation ;
3. Recherche & Innovation ;
4. Santé publique, prévention et responsabilité ;
5. Transformation industrielle et transition écologique ;
6. Emploi, compétences et empreinte territoriale ;
7. Numérique, données et nouvelles technologies.

Les commissions expertes transverses sont :

1. Affaires juridiques, fiscales et conformité
2. Communication

ACTIONS ET ENJEUX DU LEEM

• Représentation et Défense des Intérêts

Le Leem joue un rôle clé en représentant les entreprises du médicament auprès des institutions nationales, européennes et internationales. Il négocie avec l'État la politique de fixation et de régulation des prix des médicaments en France via un « Accord-cadre ». Le Leem est également impliqué dans la négociation collective avec les organisations syndicales de salariés.

• Promotion de l'Éthique et de la Responsabilité Sociétale

Le Leem valorise la démarche RSE (Responsabilité Sociétale des Entreprises) des entreprises du médicament et assure une mission de veille déontologique. Il mène des actions de communication pour améliorer l'image du secteur auprès du grand public et des médias.

• Collaboration avec les Instances Européennes et Internationales

Le Leem est adhérent de l'EFPIA (European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations) et de l'IFPMA (International Federation of Pharmaceutical Manufacturers & Associations). Il participe activement aux groupes de travail de ces organisations sur des sujets tels que l'innovation en santé, les méthodologies d'évaluation des technologies de santé (HTA) et la lutte contre l'antibiorésistance.

LE PLAN STRATÉGIQUE DES ENTREPRISES DU MÉDICAMENT

Pour relever les défis actuels du système de santé, le Leem a élaboré un plan stratégique centré sur trois axes principaux visant à garantir l'accès des patients à tous les traitements nécessaires.

Pour relever les défis actuels du système de santé, le Leem a mis en place un plan stratégique visant à garantir l'accès des patients à tous les traitements nécessaires.

Ce plan s'articule autour de trois axes principaux :

1. **Souveraineté sanitaire** : Répondre aux pénuries, accélérer l'innovation, et maintenir la production en France et en Europe.
2. **Soutenabilité économique** : Construire un cadre économique et réglementaire favorable à l'implantation des entreprises du médicament en France.
3. **Responsabilité sociétale** : Répondre aux enjeux de transition industrielle, environnementale et numérique.

LE LEEM À L'INTERNATIONAL

En collaboration avec le Leem, l'IFPMA a publié le rapport "Stepping up the fight : industry collaboration to end HIV, tuberculosis and malaria", qui recense les contributions des entreprises du médicament dans la lutte contre ces trois épidémies.

Le Leem émet régulièrement des recommandations aux autorités publiques françaises pour améliorer la synergie entre l'État et l'industrie à l'international et aider les PME à exporter. Le Comité Afrique du Leem mène diverses actions chaque année pour renforcer les partenariats avec les autorités et professionnels de santé, améliorant ainsi l'environnement réglementaire et l'accès aux médicaments de qualité dans les pays africains.

Les Réunions Leem/Pays francophones, organisées en partenariat avec l'Organisation Internationale de la Francophonie avant l'Assemblée Générale de l'OMS, mettent en avant



des problématiques de santé mondiale et proposent des solutions et actions communes.

PRINCIPAUX SUJETS D'ACTUALITÉ AU LEEM

-- Pénuries de médicaments --

Le Leem collabore activement avec le GEMME (GEnérique MÊme MEDicament), représentant les professionnels et industriels français du médicament générique et biosimilaire, au sein du groupe de travail « Pénuries de médicaments » de l'ANSM.

Ensemble, ils débattent des actions nécessaires pour garantir l'accès des patients français aux médicaments essentiels en toutes circonstances, en toute sécurité et dans les meilleurs délais.

Le 21 février dernier, le gouvernement a dévoilé une feuille de route visant à assurer la disponibilité continue des médicaments et à promouvoir la souveraineté industrielle à long terme. Le Leem salue l'adoption de cette feuille de route interministérielle, qui reflète de nombreuses propositions formulées par le Leem au cours du printemps dernier. Engagé plus que jamais à garantir l'accès aux traitements vitaux pour la santé des patients français, le Leem réaffirme son plein engagement à travailler en dialogue et en collaboration avec toutes les parties prenantes pour résoudre cette problématique pressante.

-- Le règlement EU-HTA --

Le Leem collabore activement avec ses adhérents pour anticiper la mise en œuvre du règlement EU-HTA, visant à harmoniser l'évaluation des technologies de santé au sein de l'Union Européenne via le réseau EUnetHTA. Ce règlement, entré en vigueur le **11 janvier 2022** et applicable à partir du **12 janvier 2025**, vise à fournir des informations fiables et transparentes pour soutenir les décisions en matière de santé.

Le Leem informe ses membres sur les évolutions législatives, réglementaires et économiques affectant le secteur, partage les positions de l'EFPIA sur les consultations publiques relatives à EU-HTA, et fait remonter les positions du Leem

au niveau européen. Par le biais du comité d'interface HAS/LEEM, se réunissant régulièrement, le Leem exprime les préoccupations de ses membres à la HAS, contribuant ainsi à garantir la compétitivité et l'attractivité de l'industrie pharmaceutique en France.

-- Renégociation de l'accord-cadre --

La renégociation de l'accord-cadre a été prolongée d'un an et expirera le 5 mars 2025. Le Leem et le CEPS ont signé deux nouveaux avenants le 20 juin dernier : le premier modifie l'article 28 concernant les hausses de prix, tandis que le second introduit de nouvelles modalités pour la négociation dans le cadre de la procédure d'Accès direct. Ces avenants font suite à une série d'échanges techniques lancés avec le CEPS en mars dernier, visant à faciliter les discussions conventionnelles en amont de la signature du nouvel accord-cadre.

-- Un nouveau baromètre 360° de l'attractivité --

Un nouveau baromètre 360° de l'attractivité a récemment été publié. Il souligne l'urgence d'accélérer l'innovation et l'accès aux traitements en France, ainsi que la nécessité de transformer l'outil industriel et de revoir le financement et la régulation du médicament. Le Leem présentera ses recommandations aux administrations et au prochain gouvernement dès sa mise en place. Ce baromètre offre un diagnostic détaillé du cadre réglementaire des médicaments en France, mettant en lumière ses points forts et ses faiblesses. Pour restaurer la position de leadership de la France dans l'industrie de la santé en Europe, le Leem identifie les réformes essentielles à engager dès le prochain PLFSS, en commençant par la gestion de la clause de sauvegarde.

-- La campagne bon usage des médicaments --

En 2024, les entreprises du médicament se sont engagées dans une nouvelle campagne de bon usage des médicaments, centrée sur la « sobriété médicamenteuse ». Financée entièrement par le Leem, cette initiative comprend des actions de sensibilisation et d'accompagnement des

professionnels de santé, ainsi qu'une campagne de communication grand public. Initialement axée sur la polymédication des personnes âgées, particulièrement vulnérables aux événements indésirables liés aux médicaments, l'objectif est d'optimiser les prescriptions afin de limiter, lorsque possible, le nombre de médicaments à moins de 5.

Grâce à ce nouveau dispositif, le Leem prévoit des économies substantielles pour l'Assurance Maladie, estimées à 300 millions € en année pleine.

Pour l'année 2025, d'autres initiatives sont déjà planifiées, notamment la lutte contre l'antibiorésistance et le gaspillage de médicaments.



RÉFÉRENCES PRINCIPALES

Gilead et le SIDA : une opportunité de tout changer

- (1) Site officiel ONUSIDA, “Fiche d'information — Dernières statistiques sur l'état de l'épidémie de sida”, **Octobre 2024**
- (2) Christophe Carnoy, “Virus de l'Immunodéficience Humaine”, cours magistrale donné à la faculté de Pharmacie de Lille, **Janvier 2023**
- (3) Anne Goffard, “Infections par le VIH et syndromes viraux”, GIVRE, **2021**
- (4) Témoignage délivré par deux Patients Experts, donnée à la faculté de pharmacie de Lille, **Janvier 2023**
- (5) Gilead Sciences, “Etude Gilead – Toluna Harris Interactive”, **Juillet 2024**
- (6) Tristan Gaudiaut, “Gilead domine le marché des médicaments anti-VIH”, Statista, **Juillet 2024**
- (7) Maëlle Boudet, “PrEP : des résultats prometteurs pour le lenacapavir”, Sidaction, **Juin 2024**
- (8) Simon Fretel, “Lenacapavir : les résultats prometteurs de PURPOSE 2”, Sidaction, **Octobre 2024**
- (9) La tribune, “Sida : l'ONU exhorte le géant pharmaceutique Gilead à faciliter l'accès à son traitement”, **Juillet 2024**
- (10) Ouest France, “Hépatite C. Le laboratoire Gilead baisse le prix de ses coûteux traitements de 20 %”, **Novembre 2018**
- (11) Tania Louis, “Le VIH: 40 ans de pandémie”, Polytechnique insights, **Mai 2023**

RÉFÉRENCES PRINCIPALES

Continuum + et l'essor des thérapies digitales

- (1)** Thibault Lethurgez, “Stratégie en santé digitale”, cours donné à la faculté de pharmacie de Lille, **2023** ;
- (2)** Communiqué de Presse, “La HAS propose la 1ère classification des solutions numériques utilisées en santé”, Haute Autorité de Santé, consulté le **20/10/2024**
- (3)** Sam Smith, “Digital Therapeutics Market to Exceed \$32 billion by 2024 Offering Mixed Fortunes for Drug Companies”, Juniper Research, **Mai 2019** ;
- (4)** “Le projet de loi de financement de la sécurité sociale (PLFSS) : comment ça marche ?”, Ministère de l'Économie, des Finances et de l'Industrie et Ministère chargé du Budget et des Comptes Publics, **21/09/2023** ;
- (5)** Communiqué de Presse, “PLFSS 2023 : Les entreprises du médicament dénoncent un projet qui étouffe le secteur et menace l'accès aux médicaments”, LEEM, **13/10/2022** ;
- (6)** Site web, “Article 51 : innovation organisationnelle”, ARS Île-de-France, consulté le **20/10/2024** ;
- (7)** Site web, “Article 51 : expérimentations autorisées en Île-de-France”, ARS Île-de-France, consulté le **20/10/2024** ;
- (8)** “Télésurveillance du cancer : les 3 modalités de suivi AKO”, Continuum + Santé, consulté le **20/10/2024** ;
- (9)** Youtube, “Prise en charge anticipée des dispositifs médicaux numériques, point d'actualité”, Agence du Numérique en Santé, **2024** ;
- (10)** Actualités, “Prise en charge anticipée des dispositifs médicaux numériques : décret PECAN”, KYomed INNOV, **14/04/2023** ;
- (11)** “Pecan : où en est le remboursement des DTx en France ?”, Health & Tech Intelligence, **05/06/2024** ;
- (12)** “Les Thérapies Digitales: l'expansion de cet écosystème”, KleinBlue, **11/2023**.

RÉFÉRENCES PRINCIPALES

L'approbation accélérée : exploration d'un programme au service des patients

- (1) Mélanie Tilte, “La recherche clinique”, conférence donnée à la faculté de Pharmacie de Lille, **7 mars 2024** ;
- (2) LEEM, “Quel est le rôle de la recherche clinique ?”, **12 avril 2022** ;
- (3) animalresearch.info, “AZT, le premier traitement du SIDA”, **23 septembre 2024** ;
- (4) Bruce Chabner, Revue de l’American Society Of Oncology (ASCO) “Approval of New Agents after Phase II Approval”, **20 juillet 2024** ;
- (5) FDA, “Accelerated Approval”, **24 février 2023** ;
- (6) U.S. Department of Health and Human Services, FDA, CDER, CBER “Guidance for Industry : Expedited Programs for Serious Conditions - Drug and Conditions”, **Mai 2014** ;
- (7) Célia Rapisarda, Thèse d’exercice de Docteur en Pharmacie “Accès Précoces aux médicaments en Europe et aux Etats-Unis”, **16 décembre 2020** ;
- (8) Institut national du cancer, portail e-cancer “Étude TRIDENT-1: étude de phase 1-2, évaluant la sécurité, la tolérance, la pharmacocinétique et l’activité antitumorale du repotrectinib, chez des patients ayant une tumeur solide avancée et porteurs de réarrangements du gène ALK, ROS1 ou NTRK-3” ;
- (9) MedChemExpress, “Repotrectinib is a potent ROS1 and TRK inhibitor”, **2 novembre 2024**
- (10) Bristol Myers Squibb, “U.S. Food and Drug Administration approves Augtyro (repotrectinib), a next-generation tyrosine kinase inhibitor (TKI) for the treatment of patients with NTRK-positive locally advanced or metastatic solid tumors.”, **13 juin 2024** ;
- (11) U.S. Food and Drug Administration, “FDA grants accelerated approval for ponatinib in chemotherapy for newly diagnosed Philadelphia chromosome-positive acute lymphoblastic leukemia.”, **19 mars 2024** ;
- (12) Tomorrow.bio, “Approbation accélérée des médicaments : le processus de la FDA vu de l’intérieur.”, **2023** ;
- (13) Abe, K., & Yoshida, M, “A new drug approval system in the U.S. and Japan: A comparison of expedited programs in the pharmaceutical market. Health Economics Review,”, Article 39, **2023**.



MERCI POUR TOUT.



PHARMASCOPE
2024

Après une année d'engagement, nous arrivons à la dernière édition du PharmaScope sous notre plume...

J'ai adoré pouvoir explorer ce secteur complexe à vos côtés et nous sommes fiers que ce projet puisse continuer avec vos nouvelles rédactrices.

Merci pour votre soutien et votre curiosité !

Alix DUMENIL

Parce que toutes les belles choses ont une fin...

Le PharmaScope est né il y a un peu plus d'un an déjà, et il est temps d'y insuffler un air nouveau pour cette saison 2024-2025.

Pour nous c'est une page qui se tourne, mais l'aventure PharmaScope ne s'arrête pas là !

On espère que vous accueillerez les nouvelles responsables du journal avec l'enthousiasme qu'elles méritent.

On se dit à bientôt dans l'industrie !

Axandre DUBOIS

Clap de fin!

C'est avec beaucoup d'émotions que j'écris ce mot de quatrième de couverture. Jusqu'au bout j'ai pris un plaisir fou à rédiger des articles. Mais il est l'heure de passer le relais ! J'espère que vous profiterez de ma plume une dernière fois à travers ce numéro et qu'elle ne vous manquera pas trop :p même si je ne me fais pas de soucis pour ça car je sais que les filles vont

gérer.

Des bisous !

Nyaba TCHANA

Bonjour à tous,

Et voilà ! La fin d'une chouette aventure pour nous 4.

C'est avec émotion que nous vous partageons le 9ème PharmaScope ... mais attention, ce n'est pas le dernier.

Car oui ! Une superbe équipe est prête pour reprendre ce beau projet.

Merci pour tout et à très bientôt !

Fanëlie IBLED

POUR NOUS LAISSER VOS RETOURS

RDV SUR : <https://forms.gle/iFfyT1hUyzc9iWSY9>

OU EN SCANNANT LE QR CODE!

