

MANIFESTE

POUR L'ACCÈS DES MALADES AUX THÉRAPIES GÉNIQUES

Améliorer la qualité et l'espérance de vie des malades atteints de maladies rares grâce au développement et la mise à disposition des thérapies géniques en France et en Europe.

En vue du 9^{ème} Conseil stratégique des industries de santé (Csis) qui se tiendra en juillet 2021, six personnalités du monde de la santé, de l'éthique et de l'économie se sont réunies pour mener une réflexion commune sur l'enjeu que constituent les thérapies géniques pour le traitement des maladies génétiques et pour le système de santé. Avec le soutien institutionnel de la biotech pionnière dans le domaine des thérapies géniques, bluebird bio, les signataires ont défini 15 propositions concrètes pour accroître la diffusion de solutions thérapeutiques pour les patients et les professionnels de santé et pour valoriser l'excellence de l'organisation des soins français.

SIGNATAIRES



Christian Anastasy
président de
persan CONSEIL



Anne-Lise Berthier
directrice de la plate-forme
d'information et de conseil
BioPharmAnalyses



Nicolas Bouzou
économiste et directeur du
cabinet de conseil Asterès



Emmanuel Hirsch
professeur d'éthique médicale
à l'université de Paris-Saclay



Jean de Kervasdoué
économiste de la santé et
professeur émérite au CNAM



Gérard de Pouvourville
professeur honoraire en
économie de la santé, ESSEC

15 PROPOSITIONS

POUR DOTER LA FRANCE D'UNE STRATÉGIE NATIONALE POUR LES THÉRAPIES GÉNIQUES

FAVORISER L'ACCÈS RAPIDE POUR LES MALADES EN LIEN AVEC LES INSTANCES DE RÉGULATION, LES PROFESSIONNELS DE SANTÉ ET LES ASSOCIATIONS

1 Lancer un **plan ministériel de communication «grand public»** pour

promouvoir l'amélioration des connaissances de l'ensemble de la population, ainsi que des acteurs économiques et sanitaires.

2 **Faire participer les patients** à l'évaluation des essais

cliniques : la culture des PRO (*Patients Research Outcomes*) doit être généralisée.

3 Accélérer l'accès aux thérapies géniques en acceptant la **valorisation de données en vie**

réelle. La France trouverait avantage à produire ces données en collaboration avec les industriels et à leur publication par les centres référents.

4 Affiner le processus d'évaluation des thérapies géniques en y intégrant d'emblée **la notion de conditionnalité** : l'incertitude sur leurs conséquences

à long terme est inhérente à leur développement, comme c'est souvent le cas pour toute innovation de rupture.

5 **Acquérir**, au niveau du soin, un **savoir-faire pionnier** et lui-même innovant, expert et attentif à la diffusion de cette

approche thérapeutique au bénéfice des patients français ainsi que des malades concernés dans le monde.

ADAPTER LE SYSTÈME DE SOINS, Y ASSOCIER LES PROFESSIONNELS DE SANTÉ ET LES PROMOTEURS D'UN NOUVEAU MODÈLE THÉRAPEUTIQUE

6 **Développer de nouvelles compétences et reconnaître l'expertise** : les

thérapies géniques constituent un champ thérapeutique encore trop méconnu. Les plans de formation universitaire doivent prévoir le développement et l'implémentation de ces nouveaux savoirs.

7

Prévoir la reconnaissance et **la valorisation des nouvelles activités** nécessaires au parcours de soins.

8

Implanter en France des plateformes de haut niveau scientifique favorisant ces nouvelles prises en charge, **simplifier** et **homogénéiser** les processus de **qualification des centres de traitement**. Inscrire cet enjeu comme une stratégie à part entière dans 4^{ème} Programme d'investissements d'avenir (PIA 4).

ADAPTER LE SYSTÈME DE VALORISATION ET DE FINANCEMENT

9

Encourager la **production de connaissance sur le fardeau des maladies** traitées, pour les malades et leurs familles, de façon à mieux **valoriser les bénéfices/risques d'un traitement à vocation**

curative, par rapport aux traitements actuels qui modifient l'évolution de la maladie mais imposent un traitement chronique souvent à vie.

10

Communiquer de façon large sur **l'efficacité des thérapies géniques** au regard des résultats scientifiques obtenus.

11

Faire évoluer le financement annuel vers une **logique d'investissement** :

identifier les enjeux des thérapies géniques en termes de valeur et mettre leur impact économique de long terme en perspective.

12

Appréhender globalement **les enjeux de coûts**, en termes **d'impact pour le système de santé et pour les industriels-fabricants**,

en incluant notamment une réflexion sur des modes de fixation des prix et des modèles de financement en fonction de la prévalence et de l'incidence des maladies traitées.

PROMOUVOIR L'EXCELLENCE MÉDICALE FRANÇAISE AU MEILLEUR RANG EUROPÉEN

13

Encourager la **compétitivité et l'attractivité de la France**. Dotée

d'un écosystème favorable, notre pays doit rester précurseur dans la recherche fondamentale et le soin des patients en anticipant de nouveaux modes d'organisation et de financement des prises en charge.

14

Créer, en lien avec les instances publiques, les professionnels de santé et les associations, **les modalités**

d'organisation de pôles pionniers, en consolidant les politiques publiques de développement industriel du pays, en anticipant les modes d'organisation futurs rendus indispensables et en permettant d'accueillir et de suivre de façon adéquate les patients français et étrangers en grand nombre.

15

Accompagner durablement et efficacement la mise en place d'une filière de bioproduction dédiée à la thérapie génique sur le territoire national. La présence conjuguée de pôles de soins spécialisés et d'acteurs impliqués dans la production de ces traitements constituerait un outil d'attractivité et de compétitivité supplémentaire pour la

bioindustrie française. Cette démarche permettra au territoire national de disposer des leviers nécessaires pour assurer l'indispensable continuum entre la R&D et le soin.