

Article original, Editeur KJER France : rédigé : 09/04/2015; publié : 12/04/2015

Les laboratoires pharmaceutiques s'intéressent aux maladies rares

Les maladies rares intéressent de plus en plus les grands laboratoires pharmaceutiques. Ils cèdent des activités jugées peu rentables et vont sur d'autres plus profitables dont les maladies rares.

Les raisons de l'intérêt pour les maladies rares

En janvier 2015, le laboratoire pharmaceutique irlandais Shire a acheté le groupe américain NPS Pharmaceuticals pour un montant de 5,2 milliards de dollars. Cette société est spécialisée dans le traitement d'une maladie rare, le syndrome de l'intestin court pour laquelle elle a mis au point un traitement. Le laboratoire Roche a acheté la société de biotechnologie Trophos pour 700 millions d'euros. Ce petit laboratoire a, en effet, montré l'efficacité d'une molécule sur l'amyotrophie spinale infantile (SMA) qui touche 20 000 personnes.

Les grandes entreprises pharmaceutiques s'intéressent aux médicaments orphelins pour quatre raisons :

- **Le chiffre d'affaire engendré** : Le Soliris médicament prescrit contre une forme rare d'anémie, rapporte plus de 400.000 euros par an et par patient. Le Kalydeco qui soigne la mucoviscidose, coûtera 19.500 euros et sera prescrit aux 6 800 personnes concernées en France. Ainsi, le marché des 7000 maladies rares est estimé, en 2015, à 100 milliards de dollar mais il devrait dépasser 175 milliards de dollars en 2020. Le laboratoire suisse Novartis, qui travaille sur quarante maladies rares, espère un chiffre d'affaire de 12 milliards de dollars en 2018.
- **L'extension d'indication**: les traitements efficaces contre une maladie rare le sont aussi parfois contre une maladie plus fréquente. L'agence européenne du médicament a reconnu l'efficacité d'un médicament qui vise une maladie dégénérative rare, la paralysie supranucléaire progressive, mais qui pourrait aussi être utilisé pour soigner la maladie d'Alzheimer. La molécule testée par le laboratoire Trophos, citée plus haut qui cible la SMA, est testée également contre la sclérose en plaques, une maladie nettement plus répandue.

Article original, Editeur KJER France : rédigé : 09/04/2015; publié : 12/04/2015

- **Le coût de développement** : L'intérêt des pathologies rares pour les laboratoires, tient aussi au fait qu'elles ont souvent une origine génétique unique. La cible du traitement est donc bien identifiée, et il est possible d'évaluer plus facilement l'effet de la molécule médicament. En cas de succès, on peut facilement étendre son indication à des maladies plus complexes mais dépendantes de processus moléculaires similaires, ce qui simplifie la phase de développement des nouvelles molécules.
- **Les incitations gouvernementales** : les médicaments orphelins bénéficient dans de nombreux pays de mesures particulières qui sont destinées à inciter les laboratoires pharmaceutiques à les produire. Les Etats-Unis, ont promulgué en 1983 l'*Orphan Drug Act* qui prévoit des aides fiscales à la recherche clinique, une aide administrative à l'élaboration du dossier de mise sur le marché (AMM), un allègement des droits d'enregistrement, une exclusivité de 7 ans après obtention de l'AMM. La Communauté européenne a fait de même en 1999 avec des incitations similaires à celles proposées aux USA ([voir la synthèse de ce règlement](#)).

Une limite à l'intérêt pour les maladies rares

Cette tendance est critiquée dans un article de 2014 ([Expert Opinion on Orphan Drugs \(2014\) 2\(8\):797-806](#)). Les auteurs J. Stephens et C. Blazynski y analysent le l'intérêt actuel des laboratoires pharmaceutiques pour un marché de niche avec un fort retour sur investissement de produits visant des maladies rares. Selon ces experts, cette nouvelle tendance n'est pas durable. Le prix annuel du traitement d'une maladie rare atteint fréquemment 180 000 € par an et par patient, les gouvernements et les organismes chargés du remboursement n'accepteront pas, selon les auteurs, de payer de telles sommes dans la conjoncture économique actuelle.

Les limites de la limite

La polémique récente autour du prix du Sovaldi (sofosbuvir) est instructive. Ce médicament cible l'hépatite C qui touche environ 120 000 personnes en France. Le coût du traitement de douze semaines était fixé par le laboratoire à 57 000 euros somme jugée exorbitante tant par les associations que par le ministère de la santé. Le prix a été négocié à 47 000 euros et un dispositif limite le chiffre d'affaire des laboratoires. Ils

Article original, Editeur KJER France : rédigé : 09/04/2015; publié : 12/04/2015

devront reverser une partie de ce qu'ils ont gagné à l'Assurance Maladie dès que leurs ventes auront atteint un seuil (700 millions en 2015).

- **Un prix négociable** : On constate que le médicament comme tout autre produit est commercialisé en fonction de critères purement commerciaux et qu'il existe des marges de négociation de son prix de vente. Pour vendre, les laboratoires doivent composer avec les organismes payeurs qui sont les intermédiaires obligés pour atteindre les consommateurs.
 - **L'apport de la recherche publique au profit du secteur privé** : Le développement d'une nouvelle molécule est évidemment coûteux, mais il ne faut pas oublier qu'une grande partie de la recherche fondamentale, (longue, incertaine et onéreuse) est assurée par des institutions publiques, par l'INSERM et le CNRS en France ou payée par des associations, notamment par l'AFM en France, c'est une contribution gratuite que les laboratoires se privent pas d'exploiter via les données recueillies dans les revues scientifiques. Les laboratoires sont la source unique, toute puissante, de la santé ils sont un maillon de la chaîne ; il conviendra de leur faire savoir.
 - **Une évolution et pas une tendance** : La recherche sur les maladies rares n'est pas une mode, c'est à la fois la cause et la conséquence de l'état actuel des connaissances en biologie. La génétique n'observe plus des épis de maïs mais des phénomènes biochimiques à l'échelle nanométrique ainsi que leurs interactions avec l'environnement. Notre compréhension de l'homme en est à ce point. Il s'ensuit que les traitements des maladies, en général, seront à l'échelle de cette recherche : c'est une tendance inéluctable. Si les laboratoires s'intéressent aux maladies rares c'est parce que là se jouent les futurs développements de la santé humaine ; ils ne peuvent plus compter sur la vente de l'aspirine, contraints par leur propre système à innover, ils ne peuvent qu'aller dans cette direction.
-