

Table Ronde TR5



Thérapies Innovantes : quelles sont les conditions de succès de la recherche translationnelle et d'animation d'une filière

Olivier Blin, Pierre-Noel Lirsac, Bénédicte Garbil

et les participants à la Table Ronde N°5 : Pierre Angot, Elisabeth Bourg, Odile Damour, estelle De Barbeyrac, Patrick Faure, Nicolas Ferry, Jérôme Larghero, Jeremy Magalon, Marina Nguon, François Pattou, Stéphane Thumelin, Frank Yates.

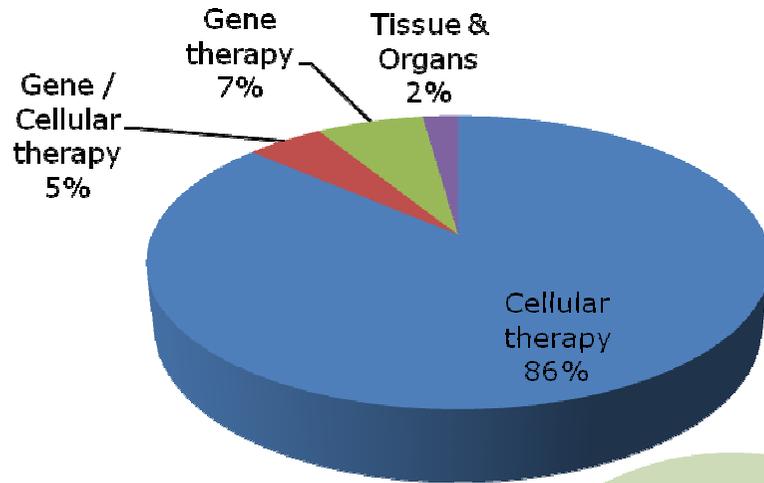
MTI (ATMP)

- Médicaments de Thérapeutique Innovante
 - Thérapie cellulaire somatique
 - Issus de l'ingénierie tissulaire
 - Thérapie génique
 - Éventuellement couplés à des DM
 - Mais si pas de modification substantielle ET destination la même chez donneur et receveur : Préparation Cellulaire/Tissulaire
- Médicament=AMM
- Respect des BPF pour la production et distribution
- Exemption hospitalière: MTI-PP (préparés ponctuellement): autorisation nationale

Réglement européen CE 1394/2007

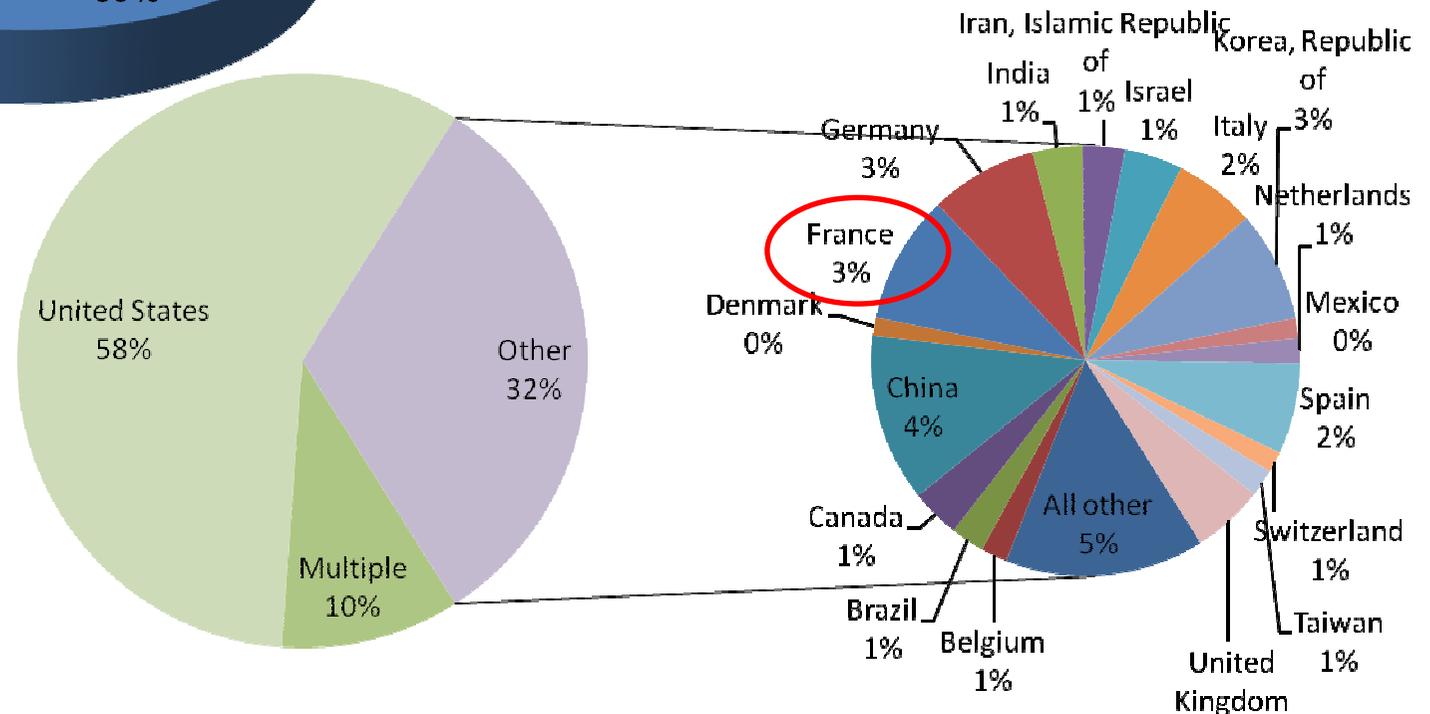
La France leader européen dans les essais cliniques MTI

Nombre d'études doublé entre 2013 (2740) et 2014 (4760)



AMTP type

Percentage of Studies by Country



Source CELLforCURE:IEEP - 2014

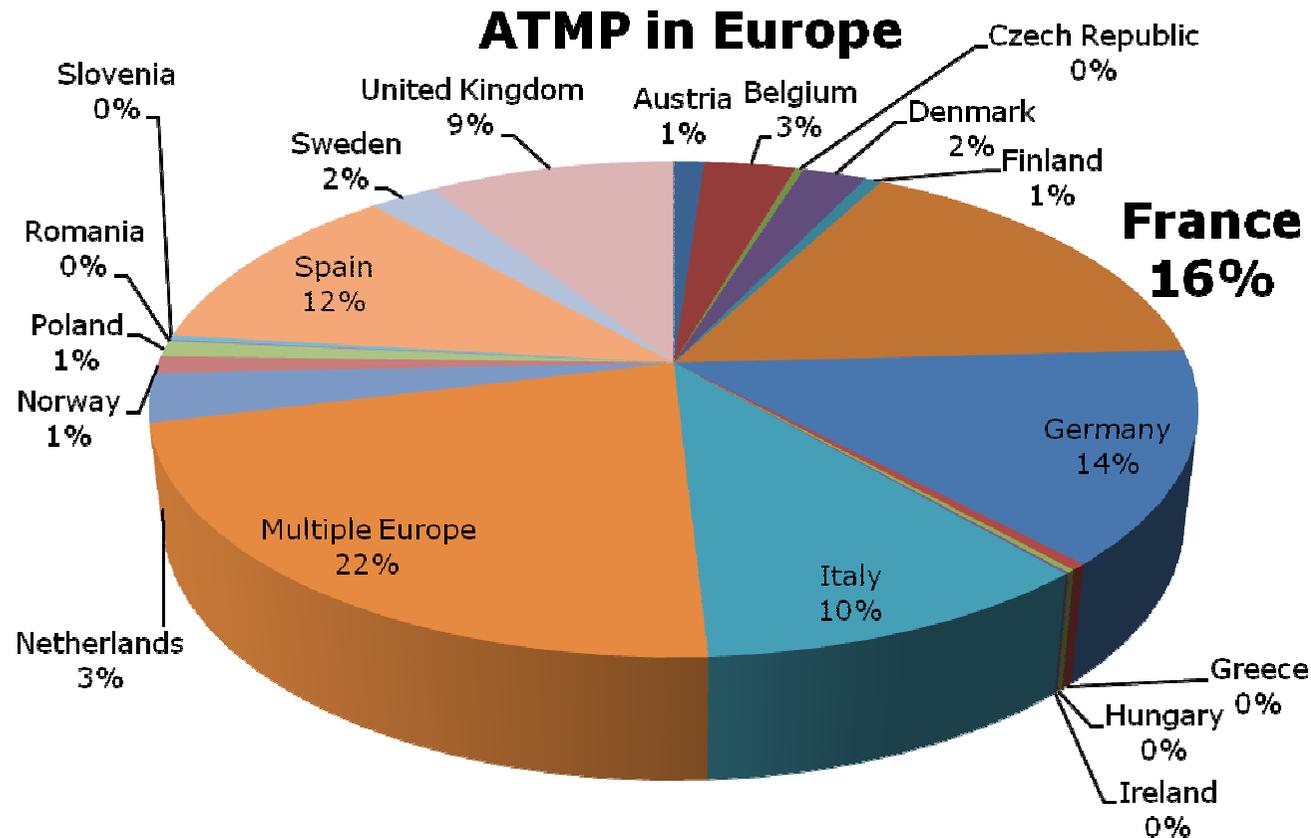
Un vrai marché industriel en pleine croissance

•8,8 bn\$ in 2016 and 20 bn\$ in 2020

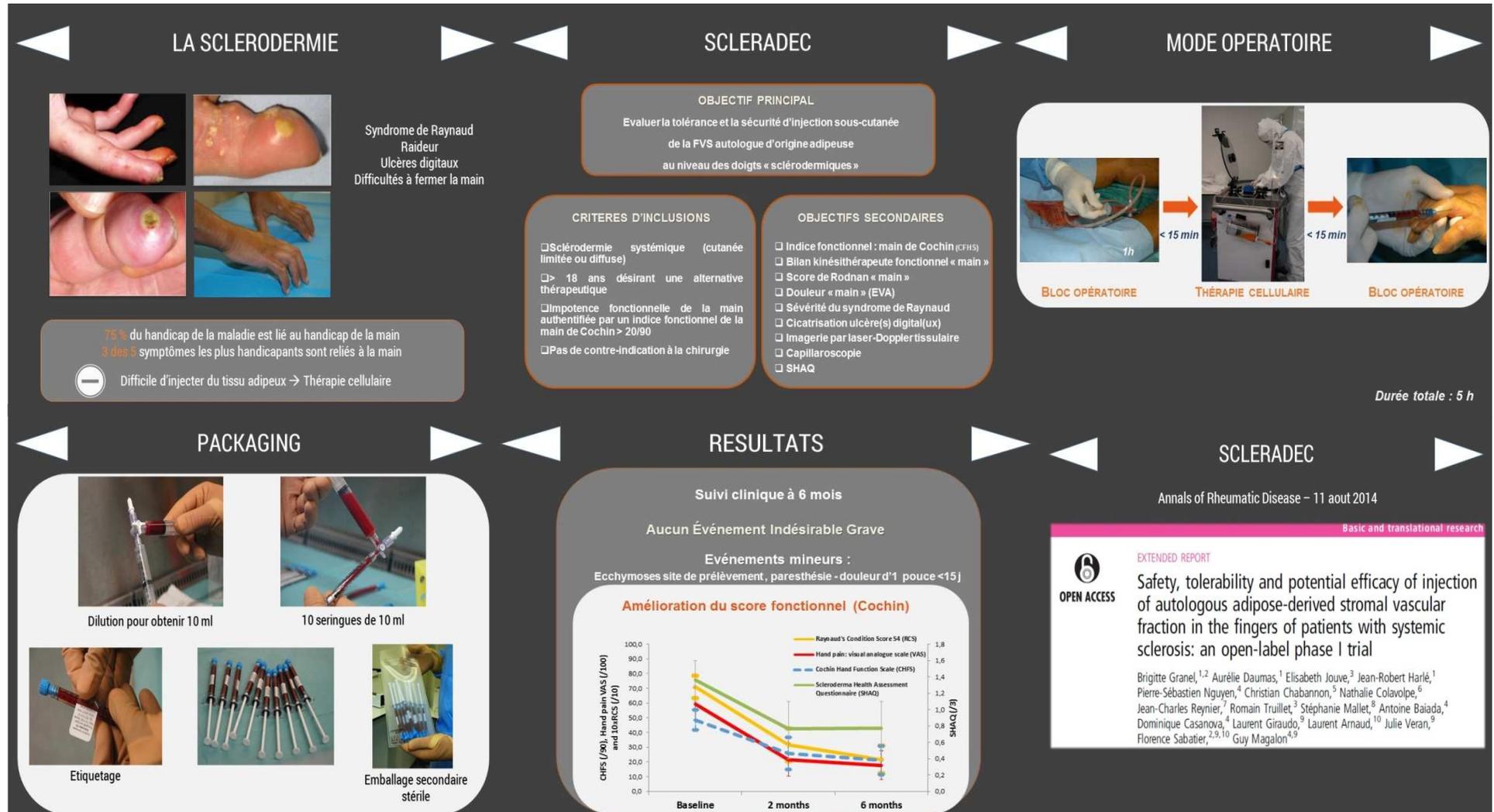
•**20-30 % annual growth rate**

Allogénique:

1 donneur: N patients

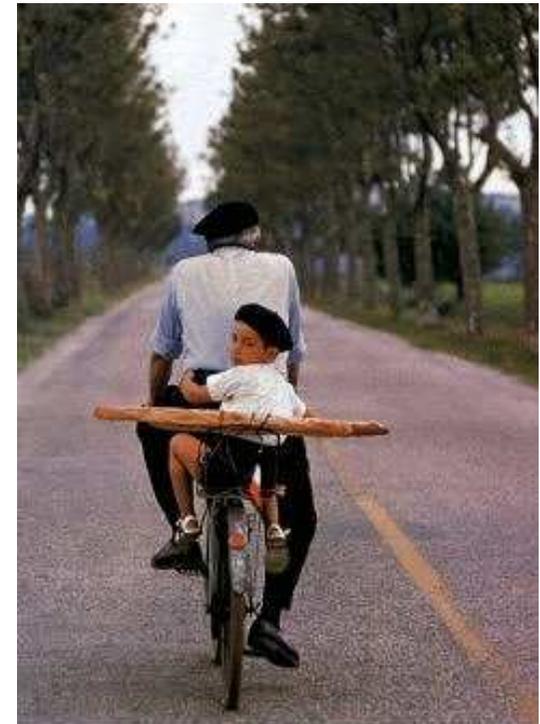


Un exemple (réussi) de MTI-PP... vers un MTI



Full dossier H2020 Orphan déposé en Avril 2015

MAIS...
IL EXISTE EN FRANCE
DE NOMBREUX CLICHES
MAIS AUSSI DES VERROUS...



Perception et Image

- Perception très floue du domaine :
 - marché de niche, cantonné à la maladie très rare, fin de ligne
 - sécurité questionable des MTI,
 - complexité technologique génératrice de cout ?

Hors

- niches ciblées dans un premier temps,
- avancées technologiques vont diminuer les couts,
- la sécurité est comparable aux autres médicaments car les mêmes exigences s'appliquent au développement pharmaceutique,

Seule l'expérience sur le recul à très long terme donne les réponses

Elle est en cours d'acquisition

Les verrous : Technologiques et Médicaux

- Capacité technologique à industrialiser les procédés notamment pour les produits autologues, à des coûts acceptables (au regard des alternatives existantes)
- La sécurisation de l'utilisation des produits allogéniques et des thérapies géniques en clinique
- Difficulté à atteindre les requis des dossiers réglementaire par manque de ressources, moyens et expertise pour les académiques versus industriels de la pharmacie.
 - Perçu comme une Inégalité de traitement entre acteurs publics et privés par les agences ?
 - besoin d'accompagnement compétences en développement pharmaceutique, réglementaire , qualité, PI, FTO...

Les verrous : Réglementaires

- La définition du statut MTI-PP et l'absence de certificat GMP: Insécurise la future valorisation industrielle ou hospitalière.
Risque d'exclusion des essais multicentriques & défaut d'attractivité.
- Autorisation d'usage industriel de thérapies à base de cellules ES : activité forcément délocalisée au stade industriel
- Les délais d'autorisation d'essais cliniques : pose un problème d'attractivité de la France pour les EC
- Autorisation OGM , pour recherche (dossier MESR/HCB), pour activité industrielle (Préfecture & HCB) : simplification administrative nécessaire

Les verrous : Economiques et financiers

- Le financement des essais cliniques précoces très souvent portés par les académiques reste problématique
- Les conditions d'accès au marché pour les MTI : pas de modèles médico-éco existants . C'est une opportunité mais une incertitude pour les investisseurs
- Absence de modèle économique pour les projets qui n'ont pas vocation/possibilité à s'industrialiser : PTC et MTI-PP (maladies ultra-rares ..etc ...)

RECOMMENDATIONS...

Recommandations: Communication

- Communiquer
 - pour améliorer la perception, utiliser le plan biotechnologie médicale « l'Humain Réparé »
 - sur l'intérêt sociétal sur la base de quelques success stories

Portage centralisé (aviesan/Ariis, leem ?...)

Recommandations: verrous Technologiques et Médicaux

- Favoriser les partenariats pour industrialiser les procédés MTI
- Translater la sécurisation de l'utilisation des produits allogéniques et des thérapies géniques en clinique dans les formations existantes
- Mettre en place sous l'égide de l'Aviesan ou des SATT(?) une capacité d'accompagnement des acteurs académiques en développement pharmaceutique, réglementaire, qualité, PI, FTO... mutualisée pour les acteurs publics.

Recommandations: verrous réglementaires et législatifs

-  Délivrance par l'ANSM d'un certificat BPF aux Etablissements académiques qui répondent aux exigences BPF et qui le demandent.
 - Faire évoluer la corpus législatif pour, à terme, autoriser l'usage industriel de thérapies à base de cellules ES pour assurer le débouché thérapeutique des MTI concernés au bénéfice des patients alors même que les EC sont autorisés.
-  Raccourcir les délais actuels d'autorisation d'essais cliniques afin de préserver la compétitivité de notre territoire pour les EC (Reglement)
-  Nommer les membres du HCB (Janvier 2015)
-  Simplifier le processus d'autorisation d'utilisation confinée des OGM en recherche (dossier MESR/HCB), ou pour une activité industrielle (Préfecture) : Vêto actuel du Ministère de l'Ecologie
 - pour utilisation industrielle : reconnaissance par le préfet des autorisations pharma au niveau C2L2?
 - Utilisation en essais cliniques: mission HCB sur produits de santé déléguée à l'ANSM ?

Recommandations: verrous économiques et financiers

- **Cibler dans les guichets d'aide au financement public** les appels d'offres pouvant être orientés vers le financement des essais cliniques précoces et les doter en conséquence.
- **Converger vers des modèles médico-économiques partagés au niveau européen pour les MTI** par le biais par exemple, d'un G8 Thérapies Innovantes réunissant les Ministres de la Santé, de la Recherche et de l'Industrie des principaux pays européens.
- Au niveau français, **définir un modèle économique** pour les projets qui n'ont pas vocation/possibilité à s'industrialiser : PTC et MTI-PP (maladies ultra-rares ..etc.) : Ministère (MERRI, MIGAC), ARS ? Hôpitaux ?...



dans une logique de risque partagé entre les industriels et l'Etat, **faire bénéficier les MTI de la procédure d'exception** aux modalités de fixation des prix de droit commun mise en place par le CEPS pour l'accès à l'innovation (prix conditionnel et suivi post-AMM)

L'EFFET GIENS



??

