

Jeudi 18 février 2010 - 19:45

Les associations de maladies rares demandent à l'Etat les moyens pour passer à l'évaluation clinique de nouveaux traitements

PARIS, 18 février 2010 (APM) - Les associations de maladies rares, qui ont participé aux travaux préparatoires au deuxième Plan maladies rares, attendent non seulement que ce plan reprenne leurs propositions mais aussi qu'il soit associé à des moyens financiers à la hauteur des besoins, particulièrement dans le domaine de la recherche, à l'heure du passage à l'évaluation clinique.

Des représentants de l'Association française contre les myopathies (AFM), l'Alliance maladies rares, Eurordis (qui regroupe toutes les associations européennes), et du groupement d'intérêt scientifique (GIS) Institut des maladies rares, se sont exprimés jeudi lors d'une conférence de presse, à une semaine de la Journée internationale des maladies rares.

Cette conférence de presse a lieu peu de temps après la fin des travaux préparatoires au deuxième Plan maladies rares durant lesquels, d'octobre 2009 à janvier, 226 participants répartis en sept commissions ont travaillé pour aboutir à 84 propositions, qui sont maintenant entre les mains des ministères concernés (santé, recherche, solidarité...) pour l'élaboration du plan. Celui-ci est espéré au plus tôt pour fin mars, ont indiqué les intervenants.

La recherche constitue le thème principal de la troisième édition de cette journée, notamment parce qu'une enquête, à laquelle plus de 300 associations de malades en Europe ont répondu, a montré que la recherche pour arriver à mettre au point des traitements constitue leur priorité, a indiqué Yann Le Cam d'Eurordis.

Parmi ces associations, qui ont des tailles et des moyens très divers, 37% ont déclaré contribuer financièrement à la recherche (il y a également une contribution non financière, par le recrutement de participants aux essais). Si l'on exclut l'AFM -qui a des moyens importants grâce au Téléthon et a eu un budget de recherche de 60 millions d'euros en 2009 et prévoit 73 millions pour 2010-, les associations européennes consacrent annuellement 13 millions d'euros à la recherche. "S'il permet de déclencher un grand nombre de travaux, ce montant reste bien modeste par rapport aux besoins".

Mais même le budget de l'AFM est désormais très insuffisant, quand il s'agit de passer à l'évaluation clinique.

Nicolas Lévy, directeur du GIS Institut des maladies rares qui est chargé de promouvoir et de coordonner la recherche dans ce domaine, a souligné le fait qu'un essai thérapeutique "coût[ait] extrêmement cher", évoquant une "centaine de milliers d'euros pour chaque patient". Le passage en clinique "nécessite donc des besoins considérables et les moyens actuels sont largement insuffisants".

D'autant qu'à côté de la recherche clinique, les études précliniques, indispensables pour démontrer l'intérêt potentiel d'un traitement, nécessitent la création de modèles cellulaires et animaux, pour lesquels il faut également des moyens importants.

"On a besoin de moyens publics", a déclaré Nicolas Lévy.

La présidente de l'AFM, Laurence Tiennot-Herment, rappelant que l'association soutient actuellement 34 projets cliniques et prévoit un soutien à 43 essais dans les deux ans à venir, a également insisté sur le fait que les moyens nécessaires "ne [pouvai]ent pas être portés uniquement par la générosité publique".

IL FAUT 220 MILLIONS D'EUROS SUR QUATRE ANS

Interrogée par l'APM sur le chiffrage des besoins pour la recherche (pour l'ensemble de la recherche, préclinique et clinique), elle a indiqué qu'il faudrait allouer 120 millions d'euros sur quatre ans pour le volet recherche du futur Plan maladies rares.

Mais elle ajoute qu'à côté, les associations ont demandé "un effort pour les maladies rares dans le cadre du grand emprunt" ainsi que des "mesures incitatives pour attirer les entreprises privées", de l'ordre de 100 millions d'euros.

Cela ferait donc un investissement public de 55 millions d'euros par an, ce qui, au regard des 73 millions de l'AFM, n'est "pas énorme", a-t-elle commenté.

Nicolas Lévy a également souligné la nécessité de pérenniser ces financements, afin que la question ne doive pas être de nouveau posée dans quatre ans.

Rappelant que la recherche sur les maladies rares était d'autant plus importante qu'elle servait aussi souvent de modèle pour ensuite faire avancer la recherche sur des maladies plus fréquentes, Laurence Tiennot-Herment a également souhaité qu'il y ait de nouveau un fléchage spécifique maladies rares dans les appels à projets de l'Agence nationale de la recherche (ANR), ce qui avait été le cas dans le passé mais ne l'était plus depuis trois ans.

Nicolas Lévy a souligné une "nécessité absolue" du nouveau plan. Estimant "indispensable d'atteindre une masse critique de ressources et d'expertises", il a évoqué le besoin d'une "structure de coordination qui permettrait une gestion globale des problématiques de recherche autour des maladies rares grâce à l'implication de partenaires publics, industriels et associatifs".

Cette structure devrait "agir comme une agence de réflexion stratégique d'une part et une agence de moyens d'autre part".

"Si on ne le fait pas, le plan [sur le volet recherche] sera un pétard mouillé", a-t-il affirmé.

Par ailleurs, le directeur de l'Institut des maladies rares s'est réjoui du renouveau d'intérêt de l'industrie pour les maladies rares depuis quelques années. "Les choses bougent, des industriels sont prêts à s'engager auprès des partenaires concernés et à mettre des moyens pour faciliter la possibilité de trouver des médicaments". La possibilité de créer de "véritables partenariats" pourrait "changer les choses".

Outre le financement d'essais cliniques, la présidente de l'AFM a rappelé que le laboratoire Généthon -financé par les dons du Téléthon- allait s'agrandir avec la construction d'un bâtiment dédié à la production de lots cliniques de produits de thérapie génique. Cette structure, qui devrait être opérationnelle en 2011, "devra avoir un label pharmaceutique". Actuellement, "il n'existe pas dans le monde de structure de 5.000 m² dédiée aux traitements des maladies rares", a-t-elle noté.

fb/ab/APM

redaction@apmnews.com

FBNBI001 18/02/2010 19:45 ACTU