



Du patient passif à l'impatient actif

CAS PARTICULIER : LA MORT AUX TROUSSES

Conférence Innovation Santé Centrale Santé – Essec Santé
11 avril 2016

Les maladies orphelines



Quelques chiffres

- **7.000+** maladies rares (orphelines) répertoriées
- Définition US : pathologie affectant moins de **200k** patients
- Définition UE : pathologie affectant moins de **1/2.000** patients
- **80%** de ces maladies ont une origine génétique
- **50%** de ces patients sont des enfants
- **30%** de ces enfants n'atteindront pas l'âge de **5** ans
- **350M** de personnes affectées dans le monde
- **30M** de personnes affectées aux US
- **30M** de personnes affectées dans l'UE
- **3M** de personnes affectées en France (**1 sur 20**)
- **5%** des maladies orphelines disposent d'un traitement

Le parcours du patient

- **J0** : «Je ne sais pas précisément de quoi souffre votre enfant. Peut-être s'agit-il de...» dit le médecin consulté
- **J0+7 ans** : «Je sais maintenant de quoi souffre votre enfant. Il s'agit de la maladie de...» dit ce médecin (ou un autre)
- **J0+7 ans** : «Enfin un diagnostic.. et comment cette maladie se soigne-t-elle ?» répond(ent) le(s) parent(s)
- **J0+7 ans** : «Et bien... je suis désolé, mais il n'y a pas de traitement» leur répond le médecin consulté
- **J0+7 ans et quelques jours** : «Maman, je vais mourir ?» demande l'enfant à sa mère

L'émergence des associations

- Les associations de patients atteints de maladies rares naissent du **désintérêt historique de l'industrie pharmaceutique**
- Elles jouent un rôle moteur dans la **(re)connaissance des maladies orphelines** par le public et les autorités
- Elles participent à **l'aide aux malades** et à leurs familles
- Elles contribuent financièrement et matériellement, dans la mesure de leurs moyens, à la **recherche de solutions thérapeutiques**, tant au plan académique qu'industriel
- Elles sont nombreuses (des **dizaines de milliers** mondialement) actives, et très... **motivées**
- Elles sont devenues des **acteurs incontournables**

Les associations investissent

- Leurs ressources financières proviennent essentiellement ou totalement de la générosité individuelle (**dons**)
- Historiquement, elles financent, sur leurs fonds propres, la **recherche académique**
- Progressivement, elles financent les cliniciens **qui initient des essais thérapeutiques**
- Depuis une vingtaine d'années, elles franchissent le Rubicon : elles apportent des fonds à **l'industrie (start-ups et... industrie pharmaceutique !)**
- Les modalités de ces financements à l'industrie sont de plus en plus sophistiquées : subventions **remboursables**, apports assortis de droits à **royalties**, investissement en **capital**

Trophos & AFM-Téléthon

- Olesoxime (SLA, ASI)
- Capital: 3.6M€ (10%)
- Avances : 12.7M€
- Subventions : 6.7M€
- Total : **23M€**

- Cession à Roche en 2015
- Produit en **Phase II/III**
- Prix de cession : **470M€**
- Retour : **2x**



Abeona & Associations MPSIII

- Thérapie génique (maladies de Sanfilippo A & B)
- Capital 2013: 750K\$
- Capital 2014 : 3.6M\$
- Total : **4.4M\$**

- Cession à Plasmatech (NASDAQ: PTBI) en 2015
- Produit en **préclinique**
- Prix de cession : **45M\$**
- Retour : **10x**

- Cure Sanfilippo Foundation
- Sanfilippo Research Foundation
- Team Sanfilippo
- Abby Grace Foundation
- National MPS Society
- Stop Sanfilippo
- Sanfilippo B Foundation
- Fondation Sanfilippo
- Red Sanfilippo Foundation

Vertex Pharmaceuticals & CFF

- Kalydeco (mucoviscidose)
- Subventions assorties de droits à royalties : **150M\$** (en 15 ans)
- Cession des droits à royalties à Royalty pharma en 2015
- Produit **sur le marché**
- Prix de cession : **3.3B\$ (!)**
- Retour : **22x**



Des centaines de financements

- medDay Pharmaceuticals (adrénoleucodystrophie)
- ManRos Therapeutics (Alzheimer / Trisomie 21)
- Laurent Pharmaceuticals (mucoviscidose)
- Polyphor (mucoviscidose)
- Summit Therapeutics (myopathie de Duchenne)
- Anavex Life Sciences (syndrome de Rett)
- ELA
- Fondation Lejeune
- Cystic Fibrosis Canada
- Cystic Fibrosis Foundation
- Joining Jack
- Rettsyndrome.org
- ...
- ...
- ...
- ...

En conclusion

- Les patients et leur entourage sont progressivement passés d'un statut passif à un rôle **ACTIF** en s'emparant de leur destin, en s'imposant dans l'écosystème Chercheurs – Médecins - Industrie
- Les patients jouent un rôle **MOTEUR** dans l'initiation de programmes de recherche & développement et se substituent aux schémas de financement classique
- Les patients **INFLUENT** sur les décisions des autorités réglementaires.. et des payeurs..

Merci

Christian Girard

co-fondateur, grants4od.fund

fondateur, Orphan Drugs Industry

christian@orphandrugsindustry.com

gsm : +33 (0)6 67 26 60 92