

## Les grands laboratoires commencent à s'intéresser aux maladies rares

- Malgré des dispositifs incitatifs, le développement de médicaments est difficile à rentabiliser dans les maladies rares.
- Les grands laboratoires, en mal de nouveaux produits, ont malgré tout fini par se pencher sur ce marché.

### PHARMACIE

Catherine Ducruet  
cducruet@lesechos.fr

La 27<sup>e</sup> édition du Téléthon, qui commence aujourd'hui, aura-t-elle, en dépit de la crise économique, plus de succès que l'édition 2012, qui s'était soldée pour la première fois par une collecte inférieure à 90 millions d'euros ? Il faut le souhaiter car une grande partie de l'industrie pharmaceutique peine à s'intéresser aux maladies rares. Mais les choses commencent à changer.

Il faut dire que les coûts de développement d'un médicament sont difficiles à amortir pour des maladies qui touchent moins d'une personne sur 2.000. Le statut dérogatoire de « médicament orphelin », qui, depuis 1983 aux Etats-Unis et 2001 en Europe, garantit une exclusivité commerciale de dix ans (sept ans aux Etats-Unis), une procédure d'enregistrement centralisée et une exemption de redevance, a eu un effet très incitatif, surtout auprès des sociétés de biotechnologie. On leur doit une grande majorité des 505 médicaments qui ont obtenu aux Etats-Unis ou en Europe la désignation de « médicament orphelin ».

L'intérêt des grands laboratoires est plus récent. Avec une quarantaine de projets de recherche au



Il existe de 5.000 à 7.000 maladies rares, dont 80 % d'origine génétique. Elles concernent 30 millions d'Européens. Photo Shutterstock

stade préclinique et 4 produits sur le marché, dont le célèbre anticancéreux Glivec, devenu un de ses produits phares, Novartis compte parmi les acteurs européens les plus présents dans ce domaine. Pour autant, « Novartis n'étudie pas les maladies rares pour leur rareté mais parce qu'elles peuvent constituer des modèles biologiques pour des maladies répandues », explique Mark Fishman, président des Instituts Novartis pour la Recherche Biomédicale (NIBR). Bien sûr, ajoute-t-il, nous sommes heureux si cela nous permet de trouver, à cette occasion, des traitements pour ces maladies. »

De son côté, GSK a décidé en 2010 de regrouper, dans une division maladies rares, ses recherches sur ce thème. Avec une logique opposée à celle de Novartis, puisque l'idée était de voir si des médicaments utilisés pour des maladies communes pouvaient aussi être utiles pour certaines maladies rares. Cela s'est révélé juste pour le Benlysta, un traitement déjà commercialisé contre le lupus, une maladie auto-immune courante, et cela devrait aussi être vrai du mepolizumab, un anticorps monoclonal en essai de phase III dans l'asthme sévère. De plus, comme l'explique Adrien Lemoine, directeur de la

stratégie pour la division maladies rares de GSK, « la maturation de technologies comme la thérapie génique ou cellulaire, qui peuvent maintenant être utilisées en clinique a incité GSK à s'y intéresser ». Avec, par exemple, un traitement de thérapie génique développé avec le Téléthon italien dans une maladie du type « bébés bulle » qui est proche du marché et deux autres projets aussi en phases cliniques. Ses traitements curatifs pourraient justifier des prix élevés et une stratégie de niche.

### Pour Sanofi : prendre pied dans la biotechnologie

Enfin, Sanofi s'est aussi retrouvé dans les maladies rares en 2011 à la suite du rachat de Genzyme. Comme pour Novartis ce n'est pas la rareté des maladies qui a intéressé le groupe français, mais surtout la possibilité de prendre enfin pied dans la biotech, ce qui lui manquait cruellement, et de mettre la main au passage sur les produits de Genzyme dans la sclérose en plaques – une maladie pas du tout rare –, susceptibles de constituer un relais de croissance.

Au final, l'intérêt des groupes pharmaceutiques pour les maladies rares résulte aussi en grande partie des circonstances, sauf peut-être dans le cas de GSK. D'où l'importance du financement apporté par le Téléthon. ■

