



# INNOVATION THÉRAPEUTIQUE, ACCÈS AUX DROITS ET AUX TRAITEMENTS : IL EST TEMPS D'AGIR !

Association de malades et parents de malades concernés par plusieurs centaines de maladies rares, graves et lourdement invalidantes et bien souvent mortelles, nous nous battons depuis plus de 60 ans contre la fatalité. Forts de la confiance exprimée par des millions de Français chaque année lors du Téléthon, fiers d'être en permanence à l'avant-garde tant dans le domaine de la recherche médicale que de l'accompagnement à l'autonomie en santé des malades, nous sommes convaincus que l'innovation et le pragmatisme sont les fondements d'une action publique qui, au-delà des discours, peut changer réellement la vie de nos concitoyens, particulièrement les plus fragiles d'entre eux

## 1/ SANS RECHERCHE, PAS D'INNOVATION ! LA RECHERCHE MÉDICALE, PRIORITÉ NATIONALE

**Constat** : si les chercheurs français démontrent régulièrement leur excellence, notamment dans le domaine des biothérapies, la recherche française souffre de sous-investissements récurrents et d'une organisation peu efficiente. À ce titre, il est urgent que des investissements soient réalisés pour gagner en efficacité et combler le retard en santé pris par rapport à nos voisins européens, notamment l'Allemagne et l'Italie. Par ailleurs, l'organisation en silos et en millefeuilles de la recherche publique française qui se décline en autant d'entités de valorisation, constitue un véritable frein au développement et à la valorisation de nos innovations sur notre territoire.

### ➡ NOS RECOMMANDATIONS :

- simplifier l'organisation de la recherche française et de la valorisation ;
- accroître les investissements dans la recherche médicale pour rattraper les pays les plus performants ;
- mettre en place une véritable stratégie d'innovation, conjuguant une recherche « libre » non programmée et une part significative de financement sur objectifs, avec exigence accrue de résultats.

## 2/ LES THÉRAPIES ISSUES DE LA CONNAISSANCE DU GÈNE, UNE RÉVOLUTION DE LA MÉDECINE, UNE CHANCE POUR LA FRANCE

**Constat** : la révolution de la thérapie génique est lancée pour les maladies rares comme les maladies fréquentes avec la multiplication ces dernières années des mises sur le marché et des essais. Alors que les preuves de concept sont très souvent issues de la recherche française, publique ou privée à but non lucratif, ce sont d'autres pays qui réalisent aujourd'hui des investissements massifs pour résoudre les défis scientifiques et techniques nécessaires à la production de ces traitements innovants à grande échelle et à un prix raisonnable. À la clé : l'implantation de sites industriels, des milliers d'emplois directs hautement qualifiés, une garantie d'approvisionnement pour ces nouveaux traitements.

La faiblesse de la France dans le développement de nos inventions est doublement pénalisante : nous ne bénéficions que d'une infime partie de la valeur née de nos recherches et les médicaments sont mis sur le marché national (lorsqu'ils le sont) à des prix très élevés.

### ➡ NOS RECOMMANDATIONS :

- Créer des fonds d'investissement suffisamment capitalisés et capables d'intervenir à tous les stades de développement

des candidats médicaments. Ces fonds devront s'appuyer sur une connaissance forte du domaine, en s'entourant d'experts scientifiques, médicaux et financiers, et favoriser esprit d'ouverture et culture d'innovation ;

- créer un centre de R&D transdisciplinaire dédié à l'innovation dans le domaine des bioprocédés pour les thérapies issues de la connaissance du gène, afin d'améliorer les rendements de production d'un facteur 100.

### 3/ SIMPLIFIER LE PARCOURS DE VIE DES PERSONNES MALADES

**Constat :** les personnes et les familles concernées par des maladies graves, déjà confrontées à des décisions complexes, font face à une incompréhensible lourdeur administrative et à des délais souvent incompatibles avec leurs besoins et l'évolution de leur maladie. Dans un environnement où les mesures de simplification prises ces dernières années n'ont eu qu'un impact très faible sur les parcours, l'accompagnement à l'autonomie en santé visant à soutenir et renforcer l'autodétermination des personnes est indispensable.

#### **NOS RECOMMANDATIONS :**

- généraliser le principe du déclaratif à la place de la justification systématique ;
- coordonner les financements publics et mettre à disposition de la personne malade un interlocuteur unique ;
- garantir le droit à l'accompagnement à l'autonomie en santé pour les personnes concernées par des maladies graves, et reconnaître les initiatives, comme celle de l'AFM-Téléthon, qui y concourent.

### 4/ GARANTIR ENFIN LES DROITS ET LA CITOYENNETÉ DES PERSONNES EN SITUATION DE HANDICAP

**Constat :** la loi de 2005 a été à l'origine d'avancées majeures pour les droits des personnes en situation de handicap, mais le combat doit se poursuivre pour la concrétisation de certains de ces droits.

#### **NOS RECOMMANDATIONS :**

- accélérer la mise en accessibilité, pour la circulation des personnes et leur logement et plus largement la réalisation de leur projet de vie ;
- garantir l'accès à des aides humaines formées et adaptées

aux besoins et au projet de vie à domicile de chaque malade ;

- assurer le droit au financement intégral et sans reste à charge des moyens de compensation des incapacités, comme les fauteuils roulants ou aides techniques adaptés aux besoins ;
- garantir le droit à des ressources financières permettant de ne pas survivre mais de vivre dignement.

### 5/ RELANCER UNE STRATÉGIE NATIONALE MALADIES RARES DONT 95 % SONT SANS TRAITEMENT, INNOVER POUR LES MALADIES ULTRA RARES

**Constat :** l'hôpital public est un maillon incontournable de la prise en charge des millions de Français concernés par des maladies rares. Consultations annulées, délais allongés, fermeture de lits : les moyens financiers du Ségur de la santé ne suffisent pas pour garantir un accès aux soins et aux expertises maladies rares. Les filières nationales maladies rares constituent une organisation récente exemplaire de santé publique, mais faute de moyens, elles sont actuellement en forte difficulté. Au sein des maladies rares, les maladies ultra-rares sont majoritaires en nombre (plusieurs milliers) mais ne concernent chacune que quelques (dizaines de) patients dans notre pays. Alors que le foisonnement d'avancées scientifiques, notamment la thérapie génique, est source d'immenses espoirs, les ultra-rares n'offrent pas de modèle économique, et les mécanismes habituels de mise sur le marché ne sont pas adaptés.

#### **NOS RECOMMANDATIONS :**

- doter l'hôpital public et les parcours de soins des personnes concernées par les maladies rares des moyens nécessaires ;
- lancer un nouveau Plan national maladies rares pluri-annuel et disposer d'une stratégie nationale claire et transversale bénéficiant des financements indispensables à son déploiement ;
- mettre en place un dépistage néonatal en adéquation avec les attentes des familles et comparable à celui de nos voisins européens ;
- créer une organisation/initiative associant acteurs publics, privés non lucratifs et privés lucratifs pour financer le développement et la production de traitements contre les maladies ultra rares.

