



DOSSIER

Thérapie génique **UNE RÉVOLUTION À NE PAS MANQUER**

Depuis près de trente ans, l'AFM-Téléthon porte la thérapie génique. Grâce au Téléthon, elle a financé des centaines de chercheurs et créé un laboratoire dédié, Généthon.

Aujourd'hui, huit médicaments de thérapie génique sont disponibles. Des succès qui vont en entraîner bien d'autres. Mais, actuellement, cette révolution médicale se traduit par le développement à l'étranger de la plupart des innovations françaises, qui nous reviennent à des prix démesurés. Comment la France peut-elle prendre ce virage industriel et assurer l'accès à ces traitements innovants pour tous les malades ? Le 17 septembre, l'AFM-Téléthon et la chaire Santé de Sciences-Po ont organisé un colloque à l'Assemblée nationale afin qu'acteurs privés et publics du système de santé français y réfléchissent.

Comme le rappelle Laurence Tiennot-Herment, la présidente de l'AFM-Téléthon, « la révolution médicale qui a débuté hier se joue maintenant ».

Françoise Dupuy-Maury — Les propos des experts rapportés dans ce dossier ont été tenus lors du colloque du 17 septembre 2019 à l'Assemblée nationale.



LA THÉRAPIE GÉNÉRIQUE : aujourd'hui et demain

Aujourd'hui, huit médicaments de thérapie génique sont sur le marché. Sous peu, on en comptera plusieurs dizaines. Une révolution médicale, souvent née dans les laboratoires français, est en marche.



Thérapie génique

Dans le monde, les investissements des capital-risqueurs en thérapie génique sont passés de 560 millions de dollars en 2013 à 2,9 milliards en 2019.

En France, 30 millions d'euros ont été investis par les fonds Biothérapies innovantes et Maladies rares (fonds issus à 60 % de l'AFM-Téléthon et à 40 % de Bpifrance). Cela a permis de lever **495 millions d'euros** auprès d'investisseurs.

700 millions d'euros ont été consacrés à la thérapie génique par l'AFM-Téléthon en vingt-cinq ans.

« Il y a dix ans, l'autorisation des médicaments issus de la thérapie génique relevait quasiment de la science-fiction », rappelle Martin Seychell, directeur général adjoint à la santé, à la Commission européenne. Or, aujourd'hui, huit thérapies géniques sont disponibles pour des maladies rares du sang, de la vision, des muscles, et même pour certains cancers. En outre, comme l'indique Benoît Vallet, de la chaire Santé de Sciences-Po, « 700 essais cliniques sont engagés et une quarantaine de produits devraient être commercialisés d'ici à 2022 d'après la Food and Drug Administration [FDA], l'autorité sanitaire américaine ». Pas de doute, nous vivons une révolution médicale, qui s'est imposée en trente ans à peine.

Moins de dix ans pour découvrir les gènes et traiter les premiers malades

Bien sûr, pour les malades, trois décennies, c'est long, trop long, mais il faut se rappeler que les premières cartes du génome établies par Généthon ne datent que de 1992. Il a fallu ensuite identifier les gènes, trouver un moyen de les introduire dans les cellules, surmonter la barrière immunitaire, apprendre à produire ces traitements, etc. Pourtant, dès 1999, avec le soutien de l'AFM-Téléthon, Alain Fischer, Marina Cavazzana et Salima Hacein-Bey-Abina, de l'hôpital Necker-Enfants malades à Paris, traitaient les premiers « bébés bulle », qui souffraient d'un déficit immunitaire com-

biné sévère lié à l'X, une maladie génétique rare du sang. Depuis, selon Alain Fischer, « la thérapie génique a prouvé son efficacité pour douze maladies. Et même si c'est encore peu, un nombre important de patients dans le monde en bénéficient. »

Un marché en plein essor

Initiée par les associations et les académiques, la thérapie génique a fini par intéresser les industriels. « En 2018, 12 milliards de dollars ont été investis, indique Salveen Richter, analyste financière chez Goldman Sachs, coauteur du rapport "The Genome Revolution". De plus, Scott Gottlieb, ancien commissaire de la FDA, estime que, d'ici à 2020, la FDA recevra plus de 200 demandes d'essai clinique dans ce domaine et que, à partir de 2025, 10 à 20 produits de thérapie génique et cellulaire devraient être approuvés chaque année. » Or, ces prévisions soulèvent des questions, notamment en France. Comment éviter que des thérapies, comme celle de l'amyotrophie spinale (SMA), dont la recherche a démarré en France, à Généthon, soient développées par des start-up étrangères, pour la plupart américaines ? Notre modèle de fixation des prix du médicament doit-il évoluer pour éviter l'inflation des prix de ces nouvelles thérapies ? Enfin, comment la France peut-elle revenir dans la course de l'industrialisation en relevant le challenge ambitieux de la bioproduction ? L'enjeu étant que tous les malades français aient accès aux médicaments de demain. •



© D.R.

Sarah,

28 ans, atteinte de rétinite pigmentaire, traitée avec le Luxturna

“

Vers 8 ans, on m'a diagnostiqué une rétinite pigmentaire héréditaire, mais sans autre précision. En février dernier, j'ai reçu un courrier de l'hôpital m'indiquant que j'étais éligible au Luxturna. J'ai alors su que le gène touché était RPE65. Un œil a été traité le 11 septembre et le second, le 18. Trois ou quatre jours après, j'ai ressenti un gain de luminosité, qui continue d'augmenter.

POUR MOI, LA NUIT TOMBE UNE HEURE PLUS TARD

Ainsi, la luminosité de mon téléphone est réglée à 15 % au lieu de 100 %. Je suis beaucoup moins gênée par la nuit. Pour moi, maintenant, elle tombe une heure plus tard. Je suis aussi plus à l'aise et moins fatiguée dans le métro, bien que j'aie encore besoin de ma canne. Je ne sais pas si mon champ visuel va s'élargir, mais j'ai déjà gagné énormément en confort, alors que je n'espérais qu'un arrêt de la dégénérescence de la rétine grâce au Luxturna.

”

REPÈRES

Huit médicaments ont une autorisation de mise sur le marché aux États-Unis et/ou en Europe

- **Strimvelis**, pour ADA-SCID (un déficit immunitaire)
- **Zynteglo**, pour la bêta-thalassémie (maladie du sang)
- **Kymriah**, pour la leucémie aiguë lymphoblastique B et le lymphome B à grandes cellules (cancers)
- **Yescarta**, pour le lymphome B à grandes cellules (cancer)
- **Luxturna**, pour l'amaurose de Leber (maladie de la rétine)
- **Zolgensma**, pour l'amyotrophie spinale (maladie neuromusculaire)
- **Imlygic**, pour le mélanome (cancer)
- **Zalmoxis**, en appont des transplantations de cellules souches du sang



© D.R.

Julie,

maman d'Oscar, atteint d'amyotrophie spinale, traité avec le Zolgensma

“

Suite au test fait à Bruxelles (Belgique), l'annonce de la SMA d'Oscar à l'âge de 3 semaines nous a dévastés. En quête de renseignements, nous nous sommes inscrits à un séminaire sur le sujet à Liège. Laurent Servais nous a alors contactés et nous a présenté le Spinraza et l'essai clinique avec le Zolgensma.

NOUS N'OSONS PAS DIRE QU'IL EST GUÉRI, MAIS NOUS SOMMES CONFIANTS

Selon lui, l'important était que nous choissions un des deux traitements très vite, avant les premiers symptômes. Nous avons opté pour la thérapie génique. Oscar a été traité à 6 semaines moins un jour, soit 24 heures avant la limite fixée pour l'essai. Aujourd'hui, à 8 mois, il tient sa tête, se retourne seul, commence à ramper. Selon les médecins, il n'a aucun retard moteur. Nous n'osons pas dire qu'il est guéri, mais nous sommes confiants.

”

« 700 essais cliniques sont engagés et une quarantaine de produits devraient être commercialisés d'ici à 2022 »



Comment se situe **LA FRANCE** dans l'accès aux traitements ?

En France, les malades ont accès très tôt aux traitements grâce aux essais cliniques, mais aussi via les autorisations temporaires d'utilisation (ATU), un dispositif unique dans le monde. Toutefois, le développement clinique en Europe doit être facilité. Et, en France, le dépistage génétique à la naissance demeure impossible, en dépit des revendications de l'AFM-Téléthon, qui ne baisse pas les bras sur ce sujet.

Autorisation temporaire d'utilisation : une spécificité française



Généralement, quand les essais cliniques ont abouti, l'industriel propriétaire du traitement demande une autorisation de mise sur le marché (AMM). Et avant que les autorités sanitaires ne se prononcent, aucun malade dans le monde ne peut accéder au médicament... sauf en France ! En effet, il existe un mécanisme dérogatoire d'accès précoce. Avant que l'Agence européenne du médicament (l'EMA) ne prenne la décision de mise sur le marché, l'Agence française de sécurité du médicament et des produits de santé (l'ANSM) peut accorder des autorisations temporaires d'utilisation (ATU). Elles sont nominatives, c'est-à-dire pour un malade donné, ou « de cohorte », pour tous les malades répondant à des critères précis. Une fois l'AMM européenne obtenue, un dispositif post-ATU permet d'attendre la fin du parcours administratif du dossier jusqu'à la fixation du prix et du taux de remboursement. Sachant qu'il se passe souvent plusieurs années entre le dépôt d'une demande d'AMM et la commercialisation d'un traitement, les ATU permettent donc à tous les malades français d'accéder aux traitements innovants plusieurs mois avant les autres patients européens.

Ophélie,

maman d'Élisa, atteinte d'amyotrophie spinale,
traitée avec le Zolgensma grâce à une ATU



Dès l'âge de 3 mois, Élisabeth stagnait sur le plan moteur. En mai dernier, quand elle a été diagnostiquée SMA de type 1, on a voulu très vite obtenir des informations et des conseils pour s'armer contre la maladie. Trois jours après, nous avons eu rendez-vous avec Claude Cancès, le neuropédiatre.

NOTRE FILLE PARVIENT À NOUVEAU À TENIR SA TÊTE ET À BOUGER SES MEMBRES

Il nous a parlé du Spinraza et d'un essai de thérapie génique avec le Zolgensma même si Élisabeth, qui avait 8 mois, était trop âgée pour y participer. Mais quelques jours plus tard, il nous a rappelés. L'essai était terminé et il était possible de demander pour Élisabeth une autorisation temporaire d'utilisation (ATU). La procédure a été lancée vers la mi-mai et Élisabeth a reçu le Zolgensma le 21 juin. Avant l'injection, elle avait perdu le port de tête, ne bougeait ni les bras ni les jambes. Aujourd'hui, en position assise, elle tient sa tête, elle bouge les bras. Allongée, elle se passe de petits objets d'une main à l'autre. Sur le dos, elle commence à tenir ses genoux pliés. Mais nous restons vigilants : la maladie est stoppée pour le moment, on ne sait pas trop pour la suite.





Le dépistage néonatal, un enjeu vital !

« Grâce au dépistage néonatal [de la SMA, fait en Belgique, ndlr], Oscar a reçu le Zolgensma avant les premiers symptômes, explique Julie, la maman. On ne sait pas encore si ça a sauvé sa vie, mais il est sûr que ça l'a améliorée. » Pour offrir cette même chance à la centaine de bébés qui naissent par an avec cette pathologie en France, Philippe Berta, député, président du groupe d'études de l'Assemblée nationale sur les maladies rares, a déposé un amendement lors de la révision des lois de bioéthique. Sa proposition : élargir le dépistage néonatal à d'autres maladies, en s'appuyant sur la recherche d'anomalies génétiques précises. Mais l'amendement a été rejeté par l'Assemblée nationale en octobre, au grand dam de l'AFM-Téléthon, qui va continuer à se battre. En effet, alors que des traitements innovants arrivent et qu'ils sont d'autant plus efficaces qu'ils sont donnés tôt, avant les premiers symptômes, refuser le dépistage génétique ciblé dès la naissance est une perte de chances pour les enfants nés en France.

Adapter les hôpitaux à l'arrivée de la thérapie génique

Les malades ont accès à la thérapie génique dans les hôpitaux. Or, le suivi renforcé des patients traités nécessite plus de personnel et une adaptation aux nouvelles évolutions des maladies. « Par ailleurs, les prescripteurs peuvent avoir des réticences face au prix excessivement élevé des produits, souligne Christophe Duguet, le directeur des affaires publiques de l'AFM-Téléthon. Enfin, les pharmacies hospitalières peuvent hésiter à avancer une trésorerie importante alors qu'elles sont en difficulté. » Il faut donc aider les centres hospitaliers, maillons indispensables entre les malades et leur traitement, à s'adapter à cette nouvelle situation. •

© AFM-Téléthon/Jean-Yves Seguy



COMMENT FACILITER LES ESSAIS CLINIQUES EN EUROPE ?

Trois questions à

Marie-Christine Belleville,
experte en affaires réglementaires
et en management de la qualité
pharmaceutique

L'Europe aurait cinq ans de retard par rapport aux États-Unis en matière d'essais cliniques. Selon vous pourquoi ?

MARIE-CHRISTINE BELLEVILLE : En partie parce que la méthode réglementaire européenne ne paraît pas adaptée. Tout au long du développement technique, pour chaque avis scientifique demandé par un industriel à l'Agence européenne du médicament, une nouvelle équipe d'experts est créée. Pour les essais cliniques, l'interlocuteur est une agence nationale, en France, c'est l'ANSM. Pour un même traitement, il n'y a donc pas de lien entre le suivi général du développement et les essais cliniques.

Qu'en est-il aux États-Unis ?

M.-C. B. : Au sein de la FDA, en face des développeurs, se trouvent une équipe multidisciplinaire de spécialistes (production, analyses biologiques, pharmaco-toxicologie, etc.) et des chargés réglementaires qui suivront le dossier de A à Z et adapteront les référentiels. C'est un processus séquentiel, avec des réunions d'étape en amont ou en aval des phases cliniques, et d'autres sur des sujets thématiques techniques. Enfin, la FDA accompagne les académiques afin de faciliter le transfert de développement vers d'autres structures. Entre les États-Unis et l'Europe, il existe donc un différentiel de méthodes, dommageable.

Que préconisez-vous pour l'Europe ?

M.-C. B. : Un processus étape par étape devrait être privilégié pour éviter les désynchronisations entre les parties technique et thérapeutique. Les académiques et les start-up doivent être accompagnés sur le volet réglementaire. Enfin, aujourd'hui, dans les programmes hospitaliers de recherche clinique [PHRC], trop peu de moyens sont accordés aux académiques dans le but de faciliter le transfert du développement.



BIOPRODUCTION :

le défi industriel français

Aujourd'hui, personne dans le monde n'est capable de produire assez de traitement pour tous les malades. C'est l'occasion pour la France de valoriser et de développer son savoir-faire en matière de bioproduction de thérapie génique au sein d'une filière industrielle. L'enjeu : garantir son indépendance sanitaire et financière.

Frédéric Revah, le directeur général de Généthon, est formel. « Aujourd'hui, il y a un besoin impérieux de développer une filière industrielle de thérapie génique en France. L'objectif est d'assurer l'accès aux médicaments pour nos patients, mais également de garantir une indépendance sanitaire et de maîtriser les prix, sans oublier le potentiel de créations d'emplois dans cette filière à très forte valeur ajoutée. »

Inventer la technologie de demain

Le défi que cette future filière doit relever est celui de la bioproduction. « Le laboratoire GSK a évoqué un *capacity crunch* [littéralement une "pénurie de capacité", *ndlr*] », rappelle Serge Braun, le directeur scientifique de l'AFM-Téléthon. Autrement dit, les capacités sont aujourd'hui insuffisantes, ce qui peut limiter l'accès aux traitements. « La production d'une tonne d'aspirine est aisée et à faible coût. Mais un vecteur de thérapie génique contient 10 000 fois plus d'atomes

que la molécule d'aspirine. Sa production est autrement plus complexe », souligne Frédéric Revah. « Et pour répondre aux besoins croissants, il faut augmenter non seulement les capacités de production, mais aussi les rendements, d'un facteur 100 pour faire diminuer drastiquement les coûts », complète Serge Braun. « Ce changement d'échelle, personne ne sait le faire, souligne Frédéric Revah. On sait faire une omelette avec trois œufs, mais aucune technologie n'existe pour en faire une avec trois cent mille œufs ! » YposKesi et Généthon se sont attelés à ce problème depuis longtemps. Cependant, si des progrès substantiels ont été accomplis, il subsiste des plafonds de verre à briser en termes de volumes de production (passer de 200 litres à au moins 2 000 litres) et de technologies nouvelles pour accroître les rendements. Comme le souligne Serge Braun, « ce changement d'échelle fait appel à de la connaissance fine des virus, des cellules qui produisent ces vecteurs. On est à la frontière de la recherche fondamentale, de la recherche appliquée et de l'industrie. Aujourd'hui, les atouts de la France doivent être capitalisés et développés grâce à une interface fluide public/privé et à une stratégie volontariste sans saupoudrage. »

Investir dans une filière industrielle d'avenir

Thomas Borel, le directeur des affaires scientifiques du LEEM, le confirme. « Du point de vue des industriels, l'implantation de la bioproduction de thérapies innovantes sur le territoire

« Les capacités de bioproduction actuelles sont insuffisantes pour les millions de litres de traitement nécessaires pour une seule pathologie »

SERGE BRAUN, directeur scientifique de l'AFM-Téléthon



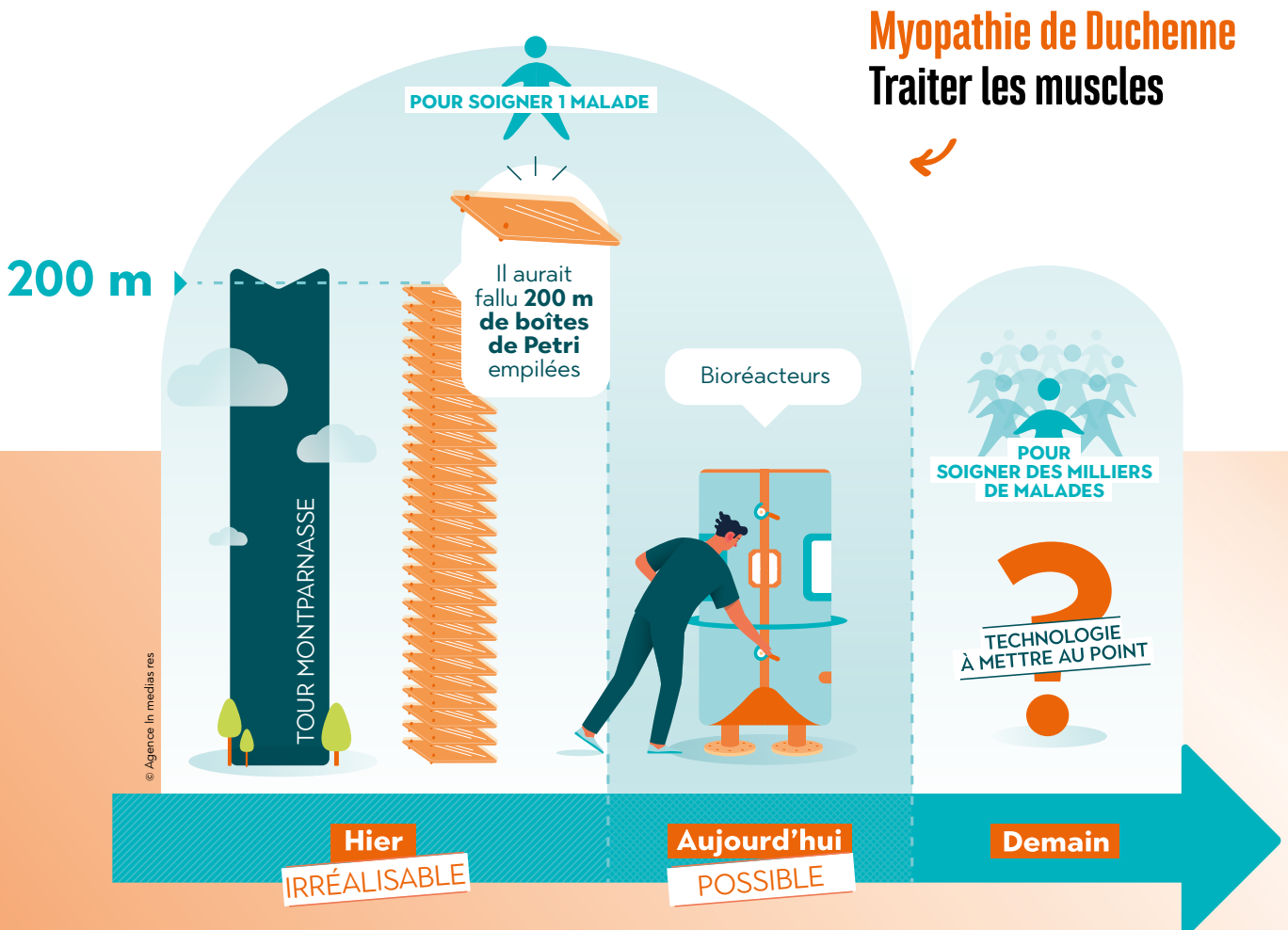
français nécessite une innovation de rupture de la technologie de production. Il faut développer des compétences, des formations, des organisations moins traditionnelles que dans la chimie, indique-t-il. Par ailleurs, quel que soit le type d'acteurs de production (grand groupe ou start-up, national ou international), des mesures incitatives, par exemple fiscales, sont à mettre en place pour que la production se développe en France. »

La filière industrielle devra aussi s'appuyer sur les start-up, dont « l'écosystème est aujourd'hui très dynamique et très déterminé sur le plan financier, note Franck Mouthon, le président de France Biotech. Toutefois, les entreprises innovantes n'ayant pas la capacité de réaliser la bioproduction en interne, elles la sous-traitent. Elles se trouvent confrontées à la saturation des sites de production par les grosses structures, qui aboutit à des prix très élevés. Multiplier les sites pourrait abaisser les surcoûts liés à cette pénurie. De nombreuses sociétés innovantes de biotech se penchent actuellement sur cette problématique. »

Un enjeu pour la France

« En matière de bioproduction, de manière générale, la France a chuté dans la compétition européenne, passant de la première place il y a une dizaine d'années à la sixième aujourd'hui, reconnaît Thomas Borel. Donc, pour la thérapie génique, le virage, c'est maintenant ou ce sera ailleurs. Si elle se déplace juste à côté de chez nous, l'accès aux traitements sera peu freiné. Mais ce sera beaucoup plus compliqué si les traitements sont aux États-Unis, compte tenu des *process* de production et d'acheminement jusqu'au lit du malade. »

En outre, « la bioproduction emploie actuellement 38 000 personnes. Si la France n'est pas au rendez-vous des médicaments de thérapie génique, ces emplois seront perdus, sans compter ceux qui ne seraient pas créés. C'est aussi l'indépendance sanitaire qu'il faut défendre et le poids sur l'Assurance maladie qu'il faut alléger, conclut Serge Braun. L'innovation constitue un atout français, et les technologies de bioproduction sont donc une opportunité pour reprendre le leadership, en réussissant ce que personne n'est parvenu à faire jusque-là. » •





La fixation des prix doit-elle **ÉVOLUER** ?

Face à des médicaments qui coûtent jusqu'à 2 millions d'euros, l'Assurance maladie française pourra-t-elle garantir que tous les malades y auront accès ? Les organismes qui négocient les prix et le remboursement avec les laboratoires en sont convaincus, mais l'AFM-Téléthon s'interroge.



PRIX & REMBOURSEMENT

En France, le prix et le remboursement d'un médicament dépendent de son efficacité thérapeutique, du progrès apporté par rapport aux autres traitements existants, de son coût au regard des bénéfices qu'il apporte à la collectivité en termes de santé. Au vu de ces éléments, le Comité économique des produits de santé (CEPS) négocie le prix officiel et les rabais éventuels avec les laboratoires (lire VLM n° 185, p. 25). Dans les accords signés avec les industriels, Généthron introduit une clause indiquant que le prix ne doit pas être un frein à l'accès des malades aux traitements.

En 2012, le Glybera devient la première thérapie génique mise sur le marché en Europe. Son propriétaire, le laboratoire néerlandais uniQure, demande alors un million d'euros pour chaque malade alors même que son efficacité thérapeutique est loin d'être démontrée. Le ton est donné, sauf que, cinq ans après, seule une patiente en a bénéficié et qu'uniQure renonce à la commercialisation. Par la suite, 594 000 dollars sont demandés pour le Strimvelis, 320 000 pour le Kymriah et 850 000 pour le Luxturna. Pour le Zynteglo, la demande atteint 1,9 million de dollars. Le record revient au Zolgensma, pour lequel il est demandé 2,1 millions. Malgré cette inflation, Jean-Patrick Sales, vice-président du Comité économique des produits de santé (CEPS), se dit optimiste « quant à la soutenabilité de l'innovation future » par l'Assurance maladie. Selon lui, celle-ci sera toujours capable de rembourser les thérapies

innovantes. Pourquoi une telle confiance ? Les prix affichés par les laboratoires font généralement l'objet de remises en faveur de l'Assurance maladie. « La loi impose la confidentialité, mais la Cour des comptes vérifie chaque contrat et remise », précise Jean-Patrick Sales. Par ailleurs, des dispositifs protègent notre système de santé des dérives financières. « Ainsi, pour les médicaments contre l'hépatite C, dont l'impact s'élevait à 1 milliard d'euros, soit 5 % des dépenses annuelles de l'Assurance maladie, un mécanisme de sauvegarde a dû être créé. Ce fut dans l'urgence, mais cela a fonctionné, en préservant l'accès rapide et la soutenabilité financière », selon Edouard Hatton, chef du bureau des produits de santé à la Direction de la Sécurité sociale (DSS). Dans un premier temps, l'accès à ces traitements a été restreint, puis il a été ouvert en échange d'une baisse des prix.

« L'évaluation [de l'amélioration du service médical rendu (ASMR), n.d.l.r] par la commission de transparence est graduée, poursuit Jean-Patrick Sales. Donc, si le produit s'améliore, le prix peut éventuellement augmenter. L'expérience montre que c'est très rare. En revanche, s'il se dégrade, on saura corriger dans l'autre sens. »

Enfin, selon Edouard Hatton, « deux mécanismes vont aider à la soutenabilité financière : la chute de brevets des médicaments biologiques et la production de "biosimilaires" en France, et la clause de sauvegarde qui limite la croissance totale du marché des médicaments sous peine de reversement par les industriels à l'Assurance maladie. » En résumé, même si les prix grimpent et que les thérapies géniques se multiplient, les malades pourront tous y avoir accès. Un enthousiasme et une confiance dans le système actuel que ne partage pas l'AFM-Téléthon. ●



© AFM-Téléthon/Christophe Hargoues

« La fixation des prix doit prendre en compte les coûts de développement et de production »

Christophe Duguet,
directeur des affaires
publiques de l'AFM-Téléthon

Non seulement les thérapies géniques actuelles sont très chères, mais elles sont importées en France alors qu'elles y sont nées. Selon Christophe Duguet, le directeur des affaires publiques de l'AFM-Téléthon, cette situation doit évoluer pour assurer aux malades français l'accès aux traitements futurs.

Quelles sont les craintes de l'AFM-Téléthon face aux prix très élevés des traitements ?

C.D.: Aujourd'hui, le système de régulation des autorités de santé françaises a jusque-là bien fonctionné, mais les innovations thérapeutiques s'accroissent et le nombre de patients à traiter va très rapidement augmenter. En outre, personne dans le monde ne dispose des technologies industrielles qui permettent de produire à grande échelle. Pour répondre à la demande et éviter que les centres de décision soient tous hors de l'Union européenne, il faut développer une filière industrielle en France. Et il faut parvenir à plus de modération dans les prix car le risque est que l'accès à tous les patients soit restreint en fonction des disponibilités budgétaires.

Que suggérez-vous pour enrayer cette flambée des prix ?

C.D.: D'une part, même si les prix officiels font l'objet de remises gardées secrètes, au final, ils restent à des niveaux trop élevés. D'autre part, les prix de ces traitements, et plus largement des thérapies innovantes, ne sont pas fixés en fonction des coûts réellement supportés par les industriels, mais en fonction de ce que ceux-ci estiment que la société est prête à payer pour

accéder à ces traitements. Bilan, quand un traitement se révèle meilleur que le précédent, il est automatiquement plus cher. Ce système est en partie responsable de l'envolée des prix. Un rééquilibrage est donc nécessaire : la fixation des prix des médicaments doit prendre en compte leurs coûts de développement et de production.

Toutefois, si les coûts restent élevés, les prix ne risquent-ils pas de le rester aussi ?

C.D.: La thérapie génique est aujourd'hui dans une situation comparable à ce qui s'est passé lors des premières greffes d'organes. Au début, ces dernières coûtaient extrêmement cher et leurs résultats étaient aléatoires. Puis, peu à peu, on a amélioré les techniques, avec notamment la résolution des problèmes de rejet de greffe, au point que ce sont aujourd'hui des interventions courantes. Comme pour toute technologie de rupture, les coûts de la thérapie génique seront vite décroissants. Mais si les prix sont déconnectés des coûts, ils resteront élevés.

Faute d'une capacité de production suffisante, la France connaît une pénurie de médicaments courants, comme les corticoïdes. Comment peut-elle s'assurer qu'elle aura accès aux traitements innovants ?

C.D.: Elle ne doit pas rater le virage de l'industrialisation. Pour la thérapie génique, la France est leader au niveau scientifique. Et pourtant, comme l'illustre l'exemple du Zolgensma, beaucoup de nos inventions partent à l'étranger, s'y développent et nous reviennent à des prix exorbitants. Il est impératif que la France investisse dans une véritable filière industrielle afin que les médicaments de demain, qui pourront soigner des milliers de malades en France, soient produits ici. •