

Les maladies rares, un défi collectif :

France Biotech présente son Livre Blanc sur les maladies rares : un plaidoyer pour accélérer l'innovation et l'accès aux traitements

Paris, le 19 février 2025. France Biotech, l'association des entrepreneurs de l'innovation en santé, en partenariat avec l'Institut *Imagine*, leader européen de recherche, de soins et d'enseignement sur les maladies génétiques, organise une journée thématique « **Accélérer l'innovation au service des maladies rares : de la recherche à l'accès aux patients, partenariats et perspectives** », le 11 mars prochain à l'Institut *Imagine*.

Lors de cet évènement, le groupe d'expertise Maladies Rares de France Biotech dévoilera les recommandations de son Livre Blanc. Ce document, fruit d'un an de travaux, impliquant une cinquantaine d'experts, dresse un état des lieux précis des défis rencontrés par les entreprises innovantes et propose des solutions concrètes pour accélérer l'accès aux traitements.

Les maladies rares concernent 3 millions de personnes en France et posent un défi médical, économique et sociétal majeur. Malgré un écosystème scientifique dynamique - 84% des médicaments commercialisés pour les maladies rares ont été découverts par des entreprises françaises - la France peine à transformer ses avancées en solutions accessibles aux patients. Ce Livre Blanc vise à fédérer les acteurs du secteur – chercheurs, cliniciens, startups, investisseurs, laboratoires pharmaceutiques, associations de patients et décideurs publics – autour de propositions clés pour renforcer le continuum de financement, accélérer les parcours de développement et améliorer l'accès au marché des innovations thérapeutiques.

« Les trois premiers Plans Nationaux Maladies Rares (PNMR) ont permis de structurer un écosystème d'excellence en France, en consolidant un réseau d'expertise en recherche et en soins tout en renforçant les collaborations européennes. Dans l'attente du PNMR4, ce Livre Blanc envoie un signal fort à l'ensemble des acteurs du secteur : il met en lumière les freins persistants et propose des solutions concrètes pour permettre à la France de retrouver son leadership en matière d'innovation et d'accès aux traitements. Notre objectif est clair : accélérer le développement de solutions thérapeutiques innovantes pour répondre, sans délai, aux besoins des patients », précise **Frédéric Girard, président de France Biotech**.

Un secteur stratégique fragilisé par des obstacles majeurs

Bien que 219 médicaments pour les maladies rares soient en développement en France, le pays reste derrière la Suisse (366) et le Royaume-Uni (339). La prise en charge des maladies rares représente un coût annuel estimé à 2 milliards d'euros, pesant fortement sur les patients et leurs familles. De plus, 50 % des financements nécessaires à la commercialisation des traitements proviennent de fonds étrangers, soulignant un manque de soutien national pour les dernières étapes du développement.

Des recommandations pour renforcer l'innovation et l'accès aux traitements

Face à ce constat alarmant, il est essentiel de mettre en place des mesures fortes pour lever ces freins. Le Livre Blanc propose plusieurs recommandations clés pour structurer la filière et accélérer l'innovation :

1. Renforcer le continuum de financement pour stimuler l'innovation

- Accorder un statut de société à impact aux entreprises spécialisées en maladies rares.
- Mettre en place des avantages fiscaux ciblés (CIR, CII, CiCO) pour favoriser l'investissement privé.
- Créer des fonds d'investissement dédiés aux maladies rares.

2. Faciliter l'accès au marché des traitements

- Adapter les règles de fixation des prix en tenant compte des spécificités des médicaments orphelins.
- Encourager les contrats à la performance pour les thérapies innovantes.
- Accélérer les négociations tarifaires en définissant des comparateurs économiques pertinents.
- Renforcer l'usage des données en vie réelle et de l'intelligence artificielle pour l'évaluation des traitements.
- Élargir le cadre de prescription compassionnel à l'Europe pour harmoniser l'accès au traitement.

3. Stimuler l'innovation et l'investissement

- Mettre en place des **incitations fiscales** pour attirer des investisseurs institutionnels.
- Introduire des **programmes similaires au Priority Review Voucher américain** pour encourager le développement de traitements innovants.
- Intégrer les investissements en maladies rares dans la catégorie **SFDR 9**, pour répondre aux nouvelles exigences de durabilité.

4. Améliorer le dépistage et le diagnostic

- Étendre et systématiser le **dépistage néonatal** pour réduire l'errance diagnostique.
- Soutenir la création d'un **Institut National des Maladies Rares** afin de coordonner la recherche et la prise en charge des patients.

« *Le continuum de financement est une priorité absolue. Trop d'innovations restent bloquées faute de soutien dans les phases critiques du développement. Il est urgent de mettre en place des outils financiers adaptés pour soutenir la recherche jusqu'à la mise à disposition des traitements* » explique **Laure Jamot, Présidente d'HuntX Pharma**. « *La création de fonds d'investissement dédiés aux maladies rares, couplée à des incitations fiscales ciblées, pourrait considérablement renforcer l'attractivité et le financement de ce secteur stratégique* » poursuit **Nolwenn Le Rhun, Directrice générale France d'Orphan**.

« *Ce Livre Blanc apporte des recommandations concrètes pour relever ces défis. Je donne rendez-vous à tous les acteurs œuvrant dans les maladies rares, le 11 mars prochain à l'Institut Imagine pour échanger ensemble sur ces propositions et construire, collectivement, des solutions efficaces pour l'avenir des maladies rares* » conclut **Hélène Chautard, Directrice Innovation & Valorisation de l'Institut Imagine**.

📅 **Date** : 11 mars 2025

📍 **Lieu** : Institut *Imagine*, 24 Boulevard du Montparnasse, 75015 Paris

🕒 **Horaires** : 9h00 – 16h00

Pour plus d'informations : <https://france-biotech.fr/les-temps-forts/favoriser-linnovation-dans-les-maladies-rares/>

A propos de France Biotech

France Biotech, fondée en 1997, est une association indépendante qui fédère les entrepreneurs de l'innovation dans la santé et leurs partenaires experts. Animateur de l'écosystème de l'innovation en santé, fort de 2600 entreprises, et interlocuteur privilégié des pouvoirs publics en France et en Europe, France Biotech contribue à relever les défis du secteur HealthTech (le financement des entreprises, la fiscalité de l'innovation, les enjeux réglementaires et d'accès au marché, etc...) et à proposer des solutions concrètes, en termes de compétitivité et d'attractivité, par l'intermédiaire de ses commissions et ses groupes de travail. Ceci afin d'aider les start-ups et les PME de cette filière à devenir des entreprises internationales performantes et capables de concevoir et développer rapidement de nouvelles innovations et les rendre accessibles *in fine* aux patients. France Biotech est hébergée au sein de Parisanté Campus. <http://www.france-biotech.fr/>

**Contact presse France Biotech // Florence Portejoie, FP2COM, fportejoie@fp2com.fr,
Tél. : 06 07 76 82 83**