

A l'occasion de la Journée Internationale des Maladies Rares, France Biotech annonce le lancement d'une task force « Maladies Rares »

- **Les maladies rares, un enjeu majeur de santé publique** : les maladies sont dites rares lorsqu'elles touchent moins d'une personne sur 2 000, soit plus de 3 millions de Français concernés, au moins 25 millions¹ de citoyens européens.
- **Une task force dédiée aux maladies rares** et initiée par France Biotech, pour insuffler une nouvelle dynamique en s'appuyant sur le réseau d'acteurs existant et en mobilisant l'ensemble des composantes de la filière française des maladies rares (institutionnels, associations de patients, instituts de recherche, entreprises healthtech, experts, etc.).
- **Des acteurs engagés pour contribuer collectivement au déploiement du Plan National Maladies Rares (PNMR 4)** et partageant l'objectif commun de permettre le développement rapide de solutions innovantes alors que 95% des patients sont toujours dépourvus de solutions thérapeutiques.

Paris, le 29 février 2024. A l'occasion de la Journée Internationale des Maladies Rares, France Biotech, l'association des entrepreneurs de l'innovation en santé, annonce le lancement de la task force « Maladies Rares ».

Une maladie est dite rare lorsqu'elle atteint moins d'une personne sur 2000. Au total, cela représente moins de 30 000 Français malades par pathologie. Les maladies rares concernent environ 25 millions de personnes en Europe et plus de 3 millions en France, soit 4,5% de la population. 7 000 maladies rares ont été identifiées à ce jour, dont 80% d'entre elles sont d'origine génétique. Le terme maladie « orpheline » est utilisé pour désigner une pathologie rare ne bénéficiant pas de traitement efficace, ce qui est le cas de nombreuses maladies rares.

La France, leader en Europe dans le domaine des maladies rares

Les entreprises françaises disposent du plus grand portefeuille de médicaments approuvés pour les maladies rares en Europe, ainsi que d'un pipeline de plus de 200 programmes de recherche. La grande majorité de ces médicaments (84%) ont été découverts en France, alors qu'ailleurs en Europe, il est plus courant d'obtenir des licences d'innovation auprès de partenaires extérieurs. De plus, 72% des médicaments développés contre les maladies rares appartiennent à une société de biotechnologies et sont en grande majorité en phase clinique ou précoce.

La France attire aussi un nombre important d'essai clinique sur les maladies rares : chaque jour, un essai clinique démarre en France², soit plus que dans tous les autres pays européens. Les réseaux d'hôpitaux universitaires jouent un rôle majeur dans le paysage clinique pour réaliser les essais. Par ailleurs, le premier Plan National des Maladies Rares (PNMR), lancé en 2004, a permis la mise en place d'un dispositif inédit pour accompagner les Français souffrant d'une maladie rare. Cela se traduit par une expertise reconnue au niveau européen et international de sa recherche et médecine d'excellence

¹ [Panorama France HealthTech 2023 de France Biotech](#)

² [Panorama France HealthTech 2023 de France Biotech](#)

Pour Franck Mouthon, Président de France Biotech, " *La France dispose d'un leadership dans le domaine des maladies rares, de nombreux produits sont en développement au sein des biotechs françaises. Il est primordial de préserver ce riche écosystème en Europe et en France en favorisant l'investissement et la R&D dans des projets innovants. Les trois premiers plans nationaux des maladies rares ont permis de structurer un réseau de compétences et d'expertise dans la recherche et le soin en France, en lien avec les réseaux européens. Dans le cadre du lancement du nouveau PNMR, préfiguré dans un esprit fédérateur et constructif par les deux copilotes du plan, le Pr Agnès Linglart et le Pr Guillaume Canaud, et les autorités de santé, nous avons choisi de créer cette task force pour contribuer collectivement au déploiement des fortes ambitions de ce nouveau plan et ainsi permettre le développement le plus rapidement possible de solutions innovantes pour répondre aux besoins des patients. »*

Une task force Maladies Rares pour rassembler tous les acteurs en regard du 4^{ème} PNMR

Cette task force sera pilotée par Hélène Chautard, qui est à la tête de l'Innovation & la Valorisation à l'Institut Imagine, Laure Jamot, Présidente de HuntX Pharma et Nolwenn Le Rhun, Directrice Générale France d'Orphalan, dont les trois entités sont très fortement engagées dans le développement de solutions innovantes dédiées aux maladies rares contribuant ainsi à consolider la position leader de la France dans ce domaine.

L'objectif du groupe de travail initié par France Biotech est de faire remonter les besoins et les freins rencontrés par les start-ups et PME de la filière healthtech sous toutes ses composantes (biotech/medtech/numérique en santé) et impliquées dans le développement de solutions innovantes dédiées aux maladies rares. Il vise également à mettre en avant les avancées thérapeutiques et à faciliter les échanges entre les acteurs du soin, de la recherche et les entrepreneurs du secteur.

Les travaux du groupe de travail seront donc définis en lien avec la feuille de route du PNMR4. Un cadre adapté et ambitieux apparaît en effet nécessaire pour l'incitation aux développements de solutions pour les maladies rares (*Cortial et al. Rare Dis Orphan Drugs J 2022*).

Ces projets devraient se concentrer sur trois principaux défis :

- assurer un financement continu de la recherche, de la phase préclinique à la clinique ;
- garantir des modèles économiques durables pour les maladies rares ;
- développer un cadre institutionnel et réglementaire plus favorable aux maladies rares.

« Nous sommes très heureuses de co-piloter cette task force Maladies Rares au sein de France Biotech avec Laure Jamot, Présidente, de HuntX Pharma et Nolwenn Le Rhun, Directrice Générale France d'Orphalan. Nous aurons à cœur de nourrir notre feuille de route de l'ensemble des attentes des adhérents de France Biotech en matière de maladies rares. Nous travaillerons tout particulièrement sur la création d'une voie d'accès au marché spécifique des maladies rares, sur des mécanismes incitant les fonds d'investissements à se positionner sur ce secteur ou encore à mieux intégrer les médicaments de thérapies innovantes dans notre système de santé notamment au niveau de l'impact sociétal et organisationnel » indique **Hélène Chautard, Directrice Innovation & Valorisation, Institut Imagine.**

Pour assurer une approche transverse des échanges, cette task force sera rattachée à plusieurs commissions et groupes de travail de France Biotech, dont les groupes de travail Market Access, Essais cliniques, ainsi que les commissions Biothérapies (médicaments de thérapie innovante/Bioproduction), Santé numérique, Medtech & Diagnostic.

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 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**

Annexe³

4Living Biotech	HuntX Pharma
4P-Pharma	Iltoo Pharma
AB Science	Inatherys
ABIONYX PHARMA	InFlectis BioScience
Accure Tx France	Innate Pharma
Acticor Biotech	InnoSkel
ADVANCED BIODESIGN	Inotrem
Advicenne	Invectys
Aelis Farma	invenis Biotherapies
Alga Biologics	Inventiva
Algenscribe	Kekkan Biologics
AlgoTherapeutix	ksilink
AlzProtect	Laboratoires CTRS
Amolyt Pharma	MaaT Pharma
Apmonia Therapeutics	Mablink Bioscience
Apteeus	ManRos Therapeutics
Atamyo Therapeutics	MedinCell
Atlanthera	MED'INN'Pharma
Avadel Pharmaceuticals	Meletios Therapeutics
Averoa	MT-act
Axoltis Pharma	Nanobiotix
BeiGene	Nervosave Therapeutics
Biocodex	NicOx
Biophytis	NLS Pharmaceuticals
BioSenic	Nordic Group
BrainEver	Orano Med
Collectis	Orphalan
Coave therapeutics	Orphelia Pharma
Crossject	OSE Immunotherapeutics
DBV Technologies	Pegascy
Emergence Therapeutics	PEP-Therapy
Enterome	Persea
Enyo Pharma	Pharnext
EverImmune	Poxel
Evexta Bio	Rest Therapeutics
Exeliom Biosciences	Revimmune
Eyevensys	Smart Immune
Fab'entech	SparingVision
Flamingo Therapeutics	Sqy Therapeutics
GamaMabs Pharma	StemInov
Genethon	Step Pharma
Genfit	Syndivia
Genoscience Pharma	Thea Open Innovation
GenSight Biologics	Theranexus
Genvade Therapeutics	TheraOnco
Hephaistos-Pharma	TheraVectys
HiFiBiO Therapeutics	Transgene
Hippoxis	V4CURE

³ Liste non exhaustive Au 20/02/2024 – source : Pharmaprojects / Citeline / Panorama France Healthtech 2023

france
biotech

biotech | medtech | e-santé | IA
LES ENTREPRENEURS DE LA HEALTHTECH

Vac4All
Valerio Therapeutics
Valneva
Vectans Pharma
Vivet Therapeutics
Xenothera