

## 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 25 février 2025.** France Biotech, l'association des entrepreneurs de l'innovation en santé, en partenariat avec l'Institut Imagine, leader mondial 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, copiloté par Laure Jamot, Présidente d'HuntX pharma, Nolwenn Le Rhun, Directrice générale France d'Orphalan et Hélène Chautard, Directrice Innovation & Valorisation, Institut Imagine**, 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%<sup>1</sup> des médicaments commercialisés en France 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. En parallèle 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)<sup>2</sup>. En l'absence de traitement ciblé, la prise en charge des maladies rares représente un coût annuel estimé à 2 milliards d'euros, pesant fortement sur la solidarité nationale mais aussi 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.

<sup>1</sup> Panorama France HealthTech 2023 ([https://france-biotech.fr/wp-content/uploads/2024/02/RAPPORT\\_PANORAMA\\_2023.pdf](https://france-biotech.fr/wp-content/uploads/2024/02/RAPPORT_PANORAMA_2023.pdf))

<sup>2</sup> Panorama France HealthTech 2023 ([https://france-biotech.fr/wp-content/uploads/2024/02/RAPPORT\\_PANORAMA\\_2023.pdf](https://france-biotech.fr/wp-content/uploads/2024/02/RAPPORT_PANORAMA_2023.pdf))

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

Face à ce constat préoccupant, il est essentiel de mettre en place des mesures fortes pour lever ces freins notamment sur le financement et sur l'accès au marché.

**Pour Laure Jamot, Présidente d'HuntX Pharma** « *Le continuum de financement est la priorité. 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* ».

« *L'accès au marché des traitements innovants reste aussi un défi majeur pour les laboratoires spécialisés en maladies rares. Il est impératif d'adapter les règles de fixation des prix et d'encourager des modèles tels que les contrats à la performance, afin d'accélérer la mise à disposition des innovations pour les patients. Seule une approche concertée entre tous les acteurs du secteur permettra de surmonter ces obstacles et de garantir aux patients des solutions thérapeutiques adaptées et rapidement disponibles.* » poursuit **Nolwenn Le Rhun, Directrice générale France d'Orphan.**

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**
2. **Faciliter l'accès au marché des traitements**
3. **Stimuler l'innovation et l'investissement**
4. **Améliorer le dépistage et le diagnostic**

« *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 Institut Imagine et Directrice opérationnelle du Carnot 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/>

## **A propos de HuntX pharma**

HuntX Pharma est une société pharmaceutique, cofondée en 2022 par Laure Jamot, experte en développement de médicaments pour les maladies rares, et Frédéric Saudou, chercheur en neurobiologie et ancien directeur du Grenoble Institut des Neurosciences (GIN) de 2013 à 2023. Accompagnée par la SATT Linksium, l'entreprise développe des molécules ciblant les maladies neurologiques associées à des dysfonctionnements du transport axonal. Sa première molécule, HX127, est issue des recherches de Frédéric Saudou à l'Université Grenoble Alpes, dont le brevet a été sous-licencié à HuntX Pharma. Actuellement en développement pour le traitement de la maladie de Huntington, son mécanisme d'action a démontré des effets protecteurs, voire curatifs, en restaurant la fonction naturelle du gène défectueux dans plusieurs modèles de cette pathologie neurodégénérative. Pour plus d'information : <https://www.huntxpharma.com>

## **A propos d'Orphalan**

Orphalan est une société internationale de développement et de commercialisation de médicaments orphelins dont le siège est à Paris. Fondée en 2011, la société développe et commercialise des thérapies innovantes pour les personnes atteintes de maladies rares et invalidantes. Son produit, le tetrachloridrate de trientine, est approuvé dans le traitement de la maladie de Wilson dans plus de 20 pays, sous la marque Cuprior® dans l'UE, au Royaume-Uni, en Arabie Saoudite, en Suisse et en Colombie, sous la marque Cuvrior® aux États-Unis et sera disponible en Chine dès 2025.

Pour plus d'informations, visitez le site [www.orphalan.com](http://www.orphalan.com) et suivez-nous sur LinkedIn.

## **À propos de l'Institut Imagine**

Situé sur le campus de l'Hôpital Necker-Enfants malades, l'Institut Imagine est un leader mondial de recherche, de soins et d'enseignement sur les maladies génétiques. Son architecture singulière, conçue par Jean Nouvel et Bernard Valéro, permet de rassembler en un lieu unique 1 000 chercheurs, médecins, enseignants-chercheurs, ingénieurs et personnels de santé autour des patients, dans l'ambition d'accélérer la recherche et l'innovation diagnostique et thérapeutique pour changer la vie des familles touchées par les maladies génétiques. Labellisé Institut Hospitalo-Universitaire (IHU, en 2011 et 2019) et Institut Carnot (2020), l'Institut Imagine est soutenu par ses six membres fondateurs, dont l'AP-HP, l'Inserm et l'Université Paris Cité, et par des partenaires et mécènes privés. Chaque jour en France, 64 bébés naissent avec une maladie génétique. Près de 8 000 maladies génétiques touchent plus de 3 millions de personnes, dont près d'une sur deux n'a pas de diagnostic et plus de 8 sur 10 n'a pas de traitement dédié. Face à cette urgence de santé publique, le défi est double : diagnostiquer et guérir. [www.institutimagine.org](http://www.institutimagine.org)

**Contact presse** : France Biotech // Florence Portejoie, [FP2COM](mailto:FP2COM), Tél. : 06 07 76 82 83