



maladies rares. La France, qui est l'un des pays les plus influents au Conseil de sécurité et au Conseil économique et social, saura, nous l'espérons, porter l'action qu'elle entreprend depuis vingt ans au niveau international. N'abandonnons pas ceux qui ont moins de chance ailleurs. Nous nous en porterons tous mieux, y compris en France. ♦

French model for Europe and Europe as a model for France in the field of rare diseases

LIENS D'INTÉRÊT

L'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.

La France dans la recherche européenne et internationale sur les maladies rares

Daria Julkowska



médecine/sciences 2018 ; 34
(hors série n° 1) : 55-57

> L'objectif de cette présentation est de positionner la France dans la recherche européenne et internationale sur les maladies rares, ses réussites et ses perspectives. Je souhaiterais également évoquer l'importance de la collaboration internationale pour aujourd'hui et demain.

Il existe différentes organisations œuvrant dans le domaine de la recherche sur les maladies rares. L'IRDiRC est un consortium international de recherche sur les maladies rares, chargé d'établir une stratégie de financement de la recherche, des guidelines et des recommandations en matière de recherche.

É-Rare et la Commission européenne financent la recherche sur les maladies rares. Les réseaux européens de référence constituent également une source d'expertise en matière de recherche. Les associations de patients œuvrent par le biais d'Eurordis. Il existe par ailleurs de nombreuses infrastructures européennes, comme Orphanet, Elixir et le *Joint Research Center* de la Commission Européenne. Nous souhaitons aujourd'hui intégrer l'activité de l'ensemble de ces entités sous un seul chapeau.

La France est partenaire de l'IRDiRC depuis ses débuts, par le biais de l'Agence Nationale de la Recherche, la fondation maladies rares et AFM, mais également parce que la France fournit le secrétariat scientifique de l'IRDiRC, porté par l'Inserm et financé par la Commission Européenne.

La France est intégrée aux réseaux européens de référence et coordonne cinq d'entre eux. Elle se trouve également impliquée dans la majorité des infrastructures européennes médicales. Orphanet a été créé et porté par la France, ainsi qu'Eurordis. Depuis les débuts, la France a coordonné un programme d'importance, l'ERA-Net « É-Rare », qui regroupe des agences de financement de multiples pays.

La France ne dispose pas d'un programme spécifique de financement dédié à la recherche sur les maladies rares. Il existe toutefois des



Coordinateur scientifique,
Agence Nationale de
Recherche, 50, avenue
Daumesnil,
75012 Paris, France.
[daria.julkowska@
agencerecherche.fr](mailto:daria.julkowska@agencerecherche.fr)

financements par le biais de l'ANR, qui finance des projets sur les maladies rares via son appel à projets générique, entre 8 et 15 millions d'euros par an. Dans le cadre d'autres plans, la France investit entre 15 et 20 millions d'euros par an.

La DGOS soutient également la recherche et le soin, avec plus de 20 millions d'euros d'investissements par an. D'autres organismes sont d'importance, comme l'AFM et la fondation maladies rares.

Le programme de financement de la recherche É-Rare

É-Rare est un programme de financement de la recherche qui a été créé en 2006. Il a été coordonné par l'Inserm entre 2006 et 2014. Entre 2014 et 2019, il est coordonné par l'ANR.

Aujourd'hui, le consortium regroupe 28 agences de financement de 20 pays européens, associés et non européens (*Figure 1*). Au fil des ans, nous avons recruté de nouveaux pays, comme le Canada, le Japon, Israël et la Turquie. Son objectif principal est de coordonner et de promouvoir la

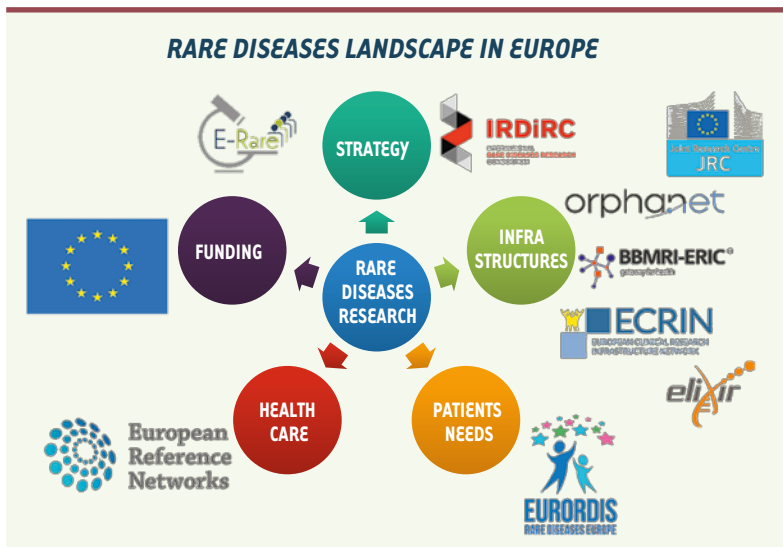


Figure 1. Panorama des maladies rares en Europe (© Showet.com).

recherche européenne et de construire un programme européen pour la recherche sur les maladies rares. E-Rare est mentionné dans plus de la moitié des plans nationaux portant sur les maladies rares. Dans de nombreux pays, il s'agit aussi du seul programme qui finance la recherche dans ce domaine (Figure 2).

E-Rare mène deux types d'activités : les appels à projets transnationaux lancés annuellement, et les activités de coordination et de support, comme l'harmonisation des programmes nationaux, la participation à la stratégie, et le développement de collaborations avec

différentes parties prenantes européennes, comme les associations de patients et l'Agence européenne du médicament.

Les appels à projets sont ouverts et compétitifs. Depuis 2006, 9 appels à projets transnationaux ont été lancés. 117 projets et plus de 556 équipes de recherche ont été financés. Plus de 100 millions d'euros ont été investis.

Les projets couvrent souvent plus d'un domaine ou plus d'une technologie. Un même projet peut comprendre une analyse physiopathologique, des études diagnostiques et des propositions de développement de nouvelles thérapies. Les projets couvrent tous les domaines médicaux.

La France participe à près de 90 % des propositions déposées auprès d'E-Rare. Les équipes françaises bénéficient d'un taux de succès plus élevé que la moyenne, soit 33 % contre 25 % en moyenne. Elles participent également à 89 projets sur 117. 119 équipes de recherche ont été financées, avec plus de 15 millions d'euros investis par l'ANR.

Pour chaque euro investi par la France, les autres pays qui participent dans le même projet investissent dix euros. Nous n'avons donc pas besoin d'investir cet argent directement et pouvons participer aux projets transnationaux, contribuant ainsi à l'expertise des autres. Ce point me semble important pour justifier la collaboration européenne et internationale.

Le prochain appel à projets sera lancé au début du mois de décembre 2017. La pré-annonce est déjà publiée.

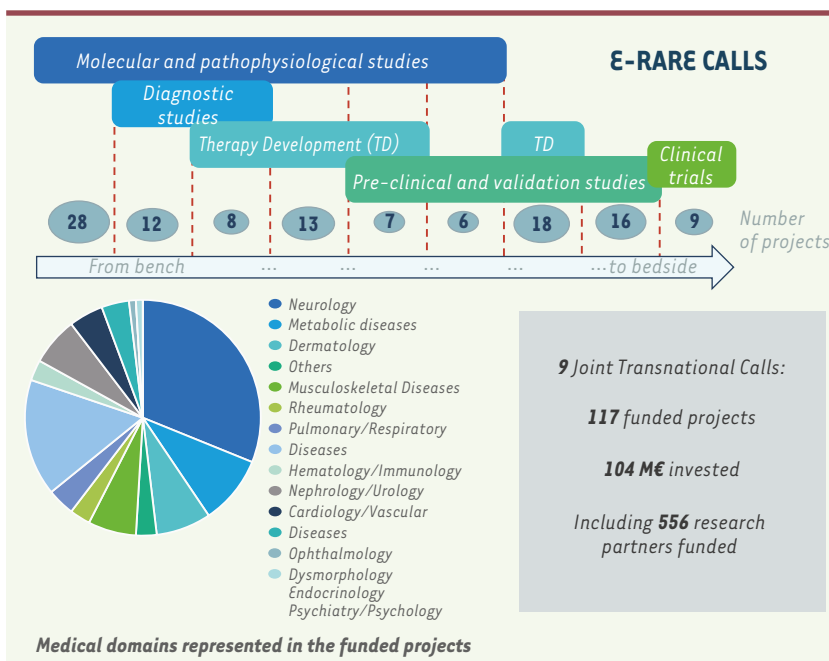


Figure 2. Projets recherche financés par E-Rare (des études moléculaires et physiopathologiques aux essais cliniques).

Le European Joint Programme on Rare Diseases

Le European Joint Programme on Rare Diseases a pour objectif d'intégrer, sous le même chapeau, différents types d'activités comme le financement, les infrastructures, les outils, les bases de données, la formation et l'aide à l'innovation. Un seul programme intègre l'ensemble ou la majorité des outils disponibles et développés, ainsi que les acteurs européens et internationaux qui construisent ensemble. Ce programme sera financé par la Commission européenne à hauteur de 55 millions d'euros, de même que par ses États membres. Entre 60 et 100 partenaires sont attendus, en tenant compte des 24 réseaux de référence et la majorité des



pays européens, associés et non européens. Grace à la participation à IRDIRC des nouvelles collaborations ont pu être développées.

Les discussions avec la Commission européenne ont commencé par le biais d'E-Rare en mars 2016. En octobre, la France a officiellement pris le lead, avec l'aide du ministère de la recherche, de l'Inserm et d'E-Rare. Nous avons mené l'ensemble des discussions sur les concepts d'EJP (*European Joint Programme Cofund*). De nombreux experts de différents pays ont été invités. Il s'agissait donc d'un travail collectif. Aujourd'hui, l'appel à projets a été lancé et nous sommes en phase d'écriture et de finalisation de la proposition pour ce programme. Celui-ci est composé de quatre piliers.

Le premier pilier se concentre sur les financements de la recherche, à travers des appels à projets transnationaux annuels, le soutien au *networking*, des collaborations entre réseaux de référence, de filières et d'associations de patients ou d'équipes de recherche. Le nouveau schéma intitulé *R&D challenge* est une première collaboration public-privé.

Le deuxième pilier porte sur l'accès coordonné aux données et aux échantillons. Sont regroupés les outils et infrastructures pour les données, les registres et les biobanques. Tout est regroupé sur une seule plateforme virtuelle, pour servir la recherche et le diagnostic. La collaboration avec les réseaux européens de référence sera extrêmement importante dans ce cadre.

Le troisième pilier se concentre sur la formation, qu'il s'agisse de formation dédiée aux chercheurs, étudiants, spécialistes ou patients. Des

formations peuvent également être proposées par des réseaux européens de référence.

Le quatrième pilier concerne l'accès à un *helpdesk*. Tous les chercheurs disent aujourd'hui qu'il est difficile de comprendre à qui parler. Il s'agit donc de répondre aux demandes et être en contact avec les experts, les infrastructures et les réseaux européens de référence, par exemple.

La France s'inscrit dans ces différents piliers. La coordination du programme sera portée par l'Inserm. Des acteurs comme les agences de financement, la Fondation Maladies Rares, l'AFM-Téléthon, Eurordis et l'Inserm, par exemple, seront impliqués dans le programme. Enfin, ce programme sera clairement aligné avec le troisième plan national maladies rares et le Plan France Médecine Génomique. Un groupe miroir sera développé dans le but d'assurer cet alignement et ce dialogue constant entre les échelons national et international. ♦

France in the European and International research landscape

LIENS D'INTÉRÊT

L'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.

La France dans la coopération européenne pour l'évaluation technologique des produits de santé

François Meyer



médecine/sciences 2018 ; 34
(hors série n° 1) : 57-59

► Un nouveau médicament doit effectuer tout un parcours avant d'atteindre le patient, avec le statut de médicament remboursé et disponible. Il s'agit de l'autorisation de mise sur le marché par l'agence européenne de médicament. Le contexte est en l'occurrence pleinement européen et les règles sont communes depuis 1965.

La HAS rend des avis pour éclairer la décision prise par le comité économique des produits de santé, qui est en l'occurrence nationale. Il revient en effet à chaque État membre d'organiser son service de santé et de décider de son financement.

La HAS dispose de commissions d'évaluation qui se basent sur des données scientifiques touchant le domaine clinique et les sciences économiques. Elle doit renseigner la décision et constitue donc une



Conseiller pour les Affaires Internationales,
Haute Autorité de Santé,
5, avenue du Stade de France,
93210 Saint-Denis, France.
f.meyer@has-sante.fr

sorte d'interface entre la science et la décision qui a des particularités nationales.

Les commissions d'évaluation des produits évaluent ces derniers en fonction de critères qu'elles ne décident pas