

## Anticiper les innovations thérapeutiques de demain : les propositions du Leem

*Face à la dynamique croissante du progrès thérapeutique, le système de santé doit rapidement s'adapter afin de préserver un accès équitable aux innovations pour tous. Dans cette perspective, le Leem révèle une étude prospective inédite basée sur les traitements actuellement en développement clinique. Si la France veut tenir sa place dans l'innovation en santé, elle doit adopter une vision stratégique de long terme. Focus sur les principaux résultats.*

L'anticipation des innovations par les parties prenantes du système de santé est indispensable pour en assurer l'accès à tous ceux qui en ont besoin. Afin de permettre des prises de décisions éclairées, le Leem a réalisé une analyse des médicaments en développement, susceptibles d'être approuvés par l'EMA ou la FDA à l'horizon 2027<sup>1</sup>. Les objectifs sont multiples : mesurer la portée des innovations à attendre, préparer les nouvelles logiques d'évaluation des médicaments, et anticiper l'impact organisationnel, voire budgétaire, sur les systèmes de santé en place. Certaines thérapies innovantes telles que les thérapies géniques appellent à une refonte des parcours de soins et une adaptation des formations des soignants.

### L'industrie du médicament, moteur d'innovation au service des patients

Ces dernières décennies, les progrès pharmaceutiques ont transformé la vie de centaines de millions de patients. Ces progrès sont le fruit d'une recherche et d'un développement exigeants, mobilisant des ressources financières et intellectuelles majeures, avec une prise de risque très élevée (en moyenne, 2,2 milliards d'euros sont nécessaires pour développer un nouveau médicament). Relevant ces défis, l'industrie continue d'innover, comme le montrent les résultats de l'étude. Entre 2021 et 2023, 45 % des nouvelles autorisations de mise sur le marché concernaient des substances actives inédites, tandis que **660 molécules pourraient émerger d'ici 2027**, promettant de nouvelles avancées thérapeutiques majeures. Les recherches sont majoritairement ciblées sur l'oncologie (25% des programmes) et la neurologie (16%). En outre, les industriels investissent massivement dans des pathologies difficiles, souvent à mauvais pronostic, ce qui montre une vraie possibilité d'évolution dans la prise en charge de certaines maladies comme la leucémie myéloïde aiguë ou encore le diabète de type 1.

### L'Europe doit redevenir un leader de l'innovation

Le rapport met toutefois en lumière le retard préoccupant de l'Europe par rapport aux États-Unis en matière d'innovation thérapeutique. Alors que les États-Unis dominent le marché, seules **21% des**

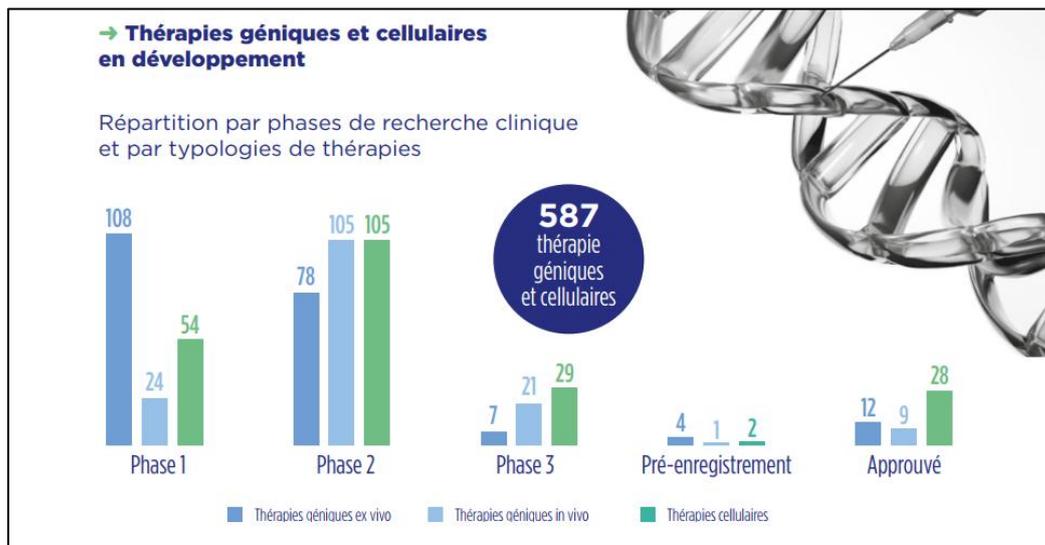
---

<sup>1</sup> L'analyse prospective a été conduite sur la base des essais cliniques à promotion industrielle ayant des sites d'investigation en Europe et aux États-Unis (source Citeline). Extraction des données réalisée le 30 juin 2023.

**entreprises avec des thérapies géniques et cellulaires en développement sont basées en Europe.** En cause, des procédures réglementaires moins attractives ou moins efficaces. Il y a près de 19 fois plus de procédures accélérées aux Etats-Unis qu'en Europe (370 vs 19). La compétitivité européenne est à redynamiser de toute urgence.

## Une transformation systémique nécessaire

Parmi les innovations récentes, les thérapies géniques et cellulaires permettent dans certains cas de traiter des pathologies autrefois incurables, comme des cancers et des maladies génétiques rares<sup>2</sup>. Actuellement, **plus de 500 thérapies géniques et cellulaires sont en cours de développement.**



Les thérapies géniques représentent 16 % des biothérapies en essai clinique et pourraient bouleverser les pratiques médicales à court terme, en nécessitant des infrastructures hospitalières adaptées et une logistique complexe. Mais se préparer à leur accueil ne se résumera pas à des aspects techniques et logistiques. Les modalités d'évaluation et de financement seront également cruciales pour en permettre une mise à disposition équitable. Comme l'avait recommandé le rapport interministériel de 2023<sup>3</sup>, **une refonte profonde du système est indispensable.**

« Garantir aux patients français un accès rapide et équitable aux traitements innovants exige une remise à plat totale des mécanismes de financement et de régulation des médicaments », souligne Thibaut Victor-Michel, président de la Commission Recherche & Innovation du Leem. « Nous avons besoin de pouvoir anticiper le volume d'innovations thérapeutiques à venir ainsi que leur impact et cette étude est un premier pas en ce sens »

---

**Contacts Presse** : Stéphanie BOU - 06 60 46 23 08 [sbou@leem.org](mailto:sbou@leem.org)

Virginie PAUTRE - 06 31 86 82 70 - [vpautre@leem.org](mailto:vpautre@leem.org)

Céline FERNANDES – 06 08 97 50 49 - [cfernandes@leem.org](mailto:cfernandes@leem.org)

---

<sup>2</sup> En complément de l'analyse, un focus sur les thérapies géniques et cellulaires a été réalisé. Extraction des données réalisée le 18 décembre 2023.

<sup>3</sup> [https://www.economie.gouv.fr/files/files/directions\\_services/cge/mission\\_regulation\\_des\\_produits\\_de\\_sante.pdf?v=1693473847](https://www.economie.gouv.fr/files/files/directions_services/cge/mission_regulation_des_produits_de_sante.pdf?v=1693473847)