

SANTÉ/RECHERCHE/JOURNÉE MONDIALE MALADIES RARES DU 28 FÉVRIER

**UNIQUE EN EUROPE : LE DÉVELOPPEMENT D'UN RÉSEAU D'EXPERTISE F-CRIN PLURIDISCIPLINAIRE DÉDIÉ AUX MALADIES RARES : ORPHANDEV**

**Une cinquantaine d'acteurs majeurs unis pour développer un réseau national d'expertise F-CRIN dédié aux maladies rares afin que les patients aient accès plus rapidement aux nouvelles solutions thérapeutiques**

**Les maladies rares touchent 3 millions de personnes en France, dont les ⅓ sont des enfants.** Il existe plus de 7000 maladies rares, dont 80 % sont d'origine génétique et **95% n'ont pas encore de traitement curatif.** Elles concernent dans la moitié des cas des enfants de moins de 5 ans. **25% des patients attendent encore leur diagnostic après 5 ans d'évolution.** C'est dans ce contexte que depuis plus de trente ans, de nombreux acteurs interviennent sur cette thématique et ont permis des avancées considérables de la recherche : aujourd'hui 20% des essais cliniques en France concernent les maladies rares\*.



Depuis plusieurs mois, plus d'**une cinquantaine de ces acteurs** issus de la médecine et de la recherche scientifique, des secteurs publics et privés et des représentants des patients se mobilisent pour **créer un réseau pluridisciplinaire sur les maladies rares : ORPHANDEV.**

**Une initiative collaborative public-privé unique** qui rassemble **professionnels de santé, chercheurs, entrepreneurs, industriels** (biotech, medtech, laboratoires pharmaceutiques et leurs représentants, etc.), **patients et familles de patients** tous mobilisés autour d'une même cause.

**ORPHANDEV mobilise de nombreux talents** tels que le Pr. Olivier Blin, coordinateur d'OrphanDev ; Franck Mouthon, Président de France Biotech ; Catherine Nguyen, Directrice de l'institut thématique GGB en charge de la coordination de l'EJPRD avec Daria Julkowska ; Stanislas Lyonnet, Directeur de l'Institut *Imagine* ; le Pr Daniel Scherman, Directeur de la Fondation Maladies Rares ; le Pr Shahram Attarian,

coordonnateur de Filnemus ; Dorothée Durand et Catherine Raynaud, responsable et présidente du Comité Maladies Rares du Leem (Les entreprises du médicament). **La structure travaille étroitement avec les réseaux F-CRIN** (Pr Olivier Rascol, coordonnateur), dont le réseau de recherche pédiatrique PEDSTART (Pr Régis Hankard, coordonnateur) au sein duquel un groupe de travail spécifique Maladies Rares a été créé (Pr Vincent Laugel, CIC Strasbourg), intégrant la Voix de l'Enfant et des Parents (Dr Ségolène Gaillard, Kids France Lyon).

**Le but ?** Conjuguer les efforts de tous pour **accélérer la recherche, faciliter l'innovation**, permettre aux patients de bénéficier rapidement de **nouvelles solutions thérapeutiques**, accroître la **compétitivité de la France** sur la scène européenne afin d'**attirer de nouveaux essais cliniques internationaux en France.**

**Le challenge ?** Renforcer la complémentarité et la transversalité entre acteurs de domaines, de cultures et de fonctionnement différents pour plus d'efficacité.

**Labellisé par F-CRIN, infrastructure d'envergure nationale en recherche clinique, ORPHANDEV regroupe ses parties prenantes sur la base du volontariat.** Ce nouveau groupe collaboratif constitue une entité souple, réactive, capable de mobiliser ses membres et ses partenaires, et faire l'interface avec les décideurs, les partenaires et les autorités. En quelques mois d'existence, **ORPHANDEV est un collectif, déjà identifié comme force de proposition et interlocuteur, notamment du Gouvernement, de la HAS (Haute Autorité de Santé) et du CSIS (Conseil Stratégique des Industries de Santé).**

Ces premiers mois de travail ont également permis de construire collectivement des propositions pour **accélérer la mise à disposition des médicaments, favoriser un environnement organisationnel** et réglementaire favorable à **la recherche clinique et à l'innovation** en France sur les maladies rares, et développer **la formation, notamment par un nouveau DIU sur les essais cliniques dans les maladies rares** (coordonné par les Prs Marc Bardou, Alexandre Belot, Olivier Blin, Laurence Faivre et Eric Hachulla).



**L'action d'OrphanDev s'articule autour de 3 axes :**

- **L'opérationnalisation de la recherche clinique sur les maladies rares**, afin de faciliter l'inclusion de patients français dans les essais internationaux et leur permettre de bénéficier des dernières innovations thérapeutiques.
- **Le développement de l'intelligence artificielle au service des maladies rares** afin d'accélérer le recueil, la mise en commun et l'exploitation des données, de modéliser le parcours de santé, d'identifier de nouvelles cibles pharmacologiques, d'améliorer le diagnostic ou encore d'encourager la médecine individualisée.
- **L'accessibilité des traitements** afin de permettre aux patients atteints de maladies rares en France de bénéficier au plus tôt des innovations françaises, européennes et internationales.

**Le défi des prochaines années :** Poursuivre le rôle d'incubateur d'innovation des maladies rares en contribuant activement à la mise en œuvre du **Plan Innovation Santé 2030** : sur le développement du numérique en santé, de la bioproduction, sur l'accélération de la recherche translationnelle, et la mise en œuvre d'un **environnement français attractif et compétitif**.

*« La France est précurseur depuis 1997 en Europe dans le domaine des maladies rares, et ses 3 plans nationaux depuis 2005 ont permis la mise en place d'une organisation du système de soins qui nous est enviée par de nombreux pays. Collectivement, nous avons en main les atouts pour renforcer notre compétitivité sur les champs de la recherche et de l'innovation et jouer un rôle de choix sur la scène européenne. Accélérer les processus d'innovation est notre priorité. Aujourd'hui, la transversalité représente un enjeu majeur pour dépasser nos limites, éviter les projets redondants et permettre un nouveau cycle d'innovation. Je suis particulièrement heureux qu'autant d'acteurs-clés, dont les travaux sont reconnus internationalement, se mobilisent collectivement pour conjuguer leurs efforts. En développant les échanges, ORPHANDEV facilite les actions communes, dynamise le secteur, augmente la réactivité face aux opportunités. Ce nouveau réseau labellisé F-CRIN constitue une grande opportunité de développer une structure partenariale forte afin de permettre aux patients de bénéficier des dernières innovations, en lien avec le plan Innovation Santé 2030. »* explique le Pr Olivier Blin, coordinateur d'ORPHANDEV.

De nombreux projets industriels à l'initiative tant de grands groupes que de start-up sont d'ores et déjà lancés. Plus d'informations : <https://orphan-dev.org/>

*\*initiés par les entreprises du médicament sur le sol français entre le 1er janvier 2020 et le 31 décembre 2020 - Enquête LEEM 2021.*

#### **A propos de F-CRIN**

Créée en 2012, portée par l'INSERM et financée par l'ANR et le ministère de la Santé, F-CRIN (French Clinical Research Infrastructure Network) est une organisation d'excellence au service de la recherche clinique française. Elle a pour but de renforcer la compétitivité de la recherche clinique française à l'international, d'identifier et labelliser les réseaux de recherche, faciliter la mise en place d'essais cliniques académiques ou industriels, et développer l'expertise des acteurs de la recherche clinique, en mutualisant les savoir-faire, les objectifs et les moyens. L'organisation, qui dispose d'une unité de coordination nationale localisée à Toulouse, a déjà labellisé et fédère actuellement 12 réseaux d'investigation clinique ciblant des maladies d'intérêt général international (Parkinson, Asthme Sévère, Thrombose, Obésité, Cardio-néphrologie, Sclérose en Plaques, Maladies de la rétine, Maladies auto-immunes, Vaccinologie, Cardiologie), 3 réseaux d'expertise et de méthodologie (Maladies Rares, Dispositifs Médicaux, Epidémiologie) et une plateforme de supports sur mesure offrant l'ensemble des services nécessaires à la conduite des essais cliniques. Au total, F-CRIN représente une force de frappe de plus de 1400 professionnels en recherche clinique. F-CRIN bénéficie du soutien de l'ANR, du CHU de Toulouse et de l'Université « Paul Sabatier » Toulouse III. Pour plus d'informations : <https://www.fcrin.org/>