

# INDUSTRIE, INNOVATION ET INFRASTRUCTURE

## Responsables des objectifs

**Ruxandra Draghia-Akli**, les Sociétés Pharmaceutiques  
Jansen de Johnson and Johnson  
**Hans-Georg Eichler**, Association des Organismes  
Autrichiens de Sécurité Sociale

**Avec le soutien de:**  
**Maurizio Scarpa**, MetabERN  
**Anton Ussi**, EATRIS  
**Virginie Hivert**, EURORDIS  
**Simone Boselli**, EURORDIS

## Description de l'objectif

**Créer des infrastructures résilientes, promouvoir une industrie inclusive et durable, et encourager l'innovation pour les personnes atteintes d'une maladie rare.**

Les **séances E** chercheront à créer un écosystème de données sanitaires homogène concernant les maladies rares, en phase avec l'infrastructure résiliente que mentionne Objectif de développement durable (ODD) n° 9.

« Dans les dix années à venir, il faudra prendre l'habitude d'exploiter tout résultat et toute donnée pertinente pour accélérer le diagnostic, orienter les soins et leur gestion, améliorer la coordination des soins, le développement de médicaments, l'ETS et les décisions réglementaires, et pour étayer les politiques de santé. »

Cette vision d'un écosystème de données sanitaires européen homogène pour les maladies rares, tel que décrit dans les recommandations de l'étude prospective Rare 2030, consiste en paysage de données cohérent. Les données épidémiologiques, sanitaires ou issues de la recherche, ainsi que celles portant sur la qualité de vie et les traitements seraient partagées et interconnectées aux niveaux européen et mondial.

Le partage de données serait optimisé entre les infrastructures et les pays, à l'aide de systèmes de codification communs (nomenclature Orphanet), de normes harmonisées et d'exigences d'interopérabilité. Suivant cette vision, les écosystèmes de données nationaux seraient reliés à l'écosystème européen suivant des approches de traitement des données dites « FAIR » (Findable, Accessible, Interoperable and Reusable), à savoir des approches Identifiables, Accessibles, Interopérables et Réutilisables.

Un tel écosystème basé sur les Réseaux européens de référence (ERN), l'Infrastructure européenne des registres de maladies rares (The European Rare Disease Registry Infrastructure, ERDRI) et d'autres infrastructures majeures serait bien ancré au sein de l'Espace européen des données de santé (EEDS). Il profiterait de ce nouveau cadre de partage de données tout en contribuant à construire cet espace en tenant compte des spécificités des données sur les maladies rares, mais aussi des besoins et des attentes de la communauté des maladies rares.

Comment faire pour transformer cette vision en réalité ? La communauté des maladies rares est-elle prête à saisir l'opportunité que représente l'Espace européen des données de santé pour

remédier aux difficultés auxquelles sont confrontées les personnes atteintes de maladie rare ? La réponse est : « pas encore ».

En utilisant le parcours des données de santé comme boussole pour structurer les débats, ces deux sessions aideront à y voir plus clair parmi la myriade d'initiatives existantes et susciteront une discussion franche entre les intervenants. Cette discussion aura pour but de comprendre quelles données sont collectées, pourquoi et à quel moment les parties prenantes en ont besoin. Enfin, seront abordées les conditions acceptables de partage des données de santé collectées et gérées par chaque partie.

Comment nous assurer que les données collectées et utilisées en amont (par exemple, par la recherche, pour établir un diagnostic ou pour prescrire des soins) peuvent être réutilisées en aval (amélioration de la qualité des soins, développement thérapeutique, processus réglementaire, processus décisionnel pour mettre en œuvre des mesures d'action et l'ETS) et inversement? Et comment l'orchestrer ? Quelles mesures immédiates prendre pour poser les fondements d'un écosystème européen de données qui tirerait parti de l'Espace européen des données de santé tout en y contribuant ?

Les **séances F** porteront essentiellement sur le deuxième volet de l'ODD n° 9, c'est-à-dire l'innovation, l'attrait de l'Europe en matière d'investissements et le développement de médicaments, ainsi que la viabilité. Voici les deux principaux objectifs :

- Comment préserver l'attractivité de l'Europe en matière de développement thérapeutique destinés aux personnes atteintes de maladie rare ?
- L'Europe peut-elle être à la fois attractive et durable ?

Pour aborder ces deux questions, nous nous intéresserons à ce qu'il convient de faire pour résoudre les problèmes de cadre qui perdureront si nous continuons à opérer au sein de l'écosystème actuel en matière de développement thérapeutique et d'accès des patients. Quels choix faire si nous voulons créer une société fondée sur la solidarité et l'équité, conformément aux [Recommandations de Rare2030](#) ?

Tout d'abord, si nous analysons le cycle de vie des médicaments, depuis leur développement jusqu'à leur commercialisation, les points à aborder peuvent facilement être identifiés. Le premier d'entre eux est la « vallée de la mort » qui existe d'une part, entre la recherche fondamentale et les débuts du développement, et, d'autre part, la fin des essais cliniques. Cette « vallée de la mort » n'est pas seulement problématique s'agissant des maladies rares, mais il est important d'approfondir plusieurs questions spécifiques ainsi que les moyens de réduire les risques associés au développement de médicaments dans ce domaine. Un autre obstacle majeur tient aux enjeux soulevés par les essais cliniques menés sur de petites populations de patients, que ce soit au plan méthodologique, opérationnel et/ou financier. Cela met en perspective l'importance de la Directive sur les droits des patients en matière de soins de santé transfrontaliers (Directive on Patients' Rights in Cross-Border Healthcare (CBHC)), c'est-à-dire la directive pour les essais cliniques et les différents mécanismes de financement (fonds d'investisseurs providentiels et privés, partenariats et sources de financement publics, privés et/ou public-privé). Le troisième point de friction, mais pas le moindre, concerne la fragmentation du marché communautaire : les médicaments font l'objet d'une autorisation européenne de mise sur le marché centralisé, mais les tarifs et les conditions de remboursement relèvent de décisions nationales ou régionales. La révision en cours du Règlement de l'UE sur les médicaments orphelins et du cadre général régissant le secteur pharmaceutique aidera le législateur à résoudre certains problèmes, mais elle ne réglera pas tout. Il faudra réfléchir à

des solutions innovantes concernant la R&D et l'accès aux médicaments, de façon à débloquer le potentiel des maladies négligées aujourd'hui, assurer la production en continu de données probantes, et permettre la défragmentation du marché, avec notamment des nouveaux modèles de collaboration et de financement.

Outre ces améliorations techniques, nous devons réfléchir à la société dans laquelle nous voulons vivre et à la façon dont les personnes atteintes de maladie rare veulent voir l'écosystème évoluer, tout en conservant les maladies rares parmi les toutes premières priorités politiques. Si l'on se réfère aux recommandations de Rare2030 et aux principes de solidarité, d'équité et de justice sociale, quels choix politiques opérer afin de combiner l'attractivité de l'UE pour les entreprises – en veillant à ce que l'Europe soit un bon endroit où investir et innover – et la résilience des systèmes de santé face aux dépenses associées aux médicaments orphelins, mais aussi la réduction des inégalités d'un pays et d'une maladie rare à l'autre ? La question centrale est : comment harmoniser les valeurs tout au long de la chaîne de développement ? Du point de vue des responsables politiques, quel critère devrait régir la répartition des ressources entre les budgets de santé ; comment transformer les payeurs en acheteurs ? Côté développeurs, où en est-on concernant les approches ESG (environnementales, sociales et gouvernementales) dans la perspective des ODD ? Quelles sont les options envisageables pour travailler en amont sur les actifs, sur des prix équitables, sur une tarification en fonction de la valeur, sur les approvisionnements, sur des obligations durables etc. ? Comment faire pour passer d'approches axées sur les profits à des approches sources de bienfaits pour la société et pour l'environnement ? Le statut de « benefit corporations », soit l'équivalent d'entités d'intérêt public, serait-il une bonne solution pour les entreprises ? Faudrait-il associer ce type d'indicateur à ce processus décisionnel fondé sur les valeurs ? Autant de questions que nous aimerions aborder avec vous toutes et tous !

## **Séance E- Le défi des données de santé : construire un écosystème cohésif de données de santé sur les maladies rares**

**Première Session :** Jeudi 30 juin 2022, 14 :00- 15 :30 HNEC

### **Construire un écosystème de données de santé sans faille**

Cette session fera le point sur les besoins des maladies rares dans l'espace européen des données de santé : où en sommes-nous, où allons-nous et où voulons-nous aller ? Comment connecter les données à l'écosystème plus large pour permettre à ceux qui en ont besoin de les trouver et d'y accéder au moment voulu ? Cette session explorera les défis et les opportunités spécifiques à la communauté des maladies rares. Comment pouvons-nous orchestrer l'échange et quelles actions clés immédiates sont nécessaires pour construire un écosystème de données de santé sans faille ?

Pour ce faire, nous aurons une vision claire de la feuille de route conçue dans le cadre de l'EHDS (définition, champ d'application, limites et calendrier) et nous réfléchirons également à la manière dont elle se rapporte au niveau des États membres. Nous entendrons ensuite parler de l'actuel projet pilote mis en place pour les maladies rares et verrons quelles opportunités il offre à l'ensemble de la communauté. Enfin, nous nous inspirerons de la situation de COVID qui semble nous montrer que les problèmes ne sont pas techniques et que lorsqu'il y a de la volonté et un budget, rien n'est impossible - comme le sous-titre de notre conférence, mission ...possible.

**Présidé par :** Marc Hanauer, Co-directeur et Directeur de la Stratégie d'Innovation, Orphanet

**Conférenciers :** À confirmer

---

**Deuxième Session :** Jeudi 30 juin 2022, 16 :00- 17 :30 HNEC

### **Comment tirer le meilleur parti des ERN et améliorer l'efficacité de l'ensemble du système ?**

Cette session couvrira la manière dont nous générons des données, la quantité de données générées, à quelles fins et pour qui. Les questions clés sont les suivantes : Comment pouvons-nous mieux utiliser les données pour faire avancer la recherche sur les maladies rares ? Comment mieux activer les données du monde réel (RWD) pour la recherche légitime et la prise de décision ? Comment le GDPR affecte-t-il la recherche sur les maladies rares ?

Au cours de cette session, nous tenterons de trouver des réponses à ces questions tout en déboulonnant certains mythes liés au partage des données. Différents exemples pratiques et initiatives sur les données de santé et les preuves du monde réel seront présentés. Nous identifierons les points de discussion, recenserons les actions nécessaires et établirons un ordre de priorité des actions à entreprendre.

Les conférenciers sont des cliniciens/chercheurs qui travaillent directement avec les données. Ils partageront leur expérience sur la façon de générer des données de bonne qualité, de mieux organiser la collecte de données dans le contexte du diagnostic, de l'épidémiologie, de l'histoire naturelle et plus encore. Ils nous diront également quelles conditions sont nécessaires pour utiliser ou réutiliser les données, quels types de traitement des données sont nécessaires, comment les machines utilisent les données (apprentissage automatique, IA, processus de langues naturelles, algorithmes, mots-clés). Et enfin, qu'est-ce que cela signifie pour les professionnels de la santé, comment offrir un tutorat et une formation aux professionnels de la santé et se préparer aux médecins numériques de 2030 ?

**Présidé par : Maurizio Scarpa**, Coordinateur du Réseau Européen de Référence pour les Maladies Métaboliques Héritaires, MetabERN .

#### **Conférenciers :**

**Prof. Ronald Cornet**, Professeur Associé, Département d'Informatique Médicale à l'Institut de Recherche en Santé Publique d'Amsterdam

**Dr Sergi Beltran**, Chef de l'Unité de Bioinformatique et de l'Équipe d'Analyse des Données du Centro Nacional de Análisis Genómico.

**Dr Francesco Cremonesi**, Directeur technique, Datawizard

**Ronan Fleming**, Professeur Associé, Université nationale d'Irlande, Galway, & Professeur Adjoint, Université de Leiden

### **Séance F : Construire des infrastructures résilientes, promouvoir une industrie inclusive et durable et favoriser l'innovation pour les personnes vivant avec une maladie rare**

**Première Session :** Jeudi 30 juin 2022, 14 :00- 15 :30 HNEC

## Rendre l'Europe attirante pour le développement de thérapies pour les personnes atteintes des maladies rares- s'attaquer à la « vallée de la mort »

Cette session s'attachera à traiter les questions « d'efficacité technique » qui existent en Europe, en se concentrant spécifiquement sur la révision en cours du cadre des incitations, la mise en œuvre du nouveau règlement sur la coopération en matière d'ETS en Europe, et la possibilité d'un accès plus équitable aux thérapies autorisées fournies par les nouveaux modèles.

Cette session se présentera sous la forme d'une série de trois courtes conversations modérées entre les orateurs afin d'analyser les opportunités et les défis qui nous attendent, précédées d'une introduction par le président.

**Présidé par : Ruxandra Draghia Akli**, Chef mondial, R&D en santé publique mondiale chez Janssen Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson.

### Conférenciers:

**Dr Alexander Natz**, Confédération européenne des entrepreneurs pharmaceutiques, Secrétaire général

**Olga Solomon**, Commission européenne - DG Santé et sécurité alimentaire, Médicaments : Unité Politique, Autorisation et Surveillance, Chef d'unité

**Dr Alicia Granados**, Sanofi Genzyme, Responsable mondial de la stratégie scientifique de l'ETS

**Francois Houyez**, EURORDIS, Directeur de l'information et de l'accès aux traitements

**Nathalie Moll**, Fédération européenne d'associations et d'industries pharmaceutiques, Directeur général

**Avril Daly**, Directrice generale, Retina International

**Tamsin Rose**, Membre senior pour la santé, Friends of Europe

---

## Deuxième Session : Jeudi 30 juin 2022, 16 :00-17 :30 HNEC

### L'Europe peut-elle être attirante et durable à la fois ?

Cette session se concentrera sur « l'efficacité allocative » ou sur la manière de distribuer les ressources budgétaires pour les thérapies traitant les maladies rares. En outre, cette session se penchera sur les concepts qui gagnent en maturité pour garantir la durabilité et l'accessibilité financière en Europe par le biais d'approches éthiques (indicateurs ESG, société bénéficiaire, pactes sociaux, etc.)

Cette session débutera par un discours introductif du président (Hans Georg Eichler), suivi d'une série de courtes présentations mettant en lumière les concepts et les progrès réalisés dans l'intégration de nouveaux moyens d'aborder la durabilité et l'accessibilité des thérapies pour les maladies rares.

**Présidé par : Hans-Georg Eichler**, Médecin-Conseil, Association des Assurances Sociales Autrichiennes

### Conférenciers :

**Giacomo Chiesi**, Chef des Maladies Rares Mondiales, Chiesi Group

**Yann Le Cam**, Directeur générale, EURORDIS

**Momir Radulovic**, Agence pour les médicaments et les  
Dispositifs médicaux de la République de Slovénie

**Kasha Witkos**, Vice-président senior et chef de l'international, Alnylam

**Sarah Garner**, Organisation Mondiale de la Santé, Directeur de programme par intérim, Accès aux  
médicaments et aux produits de santé