

→ LE CYCLE DU MEDICAMENT

Témoignage de Stéphanie Sénéchal

EXPOSÉ PRÉSENTÉ AUX MEMBRES DE L'AIRG-SUISSE LORS DE L'ASSEMBLÉE GÉNÉRALE
DE L'ASSOCIATION TENUE LE 28 AVRIL 2012

Tout d'abord, merci de me donner l'occasion de vous faire partager mon témoignage.

En novembre 2010, on a diagnostiqué chez moi une maladie rénale génétique, la polykystose hépatorenale autosomique dominante. C'est une des maladies rénales génétiques les plus fréquentes et pourtant aucun traitement n'existe à ce jour. La première question que l'on pourrait se poser est : « pourquoi ? ».

Consultante-qualité pour l'industrie pharmaceutique, je vais essayer de vous donner quelques explications. Lorsque l'on est atteint d'une maladie rare, ce sont des milliers de patients et leur entourage qui sont démunis face à l'absence de traitement.

Très souvent, ils ressentent une certaine frustration, un sentiment de colère en pensant que les grosses firmes pharmaceutiques ne s'intéressent pas à leur cas parce qu'il n'y a pas assez de patients, d'où manque de rentabilité... Mais en fait ce n'est pas si simple !

Lancer un nouveau médicament sur le marché n'est pas chose aisée. Cela représente :

- **de longues années** de recherche et développement,
- **une approbation** au préalable de l'ANSM (Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de Santé),
- **un niveau** de contrôle qualité élevé.

En effet il faut en général un minimum de 12 ans avant qu'un nouveau médicament soit commercialisé. Cela requiert un investissement de plus d'un milliard de francs suisses; mais il est clair que le bénéfice est immense si ce nouveau médicament peut sauver des millions de vie.

PHASE DE RECHERCHE ET DÉVELOPPEMENT :

La phase de recherche et développement est très longue car le principe actif doit atténuer voire guérir la maladie mais il est nécessaire de démontrer que le nouveau médicament apporte plus de bénéfices aux patients qu'il n'entraîne d'effets indésirables. Afin de tester son efficacité et sa toxicité, des tests doivent être faits sur des cellules et des animaux.

Une fois ces tests réalisés avec succès, une nouvelle phase d'études cliniques est réalisée chez les humains.

Ces études sont divisées en 3 phases :

- **Phase 1** : où le nouveau principe actif sera donné à des volontaires sains afin de vérifier la tolérance,
- **Phase 2** : où le nouveau principe actif et/ou placebo seront donnés à quelques sujets malades afin de vérifier l'efficacité de la molécule,
- **Phase 3** : où le nouveau principe actif sera donné à un grand nombre de sujets malades afin de finaliser le développement du médicament et les dossiers d'enregistrement pour les autorités de santé.

PHASE DE COMMERCIALISATION ET DE PHARMACOVIGILANCE :

Lors de la production à grande échelle du médicament, les industriels doivent avoir des processus de fabrication établis, avec des procédures détaillées, des opérateurs formés, un contrôle qualité rigoureux sur le médicament à différentes étapes de la production.

La pharmacovigilance permettra de recenser l'ensemble des effets indésirables relevés par les patients (et potentiels effets positifs pour d'autres maladies). Le brevet arrivera à expiration au bout de 20 ans. L'ensemble des éléments des phases de Recherche & Développement et commercialisation expliquent le processus long et coûteux.

Heureusement, dans le cadre des maladies rares et des médicaments orphelins, le processus peut être accéléré :

- Les autorités prendront en compte le fait que, vu le nombre faible de patients, l'examen des données cliniques tiendra compte de la rareté de la maladie et des investissements qui ont été faits.



- Lors d'une reconnaissance d'un médicament orphelin, l'Etat dans lequel le médicament a été développé ne pourra délivrer l'autorisation de Mise sur le Marché (AMM) pour une molécule différente avec la même indication thérapeutique pendant 10 ans.
- Le laboratoire pharmaceutique aura une garantie d'absence de concurrence pendant 10 ans et une exclusivité au sein de l'Union Européenne (incitation pour les laboratoires à investir et obtenir une certaine rentabilité).

En conclusion, le médicament n'est pas un produit comme les autres. Il a de nombreuses exigences et requiert beaucoup d'attention. Il faut souligner que l'Etat favorise maintenant le développement de médicaments orphelins. Il est clair que cela reste un processus très long et que dans de nombreux cas, les études sont arrêtées car les résultats ne sont pas à la hauteur des espérances.

Mais dans certains cas, il arrive que l'on puisse donner une seconde vie à un médicament avec de nouvelles indications thérapeutiques.

C'est le cas pour le Sirolimus® qui, après avoir été utilisé comme un immunodépresseur dans les années 70, a démontré des résultats positifs pour la maladie « Sclérose tubéreuse de Bourneville » (maladie autosomique dominante – développement de tumeurs bénignes dans de nombreux organes).

A la fin de cet exposé, certains parents d'enfants malades m'ont fait partager leur reconnaissance pour ces informations mais au fond d'eux-mêmes, ils étaient déçus... car ils ont compris que le processus était long et que pour disposer d'une molécule efficace, cette longueur était le prix à payer !

Malgré cela, je conseille à ces familles de garder l'espoir et d'y croire, comme moi ! Si notre génération n'a encore aucune molécule efficace, nos enfants, demain, ont toutes les chances d'avoir un traitement. Patience... Je finirai ce témoignage par une citation, tirée d'une autobiographie d'une famille touchée par une maladie génétique orpheline: « Deux petits pas sur le sable mouillé », d' Anne-Dauphine Julliand. ■

Je conseille à chaque patient et/ou chaque parent d'enfants malades de la méditer :
« Il faut ajouter de la vie aux jours, lorsqu'on ne peut ajouter de jours à la vie »



Correspondance

Stéphanie Sénéchal
 9 Route Sous-le-Scex,
 CH-1844 Villeneuve,
 Suisse
 stephasen@gmail.com