

Besoins médicaux non satisfaits

Passer du subjectif à l'impératif

Évoquer les besoins médicaux non satisfaits a tendance à faire grincer des dents la plupart des parties prenantes au sujet tant il est complexe de déterminer avec précision les contours d'une notion aussi subjective qu'impatiente. Une acception axée vers les besoins des patients semble pourtant cristalliser un début de consensus, du moins dans l'épineuse question du ratio besoins/satisfaction.

Récemment, l'EFPIA (*European Federation of Pharmaceutical Industries*) a publié les statistiques suivantes: en 2020, 13.437 femmes en Europe sont mortes du cancer du col de l'utérus.

Pourtant l'innovation permet de lutter contre ce fléau, le vaccin contre le papillomavirus réduisant de 90% le risque de contracter ce cancer. Ce sont des millions de familles qui ne perdront pas une sœur, une fille ou une mère.

Environ 15 millions d'Européens vivent avec une hépatite C. Mais grâce à une médecine innovante, il est envisageable que cette situation appartienne au passé pour 95% des patients. En remplaçant une vie de soins par une vie de souvenirs.

Un besoin non satisfait est une condition qui n'est pas correctement prévenue, traitée ou diagnostiquée par des interventions autorisées

Comme le souligne justement l'EFPIA, «la réponse aux besoins médicaux non satisfaits a été le point de départ de toutes ces avancées. Elle est le moteur du travail des 120.000 employés de l'industrie qui occupent des fonctions de R&D dans toute l'Europe et elle oriente l'investissement de 42 milliards d'euros dans la R&D européenne par l'industrie».

De quoi parle-t-on ?

Comme souvent, dans le domaine où la santé publique rencontre l'opinion, se pose une question déontologique et sociétale qui ressemble à «quel est le mieux commun?» Qu'est-ce qu'un besoin, et qu'est-ce que la satisfaction? Aux confins de la philosophie de salle d'attente, vous avez trois heures...

Dans le domaine des besoins médicaux non satisfaits, c'est d'abord au niveau de la définition même du concept que les interprétations divergent. Car le «mieux» diffère selon le point de vue de celui qui le définit: le patient, l'industrie, la structure de soins, la recherche, et le médecin.

Un besoin non satisfait est-il un remède qui existe, mais qui n'est pas assez efficace, un vide thérapeutique, un protocole trop contraignant, un manque infrastructurel ou légal? La maladie que ce besoin combat doit-elle être grave, voire mortelle? Qui définit alors la notion de gravité? Les maladies chroniques entrent-elles dans le champ d'application des besoins médicaux non satis-

faits? On a vite fait de retomber dans le débat déontologique ou moral.

La complexité de la définition est sans doute à l'origine des freins qui touchent actuellement l'élaboration des solutions.

Élargir le champ d'interprétation de la définition européenne

Pour la première fois, en 2023, la Commission européenne a proposé une définition des besoins médicaux non satisfaits dans le cadre de la réforme générale du secteur pharmaceutique. Cette définition est très restrictive, sur les critères que nous avons évoqués (morbimortalité, pas de thérapie existante...) et risque de ne pas combler de nombreuses zones blanches en termes de pathologies comme de prises en charge.

Sur ce point, IML partage pleinement la position d'EFPIA: «Cette définition est trop restrictive. Elle exclut le champ de l'innovation, et ne prend pas suffisamment en compte les besoins des patients».

En partant de l'évolution de la science et des besoins des patients, l'EFPIA considère qu'un besoin non satisfait est «une condition qui n'est pas correctement prévenue, traitée ou diagnostiquée par des interventions autorisées».

Cette acception s'intègre dans une compréhension neutre du point de vue



du contexte et peut être amenée à reprendre certains principes de la justice distributive.

Partir de la demande et non plus de l'offre

La position de l'industrie pharmaceutique est, et doit toujours être, de fournir des solutions afin de répondre aux besoins des patients. C'est pour cela qu'elle est née et continue de travailler.

Or c'est au niveau du ressenti du patient, qui est le seul à vivre sa maladie, que la notion de besoin prend le plus de sens. Le temps est peut-être venu de réfléchir à de nouveaux modèles collaboratifs, inclusifs, pour revenir aux fondamentaux et partir de la demande, acceptée comme une preuve clinique du monde réel.

C'est aussi en cela que réside la beauté de l'innovation: lorsqu'elle sort du labo.

L'utilisation de données de santé complètes et réelles des patients (RWD), segmentées et régulièrement mises à jour, va également contribuer à identifier où sont les réels besoins non satisfaits. Elles s'ajoutent à la nécessité de combiner les avancées technologiques, numériques, citoyennes, cliniques collaboratives, au cœur des enjeux de santé publique des gouvernements.

IML rejoint les positions de l'EFPIA sur la nécessité d'une définition moins restric-

tive des besoins médicaux non satisfaits et défend l'idée d'une prise en compte ascendante des besoins, à la fois agile et mesurable.

Si la qualité de vie globale des patients est l'objectif, la recherche de la qualité de vie thérapeutique en est un moyen majeur. ■

*Aurélie Boob,
Public Affairs Associate, IML*



Dedicated to Life

Innovative Medicines for Luxembourg

L'IML est l'association de l'industrie biopharmaceutique active au Grand-Duché de Luxembourg, regroupant l'expertise des laboratoires actifs dans la recherche et le développement de médicaments innovants au bénéfice des patients.



Innovations des biolabs: répondre aux espoirs des patients

Créer un médicament qui guérit, c'est la cerise sur le gâteau et le rêve de tous les laboratoires. Lorsque le traitement rend la maladie plus supportable, qu'il est moins contraignant à administrer, qu'il augmente significativement la survie et qu'il réduit les effets secondaires, on parle déjà d'innovation. Cela entre pleinement dans le cadre d'une définition plus large des besoins médicaux non satisfaits. Maria Fernanda Prado, directrice générale pour le Benelux chez Johnson & Johnson Pharmaceutical companies, explique comment une innovation thérapeutique peut entraîner une cascade d'effets positifs.

L'EFPIA propose une définition plus large des besoins médicaux non satisfaits, centrée sur le patient, qui encouragerait différentes voies de recherche pour tous les patients. Soutenez-vous cette initiative ?

Maria Fernanda Prado: Oui, je soutiens cette initiative.

La définition actuelle est limitée à des maladies spécifiques mettant en jeu le pronostic vital ou gravement débilatantes, puis aux médicaments qui remplissent certains critères tels que la réduction significative de la morbidité et de la mortalité. Je pense que la préoccupation de l'EFPIA et de notre industrie est de savoir comment nous envisageons le concept d'UMN, dans quelle perspective. Nous pensons qu'il doit être centré sur le patient.

Même si nous disposons de thérapies pour plusieurs maladies difficiles à traiter, la question cruciale est de savoir comment nous pouvons être sûrs d'avoir répondu, de la meilleure manière possible, à tous les besoins non satisfaits de ces patients. Certaines maladies, comme les maladies chroniques, ne mettent pas la vie en danger, mais ont néanmoins un impact significatif sur les patients.

Dans un cadre strict, certains besoins peuvent ne pas être perçus comme non satisfaits parce que la maladie principale est déjà couverte par un traitement.

Cependant, il peut toujours y avoir un besoin substantiel pour le patient, afin d'améliorer son traitement, son adhésion, sa qualité de vie ou même son résultat. C'est pourquoi nous pensons qu'il faut s'assurer que la perspective des patients est prise en compte lors de la définition des besoins non satisfaits.

Quelles sont les dernières avancées de l'industrie en matière d'UMN et avez-vous des exemples spécifiques à partager ?

Maria Fernanda Prado: Il existe de nombreux exemples dans notre secteur, mais permettez-moi de mentionner que l'évolution de l'halopéridol est un exemple important d'innovation progressive qui répond à un besoin médical non satisfait important. L'halopéridol est une substance utilisée comme antipsychotique depuis son invention en 1960. À l'époque, il n'y avait pas d'antipsychotiques, ce qui représentait un énorme besoin non satisfait. Aujourd'hui encore, il s'agit d'un médicament très pertinent qui a ouvert la voie à d'autres ingrédients actifs, d'autres traitements.

Du point de vue des patients psychotiques ou schizophrènes, l'un des principaux problèmes était l'observance, car ces patients avaient des difficultés à suivre le traitement. Lorsque ce médicament a été inventé, il devait être pris sous forme de gouttelettes plusieurs fois

par jour. Faire en sorte que les patients adhèrent parfaitement à leur traitement était, on le comprend, un défi majeur.

Aujourd'hui, des décennies de recherche plus tard, l'administration peut se faire d'une manière radicalement différente. Les nouvelles molécules agissent sur une longue période de diffusion, ce qui permet aux patients de ne se soucier de leur traitement que quelques fois par an. Du point de vue des patients, qui en ont besoin toute leur vie, il s'agit d'une amélioration fondamentale, même s'il s'agit d'une innovation incrémentale classique.

D'autres exemples ?

Maria Fernanda Prado: Nous constatons également la beauté de l'innovation en oncologie, et le traitement du myélome multiple en est un exemple: la thérapie cellulaire offre une nouvelle approche du traitement du cancer en utilisant le système immunitaire du patient.

La thérapie cellulaire CAR-T (*Chimeric Antigen Receptor T-cell*) est une forme spécifique de thérapie cellulaire dans laquelle les cellules CAR-T sont conçues pour détruire les cellules cancéreuses qui expriment un antigène spécifique. La thérapie cellulaire CAR-T est un traitement personnalisé pour un patient donné, basé sur la collecte de ses propres cellules sanguines. Cette technologie de pointe offre des perspectives aux



Il faut s'assurer que la perspective des patients est prise en compte lors de la définition des besoins non satisfaits.

patients chez qui les autres thérapies n'ont pas de résultats ou des résultats insuffisants. Ces solutions s'imposeront dans un futur proche et répondront aux besoins des patients.

Car cela va plus loin: une fois que l'on a déclenché un mécanisme d'action, on fait évoluer une thérapie avec de nouvelles molécules, et maintenant on combine même différents mécanismes sur un même traitement, pour obtenir un résultat supérieur. Tant que nous n'aurons pas trouvé le remède, il y aura

toujours des besoins non satisfaits à résoudre et des améliorations à apporter aux patients. C'est pourquoi je dis que si l'on considère les besoins médicaux non satisfaits uniquement comme des percées thérapeutiques ou dans des domaines très spécifiques et étroits, on risque de perdre de vue ce qu'est réellement un besoin non satisfait du point de vue du patient. C'est pourquoi il est si important d'avoir une définition plus large - en commençant par les yeux des patients. C'est sur ce point que l'EFPIA, les entreprises pharmaceutiques et les associations pharmaceutiques s'accordent et font entendre leur voix dans le cadre du paquet pharmaceutique de l'UE.

Pensez-vous que les entreprises pharmaceutiques sont prêtes à adopter cet état d'esprit, à devenir centrées sur le patient ?

Maria Fernanda Prado: En tant que société, nous aurons des besoins différents en matière de soins de santé à l'avenir. Nous aurons des maladies plus complexes à traiter parce que nous vivrons plus longtemps. Je pense que le secteur est prêt à se surpasser pour répondre à ces besoins. Mais la grande question est de savoir si toutes les parties prenantes sont sur la même longueur d'onde. Je crains que ce ne soit pas le cas si l'on examine de plus près cette discussion sur l'UMN. Il y a des perspectives différentes de la part du régulateur européen, des payeurs, des associations de patients et des industries.

Nous sommes prêts à discuter de manière constructive avec tous les partenaires concernés et à aller de l'avant. Dans mon entreprise, comme dans beaucoup d'autres, nous pensons que la santé est un tout. Notre force d'innovation dans le domaine de la santé nous permet de construire un monde où les maladies complexes sont prévenues, traitées et guéries, où les traitements sont plus intelligents et moins invasifs, et où les solutions sont personnelles. ■