

# Pharmaceutiques

Archives

25 septembre 2012

## L'AFM lance l'Institut des biothérapies



**Réussir la transition de la recherche à la clinique, fédérer les compétences et les expertises et attirer de nouveaux partenaires et financements : tels seront les défis que devra relever l'Institut des biothérapies des maladies rares, lancé cette semaine par l'AFM.**

Moins d'un an après l'[annonce de sa création](#), l'[Institut des biothérapies des maladies rares](#) est sur sa rampe de lancement. Bannière commune des instituts et laboratoires de recherche créés sous l'impulsion de l'[Association française contre les myopathies](#) (AFM) et financés majoritairement grâce aux dons du [Téléthon](#), cette nouvelle organisation fédèrera 650 experts des maladies rares. L'évènement sera célébré le 27 septembre 2012 à l'occasion d'un colloque ouvert par Geneviève Fioraso, ministre de l'Enseignement supérieur et de la Recherche.

En réalité, l'Institut fonctionne déjà depuis plusieurs mois : une première convention scientifique s'est tenue en mai dernier, rassemblant 70 chefs d'équipe, pour décider de premiers investissements communs visant à disposer d'outils technologiques de pointe. Des cellules mutualisées, dédiées au développement clinique et affaires réglementaires ou encore à la valorisation, sont déjà en place.

## Développer une culture de recherche translationnelle

« Aujourd'hui nous devons passer de la recherche au développement, de la paille à la validation clinique, détaille Laurence Tiennot-Herment, présidente de l'AFM-Téléthon. Ce changement nécessite que les équipes s'inscrivent dans une démarche translationnelle. Or en France, le fonctionnement en silo prédomine. Dans le cas des maladies rares et des biothérapies, il faut faire sauter ces silos et avoir une vision globale. » Insuffler cette culture aux chercheurs sera l'un des principaux enjeux à relever par l'Institut des biothérapies.

Les défis scientifiques, technologiques et réglementaires sont nombreux. L'Institut devra non seulement améliorer la connaissance des pathologies et développer des biothérapies mais aussi inventer de nouveaux outils

permettant de changer d'échelle pour la production des traitements de thérapie génique ou cellulaire, et réfléchir à de nouveaux schémas d'études cliniques qui permettront d'apporter des preuves d'efficacité sur des effectifs très limités.

L'Institut fait d'ores et déjà figure de modèle dans le monde des maladies rares. C'est la reconnaissance de ce rôle de pionnier qui vaut à l'AFM-Téléthon d'accueillir les 25 et 26 septembre, à Evry, le comité exécutif de l'[International Rare Diseases Research Consortium](#) (IRDiRC).

L'occasion pour ses membres de découvrir Généthon-Bioprod **(1)**, outil de production en grade clinique de produits de thérapie génique : une infrastructure unique en Europe, financée par les dons du Téléthon.

## Démultiplier les moyens financiers

Une visibilité accrue sera essentielle à l'Institut pour attirer des partenaires et des moyens financiers supplémentaires. Les 58 millions d'euros de budget - financés aux deux-tiers par l'AFM-Téléthon - risquent rapidement de s'avérer très insuffisants pour mener à bien tous les projets de développement clinique programmés. « En démontrant notre efficacité, nous pourrions convaincre des partenaires, y compris des partenaires privés, veut croire Laurence Tiennot-Herment. La suite de l'histoire devra s'écrire *via* des partenariats publics privés non lucratifs et des partenariats lucratifs. »

Même si des accords avec des industriels seront nécessaires pour que ces futures biothérapies atteignent le marché, l'AFM entend garder la main. « Tout ce que nous avons fait jusqu'à maintenant, nous l'avons fait grâce à l'argent des donateurs, rappelle-t-elle. Tout partenariat devra s'inscrire dans le respect de nos valeurs. Notre conviction est qu'il faut une construction plus transparente d'un juste prix du médicament : nous souhaitons être une voix qui compte pour construire une logique de prix maîtrisée. »

**Julie Wierzbicki**

**(1)** Toujours dans l'attente de la parution du décret d'application de la [loi de mars 2011](#), permettant à un organisme à but non lucratif de créer un établissement pharmaceutique, Généthon-Bioprod espère être en mesure de déposer un dossier de certification avant la fin de l'année. Un premier lot clinique pourrait alors être libéré mi-2013.