

N° 112– 2015
(21 juillet 2015)

Sommaire

France

- ◆ RIR et RIB sous le signe des maladies rares
- ◆ L'AFSSI s'ouvre à l'international
- ◆ 32,5 millions d'euros pour le premier appel à projets RHU
- ◆ Lancement de l'appel à projets « Partenariats régionaux d'innovations »

Nominations

- ◆ Une vice-présidence biosimilaires au GEMME

En Bref

- ◆ Les hôpitaux autorisés à créer des filiales
- ◆ Fascicule de conseil pour simplifier les procédures d'achats publics
- ◆ L'ANSM passe le relais à la CCI Paris Ile-de-France pour les certificats de libre vente (CLV)

**BioPharmAnalyses vous souhaite de bonnes vacances
et vous retrouvera pour son numéro de rentrée le 24 août**

France

◆ RIR et RIB sous le signe des maladies rares

Pour leur 6^{ème} édition, les Rencontres internationales de recherche (RIR) et la première édition des Rencontres internationales de biotechnologies (RIB) avaient choisi de se concentrer sur le thème des maladies rares et de la médecine personnalisée. Organisées par l'ARIIS (Alliance pour la recherche et l'innovation des industries de santé) et par l'AVIESAN (Alliance nationale pour les sciences de la vie et de la santé), les RIR ont réuni cette année quelque 70 responsables R&D de 23 groupes internationaux et une cinquantaine de chercheurs issus des principaux laboratoires académiques français. Ont notamment été présentées les avancées académiques françaises dans les domaines des ciliopathies, des thérapies géniques du syndrome de Wiskott-Aldrich, du déficit immunitaire combiné sévère lié au chromosome X (DICS-X), de l'adrénoleucodystrophie ou encore de l'utilisation des cellules IPS pour la découverte de candidats médicaments. La ministre de la Santé Marisol Touraine, qui a inauguré cette journée, en a profité pour rappeler le soutien du gouvernement à l'investissement industriel en R&D, avec notamment les quelque 400 millions consacrés au crédit impôt recherche pour le secteur de la santé. La ministre, qui a réaffirmé la place de leader mondial de la France pour la prise en charge des maladies rares, a également fait le point sur le deuxième plan Maladies rares. Actuellement en phase d'évaluation, celui-ci verra son financement prolongé jusqu'au terme de ces travaux en décembre 2016. Enfin, le nouveau secrétaire d'Etat à la Recherche et à l'Enseignement supérieur, Thierry Mandon a indiqué que la création d'une ou de plusieurs plateformes de séquençage de grande capacité à but médical était à l'ordre du jour. Une mission vient ainsi d'être confiée au président d'Aviesan, Yves Lévy, afin d'établir les recommandations nécessaires pour l'introduction du séquençage du génôme entier dans la pratique médicale habituelle au même titre que l'IRM ou le scanner.

Thérapie génique, thérapie cellulaire, maladies neurodégénératives, maladies sensorielles et maladies du vieillissement au menu

Sur ce même thème des maladies rares, les premières Rencontres internationales de biotechnologies organisées par BpiFrance et par le Leem (Les Entreprises du Médicament), visaient quant à elles à favoriser les relations entre biotech françaises et grands groupes pharmaceutiques. Les représentants de 16 groupes pharmaceutiques ont assisté aux sessions de présentation de 16 biotech françaises, sessions qui se sont poursuivies par 85 rencontres BtoB. Outre Genethon, les 15 sociétés sélectionnées se répartissaient entre jeunes entreprises, à l'image d'AAV Life, Horama, Neuradis, Progelifé ou Therachon toutes créées en 2014 et sociétés plus matures à l'instar d'Alizé Pharma, d'Advicenne ou d'Hemarina fondées en 2007. En termes de technologies, quatre sont actives dans le domaine de la thérapie génique ([Genethon](#), [AAV Life](#) [thérapie génique de la cardiomyopathie associée à l'ataxie de Friedreich], [Horama](#) [thérapies géniques de maladies dégénératives de la rétine] et [Lysogene](#) [thérapie génique de la mucopolysaccharidose]) et une dans le domaine de la thérapie cellulaire, [Anagenesis Biotechnologies](#) (cellules souches reprogrammées pour le traitement de la myopathie de Duchenne). En termes d'aires thérapeutiques, trois interviennent dans le champ de la neurologie et des maladies neurodégénératives, Neuradis, *spin-off* du laboratoire I-Stem (maladie de Huntington), Neurochlore (troubles du spectre autistique) et Neuronax (agents neuroprotecteurs et agents réparateurs des tissus nerveux). Dans la région Ouest, Hemarina à Morlaix s'est spécialisée dans les technologies de transporteurs d'oxygène pour la préservation des greffons à transplanter et pour des applications industrielles tandis que le nantais Inflectis Bioscience se focalise sur le développement de médicaments candidats au traitement de maladies dégénératives provoquées par l'accumulation de

protéines anormales. Implantée à Lyon, [Alizé Pharma](#) cherche actuellement un partenaire pour son produit le plus avancé, l'AZP-531 (analogue de ghréline non acylée), qui vient d'entrer en [phase 2](#) pour le traitement du syndrome de Prader-Willi, maladie génétique rare où les patients présentent notamment une hyperphagie avec un risque d'obésité morbide. Enfin, les quatre dernières sociétés sont toutes membres du pôle Eurobiomed dont les thématiques se concentrent en particulier sur les maladies rares et sur la médecine personnalisée. [Advicenne Pharma](#) développe ainsi un porte-feuille de produits et de formulations pédiatriques dans les domaines de l'épilepsie et de la tubulopathie rénale tandis que la montpelliéraine [Sensorion](#), spécialisée dans le traitement des maladies de l'oreille interne, privilégie la sélection de candidats médicaments déjà dérisqués en clinique, avec en particulier la reprise de produits abandonnés dans d'autres indications. Enfin, les deux dernières sociétés, la marseillaise Progelife et la niçoise Therachon ont été toutes deux lancées en 2014. La première vise à développer des solutions thérapeutiques pour le traitement de la progeria, maladie génétique se manifestant par un vieillissement accéléré des enfants atteints tandis que la seconde travaille sur un récepteur des facteurs de croissance, le FGFR3 (*fibroblast growth factor receptor 3*) à activité tyrosine kinase, pour le traitement de la forme la plus courante de nanisme, l'achondroplasie.

- (1) Les 16 groupes pharmaceutiques présents aux RIB étaient Actelion, Amgen, Bayer, BMS, Clevexel, Genzyme, GSK, Ipsen, Janssen, Lilly, Merck KGaA, Pierre Fabre, Pfizer, Roche, Sanofi et Shire. Outre Genethon, les 15 biotech présentes proviennent du pôle Eurobiomed (Advicenne Pharma, Neurochlore, Progelife, Sensorion, Therachon), de la région parisienne (AAV Life, Lysogene, Metafora Biosystems, Neuradis), du pôle nantais (Horama et Inflectis Bioscience), du pôle LyonBiopole (Alizé Pharma) et de BioValley (Anagenesis). Les deux autres sociétés, Hemarina et Neuronax, sont localisées respectivement à Morlaix et à Clermont-Ferrand.

◆ L'AFSSI s'ouvre à l'international

A l'occasion de ses troisièmes universités d'été, l'AFSSI (Association française des sociétés de services et d'innovation pour les sciences de la vie) s'est engagée dans une nouvelle phase. L'[association](#) qui a vu le jour à l'automne 2012, s'ouvre maintenant à l'international avec la signature d'une convention de partenariat avec le canadien Neomed. Alors que la moitié du marché des sociétés de services et d'innovation pour les sciences de la vie se situe en Amérique du Nord, la signature de cette convention vise à faciliter et à stimuler la croissance des adhérents de l'AFSSI en Amérique du Nord, à partir de la plateforme québécoise de Neomed. Cette structure, qui gère deux sites intégrés pour la R&D, l'un à Montréal pour la R&D de petites molécules et l'autre à Laval pour la R&D de produits biologiques et de vaccins, a pour objectif de faciliter l'implantation et de soutenir le développement des sociétés des sciences de la vie. Dans le cadre de cette convention, les membres de l'AFSSI pourront accéder à des procédures spécifiques accélérées pour évaluer l'opportunité et la faisabilité de leur implantation en Amérique du Nord. Un groupe de travail franco-québécois va être créé pour mettre en place les dispositions de cet accord.

Parallèlement, cette troisième université d'été a également été l'occasion pour l'association de dresser les grandes lignes de son action pour les mois à venir. Forte de 120 adhérents dans un secteur qui compte quelque 300 sociétés en France, l'AFSSI, par la voix de son président Philippe Genne, revendique le statut de « prestataire de recherche » pour ses membres qui se positionnent comme des « sociétés à taille humaine » et investissent pour le développement de l'innovation. Des réflexions sont actuellement en cours pour structurer l'offre au sein de consortiums dédiés et faciliter le travail en commun des membres de l'AFSSI. Une première étape en ce sens a d'ores et déjà été franchie avec la réalisation d'une cartographie des prestations proposées par les adhérents. Ces travaux ont conduit à la réalisation d'un moteur de recherche fournissant aux donneurs d'ordre un moyen pour identifier les

prestataires dont ils ont besoin. Une version bêta de ce moteur est maintenant accessible en ligne et l'outil finalisé devrait être en place fin 2015. Avec un plan d'action 2015 axé sur le développement de ses moyens de communication et de lobbying et sur le développement de ses relations avec les structures de recherche publique, l'AFSSI continue à défendre le principe du crédit impôt recherche (CIR) et a rejoint le combat de plusieurs autres associations pour le soutien du CIR. Un courrier a été adressé aux sénateurs pour demander une série d'aménagements au dispositif, avec notamment la possibilité pour l'entité qui réalise la recherche d'inclure cette activité dans son propre CIR lorsque le donneur d'ordres a déjà atteint son plafond de dépenses éligibles et l'égalisation des avantages entre travaux innovants réalisés dans le secteur public ou dans le secteur privé. Enfin, l'association a engagé un travail important pour faciliter le financement des entreprises du secteur. L'objectif ici est de s'appuyer sur le plan Juncker pour mettre en place de nouveaux véhicules de financement accessibles aux sociétés de services et d'innovation dans les sciences de la vie.

◆ 32,5 millions d'euros pour le premier appel à projets RHU

Les quatre premiers lauréats de l'appel à projets « Recherche hospitalo-universitaire en santé » (RHU) vont se partager une enveloppe de 32,5 millions d'euros. Cette action qui s'inscrit dans le cadre du programme des investissements d'avenir (PIA) est destinée à soutenir des projets de recherche portés par des départements hospitalo-universitaires (DHU) ou par des fédérations hospitalo-universitaires (FHU) (1). L'objectif est de contribuer au renforcement de l'activité de la recherche translationnelle en santé et de la recherche clinique et de favoriser des partenariats durables entre équipes industrielles et académiques. Les projets doivent avoir un horizon de réalisation de cinq ans et bénéficient de cinq à dix millions d'euros, le coût complet du projet soutenu devant être trois fois supérieur au montant de l'aide demandée.

Crédité de 32,5 millions d'euros, le premier appel à projet qui a été cloturé début avril dernier a conduit au dépôt de 29 dossiers, dont quatre ont été retenus. Coordonné par le directeur de l'Institut de la Vision, le professeur José Sahel, le programme Light4deaf va bénéficier de 9,5 millions d'euros pour le développement d'un traitement du syndrome de Usher, maladie génétique rare qui se caractérise par une atteinte de l'audition et une perte progressive de la vision. Deux autres projets recevront une enveloppe de neuf millions d'euros, Fight-HF et CARMMA. Centré sur l'insuffisance cardiaque, le premier est coordonné par Patrick Rossignol et vise à redéfinir l'étiologie de la maladie et à établir un profilage des patients afin de repenser la prise en charge grâce à une approche globale de la pathologie. Le second projet, coordonné par le professeur Geneviève Derumeaux, est centré sur l'exploration de nouvelles voies pour la prévention, le diagnostic et le traitement des comorbidités de l'obésité. Enfin, le projet Bioart-Lung 2020 recevra cinq millions d'euros pour développer un poumon bioartificiel destiné au traitement de patients atteints d'hypertension pulmonaire. Les travaux coordonnés par Olaf Mercier (DHU Torino – Thorax Innovation), visent la mise au point d'un dispositif implantable utilisant une source d'énergie portable pour favoriser l'autonomie des patients. Le second appel à projets RHU doit être lancé dans les semaines à venir et sera doté d'un montant de 167,5 millions d'euros.

- (1) Les fédérations hospitalo-universitaires (FHU) issues elles aussi du PIA sont des entités menant des activités de recherche reconnues dans le cadre d'une convention tripartite entre un CHU, une université et l'Inserm ou un autre organisme membre d'Aviesan.

◆ Lancement des appels à projets « Partenariats régionaux d'innovations »

Les appels à projets du dispositif « Partenariats régionaux d'innovation » (PRI) menés dans le cadre du programme des investissements d'avenir (PIA) viennent d'être lancés dans quatre grandes régions (Alsace-Champagne-Ardenne-Lorraine, Nord-Pas de Calais-Picardie, Pays de la Loire et Provence-Alpes-Côte-d'Azur). Doté d'une enveloppe globale de 20 millions d'euros dans chacune de ces régions, le dispositif propose aux PME un soutien financier pour leur permettre de concrétiser leurs projets d'innovation. Les projets qui sont instruits « au fil de l'eau » par Bpifrance et par un comité de sélection dans chaque région peuvent ainsi être financés sous la forme de subventions d'un montant maximum de 200 000 euros pour les projets au stade de la faisabilité et d'avances récupérables d'un montant maximum de 400 000 euros pour les projets de développement ou d'industrialisation. Les projets doivent par ailleurs s'inscrire dans les secteurs stratégiques reconnus comme prioritaires dans les contrats de plan Etat-Région pour 2015-2020.

Dans les régions Pays de la Loire et Provence-Alpes-Côte-d'Azur, les appels à projets sont ouverts jusqu'au 1^{er} mai 2016. Pour les Pays de la Loire, les domaines retenus dans le secteur santé se concentrent sur les thérapies de demain et visent trois axes majeurs : médecine personnalisée, biothérapies, immunothérapies, immunologie et oncologie ; radiopharmaceutiques, médecine nucléaire, rayonnements ionisants et médecine réparatrice et régénératrice, transplantation, bioinformatique. Pour la région Provence-Alpes-Côte-d'Azur, les thèmes sélectionnés en santé portent sur l'amélioration de la prise en charge du patient, notamment en développant des produits et services relatifs au dépistage précoce, au diagnostic médical et au développement de dispositifs médicaux, sur la structuration de la silver économie et le développement des solutions d'e-santé, et sur la prévention des maladies par la promotion de l'alimentation méditerranéenne. Enfin, pourront également être soutenus des projets contribuant au développement de technologies clés (photonique ; nanotechnologies, micro et nanoélectronique ; semi conducteurs et technologies clefs du numérique et biotechnologies).

Dans les régions Alsace, Champagne – Ardenne, Lorraine et Nord - Pas de Calais – Picardie, les appels à projets sont ouverts jusqu'au 30 juin 2016. Pour la future région Alsace, Champagne – Ardenne, Lorraine, les projets éligibles relèvent de la santé et de la silver économie et devront viser le développement de technologies et systèmes d'information pour faciliter l'autonomie des patients en lien avec le vieillissement de la population, de dispositifs médicaux implantables de rupture, d'outils d'assistance au diagnostic et à l'acte basés sur l'imagerie médicale ou encore la mise au point de nouveaux médicaments et de nouveaux modes d'administration qui associent chimie et biologie. Entrent aussi dans le cadre du dispositif PRI les projets destinés à la mise au point d'une offre robotique d'assistance aux gestes techniques et médicaux et chirurgicaux de la conception à la commercialisation. Pour la future région Nord Pas de Calais Picardie, les axes retenus concernent les thèmes de la chirurgie reconstructrice et santé/biotechnologies, des technologies de la santé dans le contexte du vieillissement de la population, de la prise en charge personnalisée du patient (outils diagnostiques et thérapeutiques, nouveaux médicaments), et de la lutte contre les pathologies de civilisation (obésité, diabète, maladies cardio-vasculaires...).

Nominations

◆ Une vice-présidence biosimilaires au GEMME

L'association française des industriels du médicament générique, le GEMME, vient d'élire son nouveau comité directeur qui comprend dorénavant cinq vice-présidences. Ce choix est destiné à assurer une meilleure représentativité des membres du GEMME, avec des vice-présidences dédiées respectivement aux biosimilaires, aux affaires économiques et à l'hôpital, aux affaires publiques et juridiques, aux affaires générales et à la communication et aux affaires scientifiques. La création d'une vice-présidence biosimilaires doit en particulier contribuer au développement de la Commission Biosimilaires du GEMME qui souhaite développer avec les professionnels de santé et les patients la confiance autour de ces produits.

Le nouveau comité directeur du GEMME est présidé par Erick Roche (Laboratoires Teva) qui succède à Pascal Brière (Biogaran). Les vice-présidences sont assurées respectivement par Frédéric Girard (Sandoz) pour les biosimilaires, par Pascal Brière pour les affaires économiques et l'hôpital, par Artur Cwiok (Mylan) pour les affaires publiques et juridiques, par Stéphane Joly (Crispers) pour les affaires générales et la communication et par François Douere (Ranbaxy groupe Sunpharma) pour les affaires scientifiques.

En bref

◆ **Les hôpitaux seront dorénavant autorisés à créer des filiales.** Cette disposition figure dans la loi pour la croissance, l'activité et l'égalité des chances économiques, dite loi Macron qui vient d'être adoptée par l'Assemblée nationale. La mesure vise deux objectifs principaux. Il s'agit à la fois de permettre aux établissements de santé français de répondre à des appels d'offre internationaux pour la conception, la construction et/ou la réorganisation d'hôpitaux à l'étranger et de faciliter le soutien aux jeunes entreprises. Ici, l'objectif est de faciliter la diffusion de l'innovation en donnant aux hôpitaux la capacité d'entrer au capital de jeunes entreprises créées sur la base de travaux de recherche menés en leur sein.

◆ Alors que le décret portant application des mesures de simplification issues des nouvelles **directives européennes « Marchés publics »** est entré en vigueur à l'automne dernier, le ministère de l'Economie, de l'Industrie et du Numérique vient de publier un [fascicule](#) de dix conseils pour les acheteurs publics (*BioPharmAnalyses* n°78). Ce document vise à les inciter à rendre leurs procédures d'achat plus simples et plus accessibles pour les entreprises, et en particulier pour les PME et les TPE. L'objectif est notamment de les encourager à mettre en œuvre toutes les marges de manœuvre dont ils disposent pour simplifier les procédures d'achat.

◆ **A compter du 5 octobre 2015, la Chambre de commerce et d'industrie Paris Ile-de-France** (CCI Paris Ile-de-France) assurera l'émission des certificats de libre vente (CLV) pour les médicaments à usage humain, les dispositifs médicaux (DM) et les dispositifs médicaux de diagnostic *in vitro*. La gestion et la délivrance de ces certificats d'exportation de produits de santé étaient assurées

jusqu'à présent par l'Agence nationale de sécurité des médicaments et des produits de santé (ANSM) qui vient de les transférer à la CCI dans le cadre d'une convention signée le 17 juillet 2015. Destinés à faciliter les démarches d'exportation des sociétés françaises vers des pays hors UE, ces certificats attestent que les produits exportés ont bien reçu une autorisation de mise sur le marché, et ne sont frappés, au moment de l'émission du certificat, d'aucune suspension ou interdiction de commercialisation émise par les autorités compétentes. La convention prévoit les modalités d'accompagnement du transfert de ces activités dont la date est fixée au 5 octobre 2015 et un accompagnement dédié sera mis en place pour faciliter la transition pour les entreprises. Il sera conduit à évoluer dans les prochaines années puisque la CCI envisage d'ores et déjà de dématérialiser les formalités liées aux CLV.

© *BioPharmAnalyses*. La newsletter *BioPharmAnalyses* est réalisée par Anne-Lise Berthier. Toute copie, diffusion, distribution, reproduction partielle ou totale de cette lettre d'information sont interdites sans accord préalable de la direction de la publication. Pour ne plus recevoir cette newsletter, vous pouvez adresser un mail à alb@biopharmanalyses.fr/ ou à anneliseberthier@yahoo.fr avec la mention Unsubscribe dans l'objet du message.



Bulletin d'abonnement

◆ Je m'abonne à la newsletter hebdomadaire de *BioPharmAnalyses*
au tarif de 500 € HT (600 € TTC) /abonnement/an (44 numéros par an en français et en anglais)

*Abonnements groupés possibles : nous contacter à alb@biopharmanalyses.fr

Vos références et adresses de facturation

Nom : Prénom :

Société : Fonction :

Adresse :

Tél : Email :

◆ Je m'abonne à la newsletter hebdomadaire ET à l'intégralité du site *BioPharmAnalyses*
au tarif de 1 000 € HT (1200 € TTC) pour 1 abonnement/an

*Abonnements groupés possibles : nous contacter à alb@biopharmanalyses.fr

Vos coordonnées pour recevoir vos codes de connexion (à remplir en lettres capitales)

Nom : Prénom :

Société : Fonction :

Adresse :

Tél : Email :

◆ J'accepte les conditions générales d'utilisation de *BioPharmAnalyses*

Conditions générales d'utilisation (CGU) : La structure générale du site *BioPharmAnalyses*, ainsi que les textes, graphiques, images, sons et vidéos la composant, sont la propriété de l'éditeur ou de ses partenaires. Toute représentation et/ou reproduction et/ou exploitation partielle ou totale des contenus et services proposés par le site *BioPharmAnalyses*, par quelque procédé que ce soit, sans l'autorisation préalable et par écrit d'Anne-Lise Berthier et/ou de ses partenaires, est strictement interdite et serait susceptible de constituer une contrefaçon au sens des articles L 335-2 et suivants du Code de la propriété intellectuelle. La marque *BioPharmAnalyses* est une marque déposée par Anne-Lise Berthier. Toute représentation et/ou reproduction et/ou exploitation partielle ou totale de ces marques, de quelque nature que ce soit, est totalement prohibée.

Règlement :

Ci-joint mon chèque à l'ordre de BioPharmAnalyses accompagné du bulletin d'abonnement.

Bon pour accord
(signature et cachet)

Fait le :/...../.....

A retourner accompagné de votre règlement à :

Sarl BioPharmAnalyses

11, rue de Paris

92100 Boulogne-Billancourt

Email : anneliseberthier@yahoo.fr

Tél : 06 86 68 32 20

Les informations personnelles vous concernant sont destinées à la Sarl BioPharmAnalyses, éditeur de BioPharmAnalyses. Elles sont nécessaires au traitement de votre demande et à la gestion de votre abonnement. Conformément à la loi Informatique et Libertés vous disposez d'un droit d'accès et de rectification relativement aux informations vous concernant que vous pouvez exercer à tout moment en écrivant à l'adresse suivante : Sarl **BioPharmAnalyses**, 11, rue de Paris, 92100 Boulogne-Billancourt.