



Accès aux thérapies innovatrices

Dr. Khalil A. Kadaoui
Market Access, Novartis Pharma
09 juin 2011, Hôtel Hilton Alger

American Society of Oncology, 3-7 juin 2011, Chicago

THE WALL STREET JOURNAL.

WSJ.com

JUNE 5, 2011, 5:06 P.M. ET

Two Melanoma Drugs Prolong Survival for Some Patients

By THOMAS GRUYTA

CHICAGO—Two therapies showed success in prolonging survival of newly diagnosed patients with melanoma, a deadly form of skin cancer.

The drugs—Yervoy from Bristol-Myers Squibb Co., and vemurafenib from Roche Holding AG and Daiichi Sankyo Co.—use chemistry different

U.S. last year, with about 8,700 deaths, according to the National Cancer Institute. To be effective, the disease needs to be caught early, and advanced forms of the disease are more than a year after diagnosis.

But these patient



Le secteur de la santé est en pleine mutation



Vieillesse démographique

Le vieillissement démographique est un phénomène mondial. Les besoins médicaux augmentent et ceux qui doivent en assumer les coûts réagissent vivement.



Evolution des modes de vie

Les mauvaises habitudes alimentaires et la sédentarité font augmenter la prévalence des maladies chroniques



Marchés émergents

La croissance économique des pays émergents facilite l'accès aux soins.

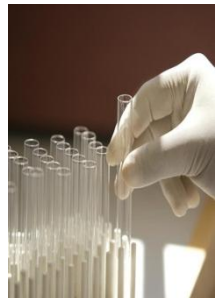
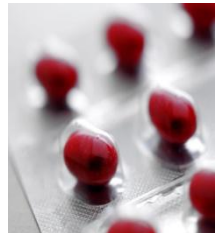
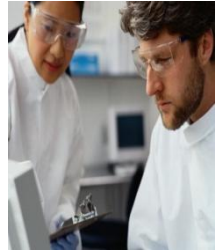


Progrès technique et scientifique

Le progrès technique permet de mettre au point des médicaments novateurs tout en rendant l'innovation plus coûteuse.

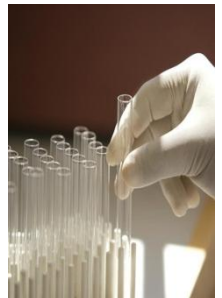
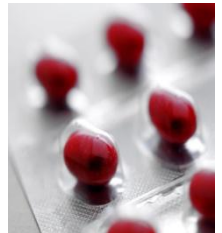
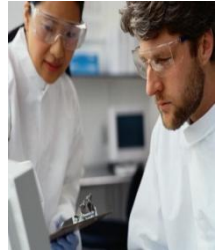
Dilemmes..

- **Les nouvelles thérapies sont rares et coûteuses ..**
- **Les lois sur le prix et le remboursement sont de plus en plus strictes pour contrôler les dépenses**
- **Les autorités doivent garantir l'accès aux soins à la population**



Coté médicament

- **En plus de l'efficacité, la sécurité et la qualité de leur produits, les compagnies pharmaceutiques doivent démontrer un rapport coût efficacité positif pour le patient et les systèmes de santé:**
- La phase d'enregistrement permet de démontrer l'efficacité, la sécurité et la qualité des produits pour obtenir une autorisation de mise sur le marché



Taux d'attrition, coûts et temps de développement

	Preclinique		FDA	Clinique			FDA	Marché
Stage	Identif molec + lab test	Tests pre-clin	IND	Phase I	Phase II	Phase III	NDA	Phase IV
Buts	Identif molec et tests prelim		Approb pour test sur l'H	Sûre? PK?	Efficace ?	Efficace/sûre chez ts patients?	Decision d'Enregistrement	Essais sécurité sur long terme
Temps est.	6 – 7 ans		30 jours	1-3 ans	2 ans	3-4 ans	1-4 ans	En cours
Pour chaque 100,000 molécules analysées			100 soumissionn ée pour IND	85 entrent en phase I	70 entrent en phase II	33 entrent en phase III	25-30 soumissionn ées pour NDA	20 entrent dans le marché
Chances de succès	2/10,000 screenées arrivent au marché		20% des IND molecules	23% de phase I	28% de phase II	60% de phase III	70-80% of NDA drugs	
Coûts moyens: environs \$ 1.4 milliards, temps : 7-13 ans depuis IND								

IND : Investigational New Drug (demande d'autorisation de commencer les études)

NDA : New Drug Application (Demande AMM)

Taux d'attrition par aire thérapeutique

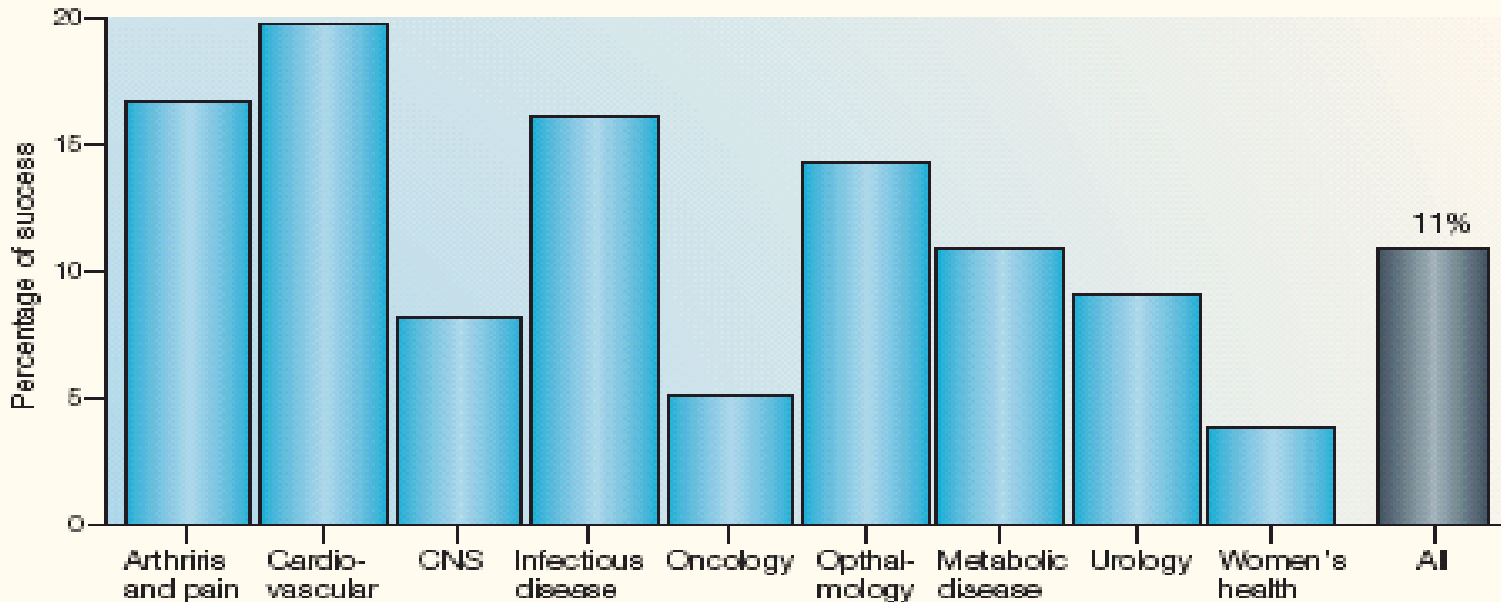
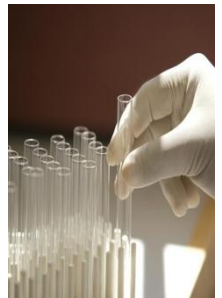
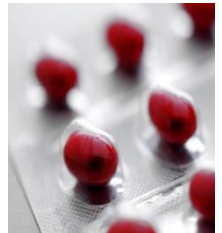
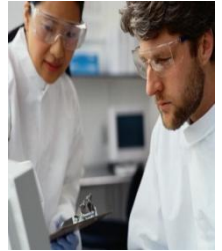


Figure 1 | Success rates from first-in-man to registration. The overall clinical success rate is 11%. However, if the analysis is carried out by therapeutic areas, big differences emerge. The data are from the ten biggest drug companies during 1991–2000. (The companies are AstraZeneca, Bristol-Myers Squibb, Eli Lilly, F. Hoffman-LaRoche, GlaxoWellcome, Johnson & Johnson, Novartis, Pfizer, Pharmacia, Schering-Plough and SmithKline Beecham; data were obtained by Datamonitor in the Pharmaceutical Benchmarking Study). CNS, central nervous system.

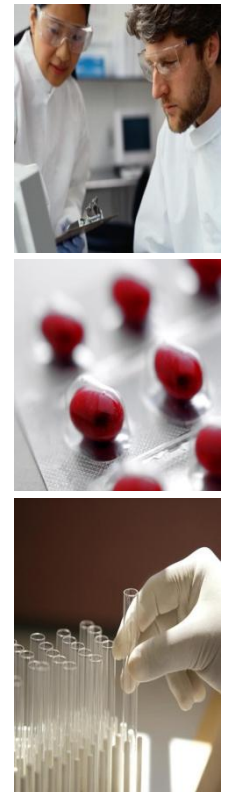
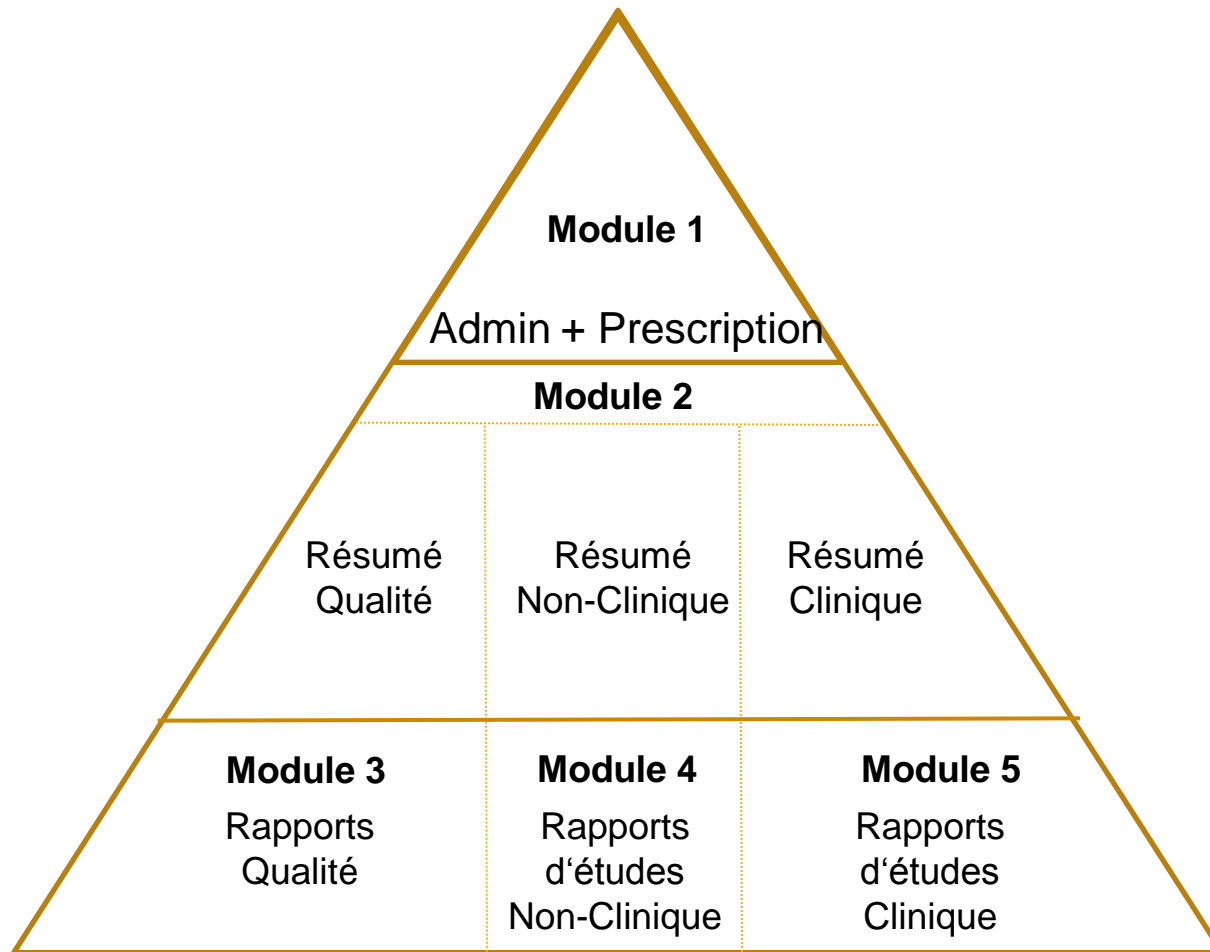
Kola and Landis, Nature Drug Discovery, 3:711, 2004.

Enregistrement des médicaments:

- **En plus de l'efficacité, la sécurité et la qualité de leur produits, les compagnies pharmaceutiques doivent démontrer une valeur ajoutée pour le patient et les systèmes de santé:**
- La phase d'enregistrement permet de démontrer l'efficacité, la sécurité et la qualité des produits pour obtenir une autorisation de mise sur le marché (AMM)

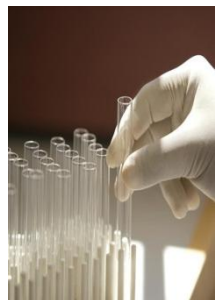
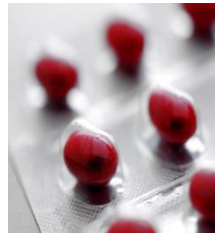
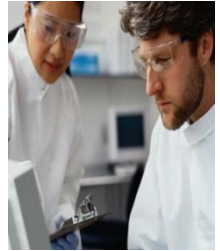


Dossier d'enregistrement: Sécurité, Efficacité, Qualité

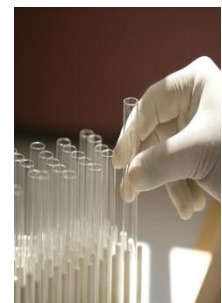
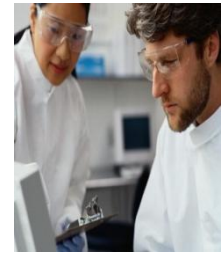
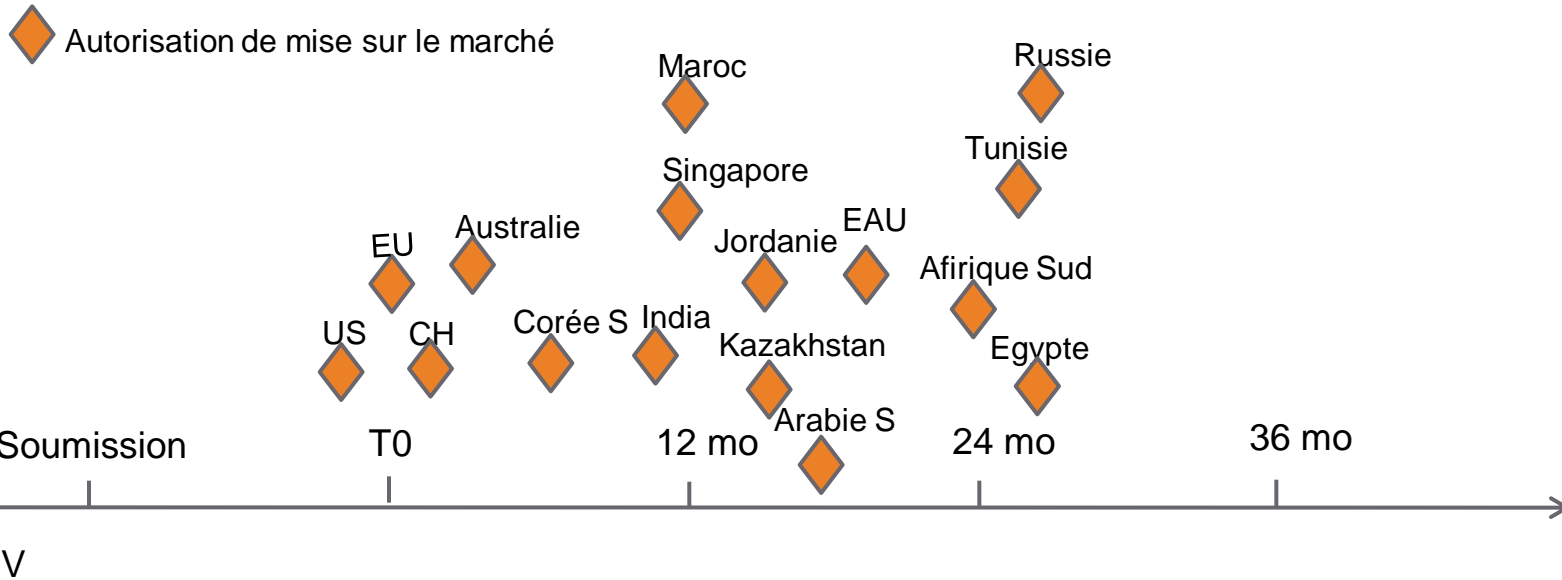


Processus d'enregistrement:

- **Pays de lancement:** USA, Canada, Europe, Suisse, Turquie, Russie, Inde, Afrique du Sud, Australie, pays asiatiques, LATAM,
- **Pays utilisant le pays d'origine comme référence:**
 - Pays avec procédures d'enregistrement facilitées, procédure de reconnaissance mutuelles, acceptation des AMM d'agences référence (FDA, EMA, Swissmedic)
 - Pays avec leur propre procédure d'enregistrement: dépôt de dossier après enregistrement et commercialisation dans le pays d'origine



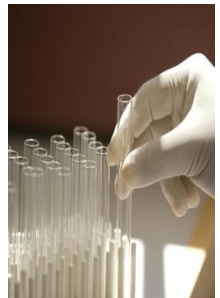
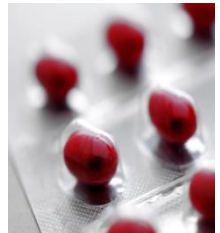
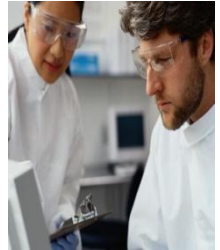
Durées d'enregistrement:



La durée d'enregistrement est un obstacle majeur à l'accès aux patients

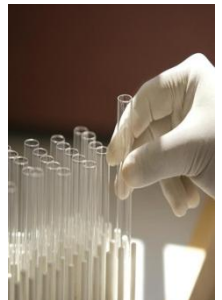
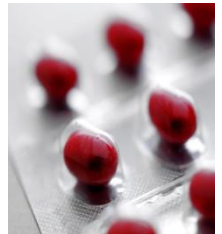
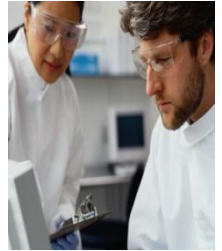
Mesures facilitant l'accès pendant l'enregistrement

- **Enregistrement accéléré pour les maladies rares:** encouragement des gouvernements aux compagnies à investir dans les maladies rares: exonération des taxes, rallongement des brevets, durée d'enregistrement courts, applications communes aux USA, EU, JP, AU, SG.
- **Reconnaitances de l'AMM d'agences références:** FDA, EMA, Swissmedic (Exemple: Maroc, Tunisie), TGA (Australie, exemple Nouvelle Zélande):
- **Minimum: Dépôt de dossier avec preuve de dépôt dans les pays référence:** Pays asiatiques
- **Examen prioritaire:** USA, EU, JP, AU, Inde, Indonésie, Nigeria, Russie, Corée du Sud, Thaïlande, Singapore
- **Participation aux études cliniques d'enregistrement**



Qu'en est-il du prix?

- Le rapport coût/efficacité devient un défi pour accès
- Les patients dans les pays possédant un système d'accès rapide ont plus de chance de survivre.
- Dans les pays avec des restrictions é l'accès aux nouveaux traitements, seulement les patients informés et ayant un accès privilégié aux soins sont avantagés: disparités: Problèmes éthiques!
 - Les nouveaux traitements doivent être proprement évalués sur leur efficacité et bénéfices économiques
 - Les autorités et les laboratoires doivent collaborer pour permettre l'accès aux soins



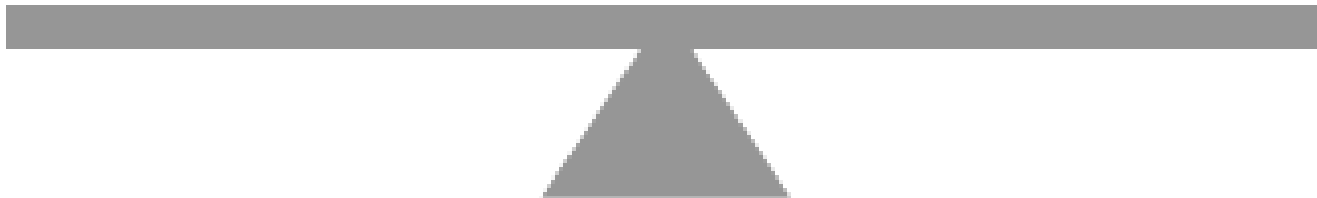
Défis pour les autorités et les pharmas

Autorités sanitaires

- Sous pression des patients
- Cherchent coût/efficacité
- Impact sur budget de santé
- Doivent prédire la valeur pour le patient

Laboratoires

- Sous pression des investisseurs pour amortir les investissements en R&D
- Innovation n'est pas toujours associée à une valeur ajoutée
- Utilisation de recherche sur les effets pour démontrer la valeur
- Modèles de prix pour négocier avec les autorités

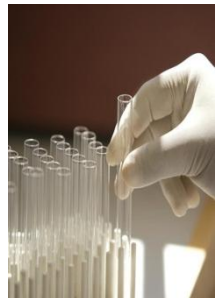
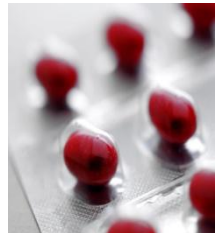
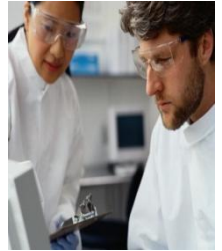


Source: author's analysis

BUSINESS INSIGHTS

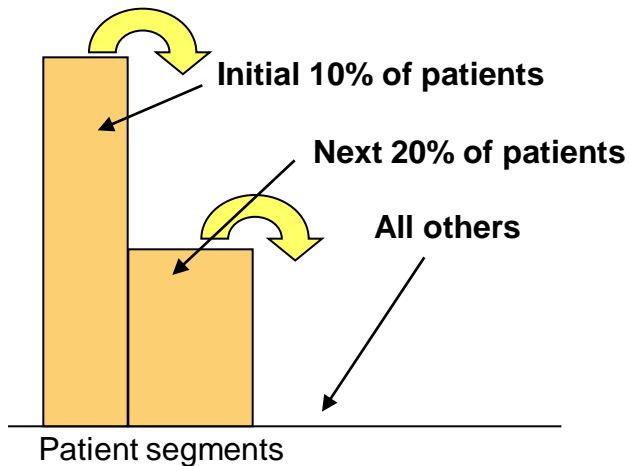
Coté prix..

- Dans un environnement sensible au coûts, il est difficile pour les nouvelles thérapies d'avoir un remboursement
- L'industrie pharmaceutiques est en train de passer à un système basé sur la valeur économique du traitement afin de garantir l'accèsibilité aux traitements efficaces
- Les différents schémas existants ont pour but d'améliorer le coût/efficacité du traitement



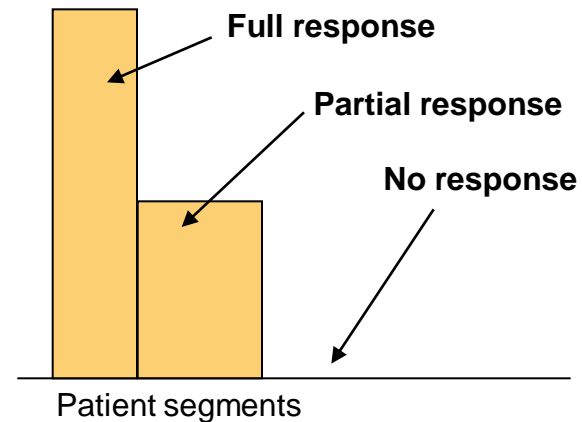
Concept de modèles de prix innovatifs

Modèle financier



- **Arrangements prix/volumes:**
eg: 100% remb pour les premiers 10% des patients, remboursement décroissant pour le reste

Modèle basé sur les effets



- **Satisfait ou remboursé:**
remboursement total pour les répondants, remboursement réduits pour les répondants partiels, pas de remboursement pour les non-répondants

Conclusions

Les lourdeurs administratives sont souvent les barrières à l'accès

La collaboration entre les autorités et les laboratoires est primordiale

L'harmonisation régionale/internationale est importante

Utilisation rationnelle des ressources et planification

Engager les Laboratoires sur les investissements long terme

Le Patient doit être le centre d'intérêt pour les laboratoires et pour les autorités sanitaires