

## POSITION PAPER

### Les 4 propositions concrètes de PPTA France pour contribuer à améliorer la couverture des besoins des patients français en médicaments dérivés du plasma

#### PPTA : Une association qui regroupe les leaders de la production de médicaments dérivés du plasma

L'Association des Fabricants de Protéines Thérapeutiques Plasmatiques (PPTA – pour *Plasma Protein Therapeutic Association*) regroupe les **principaux laboratoires de biothérapies spécialisés dans le développement et la production de médicaments dérivés du plasma sanguin et analogues recombinants**. L'association PPTA a pour mission de contribuer à l'amélioration de la couverture des besoins des patients en protéines thérapeutiques au travers d'un dialogue continu avec les autorités et les agences de santé.

Issus du fractionnement du plasma sanguin et du génie génétique, ces médicaments sont utilisés dans **la prise en charge des maladies rares, notamment des déficits immunitaires, des troubles de la coagulation, en pneumologie et en réanimation**. Médicaments biologiques complexes, ils font l'objet de procédures de fabrication longues et sophistiquées nécessitant plusieurs mois entre la collecte du plasma sanguin et la mise à disposition du produit fini.

En France l'association regroupe les laboratoires Biotest, CSL Behring, Grifols et Shire. Dans leur ensemble, ces entreprises représentent plus de **50% du marché français** des immunoglobulines, en volume<sup>1</sup>. **Leurs produits - dont certains n'ont pas d'équivalents - traitent chaque année des dizaines de milliers de patients** présentant des maladies rares et graves. Plus généralement, les membres de PPTA collectent environ 70% du besoin mondial en plasma sanguin et produisent plus de 80% des protéines thérapeutiques plasmatiques dans le monde. Pour l'Europe, plus de 60% des médicaments dérivés du plasma sont fabriqués par les membres de PPTA.

#### Le contexte : une demande mondiale croissante qui fragilise l'accès des patients à ces médicaments

Ces dernières décennies, **la demande internationale en médicaments dérivés du plasma sanguin a crû de manière considérable**.

Selon le *Marketing Research Bureau* (MRB), bureau d'analyse spécialisé dans le secteur des médicaments dérivés du plasma, la consommation internationale d'immunoglobuline humaine a plus que triplé entre 2000 et 2016. Le MRB prévoit un maintien de ce rythme de croissance pour les prochaines années<sup>2</sup>.

Comme dans de nombreux pays, et **malgré les efforts importants des industriels et des autorités, la France connaît depuis plusieurs années des difficultés récurrentes** relatives à l'accès des patients à leur traitement en quantité suffisante. Cette situation a conduit, à titre d'exemple, à la mise en place de mesures d'informations spécifiques de la part de l'ANSM<sup>3</sup>.

<sup>1</sup> Données IMS – Volume share of IG Market – All indications

<sup>2</sup> The Worldwide Plasma Proteins Market, 2016 - MRB

<sup>3</sup> [http://ansm.sante.fr/Dossiers/Medicaments-derives-du-sang/Situation-des-approvisionnements2/\(offset\)/0](http://ansm.sante.fr/Dossiers/Medicaments-derives-du-sang/Situation-des-approvisionnements2/(offset)/0)

Néanmoins, compte-tenu de la rareté du plasma sanguin, de la croissance de la demande mondiale pour ce type de produits ainsi que de la complexité de leurs procédures de fabrication, **les membres de PTTA en France invitent les pouvoirs publics à réfléchir aux défis de la filière dans leur globalité** (collecte de plasma sanguin, approvisionnement en produits finis, conditions d'accès au marché, attractivité de la France...) dans le but d'améliorer dans la durée l'accès des patients français en médicaments dérivés du plasma.

**Nos 4 propositions pour contribuer à la réflexion et à l'action publique sont les suivantes:**

---

- 1. Instaurer un dialogue à haut niveau et régulier (trimestriel) entre les décideurs politiques, l'administration et les laboratoires spécialistes des protéines thérapeutiques plasmatiques pour adresser de manière globale les défis de la filière en France (collecte, approvisionnement, accès au marché, attractivité de la France...) et construire sur le long terme la mise à disposition pérenne de ces produits majeurs et indispensables en quantité suffisante pour couvrir l'ensemble des besoins des patients atteints de pathologies rares et graves.**
- 2. Renforcer l'attractivité économique de la France sur le marché mondial des protéines thérapeutiques plasmatiques en reconnaissant la spécificité et la valeur des produits développés et fabriqués par les membres de PPTA (tarifs de remboursement, clause de sauvegarde, clause prix/volume ...).**
- 3. Supprimer les mesures discriminatoires existantes visant spécifiquement les protéines thérapeutiques plasmatiques fabriquées par les membres de PPTA (AMM dérogatoire) et écarter d'éventuelles nouvelles initiatives du même ordre (Label éthique).**
- 4. Reconnaître le caractère indispensable et sécurisé des produits mis sur le marché par les membres de PPTA, par des prises de positions claires des pouvoirs publics dans le débat public**