

I. CONTEXTE ET ENJEUX

Depuis leur apparition dans les années 1970, les médicaments issus de la biotechnologie ont permis un progrès considérable dans la prise en charge thérapeutique de nombreuses maladies graves aiguës ou chroniques, inflammatoires, néoplasiques et même aujourd'hui métaboliques¹.

Longtemps réservées à des maladies dont la prévalence en population générale restait faible voire à des maladies dites « orphelines », les biothérapies sont d'utilisation large y compris dans des maladies aussi fréquentes que la polyarthrite rhumatoïde, les spondylarthropathies, l'ostéoporose, le diabète et même la goutte¹.

La crainte au moment de la substitution était de rigueur jusqu'à la fin des années 2000. Pourtant, contrairement aux génériques classiques dont seule la démonstration d'une bioéquivalence est exigée et exigible par les autorités des tutelles, le développement des médicaments biosimilaires fait face à des contraintes de développement clinique et d'enregistrement élevées.

Il nécessite notamment¹ :

1

**Validation clinique
en phase III**

Exigence réglementaire
obligatoire pour chaque
médicament biosimilaire

2

**Qualité méthodologique
irréprochable**

Scrutée attentivement par
les évaluateurs

3

**Efficacité et sécurité
prouvées**

Sur les populations cibles
de la future AMM



L'ensemble des éléments de preuve clinique et de vie réelle convergent donc dans le sens de l'interchangeabilité des biosimilaires vis-à-vis de leur médicament biologique de référence. Des données de vie réelle doivent continuer à être générées pour conforter les profils de sécurité des médicaments biosimilaires les plus récemment mis sur le marché.

Cependant, au regard de la littérature scientifique actuelle, il semblerait dommage de ne pas promouvoir plus largement l'usage des médicaments biosimilaires compte tenu de leur efficacité et sécurité par rapport à leur médicament biologique de référence².

Chiffres clés du marché des biosimilaires

91,4%

taux de substitution
en milieu hospitalier³

48,8%

taux de substitution
en ville³

600 M€

d'économie
par an⁴

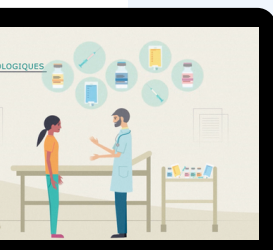
L'enjeu est de taille en termes de disponibilité des traitements pour les patients et de limitation des risques de ruptures de stock⁵.

II. LE MÉDICAMENT BIOSIMILAIRE : DE QUOI PARLE-T-ON ?

Qu'est-ce qu'un médicament biosimilaire ? Définitions

Un médicament biosimilaire est un médicament biologique⁶

Un médicament biologique est un médicament fabriqué par une cellule ou un organisme vivant. Les médicaments biologiques sont par exemple : des hormones (insulines, hormones de croissance...), des vaccins, etc.



Depuis les années 1980, les médicaments biologiques ont démontré leur efficacité dans le traitement de nombreuses pathologies graves ou invalidantes, telles que le diabète, les cancers, les maladies auto-immunes (exemple : sclérose en plaques, polyarthrite rhumatoïde, maladie de Crohn, rectocolite hémorragique...).

© Médicaments biosimilaires en Europe, European Medicines Agency, décembre 2021

Un médicament biosimilaire est un médicament similaire à un médicament de référence⁶

Les médicaments biosimilaires sont quasi-similaires à un médicament biologique de référence dont le brevet est tombé dans le domaine public.

Les premiers médicaments biosimilaires sont apparus en 2006. Les médicaments biosimilaires et leur médicament biologique de référence sont référencés dans la liste des groupes biologiques similaires tenue à jour sur le site internet de l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM).

Le médicament biosimilaire est-il un médicament générique ?⁸

Les médicaments biosimilaires et les médicaments génériques ne sont pas comparables :

- Les matières premières utilisées, les procédés de fabrication, les modes d'action, les procédures d'autorisation de mise sur le marché sont différents ;
- Cette complexité moléculaire impose le recours à de nombreuses méthodes d'analyses physico-chimiques et biologiques qui, combinées, permettront d'évaluer et vérifier au mieux que chaque lot du médicament produit répond à des normes de qualité prédéfinies

III. LES AIRES THÉRAPEUTIQUES

En France, en 2018, 26 médicaments biosimilaires étaient commercialisés, couvrant 8 aires thérapeutiques. Aujourd'hui, les médicaments biologiques sont retrouvés dans 16 aires thérapeutiques majeures.

Il s'agit de traitements très ciblés permettant de traiter des pathologies à fort besoin médical non satisfait, dans des pathologies souvent lourdes et constituent un axe de développement majeur pour l'industrie. L'ANSM estime que plus d'un tiers des produits innovants en développement serait issu de la biotechnologie. En 2024 les médicaments biologiques représenteront 52% du top 100 des médicaments les plus vendus, avec 31% des parts de marché.⁹

Principales aires thérapeutiques concernées :

Infectiologie

Diabétologie

Endocrinologie