

## Les « maladies rares » sont de moins en moins « orphelines » !

Au XXème siècle, les firmes pharmaceutiques et les chercheurs ont été accusés de négliger certaines maladies et de ne faire aucun effort pour trouver des médicaments permettant de les soigner. Ces maladies ont été surnommées « orphelines » parce que personne ne semblait s'occuper d'elles et, parmi elles, celles qui ne touchaient qu'un tout petit nombre de personnes, qualifiées de « maladies rares ».

Vu la rareté de chacune de ces maladies, il paraissait alors absurde d'investir d'énormes budgets de recherche avec un maigre espoir de trouver un médicament qui, de toutes les façons, aurait coûté trop cher à produire.

Au XXIème siècle, la situation a changé : les progrès scientifiques et techniques permettent de « décortiquer » les causes et les mécanismes des maladies rares avec un budget bien moindre. Ainsi, par exemple, le coût et la durée du séquençage du génome des malades ont été divisés par mille. La recherche de médicaments compensant les déficits génétiques est devenue possible. De plus, l'utilisation de plus en plus facile des technologies à base d'ARN messagers permet d'envisager à court terme d'énormes progrès thérapeutiques. Le coût de production de ce type de médicament est devenu gérable et un nombre croissant de « maladies rares » ne sont plus des « orphelines ».

Source : Open Rome

## « Rares »

Qualificatif des milliers de maladies qui touchent moins d'un habitant sur 2 000 (soit moins de 0,05% de la population).

Au XXème siècle, l'industrie pharmaceutique cherchait à produire en très grande quantité des produits vendus quelques dizaines d'Euros la boîte.

Ce « marketing de masse », qui négligeait les maladies peu fréquentes, a donné lieu à de nombreux dérapages et à des scandales sanitaires comme celui du Médiator®, vendu massivement pour maigrir alors qu'il aurait dû n'être utilisé que très rarement dans une indication très différente.

En quelques décennies, l'industrie pharmaceutique a changé de « business model » : elle développe et commercialise à un prix très élevé (plusieurs milliers d'Euros par patient traité) des médicaments destinés à un petit nombre de patients très bien ciblés. Ce « marketing de niche » est apparu en oncologie puis il s'est généralisé, notamment pour les maladies rares.

Ce bouleversement stratégique pose de nouveaux problèmes :  
- Pour les chercheurs, il est devenu très compliqué de trouver les malades pouvant participer à leurs recherches, car ils sont très peu nombreux et, très souvent, ils ignorent qu'ils sont concernés.

- Les soignants doivent acquérir une connaissance très approfondie de nombreuses maladies peu fréquentes pour savoir qui peut profiter de ces traitements.

- Les gouvernements doivent apprendre à négocier des accords « prix-volume » compatibles avec les ressources du pays et modifier les relations recherche-industrie.

Source : Open Rome

## Météo antibio

Grippe, Covid19, infection respiratoire aiguë, gastro-entérite, pollens, pollution aérienne

Le Covid circule mollement, le VRS se calme ; la grippe domine la situation mais son pic épidémique est franchi.

En Chine, c'est un « scénario Australien » qui secoue le pays (cf ddj 2250).

Source : <https://epidmeteo.fr>

Météo de votre région:  
<https://epidmeteo.fr>

## DÉJÀ CHEZ VICTOR HUGO



## Quiz « CO » ?

Cochez la bonne réponse

- complément organique
- cursus original
- chirurgie d'organe
- monoxyde de carbone.

Réponse dans le Doc du jeudi n°2022-52 en ligne sur <https://openrome.org/ddj/annee/2022>

Pour s'abonner (gratuitement) :  
<https://openrome.org/abonnement/ddj>