

Une législation pour les médicaments orphelins

Selon la définition officielle, une maladie est rare quand elle touche une seule personne sur 2.000, c'est-à-dire environ 30.000 personnes en France. Les 500 maladies rares les plus fréquentes concernent en moyenne 600 personnes simultanément dans l'Hexagone. L'identification des mutations génétiques responsables est souvent la première démarche mise en place par les scientifiques pour caractériser ces pathologies. Actuellement, les gènes de 300 maladies rares ont été identifiés ou localisés dans les chromosomes. Presque tous les gènes des maladies musculaires ont ainsi été repérés (voir graphique ci-contre) et dans certains cas les protéines correspondantes ont également été reconnues. Actuellement il n'existe aucun traitement pour la majorité de ces maladies (environ 5.000). En 1999, l'Europe a adopté (20 ans après les Etats Unis) un règlement favorisant le développement de médicaments orphelins spécifiques à ces pathologies. Cette législation dérogatoire (elle accorde un monopole limité dans le temps à l'industriel découvreur de la molécule) a conduit à réévaluer de nombreux médicaments existants. A ce jour, 174 molécules sont éligibles de ce statut et 13 sont en attente d'autorisation de mise sur le marché.

Evolution du nombre de gènes localisés ou identifiés dans les maladies neuromusculaires

(tableau non intégré pour ne pas rendre l'article trop volumineux...)

Le tableau montre une progression très importante du nombre de :

- gènes localisés,
- gènes identifiés,
- Protéines identifiées.

Entre 1996 et 2002, leur nombre a été multiplié par 3.

Le nombre d'affections rares augmente régulièrement: cinq nouvelles maladies sont décrites chaque semaine par les chercheurs.

(Extrait du journal 'les échos' du 16/10/2003)