

**Les maladies pédiatriques au cœur  
du progrès thérapeutique en 2009  
42 solutions thérapeutiques nouvelles**

Le bilan des avancées thérapeutiques 2009, établi sur la base des avis rendus par la Commission de la Transparence<sup>1</sup> fait apparaître 42 solutions thérapeutiques nouvelles, plus particulièrement dans les domaines des médicaments pédiatriques, de l'infectiologie, de la cancérologie et de l'hématologie. Le nombre de champs thérapeutiques couverts est plus élevé que l'année précédente : 15 contre 8 en 2008.

- 1. De nombreuses solutions thérapeutiques nouvelles (11) ont été apportées pour les enfants et les adolescents**, avec des avancées à la fois dans le traitement de maladies spécifiques de l'enfant et dans l'adaptation à la population pédiatrique de traitements auparavant réservés aux adultes. Les améliorations concernent des pathologies du plus jeune âge comme certaines formes graves d'épilepsies (syndrome de Lennox-Gastaut), certaines maladies rares (traitement de l'hyperphénylalaninémie, déficit constitutionnel en fibrinogène, angio-œdème héréditaire, maladie de Niemann-Pick) et des maladies généralement développées par l'adulte et peu fréquentes chez l'enfant (maladie de Crohn).
- 2. La mise à disposition de 5 vaccins contre des maladies graves, comme la méningite et l'encéphalite japonaise** a enrichi la politique de santé publique en apportant des outils de prévention majeurs, là encore majoritairement destinés aux enfants. La recherche en vaccinologie est aujourd'hui très productive et la contribution des vaccins à la prévention des maladies infectieuses ne cesse de se renforcer.
- 3. Le progrès est resté très significatif dans les domaines de la cancérologie et de l'hématologie**, avec des innovations et des indications enrichies dans des cancers fréquents (poumon et colon) et dans des cancers rares (tumeurs stromales gastro-intestinales).

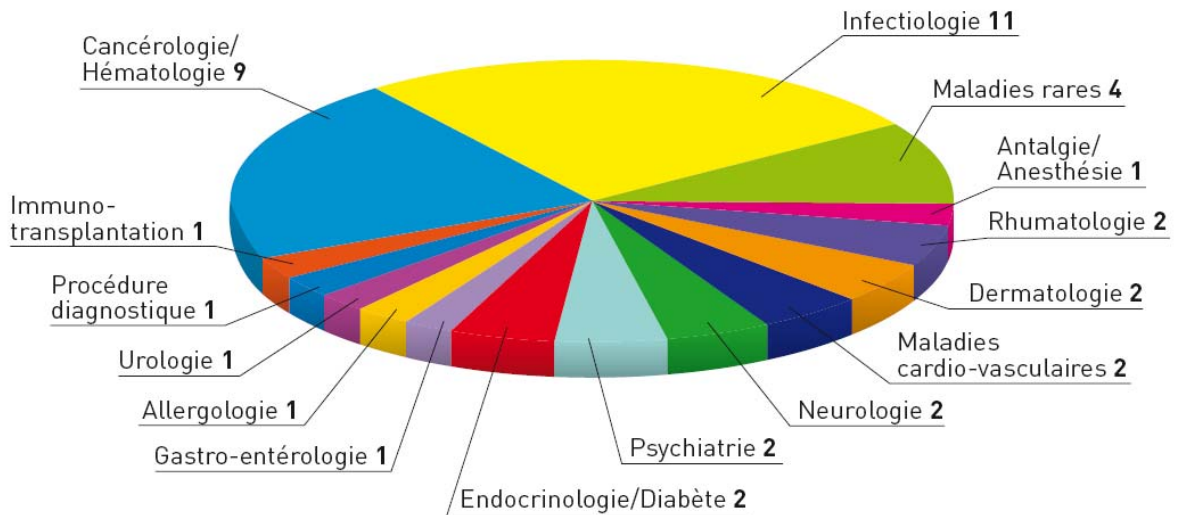
Le classement des avancées 2009 selon leur ASMR donne la répartition suivante : 5 ASMR I, 5 ASMR II, 10 ASMR III et 22 ASMR IV, soit une légère progression des ASMR I et III et une stabilité des catégories des ASMR II et IV par rapport à 2008.

**Le bilan 2009 du progrès thérapeutique en chiffres :**

- 42 solutions thérapeutiques nouvelles en 2009, contre 31 en 2008, 51 en 2007, 58 en 2006 et 48 en 2005. 23 nouveaux produits apportent une amélioration aux malades dans 24 situations pathologiques différentes.
- 11 médicaments déjà autorisés ont enrichi leurs indications thérapeutiques améliorant significativement la prise en charge des patients dans 13 situations pathologiques, notamment en cancérologie (3 dont deux pour le cancer colorectal métastatique) et en infectiologie (infections virales, VIH-1 et hépatite B, infections fongiques).
- 3 vaccins, auparavant de prescription limitée à certaines populations à risque, pourront désormais bénéficier à tous les nourrissons (méningocoque C).
- 2 médicaments commercialisés ont vu leur ASMR réévaluée à la hausse (traitement de la maladie de Parkinson et de l'hyperactivité vésicale).

<sup>1</sup> Ont été retenues les ASMR figurant sur le site de la HAS en 2009 et jusqu'au 20 janvier 2010. Rappelons que L'ASMR (Amélioration du Service Médical Rendu) apprécie l'amélioration du service médical rendu par un médicament par comparaison aux autres médicaments déjà commercialisés dans la même classe. Elle est cotée de 1 à 4, de majeure à mineure.

## Avancées 2009 par aire thérapeutique



« Ce bilan 2009 montre que l'innovation thérapeutique n'est pas tarie. Il paraît même supérieur à celui de l'année précédente, surtout si l'on prend en compte la diversité des aires thérapeutiques concernées. Mais il n'explose pas à la hauteur de la somme des connaissances aujourd'hui à notre disposition. Ce décalage montre bien la nécessité d'une véritable transformation de notre modèle de recherche et de développement, la pluridisciplinarité et les multi partenariats en étant des éléments clés » a déclaré Christian Lajoux, le Président du Leem.

Retrouvez toutes les informations  
du « Bilan des avancées thérapeutiques 2009 » sur la salle de presse. [www.leem-media.com](http://www.leem-media.com)