

## Les maladies orphelines : Un marché de niche qui profite au secteur biotechnologique

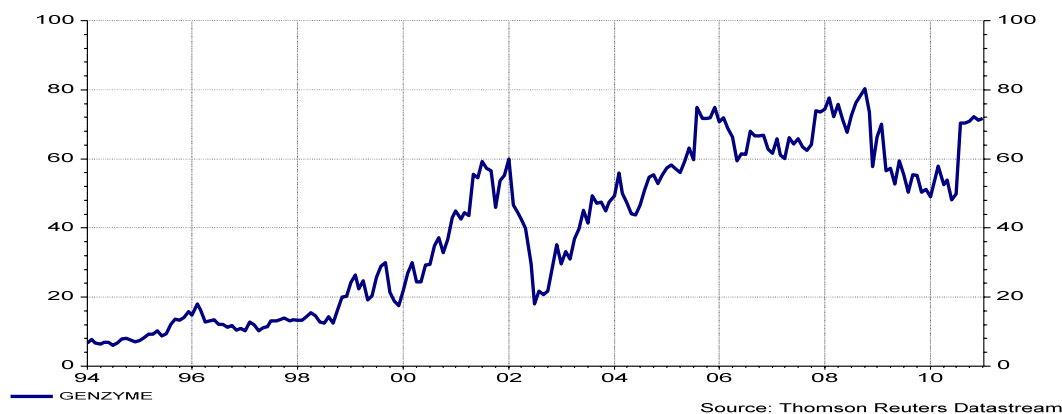
**Le traitement des maladies orphelines est une stratégie de niche qui permet au secteur de la biotechnologie d'apaiser la souffrance des patients tout en générant d'importants bénéfices.**

Les géants pharmaceutiques poursuivent depuis un certain temps déjà une stratégie de masse : ils mobilisent des forces de vente énormes qui rendent visite à des milliers de médecins afin de promouvoir des médicaments contre les infections, la dépression, les insomnies, un excédent de cholestérol, etc., autrement dit des affections qui touchent des millions de personnes. Pendant des années, les patients qui souffraient de maladies rares telles que la fibrose kystique ou la sclérose en plaques ont été délaissés, leur nombre étant jugé insuffisant pour justifier l'investissement; l'unique consolation de ces malades provenait des progrès réalisés par la médecine traditionnelle.

### L'impact de la biotechnologie

C'est alors que les sociétés de biotechnologie sont entrées dans l'arène. Au début des années 1990, Genzyme fut l'une des premières sociétés à percevoir le potentiel des maladies dites "orphelines" et à exploiter les avancées technologies de l'époque pour développer des médicaments spécifiquement destinés à cette catégorie de malades. Vingt ans plus tard, une multitude de sociétés biotechnologiques développent des médicaments contre des maladies extrêmement rares, très peu médiatisées, et connues uniquement des patients malchanceux et de leurs médecins. Néanmoins, les investisseurs ont tout intérêt à s'y intéresser (pour les raisons mentionnées ci-dessous).

Genzyme : évolution du cours de l'action



Quelles sont les types d'affection regroupés sous l'appellation de "maladies orphelines"? Aux États-Unis, la FDA (*Food and Drug Administration*) les définit comme des maladies qui touchent moins de 200 000 Américains. Afin de promouvoir la recherche médicale, les États-Unis fournissent des stimulants fiscaux et garantissent sept ans d'exclusivité de marché pour les médicaments visant de telles maladies. Les autorités sanitaires européennes leur ont emboité le pas, en incluant même des maladies tropicales dans la définition des maladies orphelines tout en accordant une exclusivité de marché de 10 ans pour lesdits médicaments. Durant cette période, aucun médicament générique ne peut être commercialisé, peu importe la validité du brevet.

Malgré leur nom, les maladies "rares" ne le sont pas : selon l'Organisation européenne des maladies rares, environ 5000 maladies orphelines sont connues de la communauté médicale. La plupart du temps, il s'agit de maladies génétiques, donc chroniques, qui affectent fortement la qualité de vie des malades, avec parfois une issue fatale. 30 % des enfants atteints d'une maladie orpheline meurent avant leur cinquième anniversaire.

Nous avons déjà cité la société de biotechnologie américaine Genzyme, qui par ses acquisitions particulièrement visionnaires dans les années 1980, a finalement été l'instigateur de la révolution des recombinants génétiques ayant conduit à la mise au point d'un médicament qui a amélioré de façon spectaculaire la vie des personnes atteintes de la maladie de Gaucher. Cette maladie génétique, décrite pour la première fois en 1982, est causée par une déficience enzymatique en bêta-glucocérébrosidase qui affecte le métabolisme des lipides dans l'organisme. Genzyme a été la première société à reproduire cette enzyme au moyen d'un processus de fabrication de recombinants. Le médicament qui en a résulté a reçu le feu vert de la FDA en 1994 et est commercialisé depuis sous le nom de Cerezyme.

Les ventes annuelles du Cerezyme atteignent aujourd'hui 1 milliard de dollars et l'action Genzyme (qui fait actuellement l'objet d'une offre de rachat par Sanofi) a enregistré une progression de 850 % depuis 1994, soit un rendement annuel composé de 15 %. Depuis, les recherches sur les maladies orphelines revêtent une importance stratégique au sein du secteur biotechnologique.

Rares sont les personnes qui ont déjà entendu parler de l'Hémoglobinurie Paroxystique Nocturne. Les patients atteints de cette maladie souffrent d'une déficience du système du complément (partie du système immunitaire), leurs globules rouges étant détruits par leur propre système immunitaire. Les transfusions sanguines étaient la seule option possible jusqu'à ce que la société de biotechnologie américaine Alexion développe Soliris, un médicament qui bloque partiellement le système du complément. Bien qu'onéreux (390 000 dollars par an), ce médicament est remboursé dans tous les pays développés où il est autorisé et améliore considérablement la vie des patients. Mais ce n'est pas tout : Soliris a également prouvé son efficacité dans le traitement du syndrome aHUS (Syndrome hémolytique et urémique atypique), une maladie également causée par un dérèglement du système du complément qui endommage les reins. Après le syndrome aHUS, Alexion étudie à présent la possibilité d'utiliser Soliris dans le traitement de la maladie des dépôts denses et d'autres dysfonctionnements des reins.

Les ventes de ce médicament enregistrent une croissance exponentielle, au même titre que le cours de l'action Alexion qui a grimpé de 65 % en 2010 après une hausse de 35 % en 2009.

### Un traitement qui aide les patients même s'il ne les guérit pas toujours

Même s'il n'est pas toujours possible de guérir complètement, le traitement des symptômes, souvent graves, peut être très bénéfique pour le patient. Les personnes atteintes de la maladie de Parkinson souffrent fréquemment de baisses de tension lorsqu'ils se lèvent (il s'agit d'hypotension orthostatique neurogène) et les patients les plus touchés passent leurs journées couchés dans leur lit. Etant donné que le seul médicament autorisé contre cette affection présente des effets secondaires très lourds et n'a pas réellement

prouvé son efficacité, il existe un besoin médical énorme dans ce domaine. À cet égard, Chelsea Therapeutics a publié des données cliniques très encourageantes concernant Northera, un médicament à l'étude, qui augmente le niveau de norépinéphrine dans le cerveau et aux extrémités et entraîne une hausse de la pression sanguine. La société est actuellement au stade III (phase finale) des tests mais la FDA semble satisfaite des résultats des tests précédents et pourrait accepter un dépôt de brevet sans devoir attendre les détails de l'étude en cours.

Chelsea Therapeutics, qui a enregistré une hausse de 177 % en 2010, semble toujours un investissement très intéressant.

Le secteur biotechnologique peut également améliorer des médicaments existants qui, en soi, offrent déjà une certaine efficacité. En dépit d'avancées médicales considérables, le traitement de l'hémophilie, la maladie orpheline *par excellence*, pourrait encore être fortement amélioré. L'administration du facteur recombinant VIII ou IX (ces facteurs de coagulation sont absents dans le sang des patients hémophiles) fait aujourd'hui partie du traitement classique. Mais les administrations fréquentes (entre deux et quatre fois par semaine) à des fins prophylactiques surtout, sont très lourdes car elles impliquent le port d'un cathéter permanent. Plusieurs sociétés travaillent à la mise au point de versions à l'action plus longue mais il s'agit d'un défi majeur car le facteur VIII, qui est rapidement métabolisé, est une grosse protéine. Biogen et son partenaire, le suédois Swedish Orphan Biovitrum, ont déjà bien avancé dans le développement de leurs produits qui semblent supporter une dose hebdomadaire dans le cas de l'hémophilie B. Les deux médicaments sont en phase III des tests d'enregistrement et les sociétés espèrent pouvoir les lancer en 2013 et 2014.

Les actions Biovitrum ont bondi de 45 % en 2010 (en monnaie locale) et les nouvelles devraient rester très positives au cours des prochaines années.

Il ne s'agit là que de quelques exemples de sociétés qui ont développé intelligemment de nouveaux médicaments pour le traitement d'une maladie ou de ses symptômes ou qui ont réussi à améliorer des médicaments existants. Plus de 200 médicaments contre des maladies orphelines ont été approuvés par la FDA et chez Dexia Asset Management, nous sommes continuellement à la recherche de nouvelles idées et de nouvelles découvertes médicales. Au vu des 5000 maladies orphelines recensées et des nombreux patients en attente de meilleurs traitements médicaux, nous sommes convaincus que les opportunités futures seront légion pour l'investisseur averti.

Le présent document a un caractère purement informatif, il ne comporte aucune offre de vente ou d'achat d'instruments financiers, il ne constitue pas un conseil en investissement et ne confirme aucune transaction, quelle qu'elle soit, sauf convention contraire expresse. Les informations reprises dans ce document nous ont été transmises par différentes sources. Dexia Asset Management (Dexia AM) apporte le plus grand soin dans le choix des sources de données ainsi que dans la transmission de ces informations. Toutefois, des erreurs ou omissions dans ces sources ou dans ces processus ne peuvent pas être exclues à priori. Dexia AM ne peut être tenue responsable de dommages directs ou indirects résultant de l'utilisation du présent document. Le contenu de celui-ci ne peut être reproduit que moyennant l'accord écrit préalable de Dexia AM. Les droits de propriété intellectuelle de Dexia AM doivent être respectés à tout moment.

Attention : Si le présent document mentionne des performances passées d'un instrument financier ou d'un indice financier ou d'un service d'investissement, fait référence à des simulations de telles performances passées ou comporte des données relatives à des performances futures, le client est conscient que ces performances et/ou prévisions ne sont pas un indicateur fiable des performances futures. De plus Dexia AM précise que :

- dans le cas où il est précisé qu'il s'agit de performances brutes, la performance peut être influencée par des commissions, redevances et autres charges.
- dans le cas où la performance est exprimée en une autre monnaie que celle du pays de résidence de l'investisseur, les gains mentionnés peuvent se voir augmentés ou réduits en fonction des fluctuations du taux de change.

Si le présent document fait référence à un traitement fiscal particulier, l'investisseur est conscient qu'une telle information dépend de la situation individuelle de chaque investisseur et qu'elle est susceptible d'être modifiée ultérieurement. Le présent document n'est pas une recherche en investissement telle que définie à l'article 24, §1 de la directive 2006/73/CE du 10 août 2006 portant mesures d'exécution de la directive 2004/39/CE du Parlement européen et du Conseil. Si la présente information est une communication publicitaire, Dexia AM tient à préciser qu'elle n'a pas été élaborée conformément aux dispositions légales arrêtées pour promouvoir l'indépendance de la recherche en investissements, et qu'elle n'est soumise à aucune interdiction prohibant l'exécution de transactions avant la diffusion de la recherche en investissements.

Dexia AM invite les investisseurs à toujours consulter le prospectus avant d'investir dans un de ses fonds. Le prospectus et d'autres informations relatives aux fonds sont disponibles sur le site [www.dexia-am](http://www.dexia-am).