

# Report to Society 2024



# Préface

L'année 2024 fut mouvementée sur le plan politique : il a fallu trouver de nouvelles équipes de gouvernance aux niveaux européen, fédéral et régional. Elles sont toutes confrontées à des défis majeurs. Il est nécessaire d'améliorer la compétitivité, la croissance économique et l'emploi. Nous devons prendre soin de notre capital humain et de la nature. Et parallèlement, il faut remettre de l'ordre dans les finances publiques.

Dans son rapport sur la compétitivité de l'Europe publié en septembre 2024, Monsieur Draghi a souligné l'importance stratégique de l'industrie pharmaceutique. Non seulement notre secteur contribue à la prospérité économique, mais il représente aussi un puissant moteur pour la santé des citoyens et des patients, ce qui devient primordial pour une population vieillissante. La révision de la réglementation pharmaceutique européenne durant l'année écoulée visait notamment à renforcer la position de l'Europe. Cependant, au niveau de la politique européenne, selon le rapport Draghi, il reste encore de nombreux points à améliorer. Il est clair que l'innovation va se poursuivre. La question reste de savoir où ? Si le positionnement de l'Europe venait à se dégrader, il y aurait aussi des conséquences néfastes pour la Belgique. En effet, notre impact au sein de l'Union est immense.

En témoignent une nouvelle fois les réalisations que pharma.be présente dans ce quatrième « Report to Society ». Durant l'année écoulée, l'industrie pharmaceutique de notre pays a conservé sa position de leader au sein de l'Union européenne en termes de recherche et de développement, de production et d'exportation. Cependant, la position de l'Europe en tant que telle est en train de reculer dans le classement des régions innovantes. En examinant, par exemple, le nombre d'études cliniques menées sur les thérapies cellulaires, tissulaires ou géniques, des pays comme les États-Unis et la Chine nous devancent de loin par rapport à il y a 10 ans.

Au niveau européen, la Belgique se classe première en termes d'investissements dans la recherche et le développement (R&D) par habitant. En Belgique, le secteur investit chaque jour 15,5 millions en R&D. Nous sommes deuxième en Europe quant au nombre d'études cliniques par habitant, au nombre de demandes de brevets par habitant et en valeur ajoutée par travailleur. Nous occupons également la troisième place en Europe pour la création d'emplois.



**Caroline Ven**  
CEO de pharma.be

Si notre pays veut développer l'innovation, il doit continuer à prendre des mesures qui encouragent le progrès scientifique. En l'absence d'incitants à l'innovation, bon nombre des médicaments et vaccins actuellement à disposition n'existeraient tout simplement pas. Ces nouveaux médicaments sont vitaux pour les patients. Ils doivent toutefois être largement et rapidement accessibles. Par rapport à nos pays voisins, le remboursement des nouveaux traitements est lent en Belgique. Il est impératif d'améliorer cela. En collaboration avec les associations de patients et d'autres partenaires de l'écosystème des soins de santé notamment, pharma.be a lutté sans relâche en ce sens au cours de l'année écoulée. Et nous poursuivons nos efforts.

Les données les plus récentes collectées en 2023 montrent que 98 nouveaux médicaments ont été remboursés. Environ la moitié concerne de nouveaux médicaments anticancéreux et immunomodulateurs. Par ailleurs, davantage de nouveaux médicaments contre les troubles du système nerveux et du système respiratoire, entre autres, sont également devenus disponibles. Autant d'innovations très encourageantes pour les patients et leurs proches. Car voilà l'objectif ultime de l'industrie pharmaceutique : plus de traitements de meilleure qualité pour une population en meilleure santé.

Bonne lecture en (re)découvrant les nombreuses activités de ce secteur fascinant !

# Sommaire

## Qui nous sommes

1.1	La mission de pharma.be	4
1.2	Le patient au cœur de notre mission	4
1.3	Aux côtés de 126 membres	5
1.4	Un élément d'un vaste écosystème	6
1.5	Des administrateurs engagés	7
1.6	Une équipe d'experts	8
1.7	Des partenaires spécialisés	9
1.8	Un ancrage international	9

## Ce que nous faisons

2.1	Actif tout au long de la chaîne de valeur	12
2.2	La Recherche et le Développement, moteurs de l'innovation	13
2.2.1	Les investissements en R&D en Belgique	13
2.2.2	Comparatif des investissements en R&D avec l'Europe	14
2.3	Des études cliniques en vue de nouveaux traitements	15
2.4	La prévention, la clé pour un avenir sain	20
2.5	Le besoin urgent en nouveaux antibiotiques	22
2.6	De nouveaux médicaments remboursés pour le patient	23
2.6.1	Selon le type	23
2.6.2	Selon le domaine thérapeutique	24
2.7	Les maladies rares : défis et solutions	25

## Pour qui nous créons de la valeur ajoutée

3.1	Un impact positif pour les patients, le secteur des soins de santé et la société	28
3.1.1	L'impact sociétal des médicaments innovants ne doit pas être sous-estimé	28
3.1.2	La valeur ajoutée des médicaments nouvellement remboursés	30
3.1.3	La thérapie par radioligands, un traitement révolutionnaire contre le cancer	34
3.2	Un impact positif sur l'économie	34
3.2.1	La valeur économique du secteur biopharmaceutique	35
3.2.2	Analyse coût-bénéfice pour l'État belge	45

## Comment nous le faisons

4.1	Nous prenons nos responsabilités	48
4.1.1	Une éthique stricte	48
4.1.2	En répondant aux besoins urgents du patient	54
4.1.3	En s'appuyant sur l'éducation et le dialogue	57
4.1.4	En respectant l'environnement et le climat	60
4.1.5	En prenant soin des personnes et animaux	66
4.2	Nous travaillons ensemble dans l'intérêt du patient	68
4.2.1	Collaboration avec les associations de patients	68
4.2.2	Collaboration pour des données de santé pertinentes	71
4.2.3	Collaboration pour la disponibilité des médicaments et des vaccins	77
4.2.4	Collaboration pour une application correcte de la réglementation européenne	79

Annexe 1	Méthode d'analyse coût-bénéfice	83
----------	---------------------------------	----

Annexe 2	Abréviations	85
----------	--------------	----

Qui nous  
sommes **1**

## 1.1 La mission de pharma.be

En tant que **centre d'expertise et association représentative** de l'industrie **biopharmaceutique innovante**, pharma.be agit comme un **partenaire fiable** qui contribue à la **santé durable de citoyens, de patients et de l'économie** en Belgique par **le partage de connaissance, la collaboration et le dialogue**.

## 1.2 Le patient au cœur de notre mission

Ambassadeur des entreprises biopharmaceutiques innovantes en Belgique, pharma.be instaure un climat économique favorable de manière responsable. L'objectif est de garantir aux patients un accès optimal à l'innovation thérapeutique. Ce faisant, nous contribuons également à l'amélioration du système des soins de santé de la société belge.

### Le manifeste de l'industrie biopharmaceutique en Belgique

**Croquer la vie à pleines dents.** Passer du temps avec ses amis et sa famille. Être en bonne santé. Ces besoins fondamentaux sont communs à tous les êtres humains. Ils déterminent la façon dont nous menons nos vies. Ils sont le moteur de tout ce que nous entreprenons, jour après jour.

Nous sommes 43.000 personnes à travailler pour quelque 126 entreprises spécialisées dans la recherche et le développement (R&D) de médicaments et de vaccins innovants.

**Pour nous, la santé est primordiale :** nous souhaitons que chaque personne vivant en Belgique ait la meilleure vie possible. Par conséquent, nous avons pour mission de fournir des solutions de soins qui font de la Belgique le meilleur pays. Pour grandir, vivre, travailler et vieillir en bonne santé.

**Nous sommes profondément ancrés dans la science.** L'histoire montre que les avancées les plus importantes en matière de soins de santé ont été réalisées en laboratoire. Ces découvertes ont

permis d'améliorer le traitement du cancer du sein ou de traiter le VIH.

**Cependant, la science est un moyen et non une fin en soi.** Nous sommes passionnés par la science, mais uniquement si elle nous permet d'avoir un impact positif sur nos vies. Nous prenons soin des autres.

**Le monde évolue à un rythme effréné :** voyant apparaître de nouvelles pathologies et nouveaux virus ainsi qu'un vieillissement de la population et une numérisation de plus en plus présente. De nombreuses nouvelles questions se posent également. Le progrès scientifique suit rarement une ligne droite. Dans notre secteur, les échecs sont plus fréquents que les avancées. Nous ne pouvons rien y changer. Toutefois, en tant que scientifiques dans l'âme, nous ne nous avouons jamais vaincus. Nous n'abandonnons jamais. Il est de notre devoir de poursuivre la recherche afin d'améliorer la santé de tout un chacun.

**Nous ne sommes pas seuls.** Avec les patients, les médecins, les hôpitaux, les mutuelles, les pharmaciens, les universités, les groupes de recherche, les

pouvoirs publics et le gouvernement, nous sommes tous unis autour d'un objectif commun : garantir les meilleurs soins de santé à la population belge.

**Ensemble, nous veillons à ce que chacun puisse vivre en bonne santé.**

## 1.3 Aux côtés de 126 membres

pharma.be regroupe **126 entreprises biopharmaceutiques** actives en Belgique. On les retrouve dans chaque aspect important de la chaîne de valeur biopharmaceutique : **de la R&D et des études cliniques à la mise sur le marché et à la distribution de médicaments, en passant par la production.**

### Groupe.10 : le moteur de l'innovation et de la santé

Au sein de pharma.be, le *Groupe.10* réunit plus de 70 PME, start-ups et entreprises de biotechnologie. Celles-ci sont actives dans le développement, les études cliniques, la production et la distribution de médicaments.

Ensemble, elles représentent :

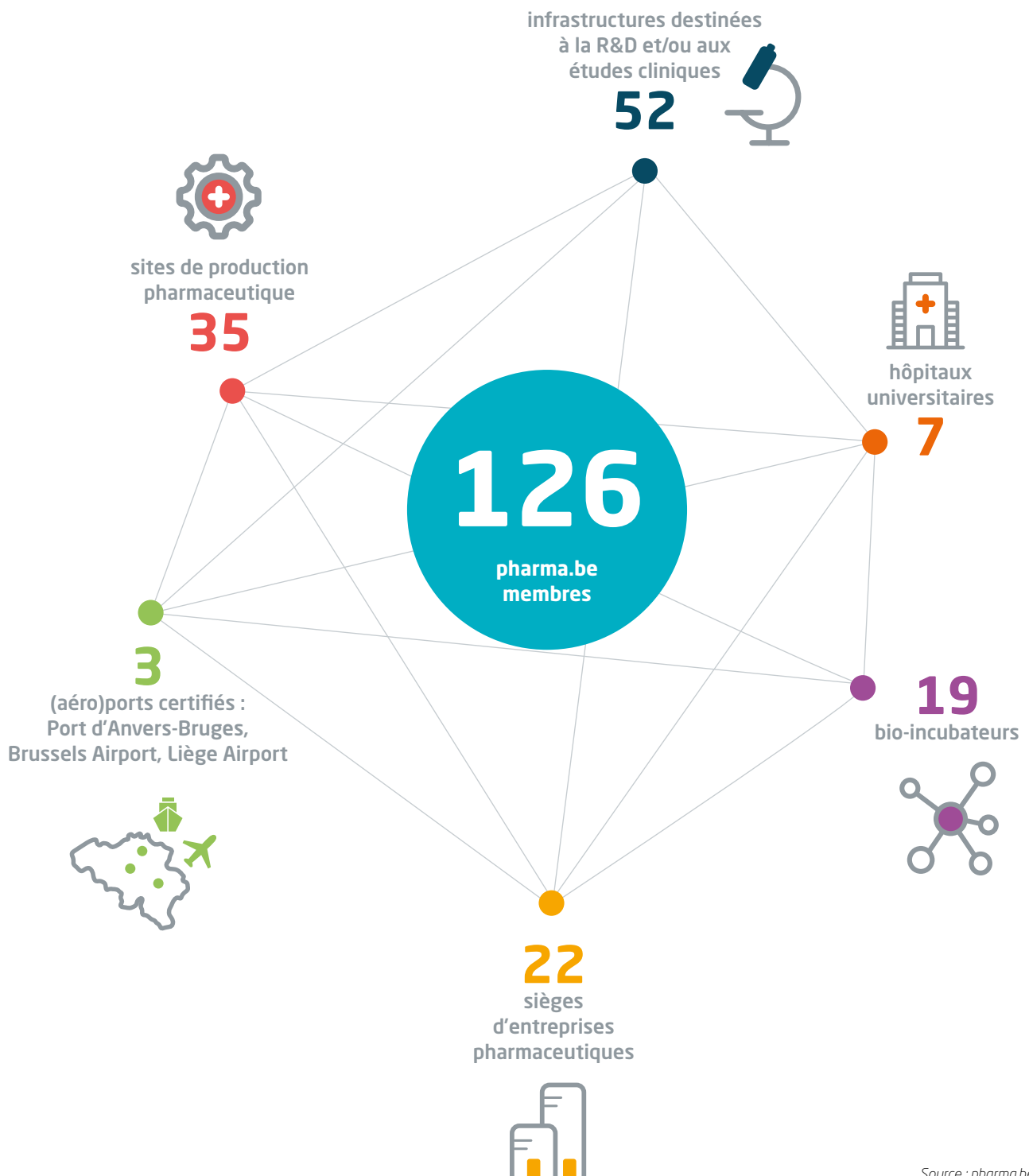
- > **± 10 %** du chiffre d'affaires de l'industrie biopharmaceutique innovante en Belgique
- > **3.382 emplois** en 2023
- > **629** médicaments sur le marché en 2023
- > **477.119 euros** de valeur ajoutée par travailleur en 2023

*Source : pharma.be, d'après IQVIA et Bel-first*

Bien que ces petites entreprises biopharmaceutiques soient particulièrement sensibles à l'évolution des politiques et des conjonctures, elles représentent une force motrice pour l'innovation et la santé.

## 1.4 Un élément d'un vaste écosystème

Les membres de pharma.be font partie d'un **immense écosystème biopharmaceutique belge**, aux côtés des universités et instituts de recherche, hôpitaux universitaires, bio-incubateurs stratégiques, mais aussi des acteurs logistiques tels que les aéroports et le Port d'Anvers-Bruges.



Source : pharma.be

## 1.5 Des administrateurs engagés

Le Conseil d'administration, responsable de la gestion stratégique de pharma.be, est composé de **15 administrateurs**. Le président actuel du Conseil d'administration est Frédéric Clais (Eli Lilly Benelux). Le vice-président est Xavier Hormaechea (UCB). Le mandat des membres du Conseil d'administration est valable trois ans. Ils sont élus lors de l'Assemblée générale.

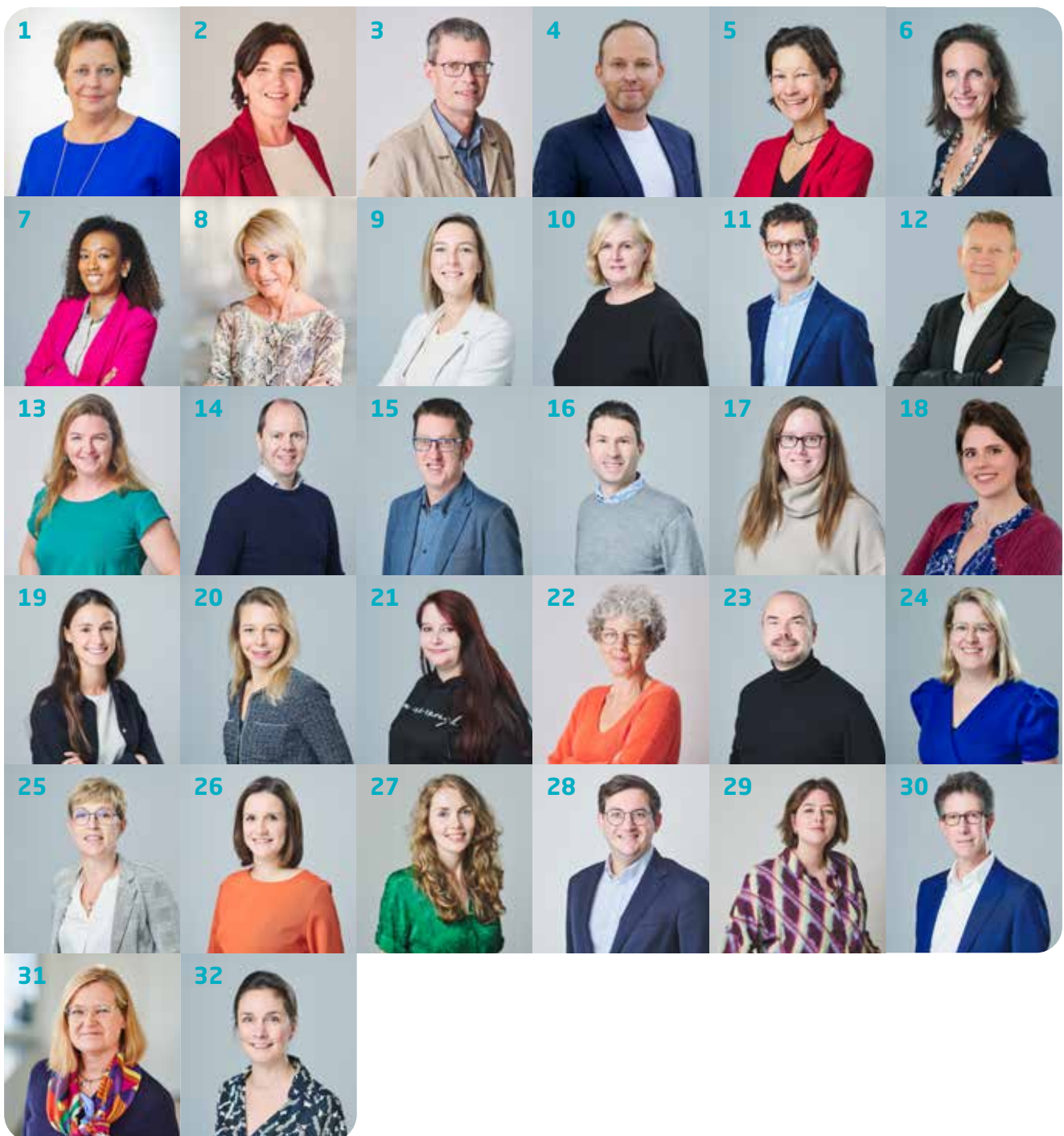


**1 Frédéric Clais** Eli Lilly Benelux **Président pharma.be** **2 Xavier Hormaechea** UCB Pharma **Vice-président pharma.be**  
**3 Renaud Decroix** AbbVie **4 Sara Schaufelberger** Amgen **5 Angela Thompson** AstraZeneca **6 Niels Hessmann**  
Bayer **7 Sally McNab** Bristol-Myers Squibb Belgium **8 Emmanuelle Boishardy** GlaxoSmithKline Pharmaceuticals  
**9 Marleen Hoebus** Janssen-Cilag **10 Katrien De Vos** MSD Belgium **11 Federico Mambretti** Novartis **12 Pfizer**  
**13 Marie-José Borst** Roche **14 Bart Vermeulen** Sanofi Belgium **15 Paul Newton** Vertex Pharmaceuticals

## 1.6 Une équipe d'experts

L'équipe de pharma.be se compose de **32 collaborateurs dévoués**, dotés d'expériences et d'expertises variées. Ils fournissent des services à nos entreprises membres, les représentent au sein des conseils, comités et organes consultatifs concernés, et défendent leurs intérêts à différents niveaux.

Découvrez l'équipe de pharma.be :



**1. Caroline Ven** CEO **2. Ann Adriaensen** Secretary General & Public Health Director **3. Geert Steurs** Economics Director - Chief Economist **4. David Gering** Communications Director **5. Julie Gusman** Market Access Services Director **6. Patricia van Dijck** Political & Medical Director **7. Jennifer Andzouana** Members, Partners & Office Assistant (external) **8. Magali Audiart** Pricing & Market Access Advisor **9. Melanie Balcaen** Finance & HR Manager **10. Denise Blockmans** Webmaster & ICT Manager **11. Thomas Cloots** Economic Advisor **12. Willy Cnops** Life Science Advisor (external) **13. Karen Crabbé** Economic & Health Data Advisor **14. Guy De Backer** IT Consultant (external) **15. Johan De Haes** Public & Animal Health Advisor - SME Account Manager **16. Tom De Spiegelaere** Healthcare Budget Advisor **17. Anne-Sophie Doms** Content Manager **18. Lize Fonteyn** Market Access Advisor **19. Olivia Geldof** Legal Advisor **20. Nathalie Lambot** Public Health & Clinical Trials Advisor **21. Chloé Legrand** Members, Partners & Office Assistant **22. Nathalie Leroy** Personal Assistant to the CEO **23. Filippo Serra** Market Access Advisor **24. Annick Vancutsem** Members, Partners & Office Assistant **25. Carine Vancutsem** Members Partners & Office Manager **26. Marie Vande Ginste** Prevention & Sustainability Advisor **27. Laura Van Eeckhout** Policy Advisor **28. Quentin Vanleeuw** Project & Process Manager **29. Oona Van Nieuwenhove** Public Health Advisor **30. Armand Voorschuur** European Policy and Market Access Advisor **31. Marjan Willaert** Policy Advisor - Market Access **32. Hanne Wouters** Market Access Advisor

## 1.7 Des partenaires spécialisés

Les connaissances biopharmaceutiques et le cadre réglementaire évoluent rapidement, ce qui engendre une complexité croissante. C'est pourquoi nos membres sollicitent de plus en plus l'expertise externe de prestataires de services afin de se tenir au courant des dernières évolutions.

Nous avons développé une offre de partenariat modulaire afin de favoriser le contact et l'interaction entre les membres et les prestataires de services. Nous contribuons ainsi à créer une communauté active, à stimuler les échanges et la mise en réseau entre nos membres et nos partenaires, et à poursuivre le développement de l'écosystème biopharmaceutique belge.

En 2024, 55 organisations étaient partenaires de pharma.be. Ces organisations sont actives dans divers domaines d'expertise, tels que la tarification et le remboursement, l'enregistrement des médicaments, la pharmacovigilance, les études cliniques, la législation, l'observance et le bon usage des médicaments, ou les aspects logistiques.

[Découvrez nos partenaires ici :](#)



## 1.8 Un ancrage international

En tant qu'association, pharma.be bénéficie également d'un ancrage international, principalement en tant que membre de la **Fédération européenne des industries et associations pharmaceutiques (EFPIA)**. L'EFPIA représente l'industrie biopharmaceutique active en Europe. Elle compte parmi ses membres 37 associations nationales, 38 entreprises biopharmaceutiques de premier plan et un nombre croissant de petites et moyennes entreprises (PME). La mission de l'EFPIA est de créer un environnement collaboratif permettant à ses membres de découvrir,

de développer et de fournir de nouveaux traitements et vaccins pour les personnes vivant dans toute l'Europe, et de contribuer à l'économie européenne.

pharma.be est également membre de la **Fédération internationale de l'industrie du médicament (IFPMA)**, qui représente les entreprises biopharmaceutiques innovantes du monde entier ainsi que les associations régionales et nationales.



# Ce que nous faisons 2

## 2.1 Actif tout au long de la chaîne de valeur

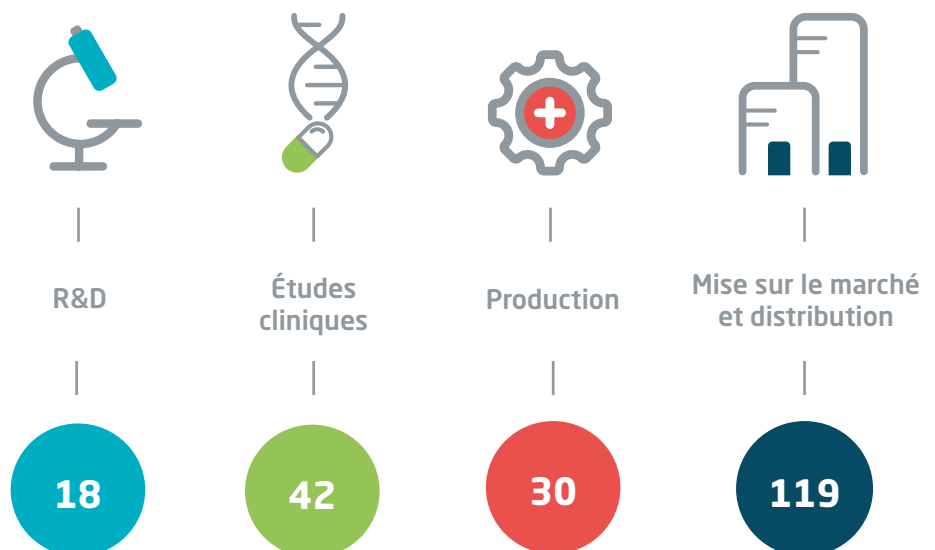
Ensemble, les entreprises membres de pharma.be **occupent une position forte en Europe dans chaque aspect clé de la chaîne de valeur biopharmaceutique** : de la R&D aux études cliniques au lancement sur le marché et à la distribution de médicaments, en passant par la production. Elles doivent cette force à une combinaison unique d'un écosystème bien développé, d'une main-d'œuvre hautement qualifiée et d'une collaboration étroite avec les pouvoirs publics et les centres de recherche.

Les avantages d'une approche intégrée de la chaîne de valeur sont considérables, tant pour les patients, leur environnement et le système de santé que pour l'économie. La pandémie de COVID-19 l'a clairement démontré. Le secteur biopharmaceutique belge a pu relever le défi avec brio, de la recherche et de la production à l'introduction de solutions innovantes pour le patient.

Dans ce volet, nous nous attarderons plus particulièrement sur les activités d'innovation déployées par nos entreprises membres en Belgique afin de proposer de

meilleures solutions au patient : combien investissent-elles dans la R&D, combien d'études cliniques mènent-elles, l'accent nécessaire est-il mis sur la prévention et le besoin de nouveaux antibiotiques ? Nous donnerons la liste des nouveaux médicaments pour lesquels nos entreprises ont demandé et obtenu le remboursement et nous consacrerons également une attention particulière aux défis à relever dans le domaine des maladies rares. Dans le troisième chapitre, nous examinerons la valeur ajoutée de ces activités pour les patients, le secteur de la santé et la société, ainsi que leur rendement économique.

### Les activités des membres pharma.be en Belgique



Source : pharma.be

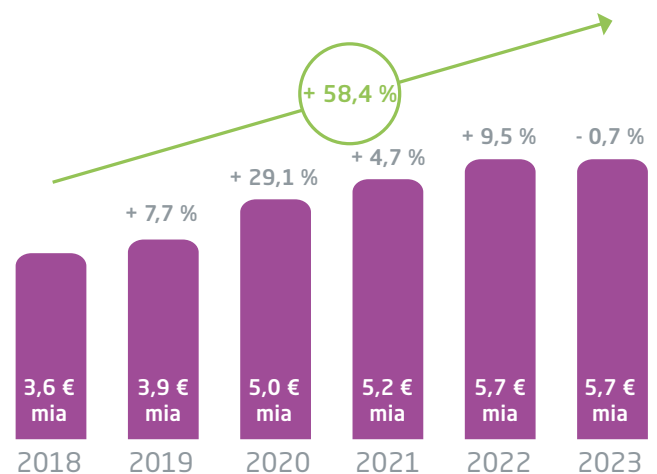
## 2.2 La Recherche et le Développement, moteurs de l'innovation

### 2.2.1 Les investissements en R&D en Belgique

Nous avons peu de ressources naturelles dans notre pays mais nous avons des connaissances. La Recherche et le Développement (R&D) sont non seulement inscrits dans l'ADN belge, mais ils sont également au cœur de l'industrie biopharmaceutique. Chaque année, le secteur compte son lot d'innovations considérables. Leur valeur ajoutée est directement visible car ces innovations nous permettent de vivre plus longtemps en bonne santé.

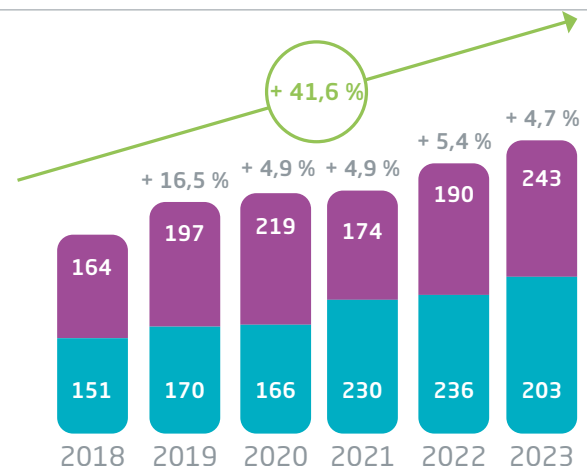
- En 2023, le secteur a investi **plus de 15 millions d'euros par jour** en R&D, soit un total de **5,7 milliards d'euros**.
- Les investissements en R&D ont quintuplé en 25 ans. Au cours des cinq dernières années, ils ont même augmenté de 58 %.
- En 2023, **plus d'une demande de brevet en moyenne a été déposée chaque jour** en Belgique dans le domaine de la pharmacie et de la biotechnologie. Ces demandes sont essentielles pour le secteur. En effet, la protection qu'offrent les brevets est une condition sine qua non pour pouvoir continuer à investir dans des programmes de recherche longs et onéreux.
- Depuis 2018, les demandes de brevets dans ces domaines ont augmenté de près de 42 %. Cette croissance est près de 2,5 fois plus élevée que dans tous les domaines technologiques confondus. Ainsi, en 2023, le secteur biopharmaceutique représentait **presque 18 % du nombre total de demandes de brevets** en Belgique. Notre secteur est par conséquent, leader incontesté en matière d'innovation.

Évolution des investissements en R&D en Belgique (en milliards d'euros)



Source : pharma.be, enquête auprès des membres

Évolution du nombre de demandes de brevets en Belgique



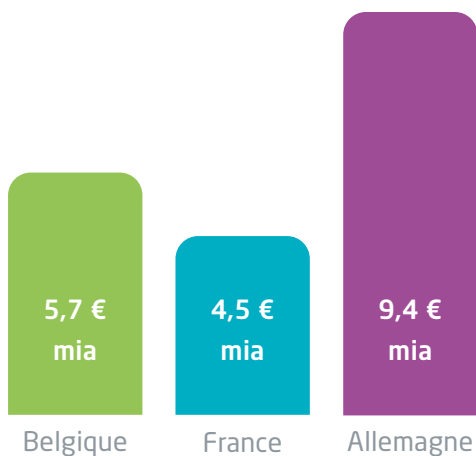
Source : European Patent Office, European patent applications 2011-2021 per field of technology.

■ Biotech ■ Pharma

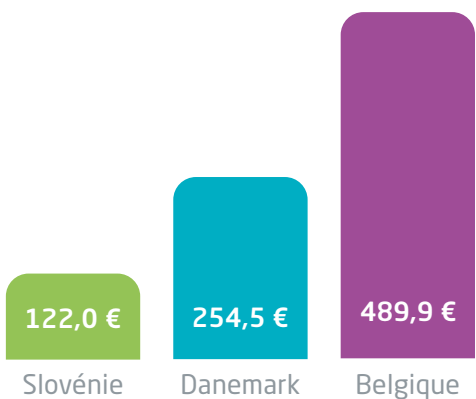
## 2.2.2 Comparatif des investissements en R&D avec l'Europe

Certes la Belgique est un petit pays mais proportionnellement, les patients et les soins de santé y bénéficient d'investissements relativement élevés dans l'innovation biopharmaceutique. **Les investissements totaux en R&D dans le secteur biopharmaceutique belge sont comparables à ceux de pays européens beaucoup plus grands.** En ce qui concerne les investissements de R&D réalisés en 2022, dernière année disponible pour une comparaison européenne, la Belgique n'est devancée que par l'Allemagne. Elle précède même la France. En montants absolus, le secteur biopharmaceutique belge a investi à peu près autant que l'Italie, le Danemark, l'Espagne et la Suède - numéros 4 à 7 - réunis en 2022. Un constat remarquable sachant que la Belgique n'est que huitième en termes de population.

### Total des investissements biopharmaceutiques en 2022



### Investissements biopharmaceutiques en R&D par habitant 2022

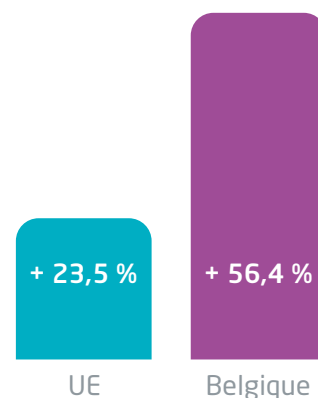


**Si nous considérons les investissements par habitant, la Belgique est même le leader absolu.** En 2022, nos investissements étaient supérieurs de près de deux fois comparativement à ceux du Danemark, deuxième au classement, et jusqu'à cinq fois plus élevés comparativement à ceux de la Slovénie, troisième au classement.

**Sur la période 2018-2022, les investissements belges en R&D par habitant ont augmenté de plus de 56 %**, soit environ 2,5 fois le taux de croissance des investissements totaux en R&D par habitant au sein de l'UE27. Aucun autre pays disposant d'un montant significatif d'investissements dans la R&D par habitant n'a réalisé une croissance aussi forte. Le Danemark qui prend la deuxième place a même enregistré une croissance nettement négative.

Ces chiffres impressionnants démontrent que les innovations ne sont pas le fruit du hasard. La mise au point de médicaments innovants nécessite beaucoup de temps et de moyens. C'est la raison pour laquelle le secteur biopharmaceutique est la branche d'activités qui investit le plus en R&D. Le secteur biopharmaceutique belge pèse de plus en plus lourd en matière de R&D, que ce soit en Belgique ou en Europe.

### Évolution des investissements biopharmaceutiques en R&D par habitant 2018 - 2022



Source : pharma.be, enquête menée auprès des membres & de l'EFPIA, The Pharmaceutical Industry in Figures, Key Data 2024

## 2.3 Des études cliniques en vue de nouveaux traitements

Les études cliniques sont cruciales pour le développement d'un nouveau vaccin ou médicament. Grâce à ces études, les chercheurs peuvent tester si un médicament est efficace et sans danger pour l'homme tout en obtenant également de nouvelles informations précieuses sur le traitement ou la prévention de maladies. Par ailleurs, elles permettent aux patients d'accéder gratuitement aux traitements les plus récents avant même qu'ils n'arrivent sur le marché. C'est pourquoi un cadre de recherche stimulant est essentiel pour pouvoir enregistrer des avancées dans les soins et les sciences de la santé.

### La Belgique toujours leader en matière d'études cliniques

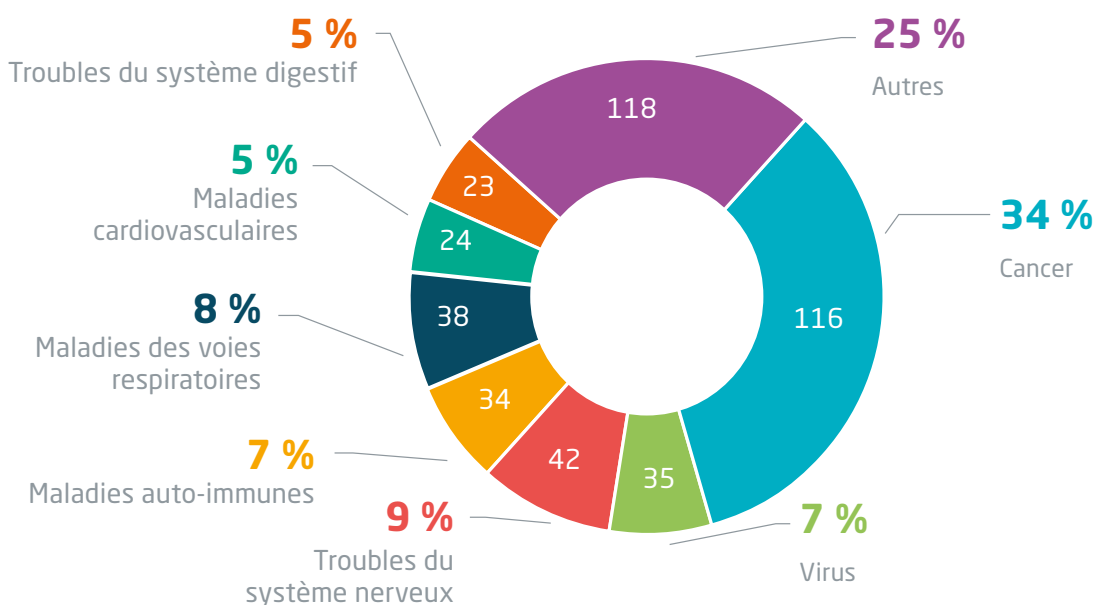
La Belgique peut s'enorgueillir d'un palmarès impressionnant dans le domaine de la recherche clinique. Elle le doit à son écosystème dynamique, qui peut compter sur une forte présence et l'expertise d'entreprises biopharmaceutiques, l'excellente qualité et les connaissances de notre monde académique, des centres de recherche et hôpitaux de pointe, et l'expertise poussée des autorités compétentes, en particulier de l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS).

Au fil des années, cela fait de la Belgique l'un des pays leader en Europe en matière d'études cliniques. C'était aussi le cas en 2023, avec au total 425 demandes approu-

vées, dont plus des deux tiers provenaient de l'industrie biopharmaceutique. Les entreprises continuent donc systématiquement à investir dans le développement de nouveaux traitements dans toutes sortes de domaines thérapeutiques (voir graphique).

La recherche de traitements contre le cancer occupe d'ailleurs la première place (34 %). En 2022, 161 études cliniques ont été initiées en Belgique, soit près d'un cinquième de l'ensemble des études cliniques sur le cancer en Europe. Cette proportion montre clairement l'impact de l'industrie biopharmaceutique belge dans ce domaine au sein de l'Europe.

### Répartition des demandes d'études cliniques par domaine thérapeutique



Source : Rapport Deloitte « Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022 »

## Une place de premier plan pourtant sous pression

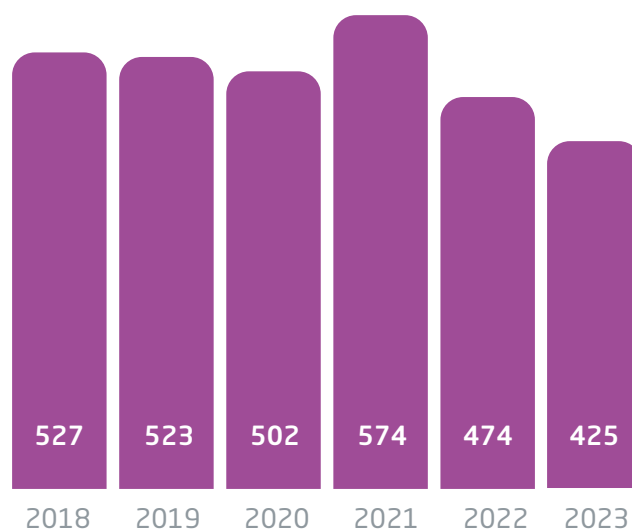
La place de premier plan de notre pays dans le domaine des études cliniques n'en reste pas moins sous pression, comme semble le démontrer l'évolution de ces huit dernières années.

Pour que l'industrie biopharmaceutique belge reste compétitive dans notre monde global, notre pays doit

non seulement rester à la pointe des technologies, des méthodologies de recherche et des réglementations les plus récentes, mais aussi participer à leur création et à leur progression. Ce n'est qu'en poursuivant les investissements dans un cadre de recherche stimulant que nous pourrions continuer à proposer aux patients et à la société les meilleurs soins.



### Nombre de demandes d'études cliniques approuvées



Source : données AFMPS

## Une décentralisation pour un cadre de recherche dynamique et innovant

La décentralisation des études cliniques est l'une des évolutions que les entreprises biopharmaceutiques belges suivent de près. Cela implique que certaines activités de recherche, comme l'administration d'un traitement, les entretiens de suivi ou le remplissage de questionnaires, aient lieu au domicile du patient plutôt qu'à l'hôpital, moyennant autorisation évidemment. Cette décentralisation est d'ailleurs rendue possible par les avancées technologiques dans les wearables, par exemple (appareils portatifs qui enregistrent certains paramètres comme le rythme cardiaque).

Elle peut représenter une importante plus-value pour les patients qui doivent se déplacer moins souvent et peuvent rester dans le confort de leur propre cadre de vie. Les chercheurs y trouvent aussi de nombreux avantages :

ils peuvent assurer un meilleur suivi des participants et obtenir des données plus nombreuses et plus fiables en temps et situation réels.

Les entreprises biopharmaceutiques utilisent volontiers cette évolution de la décentralisation pour faciliter la vie du patient et renforcer d'autant la qualité des études. **pharma.be appelle donc au dialogue et à la collaboration avec tous les partenaires concernés pour plus de décentralisation.** La Belgique pourra ainsi garder sa réputation internationale de cadre innovant, qualitatif et flexible pour les études cliniques.



## pharma.be sonde les associations de patients concernant les études cliniques à domicile

Au vu de la potentielle plus-value de la décentralisation pour les patients, pharma.be a sondé 31 associations de patients en 2024. Parmi les points sondés, l'intérêt/la volonté d'avoir des visites (de suivi) à distance, de visites à domicile de personnel soignant et d'utiliser des outils numériques pour collecter des données en temps réel. Les patients pouvaient aussi répondre à des questions ouvertes sur ce qu'ils estiment être des avantages et des inconvénients de la décentralisation et sur les éléments de recherche qui pourraient être organisés à distance.

Quelques constatations découlant du sondage :

- Les patients indiquent que la décentralisation pourrait augmenter leur motivation à participer à une étude clinique, car cela leur ferait gagner du temps et en réduirait l'impact général sur leur vie quotidienne.

- La décentralisation peut aussi améliorer l'observance du traitement. Les visites en ligne et les outils numériques participent en effet à plus de flexibilité et à une simplification du traitement/des soins.
- Plus de quatre répondants sur cinq sont convaincus que la décentralisation peut en outre permettre à une population plus variée de participer à des études cliniques, même s'ils ne pensent pas que la décentralisation seule suffirait à augmenter la diversité.

Le sondage révèle globalement que les patients voient surtout des avantages à la décentralisation. Ils sont donc disposés à adopter cette approche. Quelques possibles inconvénients et points d'achoppement ont toutefois aussi été signalés, comme la diminution des contacts avec l'équipe de recherche et le risque d'impression de solitude et de perte de confiance. Il faut par ailleurs veiller à ce que l'investissement dans des outils numériques ne soit pas un frein plutôt qu'un encouragement à participer.

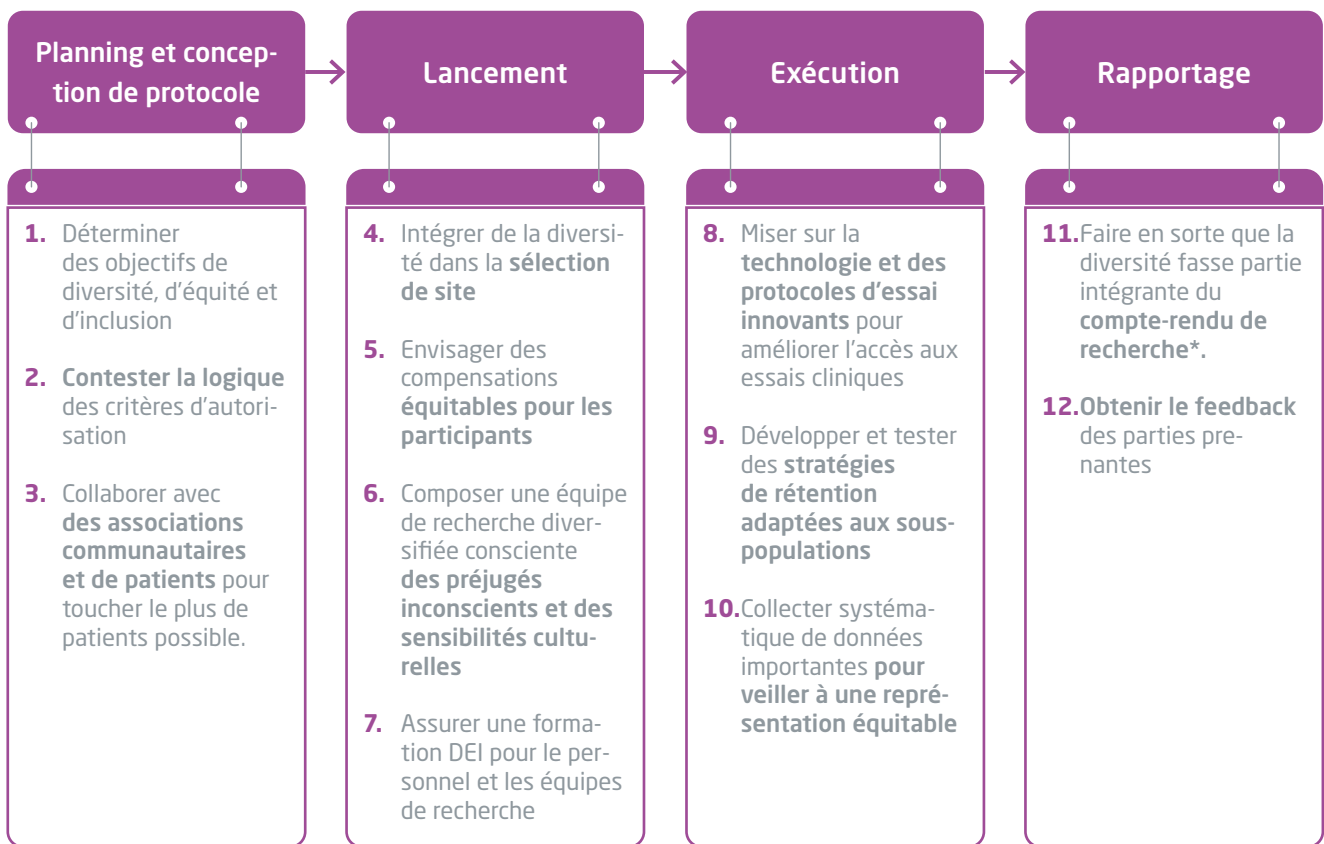
**Vous pouvez consulter  
les résultats complets  
du sondage ici :**



## Continuer à garantir l'inclusion et la diversité

pharma.be s'efforce non seulement de maintenir et de renforcer sa place de premier plan en matière d'études cliniques mais elle veut aussi faire en sorte que ces études soient facilement accessibles à une population variée. C'est à cette condition que les études pourront produire des résultats généralisables et applicables à tous ceux qui peuvent en bénéficier.

Il est dès lors essentiel que les participants à des études cliniques présentent des origines et caractéristiques très variées, comme l'âge, le sexe, l'ethnicité et le statut socio-économique. Cela semble aller de soi, mais pose encore des problèmes dans la pratique. **Pour y remédier, pharma.be a consacré début 2024 son *Clinical Trial Forum* annuel à « embracing diversity & equity in clinical trials ».** Deloitte y a entre autres présenté douze recommandations pour améliorer la diversité et l'inclusion dans la recherche clinique en Belgique.



\*Une répartition démographique de la population étudiée est reprise dans le compte-rendu de recherche en tant que partie de la bonne pratique de recherche actuelle.  
Source : Rapport Deloitte « Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022 »



La Belgique reste leader en matière d'études cliniques par habitant en Europe, avec 474 approuvées en 2022, dont 80 % ont été lancées par des sociétés. Chez Eli Lilly, nous sommes fiers d'y contribuer en menant environ 35 études, offrant ainsi un accès précoce à des traitements innovants à 800 patients. Pour assurer l'avenir de la Belgique en tant que pôle de recherche de premier plan, nous poussons les décideurs politiques à voter en faveur d'études flexibles (décentralisées) et à améliorer l'utilisation des données du monde réel. Ces mesures favoriseraient la participation, amélioreraient la diversité et optimiseraient les résultats pour les patients et les études.

Ana Carla Franch, Director, Investigator Engagement, Clinical Research Investigator Engagement, Delivery & Capabilities S.A. Eli Lilly Benelux N.V.

## Études cliniques pédiatriques : une forme spécifique et particulièrement pertinente de recherche clinique

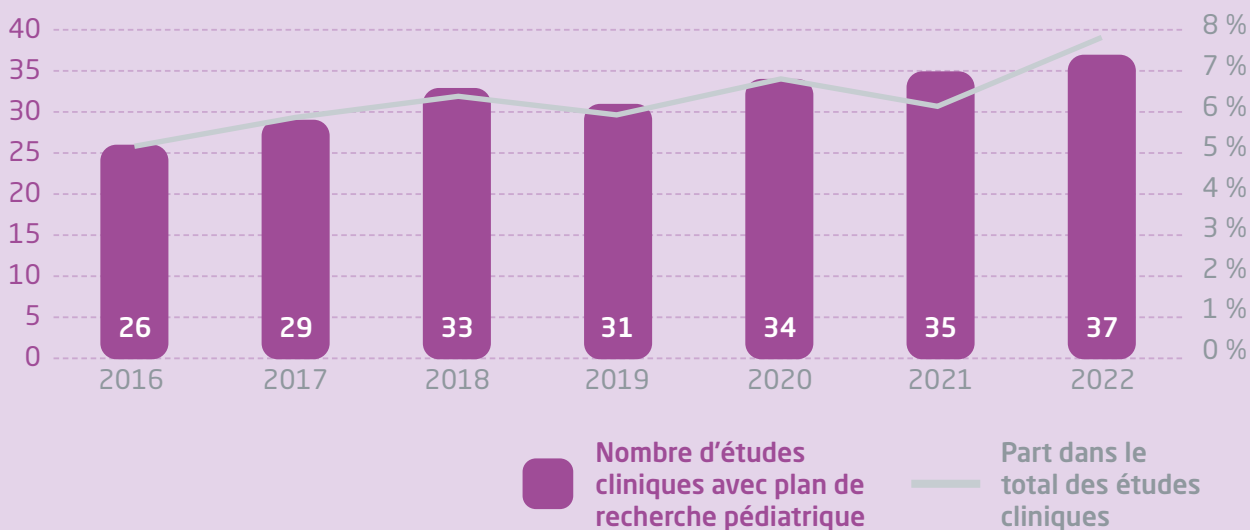
L'impact de la Belgique au sein de l'Europe augmente également dans le domaine des études cliniques chez les enfants.

En 2022, notre pays représentait déjà 15 % de leur totalité en Europe.

### Évolution des études cliniques avec plan de recherche pédiatrique en Belgique (2016-2022)

Nombre d'études cliniques avec plan de recherche pédiatrique

Pourcentage total des études cliniques



Source : Rapport Deloitte « Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022 »

Les études cliniques chez les enfants sont essentielles pour veiller à ce que ce groupe cible ait accès aux nouveaux médicaments adaptés à leur anatomie et physiologie. Les enfants ne sont en effet pas des « adultes miniatures » ; il ne suffit pas d'adapter la posologie. C'est pourquoi, depuis 2007, sur les recommandations de l'Agence européenne des médicaments (EMA), chaque demande d'enregistrement d'un nouveau médicament ou d'une nouvelle indication doit s'accompagner d'un projet de recherche pédiatrique.<sup>1</sup> Il peut ainsi être étudié si et comment le médicament peut être administré à des enfants. Depuis cette obligation, l'EMA avait déjà évalué en juillet 2024 en tout 2.871 projets de ce type par les entreprises biopharmaceutiques.

Les études cliniques pédiatriques s'accompagnent de défis particuliers. Elles doivent être menées par des professionnels hautement qualifiés possédant l'expertise pédiatrique nécessaire. Elles nécessitent par

ailleurs un solide réseau de centres de recherche pour simplifier l'échange de données entre les chercheurs, afin de faciliter la coordination des études et de pouvoir sensibiliser et informer efficacement au sujet des possibilités de recherches cliniques chez des enfants en Belgique.

Pour encore renforcer l'impact positif de la Belgique dans ce domaine, nous avons dès lors besoin d'initiatives comme le *Antwerp Pediatric Clinical Trial Network*<sup>2</sup> qui investit de manière coordonnée dans la recherche sur les vaccins et les maladies infectieuses chez les enfants avec le soutien de différents partenaires issus de l'industrie biopharmaceutique. Le Belgian Pediatric Clinical Research Network (BPCRN) est une initiative tout aussi importante. Il a été lancé en 2009 par la Belgian Society of Pediatrics avec le soutien de pharma.be et a redémarré en 2024 sous les auspices de la *Belgian Academy of Paediatrics*<sup>3</sup>

## Une nouvelle brochure sur les études cliniques pour sensibiliser les patients

Des informations correctes et claires concernant les études cliniques sont une première étape pour garantir un accès rapide des patients aux médicaments les plus récents.

Qu'est-ce qu'une étude clinique ? Qui est impliqué ? Comment puis-je y participer ? Qu'est-ce que cela implique pour moi ? Quelles données sont collectées et comment sont-elles utilisées ? Ces quelques questions

font partie de toutes celles auxquelles les patients ne trouvent pas toujours de réponses simples et précises.

C'est pourquoi pharma.be a élaboré une nouvelle brochure en collaboration avec des représentants d'associations de patients. Grâce à des informations claires et accessibles, les patients et les prestataires de soins de santé disposent d'un outil complet à ce sujet.



[Consultez la brochure :](#)



Notre centre ELECTS, basé en Wallonie, joue un rôle essentiel dans le soutien des études cliniques mondiales d'Eli Lilly, en coordonnant l'emballage et la distribution du matériel vers la zone EMEA et l'Asie-Pacifique. Il garantit une distribution efficace des ressources aux sites d'études du monde entier, accélérant ainsi la recherche et l'accès des patients à de nouveaux médicaments. Comme nous innovons, la décentralisation des études sera cruciale pour répondre aux besoins des patients et maintenir l'avantage compétitif de la Belgique en matière de recherche clinique.

*Benoît Lessire, Senior Director, ELECTS Site Head and Global Leader-CT Material Logistics, Eli Lilly European Clinical Trial Services S.A.*

## 2.4 La prévention, la clé pour un avenir sain

La prévention concerne des mesures proactives qui favorisent la santé, tout en prévenant ou ralentissant l'apparition, la propagation et l'évolution des maladies. Il peut aussi bien s'agir de vaccins que d'algorithmes IA prévisionnels ou de mesures destinées à améliorer la qualité de l'air.

Le secteur biopharmaceutique mise beaucoup sur la prévention, car elle participe à une meilleure santé de la population, aide à lutter contre les inégalités en matière de santé et à diminuer la pression sur notre système de soins de santé. Nous pouvons ainsi travailler à des soins socialement, économiquement et écologiquement durables dans notre pays.

## La vaccination comme forme de prévention

La vaccination est une forme particulièrement efficace de prévention. La vaccination ne protège pas seulement les individus, elle protège aussi l'ensemble des communautés en constituant une immunité de groupe. Comme les programmes de vaccination de base, qui ont fait chuter drastiquement les chiffres de la mortalité infantile dans le monde entier. La variole, une maladie grave, a régressé dans le monde depuis 1980, tout comme la polio a disparu en Europe grâce à la vaccination.

La Belgique est un précurseur dans la recherche et le développement, la production et l'exportation de vaccins. Entre 2014 et 2023, par exemple, notre pays représentait en moyenne 42,6 % des exportations totales de vaccins pour l'homme de l'UE. La couverture vaccinale est également relativement élevée. Plus de 95 % des enfants ont été vaccinés au moins une fois contre des maladies telles que la rougeole, la polio et la coqueluche<sup>4</sup>. Des progrès restent cependant encore à faire chez les adolescents et les adultes.

## Immunisation à chaque étape de la vie

L'industrie biopharmaceutique mise donc en priorité sur la stimulation de l'immunisation à chaque étape de la vie. À cette fin, pharma.be s'est associé à différentes parties prenantes pour cartographier les défis dans le paysage vaccinal belge, avant d'élaborer et de classer une première liste de propositions stratégiques. Les propositions les mieux classées ont ensuite été développées en collaboration avec des experts. pharma.be souhaite ainsi constituer un cadre stratégique soutenant l'immunisation à chaque étape de la vie.

### Rétrospective de l'événement « Immunisation basée sur des données à toutes les étapes de la vie : qu'attendons-nous ? »

En avril 2024, Vaccines Europe et pharma.be ont organisé à Vaccinopolis (Université d'Anvers) un événement concernant l'immunisation basée sur les données à toutes les étapes de la vie. Des scientifiques, des industriels et des décideurs politiques y ont débattu de l'importance d'une collecte de données intégrée pour une stratégie de vaccination efficace. Une meilleure collecte de données permet en effet d'estimer la charge de morbidité, de détecter et de prévenir à temps les épidémies et d'évaluer les programmes de vaccination. La collecte de données est aussi essentielle pour l'industrie, que ce soit pour surveiller l'efficacité des vaccins ou pour la recherche et le développement de vaccins nouveaux ou améliorés.

Le point d'orgue a été le discours liminaire du professeur Plotkin (USA), aussi connu comme étant le

« godfather of vaccines ». Il a replongé un instant les participants dans l'histoire des vaccins avant de partager sa vision des développements futurs en matière de vaccination. Lors de la table ronde de clôture, les experts ont disséqué les défis et les opportunités de l'immunisation basée sur les données. Les sujets abordés étaient variés, allant de l'importance de la collaboration et de l'analyse des données à l'utilisation de registres de vaccinations, en passant par la nécessité d'une innovation constante dans la recherche de vaccins.

L'une des conclusions finales était sans aucun doute qu'une approche robuste et intégrée de la collecte et l'analyse de données sont absolument indispensables pour assurer au mieux l'efficacité des programmes de vaccination.

[Plus d'infos :](#)



## 2.5 Le besoin urgent en nouveaux antibiotiques

Depuis leur percée au cours de la Seconde Guerre mondiale, les antibiotiques sont devenus indispensables à notre médecine. Toutefois, si nous n'arrivons pas à stopper l'émergence de la résistance aux antibiotiques, il y a fort à parier que nous revenions à une époque où les médecins devaient s'en passer.

En entendant antibiotique, la première chose qui nous vient spontanément à l'esprit est souvent la lutte contre des infections comme la pneumonie. Les antibiotiques ont pourtant de nombreuses autres applications. Ils réduisent aussi les risques en cas d'opération ou aident à protéger les patients atteints d'un cancer pendant leur chimiothérapie. Une médecine sans antibiotique est donc presque inconcevable de nos jours.

Et pourtant. Ces médicaments perdent de leur efficacité avec l'apparition de bactéries résistantes aux antibiotiques. L'Europe considère dès lors à juste titre la résistance aux antibiotiques comme l'une des trois principales menaces pesant sur notre santé. Les conséquences de la résistance aux antibiotiques se font aussi de plus en plus sentir en Belgique. Selon Sciensano, 7 % des patients hospitalisés sont infectés par des bactéries résistantes. Ce seul fait entraîne près de 2.600 cas de mortalité par an.

L'AMR Action Fund (<https://www.amractionfund.com/>) est un acteur important dans les efforts mondialement consentis pour lutter contre la résistance aux antibiotiques (AMR, Antimicrobial Resistance) et participe de différentes façons au développement de nouveaux antibiotiques.

L'AMR Action Fund est une initiative mondiale lancée en 2020 par un groupe d'entreprises biopharmaceutiques, parmi lesquelles des entreprises membres de pharma.be, en collaboration avec l'Organisation mondiale de la santé (OMS), la Banque européenne d'investissement (BEI) et d'autres partenaires. L'objectif de cette fondation est d'accélérer le développement de nouveaux antibiotiques et d'introduire sur le marché au moins deux à quatre nouveaux antibiotiques d'ici 2030.

Bien que l'AMR Action Fund soit une étape importante dans la lutte contre la résistance aux antibiotiques, il ne représente qu'une partie de la solution dans le développement de nouveaux antibiotiques.

Ce développement est primordial tant pour le patient individuel que pour l'ensemble de la population. Il aide à lutter contre les bactéries résistantes aux antibiotiques, protège les groupes vulnérables, soutient les traitements médicaux, prévient la propagation des infections et participe aux avantages économiques et au renforcement du système de santé. En investissant dans de nouveaux antibiotiques, nous veillons à être préparés aux futurs défis sanitaires et à améliorer la santé publique au niveau mondial.

## 2.6 De nouveaux médicaments remboursés pour le patient

Les activités de R&D de nos entreprises membres et les études cliniques qu'elles mènent, en Belgique et ailleurs dans le monde, aboutissent au développement de nouveaux médicaments. Afin de les mettre à la disposition de patients en Belgique, les entreprises introduisent une demande de remboursement auprès de l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI) pour que les patients n'aient pas à payer le coût total.

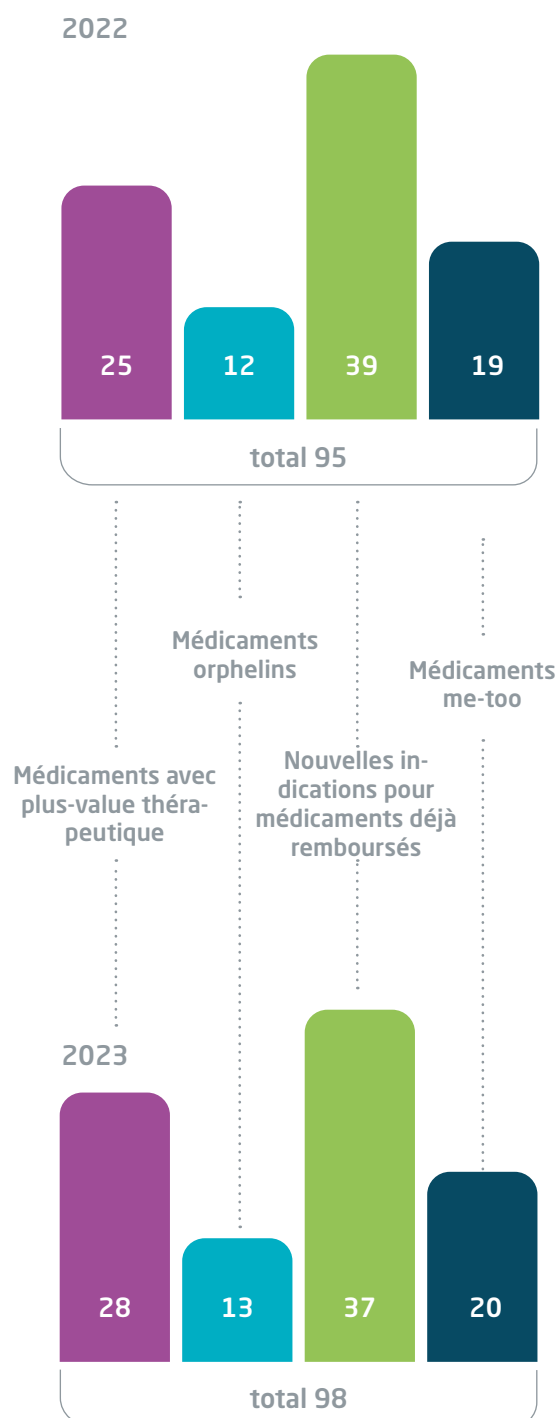
Nous fournissons ci-dessous de plus amples informations sur le nombre de médicaments remboursés depuis 2023 en Belgique. La valeur ajoutée de quelques-uns de ces médicaments récemment remboursés est abordée au chapitre 3.

### 2.6.1 Selon le type

En 2023, **98 nouveaux médicaments ou indications** ont été remboursés (consultez le graphique pour découvrir la répartition par type).

Explication:

- Selon **l'entreprise biopharmaceutique concernée**, un médicament apportant une plus-value thérapeutique offre une valeur thérapeutique supérieure à celle d'un traitement standard reconnu. Cela signifie que la maladie est mieux traitée avec ce médicament.
- Un **médicament orphelin** est un médicament destiné au traitement d'une maladie rare, qui offre donc une solution à un problème médical non résolu.
- Une **nouvelle indication** fait référence à un médicament déjà remboursé pour une certaine indication/maladie et pour lequel l'entreprise demande un remboursement supplémentaire pour une autre indication/maladie. Il peut par exemple s'agir d'un médicament déjà remboursé pour le traitement du cancer du poumon, mais qui est désormais également remboursé pour le traitement du cancer colorectal.
- Un **médicament « me-too »** n'offre aucune valeur thérapeutique supérieure aux médicaments existants pour la même indication/maladie, mais peut apporter une plus-value pour le patient en raison d'une amélioration de la posologie, du schéma d'administration, du confort ou de la facilité d'utilisation. Ces médicaments présentent aussi l'avantage d'offrir une plus grande garantie qu'un traitement puisse être poursuivi en cas d'indisponibilité des médicaments existants.



## 2.6.2 Selon le domaine thérapeutique

Dans le tableau ci-dessous, vous trouverez un aperçu des domaines thérapeutiques (Anatomical Therapeutic Chemical, ATC) dans lesquels de nouveaux médicaments ont été remboursés en 2023. Environ la moitié concerne de nouveaux médicaments ou des indications dans les

domaines anticancéreux et immunomodulateurs (ATC L). En outre, relativement plus de nouveaux médicaments sont disponibles pour les maladies dermatologiques (ATC D, infectieuses (ATC J), neurologiques (ATC N) et respiratoires (ATC R).

Classification ATC	Nombre de nouveaux médicaments remboursés en 2023	Groupe principal ATC	Exemples de pathologies
A	5	système digestif et métabolisme	Maladie de Pompe, hyperoxalurie primaire de type 1
B	3	sang et organes hématopoïétiques	purpura thrombocytopénique thrombotique acquis
C	2	système cardiovasculaire	maladie rénale chronique, hypercholestérolémie familiale
D	8	dermatologie	dermatite atopique, kératose actinique
G	0	système génito-urinaire et hormones sexuelles	-
H	2	hormones systémiques, à l'exclusion des hormones sexuelles et des insulines	acromégalie
J	7	anti-infectieux (usage systémique)	COVID-19, infections aux pneumocoques, hépatite B, varicelle-zona
L	53	antinéoplasiques et agents immunomodulateurs	cancer colorectal, cancer du poumon, cancer du sein, cancer du rein, cancer urothérial, mélanome uvéal, mastocytose, leucémie myéloïde chronique, maladie du greffon contre l'hôte, myélofibrose, leucémie lymphocytaire chronique, lymphome diffus à grandes cellules B
M	2	système musculo-squelettique	incontinence urinaire
N	7	système nerveux	douleur, épilepsie, apnée chez les bébés prématurés, déficit en décarboxylase des acides aminés aromatiques (AADC)
P	0	antiparasitaires, insecticides et répulsifs	-
R	7	système respiratoire	asthme, mucoviscidose
S	2	organes sensoriels	dégénérescence maculaire liée à l'âge, œdème maculaire (diabétique)
V	0	divers	-

## 2.7 Les maladies rares : défis et solutions

Une maladie rare a beau ne toucher en soi que peu de personnes, **plus d'un demi-million de Belges** en est tout de même atteint. Et bien que les dernières décennies ont vu passer bien des avancées dans les soins de santé, de nombreuses maladies rares restent difficiles, voire impossibles à traiter. C'est pourquoi pharma.be soutient le Gouvernement fédéral dans ses efforts de développement d'un nouveau Plan belge pour les Maladies Rares.

### Des maladies rares et pourtant des patients nombreux

Une maladie est dite rare lorsqu'elle touche moins d'une personne sur 2.000 dans l'Union européenne. Parmi toutes les maladies rares connues, 84 % concernent même moins d'une personne sur un million. Toutefois, le nombre de patients par maladie rare a beau être faible, on estime

que 300 millions de personnes dans le monde souffrent de l'une d'entre elles. Près d'un demi-million de personnes en est atteint en Belgique. Ce chiffre s'explique par le grand nombre de maladies rares : 7000 ont actuellement été identifiées au niveau mondial<sup>5</sup>

### Des défis particuliers

Développer des médicaments efficaces contre les maladies rares n'est pas évident. Il manque en effet des données scientifiques de base sur leur apparition et leur évolution pour nombre d'entre elles. Et même lorsqu'une molécule prometteuse potentiellement capable de guérir ou de ralentir une maladie rare est détectée, il est particu-

lièrement difficile de la développer. Rien que l'organisation d'études cliniques, phase cruciale dans le développement de nouveaux médicaments, s'avère problématique en raison du peu de patients par ailleurs souvent dispersés dans le monde entier.

### Nouveaux traitements

L'industrie pharmaceutique poursuit malgré tout la recherche et le développement de médicaments orphelins. 24 % des études cliniques approuvées en 2022 en Belgique concernaient des maladies rares, soit 122 nouvelles études. Il en résulte des produits pharmaceutiques

pour le diagnostic, la prévention ou le traitement d'une maladie rare pour laquelle il n'existe pas d'alternatives<sup>6</sup> L'Agence européenne des médicaments (EMA) a autorisé près de 240 de ces médicaments orphelins entre 2003 et 2023.



Pour qui nous  
créons de la  
valeur ajoutée

3

Dans ce chapitre, nous commencerons par détailler la valeur ajoutée créée par le secteur biopharmaceutique pour le patient, le secteur de la santé et la société. pharma.be a établi une longue liste d'études scientifiques traitant de la valeur ajoutée de médicaments et vaccins innovants. Nous avons compilé quelques exemples parlants. Nous y illustrerons aussi la valeur ajoutée de médicaments innovants par quelques exemples de médicaments qui ont nouvellement été remboursés en 2023 et examinerons déjà les perspectives de la

thérapie par radioligands, un traitement avant-gardiste contre le cancer.

Mais ce n'est pas tout. Notre secteur est également un bastion important de notre économie de la connaissance. Les chiffres de l'emploi et des exportations, déjà impressionnants, n'ont fait que croître en 2023, en témoigne l'analyse coût-bénéfice positive de notre secteur pour l'État belge.

## 3.1 Un impact positif pour les patients, le secteur des soins de santé et la société

### 3.1.1 L'impact sociétal des médicaments innovants ne doit pas être sous-estimé

Il apparaît chaque jour évident que des médicaments guérissent ou soignent des personnes pour une meilleure qualité de vie. Toutefois, la valeur ajoutée et l'impact des médicaments vont bien plus loin. De nombreuses études ne cessent de le démontrer. Il est important de cartographier cet impact. Des données fiables montrent un considérable impact positif sur l'espérance de vie, l'hospitalisation et la productivité. Ce qui sera systématiquement démontré par des chiffres parlants dans ce qui suit.

#### **Nous vivons plus longtemps grâce aux médicaments.**

Les médicaments innovants augmentent notre espérance de vie. Des maladies autrefois fatales sont devenues des pathologies chroniques gérables, ce qui permet dans la plupart des cas d'éviter une mort prématurée.

Dans des pays à hauts revenus, dont la Belgique, il est démontré que les médicaments innovants ont participé à hauteur de 73 % à l'augmentation de l'âge de décès moyen au cours de la période allant de 2006 à 2016, soit une augmentation de 1,23 ans<sup>7</sup>

Autrement dit, l'innovation pharmaceutique a fait reculer la mortalité précoce en Belgique de 22 % depuis 2000<sup>8</sup>

#### **Les hospitalisations durent moins longtemps.**

Les médicaments innovants réduisent la pression sur les systèmes des soins de santé en prévenant des complications et en diminuant le nombre d'admissions dans les hôpitaux. Les ressources peuvent dès lors être utilisées plus efficacement.

L'innovation pharmaceutique a ainsi permis d'économiser 13 milliards d'euros en Europe entre 2007 et 2017 sur les coûts des soins de santé en évitant des complications<sup>9</sup>

Une étude réalisée dans 15 pays de l'OCDE a estimé que les hospitalisations seraient plus fréquentes et longues si aucun nouveau médicament n'avait été introduit après 1981. Autrement dit : de nouveaux médicaments lancés entre 1982 et 2015 ont contribué à 91 % de sorties d'hôpital en plus et à 163 % de jours d'hospitalisation en moins<sup>10</sup>

**Nous pouvons participer plus rapidement à la communauté.**

Les médicaments innovants permettent à des personnes de reprendre le travail, d'étudier ou de veiller sur leur famille, participant ainsi à la vie en communauté. Ce qui est souvent exprimé en termes monétaires dans les études. Les exemples parlants ne manquent pas.

Globalement, les médicaments innovants ont rapporté 27 milliards d'euros en gain de productivité aux économies de l'UE. Des innovations spécifiques dans le domaine du VIH ont été particulièrement impactantes, avec 22 milliards d'euros de gain de productivité dans le traitement du VIH rien qu'entre 2007 et 2017<sup>11</sup>

Les chances de survie des patients souffrant d'un mélanome se sont drastiquement améliorées grâce aux immunothérapies et thérapies ciblées. Ce qui veille à des gains de productivité considérables, estimés à 3,8 millions d'heures de travail et à 391 millions d'euros de revenus annuels dans l'UE27 par l'amélioration de la productivité au travail entre 2011 et 2020<sup>12</sup>

Concernant la Belgique, les calculs économico-sanitaires démontrent un gain moyen de 3869 € par patient et par an entre 2000 et 2017<sup>13</sup>

**Nous vivons plus longtemps**

+ 1.23 ans  
(2006-2016)

**Les hospitalisations durent moins longtemps**

- 22 % de morbidité précoce  
(depuis 2000)

**Nous participons plus rapidement à la communauté**

3.869 € de gains de santé  
par patient par an  
(2000-2017)



## 3.1.2 La valeur ajoutée des médicaments nouvellement remboursés

En 2023, un grand nombre de nouveaux médicaments ont reçu une autorisation de remboursement (voir point 2.6). Ceux-ci apportent valeur ajoutée considérable aux patients. Voici quelques **exemples** issus du groupe de **médicaments dont la Commission de remboursement des médicaments (CRM) a reconnu la valeur ajoutée thérapeutique, ainsi que de médicaments orphelins.**

### Déficit en décarboxylase de l'acide L-aminé aromatique

Les enfants souffrant de déficience AADC produisent trop peu de décarboxylase de l'acide L-aminé aromatique (AADC). Ce qui enclenche une réaction en chaîne : l'AADC est indispensable à la production des neurotransmetteurs que sont la dopamine et la sérotonine, eux-mêmes essentiels à la production de (nor)adrénaline<sup>14,15</sup>. Un manque d'AADC entraîne donc divers symptômes comme des troubles de la motricité, un retard de développement et un mauvais fonctionnement du système nerveux autonome.

En Belgique, une nouvelle thérapie génique pour le traitement du déficit en AADC est remboursée depuis 2023<sup>16</sup>. Il s'agit **d'une unique thérapie génique dite de remplacement** qui traite la cause sous-jacente de la maladie. La **création de dopamine dans le cerveau est restaurée**, provoquant des améliorations neurologiques et neuromusculaires durables<sup>17</sup>. Il s'agit d'une avancée importante dans le traitement de cette maladie infantile génétique fatale et rare, qui entraîne dès les premiers mois de la vie de l'enfant une invalidité sévère et une souffrance considérable.

### COVID-19

Environ 80 % des personnes atteintes du COVID-19 n'ont que des symptômes légers, voire aucun. Par contre, le COVID-19 peut entraîner une grave pneumonie dont l'issue peut être fatale chez les personnes au système immunitaire amoindri, en particulier chez les personnes âgées ou atteintes d'une maladie chronique<sup>18 19 20</sup>. Si la vaccination offre la plupart du temps une protection, cette dernière s'atténue avec le temps et ne correspond pas toujours aux nouvelles variantes du virus<sup>21</sup>.

Les traitements antiviraux qui freinent la prolifération du virus dans le corps sont dès lors une arme essentielle dans le combat contre le COVID-19. **Le premier médicament oral contre le COVID-19, un inhibiteur de protéase, est remboursé depuis 2023 pour les**

**patients qui ne sont pas sous assistance respiratoire et présentent plus de risques de COVID-19 sévère<sup>22</sup>. Comme il est administré par voie orale, le traitement peut commencer rapidement sans hospitalisation<sup>23</sup>**

En cas de prise dans les cinq jours suivant l'apparition des premiers symptômes, les cachets diminuent rapidement la charge virale et réduisent les risques d'hospitalisation et de décès à cause du COVID-19. Les patients devant malgré tout être hospitalisés le sont moins longtemps et/ou nécessitent moins de soins intensifs. Le nombre de consultations médicales diminue également<sup>24</sup>. **Le remède fonctionne contre toutes les variantes connues du virus<sup>25 26 27 28</sup>**

## Cancer du sein HER2 positif

Plus de 530.000 personnes sont diagnostiquées chaque année pour le cancer du sein en Europe. Il s'agit d'un cancer du sein HER2 positif pour environ un patient sur cinq. Ce type de cancer du sein va souvent de pair avec des tumeurs agressives ; les pronostics sont donc moins favorables<sup>29 30 31</sup>

**En Belgique, un médicament pour le traitement de patients adultes atteints d'un cancer du sein HER2 positif non opérable ou métastaté et qui ont déjà suivi un ou plusieurs traitements anti-HER2 est remboursé depuis juillet 2023.**

Ce nouveau médicament ciblant le gène HER2 fait appel à une technologie de conjugué anticorps-médicament (ADC) unique. Il réduit davantage le risque d'aggravation de la maladie et de décès de près de 72 % qu'un autre ADC chez des patients déjà traités avec un autre médicament et une autre chimiothérapie ciblant le gène HER2.

Ce nouveau médicament est donc en mesure d'améliorer significativement les possibilités de traitement pour les patients atteints du HER2.



Le cancer du sein HER2 positif était le sous-type avec le plus mauvais pronostic. Grâce à de constantes innovations au cours des 20 dernières années, nous avons pu considérablement améliorer ce pronostic. De nouveaux ADC et inhibiteurs de tyrosine kinase nous permettent aujourd'hui de faire encore une avancée fulgurante. Cette percée me fait croire que nous finirons à l'avenir par être capables de guérir des personnes souffrant d'un cancer du sein HER2 positif métastaté.

*Professeur D. François Duhoux, oncologue à l'Institut Roi Albert II Cliniques Universitaires Saint-Luc*

## Immunité élevée en cas de transplantations rénales

L'Europe et les États-Unis comptent environ 170.000 patients avec une insuffisance rénale en stade terminal figurant sur la liste d'attente pour une transplantation rénale.<sup>32</sup> Si trouver un donneur compatible n'est en soi pas évident, les chances de compatibilité pour les personnes à immunité élevée s'avèrent encore plus minces. De tels patients produisent en effet bien plus d'anticorps qui multiplient les risques de rejet en raison de transfusions sanguines, grossesses ou transplantations antérieures<sup>33 34 35 36 37</sup> Ils sont contraints de subir une dialyse à long terme en attendant un rein compatible. Cela peut entraîner des complications, une augmentation du risque de décès, une moins bonne qualité de vie et des frais supplémentaires<sup>38 39</sup>

**Une nouvelle et innovante thérapie enzymatique de désensibilisation est remboursée depuis peu. Ce traitement neutralise sélectivement des anticorps pendant quelques jours.**

**Le risque de rejet sévère d'un nouveau rein est ainsi réduit. Cela permet de réaliser des transplantations de reins autrement non compatibles<sup>40</sup>** Mieux encore, le traitement présente des résultats positifs à long terme, comparables à ceux habituellement observés pour les transplantations de reins compatibles<sup>41 42</sup>

**Cette thérapie augmente les chances des patients à immunité élevée. Le délai est réduit et la dialyse à long terme devient superflue.** Les chances de survie et la qualité de vie de ces patients sont dès lors améliorées. La société y gagne une thérapie qui améliore les soins de transplantation, tout en réduisant le poids financier sur le système des soins de santé.

## Myélome multiple

**Le myélome multiple est une forme de cancer de la moelle osseuse.** Environ 1000 Belges sont diagnostiqués chaque année<sup>43</sup>. Les patients n'entrant pas en considération pour une transplantation de moelle osseuse ont une espérance de vie entre 3,5 et 6 ans<sup>44</sup>. Heureusement, les possibilités de traitement ont considérablement augmenté au cours de ces dernières années.

Comme un médicament au nouveau mécanisme de fonctionnement remboursé depuis 2023 pour des patients qui ont déjà été traités avec au moins trois autres types de médicaments et chez qui la maladie n'a pas ou plus réagi au dernier traitement.

## Carcinome rénal

Depuis 2023, les patients atteints d'un cancer du rein de stade avancé non encore traité ont accès à une nouvelle thérapie combinée. Elle consiste en une immunothérapie et en un inhibiteur de tyrosine kinase qui freine la multiplication des cellules cancéreuses. Cette combinaison assure des résultats rapides, profonds et durables.

## Cancer du sein triple négatif

**Près de 10 % de l'ensemble des nouveaux cas de cancer du sein en Belgique sont de type triple négatif (TNBC).**<sup>52</sup> Il s'agit d'une forme de cancer du sein agressive, difficile à traiter : les tumeurs croissent plus vite et sont malignes<sup>53 54 55</sup>. De nombreux patients, souvent de jeunes femmes, font une rechute, sous une forme encore plus agressive<sup>56</sup>. Le taux de survie relative de 5 ans pour les patients atteints d'un cancer du sein métastatique est donc limité à 12 %<sup>57</sup>.

**C'est pourquoi il est essentiel de développer de nouveaux traitements du TNBC efficaces, ciblant le ralentissement de la maladie, la prolongation de l'espérance de vie et une meilleure qualité de vie. Un médicament qui représente une avancée importante**

**Le nouveau médicament achemine les cellules T, des globules blancs qui font partie du système immunitaire de notre corps, jusqu'aux cellules cancéreuses, pour permettre au système immunitaire de détruire les cellules du cancer.**

Ce nouveau traitement double les chances de réaction positive au traitement et réduit les risques de décès de 45 %<sup>45</sup>. La qualité de vie en est également fortement améliorée<sup>46</sup>. Le traitement étant administré en injection sous-cutanée, les patients doivent par ailleurs séjourner bien moins longtemps à l'hôpital et un traitement à domicile sera même possible à l'avenir<sup>47 48</sup>.

Ces résultats ne sont pas uniquement obtenus pour les cancers du rein à cellules claires, la forme la plus courante, mais aussi chez les patients souffrant d'un cancer du rein non à cellules claires. Ce type de cancer s'avère encore plus difficile à traiter<sup>49 50</sup>. **Cette nouvelle thérapie combinée efficace offre aux personnes souffrant d'un cancer du rein une importante option de traitement de première ligne.**<sup>51</sup>

**à ce sujet est remboursé depuis 2023. Il combine la particularité d'un anticorps qui cible l'antigène de surface cellulaire trophoblastique 2 (TROP2) avec un cytotoxique.** Il se compose d'un anticorps capable de reconnaître le TROP2 (antigène de surface cellulaire trophoblastique) sur la surface de la cellule cancéreuse, conjugué à un cytotoxique.

Le traitement a un profil de sécurité gérable, augmente tant les chances de survie que la qualité de vie et veille également à un ralentissement de l'aggravation de la maladie. Les patients atteints de TNBC reçoivent ainsi une nouvelle option de traitement qui offre une importante valeur ajoutée, tant d'un point de vue médical que social.

## Carcinome urothélial

Le carcinome urothélial (CU) est une tumeur maligne qui apparaît à l'intérieur de la vessie et des voies urinaires. Il en résulte des difficultés à uriner, des douleurs dans le bas du dos/au ventre, de la fatigue, une perte de poids ou une perte de l'appétit<sup>58 59</sup> Les patients atteints d'un CU avancé sont d'abord traités par chimiothérapie et immunothérapie à base de platine. Mais en cas d'aggravation de la maladie, il ne reste que peu d'options de traitement, voire plus aucune. Le pronostic des patients atteints de CU avancé est dès lors incertain : près de la moitié décède un an après avoir été diagnostiqué.<sup>60</sup>

**Depuis mars 2023, un nouveau médicament pour le traitement de patients adultes atteints de CU avancé**

## Mélanome uvéal

Depuis novembre 2023 et pour la première fois en Belgique, un traitement pour patients adultes atteints d'une tumeur à l'œil non opérable ou métastasée (mélanome uvéal ou MU) est remboursé.<sup>64</sup> **Le MU est très rare, seule une cinquantaine de personnes sont diagnostiquées par an en Belgique. La moitié des patients développe des métastases, principalement dans le foie, leur espérance de vie ne dépassant pas environ une année<sup>65</sup>** Jusqu'à présent, des traitements contre le cancer de la peau ont été utilisés pour essayer d'augmenter légèrement cette espérance, bien qu'ils ne s'avèrent que peu efficaces contre le MU<sup>66</sup>

**ayant déjà bénéficié d'une chimiothérapie et d'une immunothérapie à base de platine est disponible en Belgique. Le mécanisme de fonctionnement de ce médicament est innovant et ciblé : il veille à une liaison immédiate à une protéine spécifique à la surface des cellules cancéreuses, démarre directement une thérapie à base de cellules tueuses, interrompt le cycle cellulaire, et finit par détruire les cellules cancéreuses<sup>61</sup>.**

Ce nouveau médicament offre aux patients souffrant d'un CU avancé en moyenne quatre mois de vie supplémentaires sans empiéter sur leur qualité de vie<sup>62 63</sup>

**Le nouveau médicament change la donne. Il s'agit d'une immunothérapie basée sur une nouvelle technologie, l'ImmTAC. Elle aide les cellules T, aussi appelées cellules immunitaires, à reconnaître les cellules MU spécifiques, pour qu'elles puissent les détruire.** Cette nouvelle thérapie réduit de près de la moitié les risques de décès et allonge l'espérance de vie moyenne jusqu'à 22 mois. Chez environ un quart des patients on observe un effet positif durable. Des effets secondaires (éruptions cutanées, fièvre, tension artérielle basse), dont certains graves, apparaissent souvent au cours du premier mois avant de s'estomper au fil du temps<sup>67</sup>.



### 3.1.3 La thérapie par radioligands, un traitement révolutionnaire contre le cancer

Avec l'évolution de la recherche et de la technologie, le paysage du traitement du cancer a été témoin de progrès considérables qui proposent toute une série d'options thérapeutiques : des approches traditionnelles telles que la chirurgie, la chimiothérapie et les rayons, jusqu'aux innovations les plus récentes comme les médicaments immuno-oncologiques et désormais la thérapie par radioligands (RLT). **La thérapie par radioligands est un traitement révolutionnaire qui utilise de manière très ciblée la science nucléaire pour traiter différents types de cancers. Elle combine une molécule qui reconnaît les cellules cancéreuses (le ligand) avec un radio-isotope dont le but est d'endommager ou de détruire les cellules cancéreuses, tout en limitant l'impact sur les cellules saines avoisinantes.** La RLT dispose du potentiel nécessaire pour aider à fournir des traitements personnalisés et ciblés aux patients atteints d'un cancer dans le premier stade de leur maladie. Elle peut cibler les caractéristiques uniques du cancer traité, ce qui améliore l'efficacité du traitement.

La Belgique a des années d'expérience dans le domaine de la médecine nucléaire et de la thérapie par radioligands.

Notre pays dispose d'un écosystème unique englobant des experts nucléaires de référence, des infrastructures de recherche, des réacteurs de recherche, des entreprises biopharmaceutiques, des infrastructures de production, des médecins spécialisés et des hôpitaux. Au total, la médecine nucléaire belge compte plus de 5000 professionnels dédiés, dont 350 spécialistes dans ce domaine. Toute cette expertise dont dispose la Belgique lui permet de jouer un même rôle de pionnier dans la mise en œuvre des thérapies par radioligands actuelles et futures. Le pays est ainsi en mesure de devenir un hub RLT mondial et d'offrir à plus de patients un accès aux traitements révolutionnaires.

**Désireux de consolider le rôle de précurseur de la Belgique dans le domaine du RLT et de pérenniser notre système de soins vis-à-vis du RLT, pharma.be participe à un vaste « plan d'action RLT » avec toutes les parties prenantes concernées comme des professionnels du secteur de la santé, des hôpitaux, des instituts de recherche, des universités, des entreprises, des associations de patients et des administrations de soutien (INAMI, AFMPS et AFCN).** La mise en œuvre du « plan d'action RLT » débutera l'année prochaine.

## 3.2 Un impact positif sur l'économie

La « *biopharma valley* » belge, unique en son genre, compte des acteurs de classe mondiale et joue un rôle de chef de file dans le développement de médicaments et de vaccins révolutionnaires. **Outre la valeur ajoutée pour les patients, le secteur des soins de santé et la société, notre secteur biopharmaceutique performant produit également un rendement économique direct et a même un impact** positif sur les finances publiques.

En termes d'emploi, on dénombre près de 142.000 emplois liés à l'industrie biopharmaceutique (emplois directs, indirects et dérivés). Le secteur occupe également une place importante en termes d'exportations, contribuant de manière significative à la balance commerciale positive de

la Belgique. En outre, les énormes investissements consentis en R&D et en études cliniques (voir ci-dessus) apportent une contribution importante à l'économie belge de la connaissance, qui constitue la base de notre État-providence.

## 3.2.1 La valeur économique du secteur biopharmaceutique

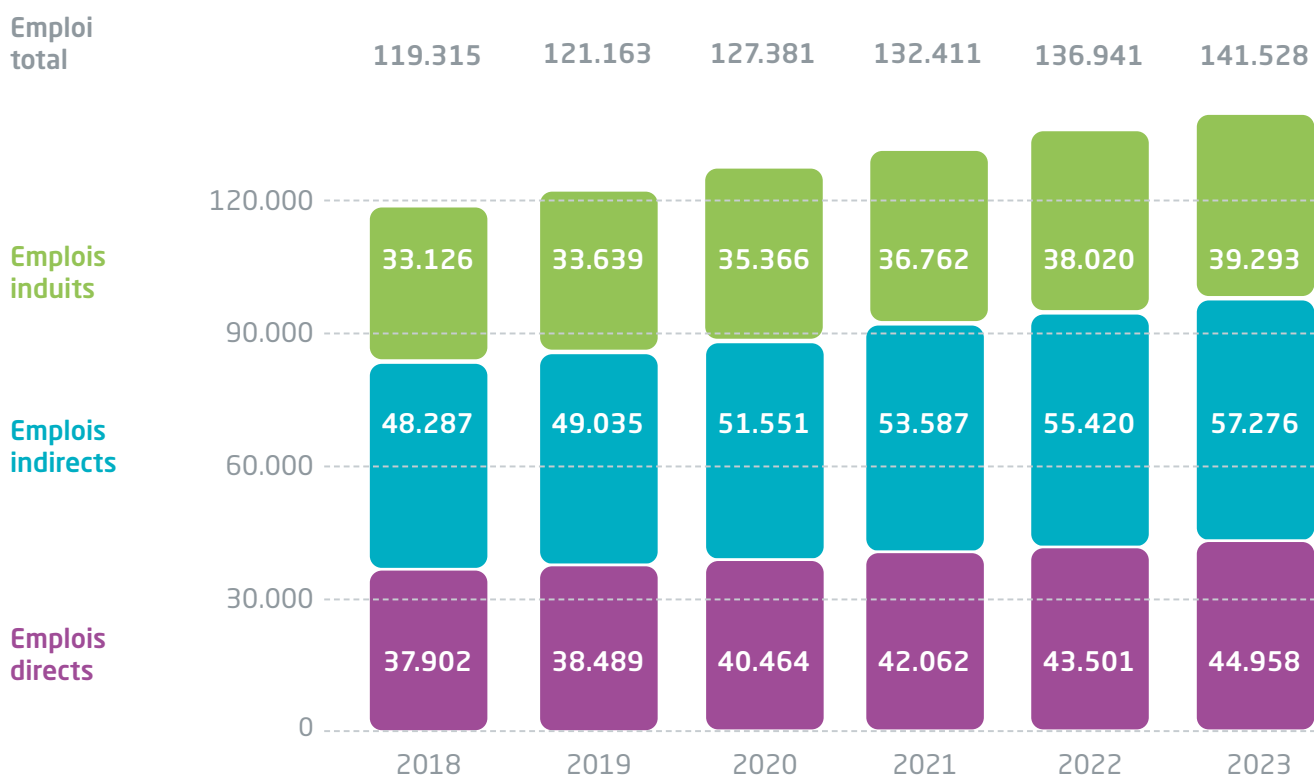
### EMPLOI

#### En Belgique

En Belgique, le secteur biopharmaceutique crée **de plus en plus d'emplois**. En cinq ans, le taux d'emploi a augmenté de presque 19% pour atteindre 44.958 travailleurs. La croissance en termes d'emplois était nettement plus élevée que dans l'ensemble de l'industrie manufacturière, qui a enregistré une croissance de 1,7 % durant la même période. Par conséquent, en 2023, le secteur biopharmaceutique représentait près de 9,3 % de l'emploi dans l'industrie manufacturière.

Les taux de croissance du secteur biopharmaceutique dépassent non seulement ceux de l'industrie manufacturière, mais aussi ceux du secteur privé et de toute l'économie belge. Mais ce n'est pas tout. Le secteur a **également un impact positif sur d'autres secteurs**, comme les transports et la logistique. Ces emplois indirects représentent 57.276 emplois supplémentaires. Si l'on tient compte de l'emploi découlant des dépenses des emplois directs et indirects, le secteur génère 39.293 emplois induits. **Ainsi, pour chaque emploi créé dans le secteur biopharmaceutique belge, deux autres emplois sont créés**. Le secteur représente près de 141.500 emplois en Belgique.

#### Évolution des emplois directs, indirects et induits dans le secteur biopharmaceutique en Belgique



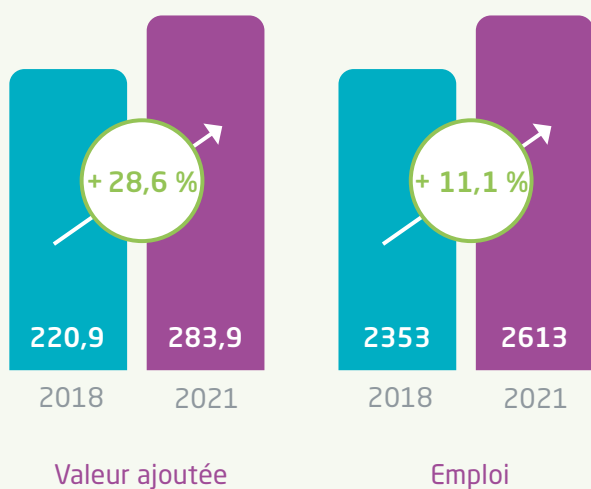
Source : pharma.be & PwC, Economic and societal footprint of the pharmaceutical industry in Europe, June 2019

## Contract Research Organisations (CRO) : un acteur important dans l'écosystème biopharmaceutique

Le secteur biopharmaceutique a lui-même déjà un grand impact positif sur l'économie belge. Cet impact est encore renforcé indirectement par les nombreux sous-traitants. Les Contract Research Organisations en sont un bel exemple.

Ces organisations sont spécialisées dans l'exécution partielle ou totale d'études (pré)cliniques et sont à ce titre un partenaire important des entreprises biopharmaceutiques. Cela leur permet de mettre plus rapidement de nouveaux médicaments innovants sur le marché. Les CRO participent ainsi substantiellement à l'économie du savoir de la Belgique et renforcent la position de notre pays en tant que centre de référence pour la recherche et de l'innovation biopharmaceutique.

### L'importance croissante du secteur CRO



Source : BeCRO, Belgian CRO Benchmarking Report, 2023

Les CRO obtiennent d'excellents résultats dans notre pays. Il existe 135 CRO actives en Belgique qui, ensemble, représentent une valeur ajoutée de 283,9 millions d'euros en 2021. Soit une augmentation de près de 30 % par rapport à 2018. Les emplois ont également le vent en poupe : en 2021, les CRO employaient 2.613 travailleurs, 11 % de plus qu'en 2018.

**Le secteur des CRO fournit également de très bonnes prestations à l'international. Près de 20 % de l'ensemble des CRO en Europe sont actives dans notre pays, devançant ainsi tous les autres pays.**<sup>68</sup> Ensemble, elles assurent la plus importante valeur ajoutée, ce qui équivaut à peu près à un tiers de la totalité. Seuls l'Allemagne et le Royaume-Uni dépassent la Belgique en termes d'emploi.



## L'histoire d'une collaboration hors du commun

Derrière les chiffres, une collaboration hors du commun entre deux partenaires solides : le secteur biopharmaceutique et les CRO. Avec BeCRO, l'organisation coordinatrice belge des CRO, nous approfondissons le pourquoi, le comment et le sujet de cette collaboration.<sup>69</sup>

### Pourquoi cette collaboration est-elle si importante ?

« Le développement des traitements médicaux évolue très rapidement. La collaboration entre les CRO assure une longueur d'avance aux entreprises biopharmaceutiques, qui peuvent ainsi développer de nouveaux médicaments de façon plus efficace. Cela a un impact positif enrichissant sur les patients comme sur la société : les patients ont plus rapidement accès à de nouveaux traitements performants, nous accumulons les connaissances scientifiques et la charge financière pesant sur le système des soins de santé est réduite. »

### Comment se déroule une telle collaboration ?

« Les CRO et les entreprises biopharmaceutiques travaillent en tandem, chacune à partir de sa propre expertise et de ses propres moyens, afin de développer de nouveaux traitements innovants et de les rendre le plus rapidement possible accessibles aux patients. Les entreprises biopharmaceutiques se chargent de la stratégie générale et d'une R&D concrète, fournissent les études cliniques requises, font la demande

d'autorisation et supportent les risques financiers pour l'ensemble du processus de développement. Elles ne disposent toutefois pas toujours des connaissances et de l'infrastructure spécialisées pour pouvoir déployer tous les études cliniques. »

« C'est là que les CRO interviennent, leur activité principale consiste à mettre en place et à suivre des études cliniques. En sous-traitant ce volet, les entreprises biopharmaceutiques peuvent se consacrer à leurs compétences principales. Les CRO disposent d'un personnel spécialisé et de laboratoires de pointe, sont familiarisées avec la législation, la réglementation et le système des soins de santé, ont des liens durables avec les hôpitaux et le monde académique, et apportent l'efficacité et la flexibilité dans l'ensemble du processus de développement parce qu'elles sont capables de s'adapter rapidement en fonction des besoins du projet. »

### Que font exactement les CRO ?

« Les services proposés par les CRO sont très variés. Outre leurs investissements dans du personnel hautement formé et des laboratoires de technologie de pointe nécessaires à la réalisation des études, elles interviennent aussi dans l'élaboration et la surveillance de protocoles, dans le recrutement de patients, dans une communication fluide entre toutes les parties concernées, dans le suivi financier, dans une gestion des données solide, dans la surveillance de la sécurité, des aspects éthiques, etc. »

## En Europe

Si l'on replace ces chiffres dans une perspective européenne, leur importance devient encore plus évidente. La Belgique occupe la troisième place en ce qui concerne la part de l'emploi (direct, indirect et induit) dans le secteur biopharmaceutique par rapport à l'emploi total dans un pays.

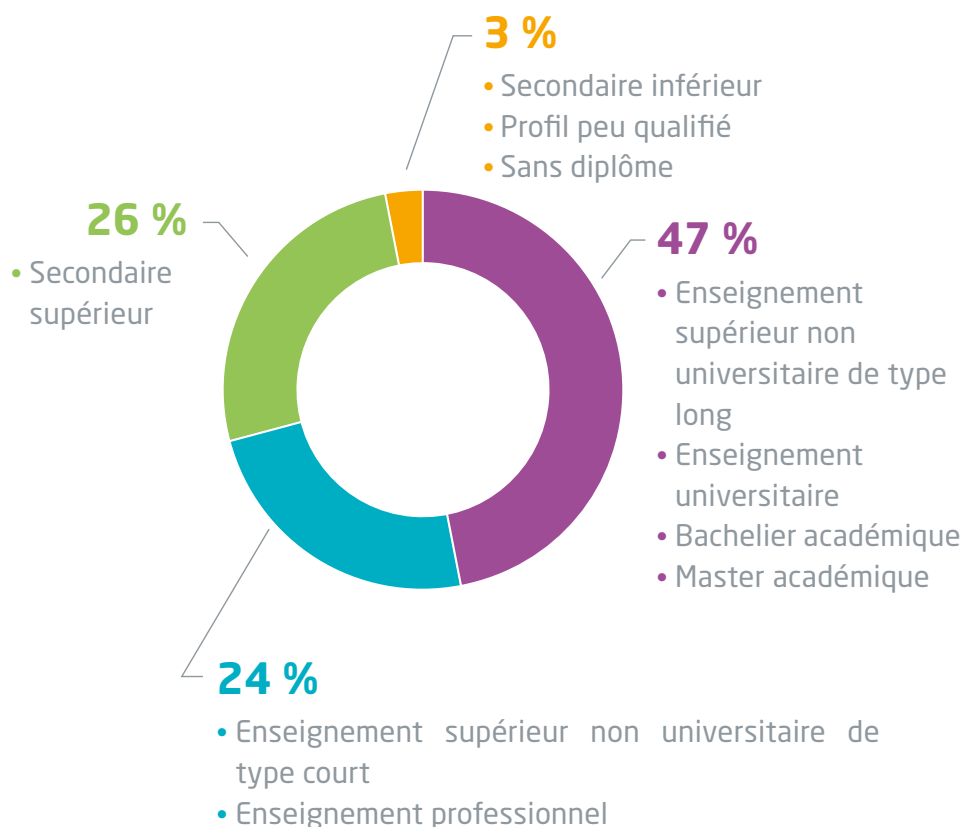


## Un secteur varié - un exemple pour notre économie

Le secteur fournit non seulement de nombreux emplois, mais aussi des emplois très diversifiés. Le paysage biopharmaceutique belge est en effet très varié, allant des petites start-ups et des sociétés de biotechnologie très innovantes aux grandes sociétés de production multinationales, en passant par les entreprises familiales de taille moyenne et les filiales locales de multinationales. Cette diversité se reflète également dans l'emploi. Les PME, qui représentent près de 90 % des entreprises, comptent pour près d'un quart des emplois du secteur.

**Les entreprises du secteur sont diverses, tout comme les profils dont le secteur a besoin**, allant de personnes possédant des qualifications modestes aux personnes hautement qualifiées. Toutefois, dans ce secteur à forte intensité de connaissances, le nombre de travailleurs hautement qualifiés est beaucoup plus élevé que dans les autres secteurs, avec environ 71 % des travailleurs titulaires d'un diplôme de l'enseignement supérieur. Par rapport à la population active totale, cela représente environ la moitié. Cette proportion n'est que de 39 % pour l'ensemble de l'industrie manufacturière et d'environ plus de 50 % dans l'industrie chimique.

## Répartition des profils dans le secteur biopharmaceutique en 2023



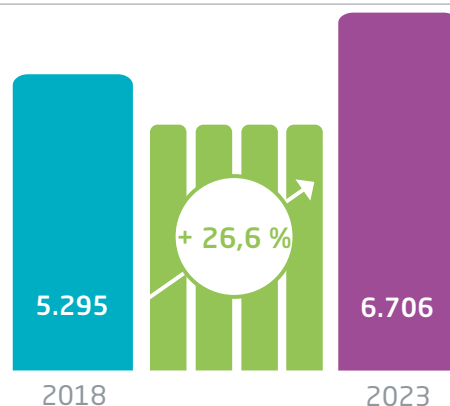
Source : Enquête Statbel sur les forces de travail, 2023

## Une base solide

En Belgique, le secteur peut compter sur un vaste vivier de travailleurs qualifiés, grâce à la présence de 12 universités qui fournissent une base éducative solide et un afflux stable de travailleurs hautement qualifiés et productifs. Certains de ces profils hautement qualifiés sont employés comme chercheurs dans la R&D.

En cinq ans, le secteur compte un quart de chercheurs en plus. **En 2023, 6.706 chercheurs travaillaient dans le secteur biopharmaceutique en Belgique.** Cela représente une augmentation d'environ 27 % en cinq ans. Cette croissance souligne une fois de plus le caractère innovant du secteur. Les chercheurs sont la pierre angulaire de l'industrie biopharmaceutique et constituent l'une des clés de son succès.

## Augmentation du nombre de chercheurs en 5 ans



Source : pharma.be, entreprises membres actives dans la recherche fondamentale en Belgique

## Le secteur pharmaceutique est l'employeur le plus attrayant depuis 23 ans

Chaque année, Randstad réalise une étude sur la qualité de l'image d'employeur des plus grandes entreprises belges et détermine l'attractivité des différents secteurs. Le secteur pharmaceutique sort également grand gagnant dans le dernier rapport, publié au printemps 2024. Pour la 23<sup>e</sup> fois en 24 éditions, le secteur décroche la première place en tant qu'employeur le plus attrayant.

**En tant qu'employeur, une marque forte permet non seulement d'attirer plus facilement les travailleurs, ce qui est fondamental dans le cadre de la guerre des talents actuelle, mais aussi de les retenir plus longtemps.** Les travailleurs se sentent plus impliqués et sont prêts à apporter un petit plus. Toutefois, une bonne réputation en tant qu'employeur ne s'acquiert pas en un jour. Il ne s'agit pas de lancer une simple campagne de communication. Il s'agit d'un long processus d'efforts intensifs à différents niveaux.

Les bons scores obtenus par le secteur biopharmaceutique sont démontrés par le fait que la tête de liste de cette année, tout comme celle de l'année dernière, soit une entreprise biopharmaceutique.

La seule entreprise se trouvant actuellement dans le Hall of Fame, regroupant les entreprises qui ont obtenu trois fois la première place sur une période de cinq ans, est une entreprise biopharmaceutique.

Il est tenu compte d'une combinaison de différents critères sur le plan de l'attractivité. Il ne suffit pas d'obtenir un bon score à l'un des critères pour avoir un bon résultat. Il faut obtenir un bon score pour tous les critères pour être haut placé dans le classement final. Le secteur biopharmaceutique excelle en ce domaine. Il est cette année encore premier du classement, une place partagée avec le secteur de l'aviation et celui des médias en troisième position.

Le secteur pharmaceutique est celui qui obtient le meilleur score pour les six critères suivants : ambiance de travail, sécurité de l'emploi, santé financière, contenu de la fonction, réputation, et enfin salaire et avantages. Le secteur y est tout aussi performant que l'année dernière. Autrement dit, contrairement aux autres secteurs, le secteur pharmaceutique peut donc afficher un score élevé sur toute la ligne.

## EXPORTATIONS MONDIALES

### En Belgique

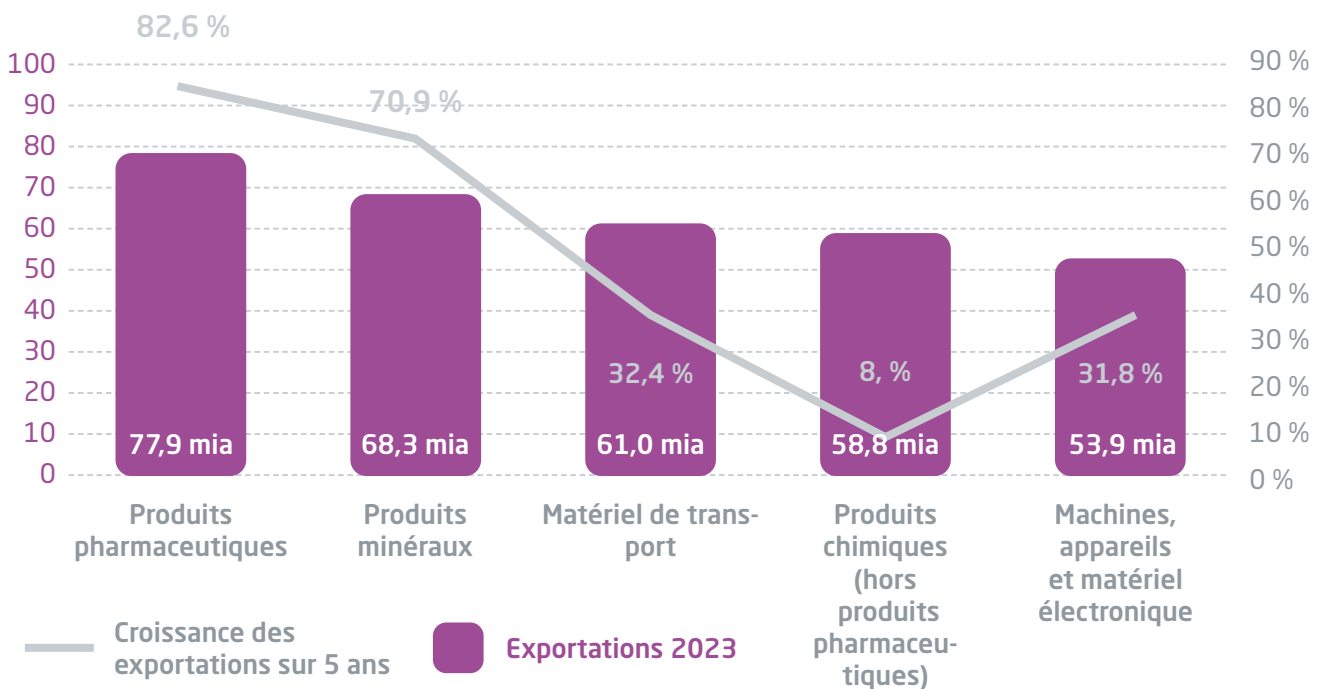
Lors de la pandémie liée au Covid-19 en 2021 et 2022, le secteur biopharmaceutique belge a joué un rôle crucial pour la mise à disposition des vaccins. L'ampleur inédite de cet effort se reflète également dans les chiffres d'exportation : en 2022, les exportations de médicaments et de vaccins s'élevaient à environ 100 milliards d'euros. Cela confirme ainsi la position unique de la Belgique comme plaque tournante internationale pour les médicaments.

En 2023, les exportations de vaccins Covid-19 ont fortement chuté en raison de la fin de la pandémie. Par conséquent, les exportations totales du secteur ont connu une baisse d'environ 20 %, pour atteindre 78 milliards d'euros. Toutefois, sur une période de cinq ans, l'augmentation des exportations est de plus de 80 %. Considérons les chiffres sans les vaccins contre le COVID-19.

Les exportations du secteur continuent dans ce cas d'augmenter de plus de 55 % au cours des cinq dernières années.

Avec une part de 14,8 % dans les exportations totales, le secteur biopharmaceutique reste le champion de l'exportation en Belgique. Au cours des cinq dernières années, ses exportations ont augmenté nettement plus vite que celles des autres secteurs du top 5. Ce faisant, le secteur biopharmaceutique prend de plus en plus d'avance et gagne en importance dans l'économie belge orientée vers l'exportation.

### Top 5 des secteurs d'exportation en Belgique

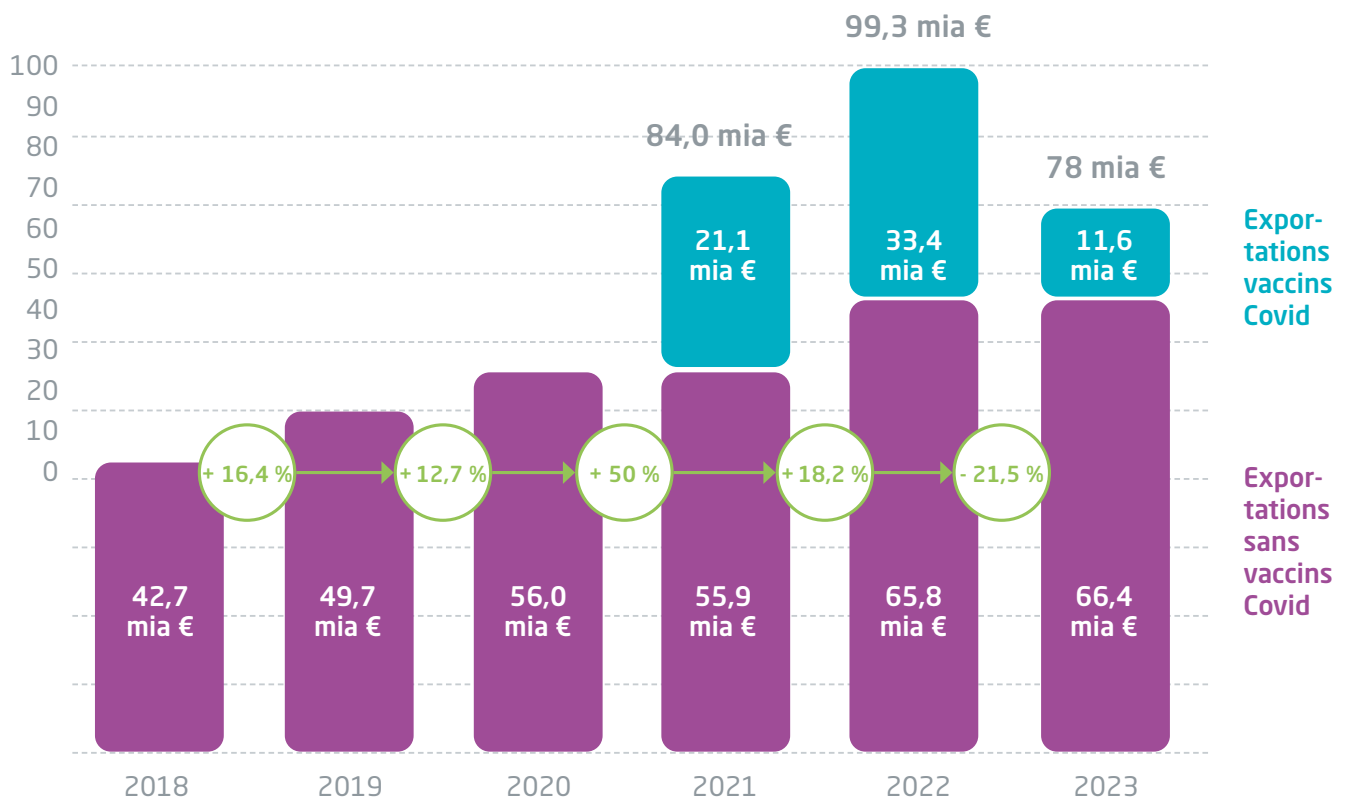


Source : BNB

**Chaque jour, plus de 213 millions d'euros de produits biopharmaceutiques sont exportés depuis la Belgique.** Il en résulte un excédent commercial de 9,2 milliards d'euros en 2023. La balance commerciale globale de la Belgique affiche un excédent de

16,3 milliards d'euros. **Le secteur biopharmaceutique contribue donc à 56 % de l'excédent commercial de la Belgique, ce qui est de loin la plus grande part de tous les secteurs.**

## Évolution des exportations totales du secteur biopharmaceutique belge



Source : BNB



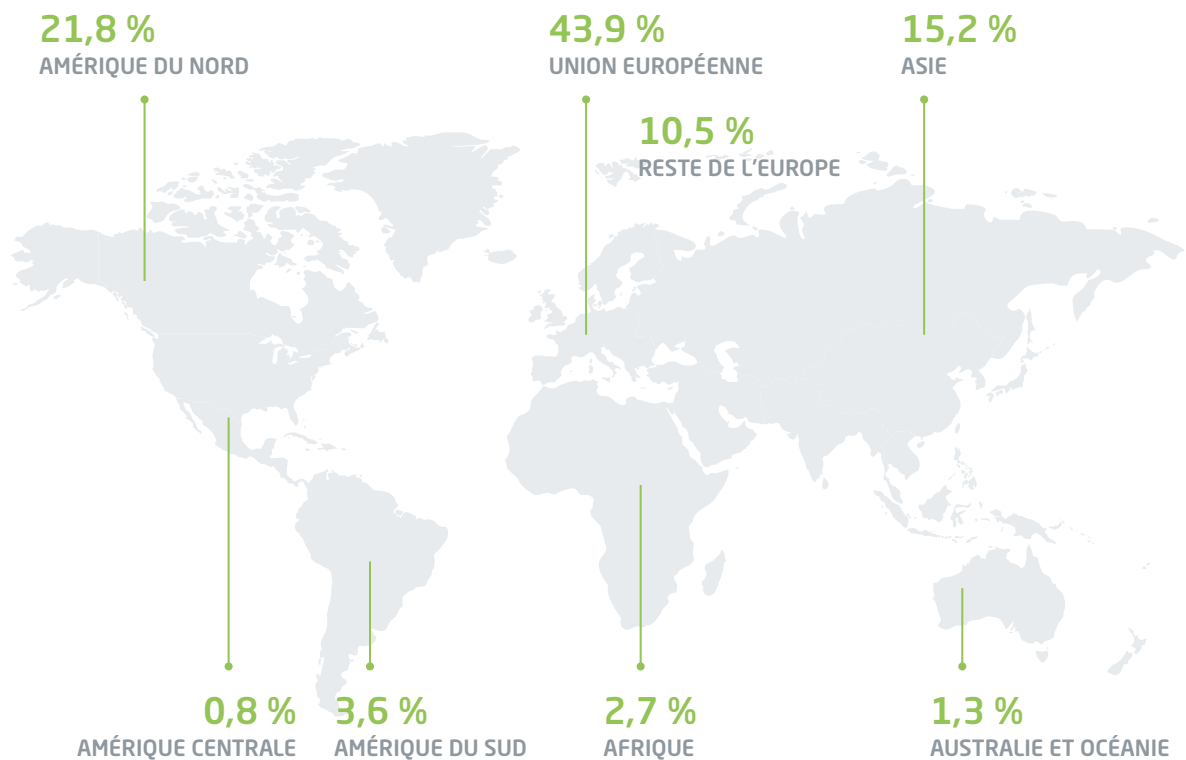
## Comparaison avec l'Europe et le monde

La Belgique se porte également très bien dans une perspective globale. En termes d'exportations totales de produits biopharmaceutiques, elle n'est devancée que par l'Allemagne au sein de l'UE. Si l'on tient compte du nombre d'habitants, la Belgique arrive même au deuxième rang, après l'Irlande et la Slovaquie. **Au total, près de 15 % des exportations totales de produits biopharmaceutiques de l'UE provient de la Belgique.**

Plus de la moitié des exportations du secteur biopharmaceutique quitte l'Union européenne. Dans le total des exportations belges, cela représente moins d'un tiers. Les États-Unis sont de loin le principal partenaire commercial, avec près de 20 % des exportations biopharmaceutiques belges. S'ensuivent l'Allemagne et l'Italie avec respectivement 11,9 % et 7,7 %.



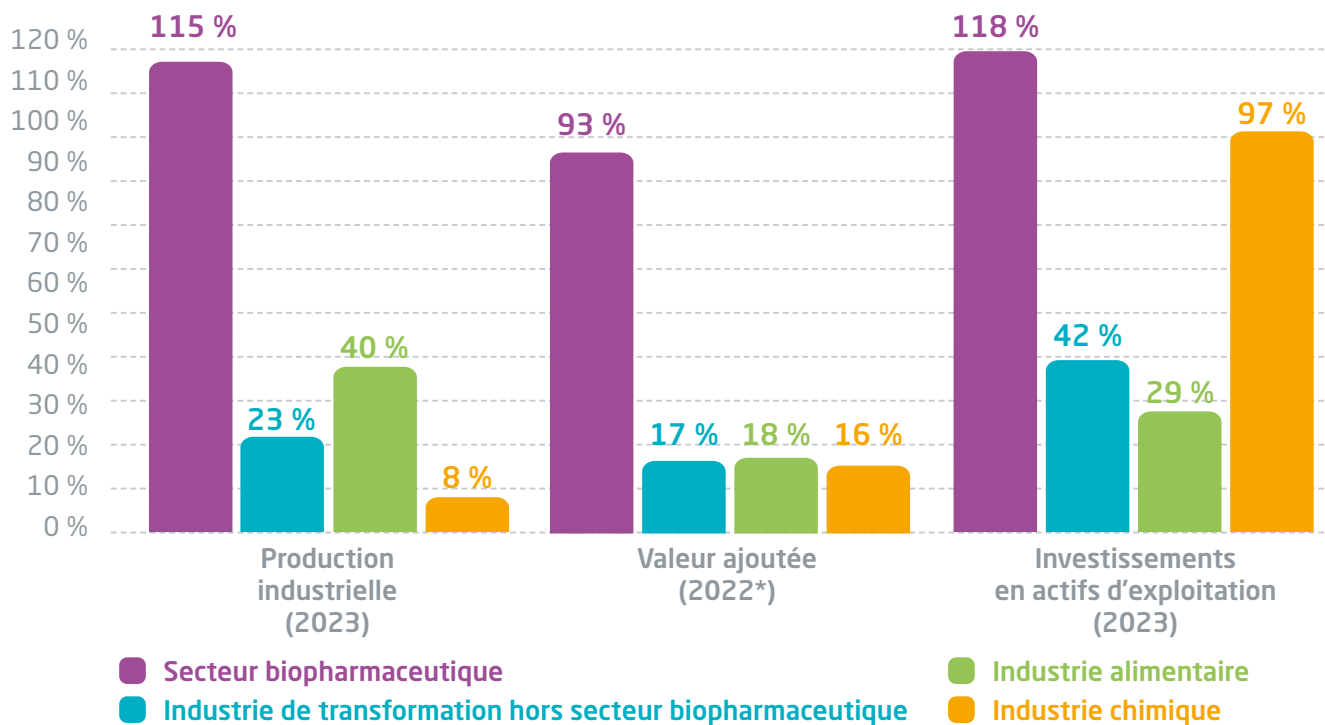
## Exportations en Europe et au-delà



Source : BNB

## PRODUCTION, VALEUR AJOUTÉE ET INVESTISSEMENTS

Évolution de la valeur ajoutée, des investissements et de la production sur 5 ans



\*Les chiffres relatifs à la valeur ajoutée ne sont pas encore disponibles pour 2023

Source : BNB, Valeur ajoutée (contre prix de base), Statbel, Indice de la production industrielle, Indice par jour ouvrable, CA et investissement selon la déclaration TVA

### Production

En 2023, la production industrielle a diminué pour l'ensemble de l'industrie manufacturière belge. Il en va de même pour l'industrie biopharmaceutique, essentiellement en raison de la forte baisse de la production de vaccins Covid-19. Si l'on regarde un peu plus loin, on constate

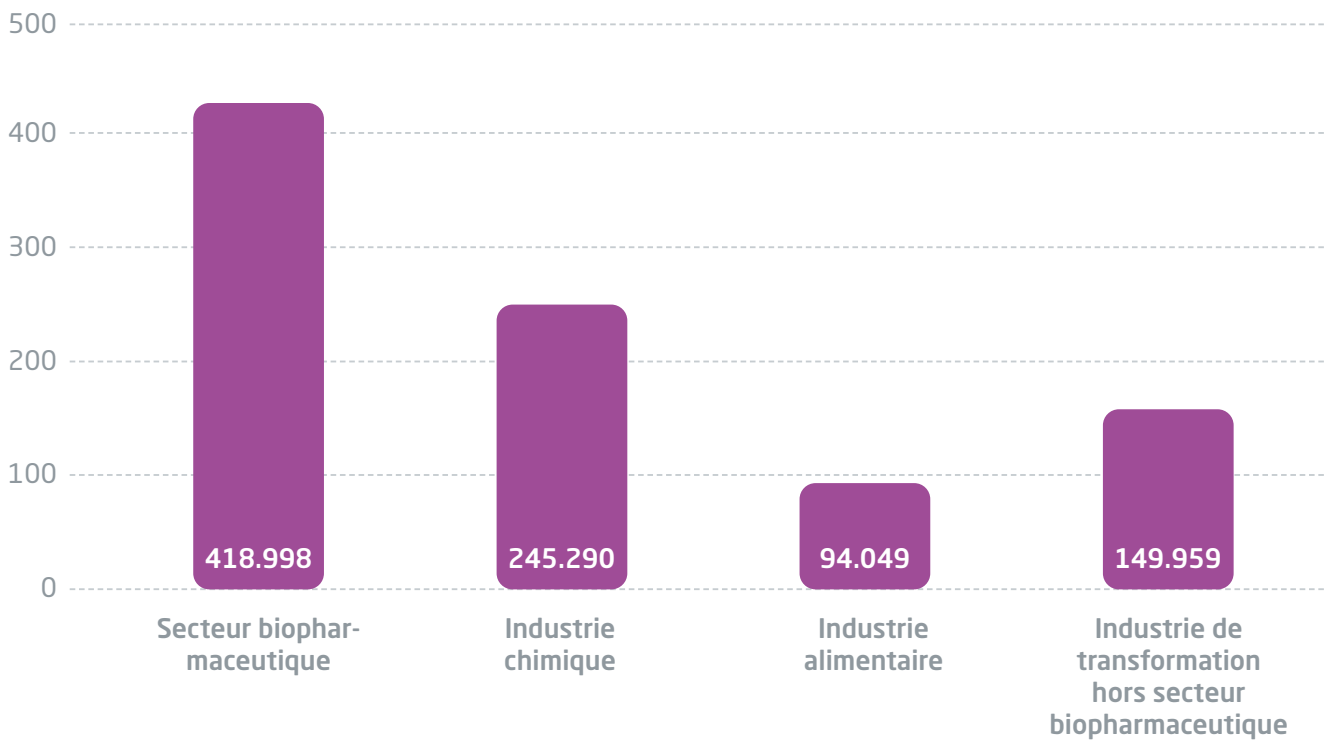
toutefois que la production de l'industrie biopharmaceutique a plus que doublé au cours des cinq dernières années. Aucun autre secteur industriel n'a connu une croissance aussi impressionnante.

### Valeur ajoutée

En matière de valeur ajoutée également, l'industrie biopharmaceutique a aussi réalisé des résultats exceptionnels, puisque la valeur ajoutée a doublé en seulement cinq ans. Par conséquent, l'industrie biopharmaceutique est le premier secteur en termes de valeur ajoutée depuis 2019, aucun autre secteur ne pouvant afficher des taux de croissance aussi élevés. **En 2022, le secteur représentait près d'un cinquième de la valeur ajoutée totale générée par le secteur manufacturier de notre pays.** Au cours des 25 dernières années, la valeur ajoutée de l'industrie biopharmaceutique a quadruplé.

**Ce bon résultat s'explique en grande partie par la haute productivité de travailleurs actifs dans le secteur.** La valeur ajoutée brute par travailleur, qui revient à près de 420.000 euros, est presque trois fois plus élevée que celle des autres secteurs au sein de l'industrie de la transformation. Il s'agit d'un très bon résultat même dans un contexte international, ce qui place le travailleur belge au sein du secteur biopharmaceutique en 2<sup>e</sup> position parmi les pays UE27. Ce résultat souligne clairement l'importance économique du secteur. Par rapport à l'ensemble de l'UE27, le résultat en Belgique a plus que doublé.

## Valeur ajoutée brute par travailleur (2022)



## Investissements en actifs d'exploitation

**Les performances impressionnantes du secteur sont en partie le résultat d'efforts considérables en matière de R&D et d'investissements continus dans les actifs.** Il peut s'agir d'investissements dans les terrains, les bâtiments, les installations, les machines et les équipements visant, par exemple, à augmenter la capacité de production ou à rendre les installations de

production plus respectueuses de l'environnement. Sur une période de cinq ans, les investissements en actifs ont plus que doublé. Ainsi, en 2023, le secteur représentait près de 10 % des investissements dans l'industrie manufacturière. Aucun autre secteur ne peut afficher une telle croissance.



## 3.2.2 Analyse coût-bénéfice pour l'État belge

L'impact économique direct d'un secteur biopharmaceutique fort en Belgique est évident. Par ailleurs, **la présence du secteur a également un impact positif sur les finances publiques**, comme le montre le calcul suivant pour 2023.

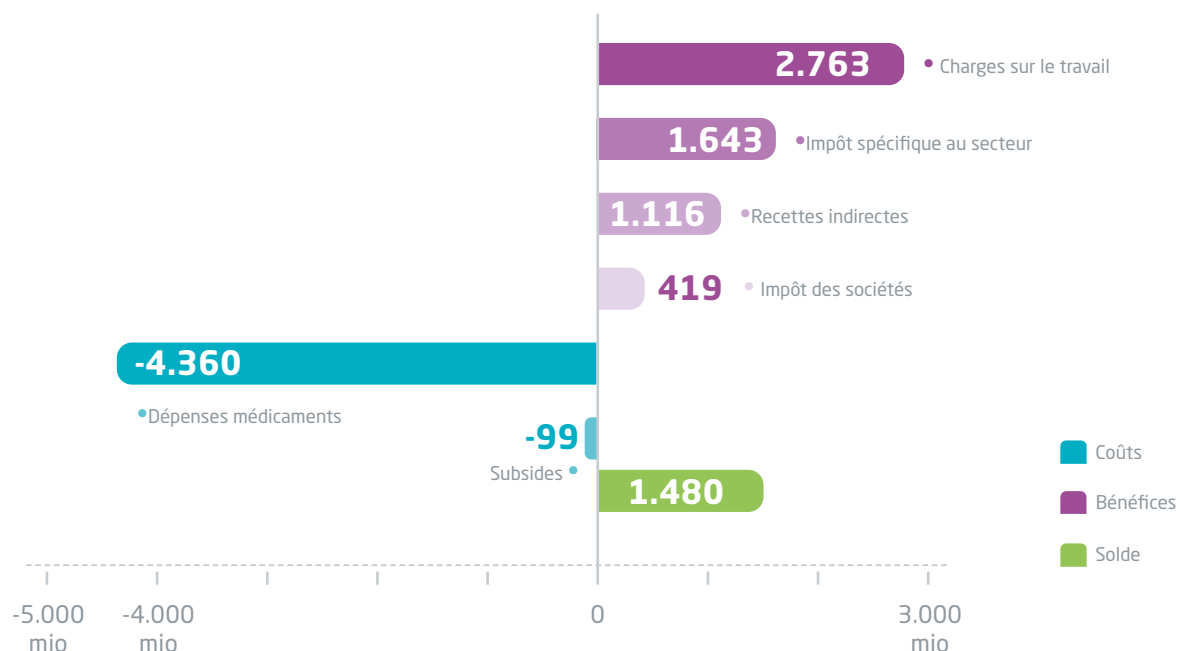
Pour effectuer cette analyse coût-bénéfice (voir également l'annexe 1), nous prenons d'abord en compte les coûts des médicaments pour l'État. Ces coûts sont remboursés par l'INAMI et comprennent les dépenses pour tous les médicaments remboursés. Les dépenses publiques sont également reprises sous forme de subventions au secteur biopharmaceutique. Au total, ces dépenses s'élèvent à 4,5 milliards d'euros.

**Cependant, la présence du secteur biopharmaceutique génère également des recettes publiques considérables :**

1. l'impôt sur le travail, qui s'élève à près de 2,8 milliards d'euros
2. les taxes spécifiques au secteur (comme la taxe sur le chiffre d'affaires)
3. l'impôt des sociétés
4. les recettes liées à la chaîne économique créée par le secteur biopharmaceutique.

Au total, les recettes publiques s'élèvent à 5,9 milliards d'euros.

### Coûts et bénéfices du secteur biopharmaceutique pour les finances publiques



Cette comparaison entre les dépenses et les recettes publiques montre que la contribution du secteur biopharmaceutique aux recettes de notre pays est nettement supérieure aux dépenses de la Belgique dans ce secteur.

**Le surplus s'élève à presque 1,5 milliard d'euros.** Une comparaison avec d'autres pays montre que cette position est unique et que de nombreux pays nous l'envient.



Comment  
nous  
le faisons

# 4

# 4.1 Nous prenons nos responsabilités

## 4.1.1 Une éthique stricte

Le secteur biopharmaceutique est à juste titre l'un des secteurs les plus réglementés en Belgique. Il s'agit en effet d'un acteur essentiel pour garantir un bien particulièrement précieux : notre santé et notre qualité de vie. pharma.be prend cette responsabilité résolument à cœur. Depuis la création de pharma.be, les membres s'en tiennent à des principes éthiques stricts qui dépassent de loin les normes minimales légales. **Le soin, l'intégrité, le respect et l'équité** en forment le fil conducteur.

Les membres de pharma.be ne se contentent pas de suivre ces valeurs clés dans leur propre fonctionnement, ils les appliquent particulièrement dans leur interaction avec d'autres. **La collaboration avec des centres d'expertise, les pouvoirs publics, des prestataires des soins de santé, des patients et leurs associations, est en effet cruciale.** Sans ces interactions, le secteur serait dans l'incapacité de développer des traitements innovants et efficaces. **Les valeurs clés veillent à toujours maintenir les intérêts du patient en point de mire et à ce que chaque collaboration se déroule de manière transparente, indépendante et qualitative.**

Ces valeurs clés font dès lors l'objet d'une garantie formelle. Il y a déjà près de 50 ans, pharma.be a été la première fédération d'entreprises belge à introduire son propre code déontologique. Si les valeurs clés sont restées inchangées, leur interprétation dans le **Code de déontologie** a par contre changé. En effet, les nombreuses et rapides évolutions dans les sciences, les tech-

nologies et la société s'accompagnent tour à tour de nouveaux questionnements éthiques qui réclament des réponses. pharma.be a ainsi à nouveau modifié son Code de déontologie en 2024, afin d'encore mieux pouvoir soutenir la collaboration croissante avec les patients et leurs associations.

pharma.be ne garantit pas seulement formellement les valeurs clés par le biais du Code de déontologie, mais aussi par le biais du **Bureau de Contrôle de la Communication Écrite (BCCE)**. pharma.be a lancé cet organe indépendant en 2010 pour améliorer la qualité de la communication adressée aux prestataires de soins. Ces deux initiatives démontrent que pharma.be et ses membres s'engagent pleinement à travailler de manière transparente, correcte et qualitative, dans l'intérêt du patient.

Toutefois, l'équité et la qualité des soins dépassent le cadre des activités de pharma.be. Outre ces initiatives propres, pharma.be s'engage donc stratégiquement à contribuer (pro)activement à des collaborations et des instruments plus larges. Pharma.be fait ainsi partie de la **plateforme déontologique Mdeon et de Betransparent**. En tant que représentant du secteur biopharmaceutique novateur, pharma.be souhaite contribuer à ce que ces initiatives se développent et innovent en fonction de l'évolution du contexte et des besoins du patient.

### Modification du Code de déontologie en concertation avec les (associations de) patients

Les membres de pharma.be s'engagent depuis maintenant 50 ans pour un code de déontologie propre. Ce Code de déontologie fournit un cadre pour développer des relations durables avec les partenaires du secteur de la santé, des établissements universitaires aux médecins en passant par les associations de patients. Ces dernières années, le dialogue entre pharma.be et les patients ainsi que leurs associations s'est particulièrement intensifié, comme le prouve entre autres l'organisation de tables rondes du 28 novembre 2023. Lors de ces entretiens, il est apparu que les (associations de) patients éprouvaient des difficultés avec la procédure de plainte telle qu'élaborée dans le Code

de déontologie. Ils la trouvaient trop ardue et formelle.

pharma.be a donc **modifié le Code de déontologie en 2024, tenant compte de ce feed-back des (associations de) patients.** Jusqu'à présent, une personne ou organisation ayant des doutes sur le respect du Code par une entreprise membre de pharma.be, a pu **introduire une plainte** auprès du **Secrétariat du Code de déontologie**. **La Commission de déontologie et d'éthique pharmaceutique (Commission DEP) a traité cette plainte.**

Désormais, depuis la modification du Code, approuvée le 13 mars 2024 par l'Assemblée générale, il est possible d'avoir un **échange et une médiation informels** entre un patient ou son association et un membre de pharma.be.



Considérant la collaboration croissante entre les associations de patients et les entreprises biopharmaceutiques innovantes, il est important de créer des conditions équitables en cas de différends. Cet ajout au Code de déontologie prouve clairement la valeur accordée à notre partenariat et la réciprocité de la confiance.

*Stefan Joris et Inge Van de Velde, membres du Patient Advisory Board de pharma.be*



## Rôle supplémentaire pour le BCCE

Les patients ou leurs associations désireux de déposer une plainte doivent compléter un formulaire en ligne ou l'envoyer par voie postale. Le président du BCCE (voir ci-dessous) en vérifie la recevabilité et procède à une première vérification du bien-fondé de la plainte. **Si la plainte satisfait sur les deux plans, les parties concernées seront invitées à une concertation informelle, dirigée par le président du BCCE.** Pendant cette concertation, les parties auront l'occasion de s'exprimer librement, sans avocats ou juristes.

Grâce à cette procédure, les parties peuvent échanger des points de vue de manière accessible et **parvenir à une conciliation**. La conciliation est verbale et non contraignante. Cette procédure informelle n'entraîne aucuns frais. Elle s'applique uniquement pour d'éventuelles infractions au respect du Code de déontologie. Les plaintes concernant les effets secondaires ou d'autres plaintes relatives aux produits, par exemple, n'entrent pas dans le champ d'application.

## Une procédure DEP également simplifiée en cas d'absence d'accord

Si l'entretien de conciliation n'aboutit pas à un accord, les parties peuvent **entamer une procédure formelle auprès de la Commission DEP**. Selon le Code de déontologie modifié, la procédure DEP, tout comme la procédure de conciliation, n'entraîne aucuns frais pour le patient et/ou son association. Le patient et/ou son association peuvent également choisir la langue de la procédure, le néerlandais ou le français.

Ils ne sont donc plus limités par la langue du lieu où se situe le siège social du membre de pharma.be concerné.

Par cette modification du Code de déontologie, pharma.be souhaite poursuivre ses efforts de collaboration éthique, transparente et durable avec les patients et leurs associations.

## Tâche principale du BCCE : contrôle de la communication écrite

Le BCCE s'est vu attribuer un rôle supplémentaire avec la procédure informelle de plainte concernant le Code de déontologie. Ce qui n'empêche naturellement pas le BCCE de poursuivre sans faille sa tâche principale : **contrôler et accompagner nos entreprises membres dans la réali-**

**sation d'une communication équitable et qualitative. Le BCCE est particulièrement soucieux de la communication envers les prestataires de soins professionnels.** Il ne s'exprime donc pas par exemple au sujet de la communication s'adressant exclusivement aux patients.

## Pourquoi ?

La publicité pour les médicaments à usage humain est encadrée de manière très stricte par les pouvoirs publics belges. Cette législation/réglementation doit permettre une utilisation rationnelle des médicaments, en toute objectivité et sur base d'informations correctes et complètes.

Un organe indépendant nommé BCCE, composé d'un juriste, d'un médecin et d'un pharmacien, a été créé en 2010 afin de **soutenir nos entreprises membres** en la matière. Ils vérifient si la communication des entreprises respecte bien notre propre Code de déontologie, ainsi que la législation et la réglementation. Ils formulent également des recommandations pour une communication encore plus qualitative. Ce système d'autorégulation est unique au monde.

## Caisse de résonance

Le BCCE ne se contente pas d'être un organe de contrôle, c'est **aussi un conseiller et une caisse de résonance**. Il suit de près la législation et la réglementation et surveille les tendances en communication (telle la communication en ligne ou cross-média). Grâce à tous ces comptes-rendus, il dispose en outre de **précieuses informations et expertise**. À partir de là, il met en évidence les meilleures pratiques ou formule des recommandations très spécifiques. Vous en trouverez chaque fois un compte-rendu dans le rapport annuel du BCCE.

Par cette procédure de contrôle, le BCCE veille à ce que nos entreprises restent attentives au Code déontologique et aux législations et réglementations en vigueur, et les respectent strictement. Les exemples pratiques et recommandations veillent en outre à ce que la communication écrite reste équitable et qualitative à travers toutes les tendances et évolutions.

## Organe de contrôle

**Le BCCE étudie chaque année aléatoirement la communication de cinquante médicaments de cinquante entreprises différentes de pharma.be.** Les entreprises fournissent à cette occasion toute la communication écrite concernant le médicament sélectionné par le BCCE. Ce dernier vérifie entre autres si le Code de déontologie de pharma.be est respecté, si la communication satisfait à la législation et à la réglementation, si tous les aspects essentiels sont mentionnés et si l'information est claire et correcte. Chaque entreprise concernée reçoit un rapport avec des conclusions provisoires. Le BCCE établit un rapport définitif après réception de leur feed-back et/ou de leurs compléments. Les entreprises concernées peuvent ensuite ajuster leur communication en se basant sur ce rapport.



## Le rapport annuel BCCE 2023 : chiffres, conclusions & conseils

### Chiffres

- Le BCCE a analysé de manière aléatoire 50 médicaments de 50 membres différents.
- 68 % des membres contrôlés ont transmis leurs observations et/ou ajouts au rapport provisoire.
- 50 rapports définitifs ont été rédigés.

### Conclusions générales

- En 2023, les membres de pharma.be ont en général à nouveau bien respecté les exigences déontologiques et réglementaires concernant la communication écrite.
- Le fait que 68 % réagissent aux rapports provisoires prouve que les entreprises attachent de l'importance à une communication équitable et qualitative. La plupart des réactions concernaient soit une confirmation de l'application des modifications nécessaires, soit l'envoi d'éclaircissements.

### Conseils

- La diversification des canaux de communication est de plus en plus fréquente. Il faut donc se montrer particulièrement attentif à diffuser partout des informations correctes et facilement accessibles. Certaines entreprises ne répètent pas toujours le prix ou d'autres éléments essentiels dans la communication en ligne, préférant créer un lien à cet effet, par exemple. Si cela facilite l'actualisation des informations, le lecteur ne devrait pas être amené à faire des recherches. Le BCCE demande que le lien renvoie directement aux données, sans devoir cliquer à plusieurs reprises.
- Les représentations graphiques sont aussi fréquentes. Capables de transmettre plus facilement des informations, elles doivent néanmoins être tout aussi claires et complètes qu'un texte écrit. Le BCCE conseille d'ajouter si besoin des explications supplémentaires aux graphiques et autres schémas, afin d'éviter toute confusion ou désinformation.
- Des risques de confusion ou de désinformation peuvent aussi apparaître dans l'utilisation de jargon professionnel ou d'abréviations spécifiques. Ils ont beau être répandus dans les entreprises biopharmaceutiques, le lecteur n'a pas toujours connaissance de ces termes ou abréviations, qui pourraient être interprétés différemment. C'est pourquoi le BCCE conseille de clarifier ces termes et abréviations.

## Plateforme santé déontologique Mdeon

Mdeon se compose entre autres d'une trentaine d'associations de médecins, de pharmaciens, de personnel soignant, de paramédicaux, d'hôpitaux et d'entreprises biopharmaceutiques. En se basant sur l'article 10 de la loi sur les médicaments, **Mdeon** entend proposer un **cadre de qualité** pour **informer et promouvoir des médicaments et dispositifs médicaux**.

Des entreprises biopharmaceutiques et de technologie médicale organisent régulièrement des événements scientifiques afin, par exemple, de pouvoir informer correctement les prestataires de soins professionnels des

évolutions les plus récentes. Dans certains cas, le financement de la participation des prestataires de soins à de tels événements nécessite un *visa*. Mdeon attribue ces visas, garantissant par là le respect de la législation et de la déontologie en vigueur.

Mdeon publie chaque année un rapport d'activités détaillé relatif à la procédure de visa. Vous trouverez les chiffres clés de 2023 ici :

[Chiffres clés de 2023](#)



## Betransparent : transparence dans l'intérêt du patient

Pour les entreprises pharmaceutiques, il est essentiel de collaborer avec les prestataires de soins professionnels et les organisations de santé ainsi qu'avec les patients et leurs associations. Ces collaborations vont du **partage d'expertise** à la **collaboration dans la recherche scientifique**, en passant par exemple par la **promotion de formations médicales**. Seule une collaboration intensive peut permettre au secteur biopharmaceutique de continuer à assurer des innovations et des percées capables d'améliorer significativement la vie et la qualité de vie des patients.

Il est tout aussi essentiel de toujours garantir l'**indépendance des partenaires avec lesquels le secteur collabore**. Cela nécessite non seulement une **législation et une réglementation strictes**, mais aussi, un **rapportage transparent**. Une communication ouverte et claire au sujet des interactions assure en effet une meilleure compréhension du secteur et améliore la confiance au sein de celui-ci. pharma.be consacre depuis

déjà des années un large volet à la transparence dans son propre Code de déontologie (voir ci-dessus). Par ailleurs, depuis le Sunshine Act de 2016, la transparence au sujet des primes et avantages (directs et indirects) accordés par le secteur à des partenaires est également légalement fixée en Belgique.

Grâce au Sunshine Act, chacun peut trouver des informations financières au sujet des interactions du secteur avec des prestataires de soins, organisations de soins de santé et associations de patients sur la plateforme centrale [www.betransparent.be](http://www.betransparent.be). Il s'agit entre autres des honoraires de prestataires de soins pour des services et consultances, de la contribution à l'organisation de manifestations scientifiques ou à la participation à ces dernières, et de subsides pour soutenir les soins de santé. Le registre de transparence est publié annuellement. En 2023, pharma.be a par ailleurs veillé à ce que ce registre soit plus facilement et largement consultable.

Code pour  
[Betransparent.be](http://Betransparent.be)



# Registre de transparence 2023 : chiffres et évolutions

## Chiffres

- 688 entreprises technologiques biopharmaceutiques et médicales ont publié leurs données pour 2023.
- En 2023, elles ont investi au total 303.425.820 € en collaboration avec des prestataires de soins,
- Réparti sur les différents types d'investissements, cela donne :

**198,5 mio €**

Recherche scientifique

**17,3 mio €**

Soutien d'associations de patients

**26,2 mio €**

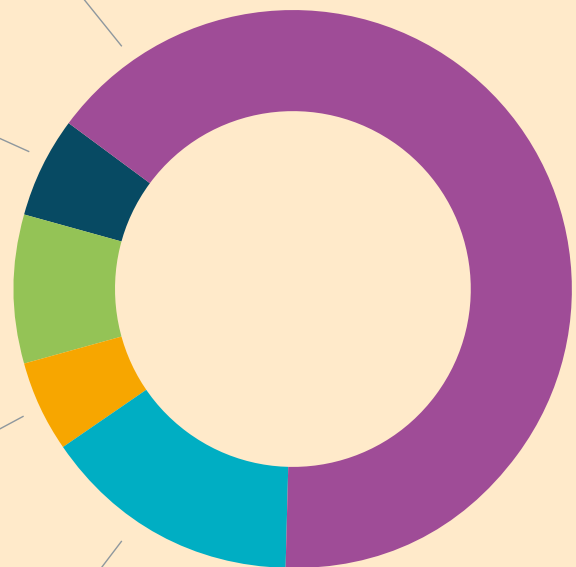
Services de consultance

**16,0 mio €**

Donations et subventions

**45,4 mio €**

Manifestations scientifiques



## Évolutions

Si l'on se penche sur les chiffres des cinq dernières années, on constate que la collaboration entre l'industrie et les soins de santé s'intensifie globalement, à l'exception d'une baisse significative au cours de l'année Covid 2020.

En 2023 les investissements ont ainsi augmenté de 13 % par rapport à l'année précédente et de 22 % par rapport à 2019. Des différences sont toutefois à noter dans les types de collaborations. La recherche scientifique a par exemple progressé de presque 30 % par rapport à il y a cinq ans, alors que les donations et les subventions ont suivi la tendance inverse en chutant de 27 %.

L'intensification de la collaboration avec les associations de patients représente une évolution importante. Si les investissements dans ce domaine ne représentaient que 6 % du montant total en 2023, ils n'en ont pas moins presque doublés par rapport à 2019. Cela indique une fois de plus l'attention croissante accordée à la voix des patients dans l'ensemble du parcours des innovations biopharmaceutiques.

## 4.1.2 En répondant aux besoins urgents du patient

Dans des cas exceptionnels, lorsque la procédure d'autorisation est toujours en cours, les programmes d'**usage compassionnel** (compassionate use) et **médicaux d'urgence** permettent d'administrer un médicament (qui n'a pas encore été approuvé par l'EMA) à des patients souffrant d'une maladie chronique ou grave qui ne peut être traitée avec un médicament déjà disponible sur le marché.

La Belgique a introduit le concept d'*usage compassionnel* dans le cadre d'une nouvelle législation créée en 2014 (mise en œuvre de l'article 83 du règlement européen 726/2004). Dans le même temps, notre pays en a profité pour créer un cadre juridique plus large, notamment en permettant également des « programmes médicaux d'urgence ».

La différence essentielle entre ces deux types de programmes concerne l'autorisation de mise sur le marché :

- Les programmes d'*usage compassionnel* (CUP) permettent l'utilisation de médicaments sans autorisation de mise sur le marché.
- Les programmes médicaux d'urgence (MNP, Medical Need Programs) concernent l'usage de médicaments ayant déjà une autorisation de mise sur le marché, mais pas pour l'indication visée (c'est-à-dire pour une deuxième ou une troisième indication encore non approuvée).

Pour permettre aux patients d'accéder **plus rapidement et gratuitement** aux derniers traitements dans le cadre

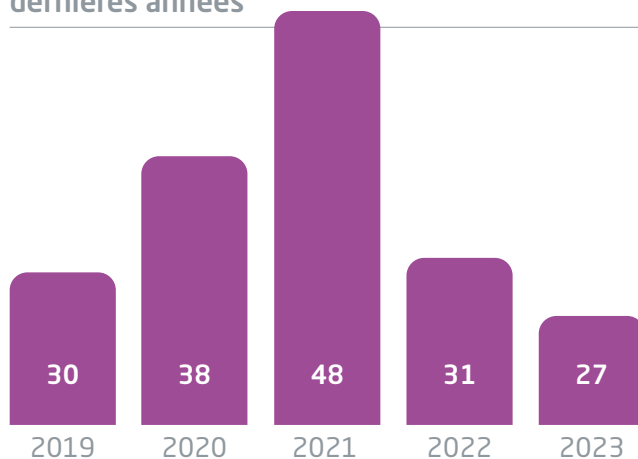
de ces programmes, dans des cas exceptionnels, l'AFMPS doit demander une autorisation temporaire ou une ETA (Early Temporary Authorisation) avant même que la procédure d'enregistrement ne soit terminée.

Étant donné que l'EMA n'a pas encore accordé d'autorisation de mise sur le marché, l'AFMPS doit évaluer de manière très stricte les avantages et les risques du médicament. Si la demande est approuvée, l'entreprise fournira gratuitement le nouveau médicament aux patients inscrits au programme à la demande de leur médecin traitant. Les programmes se déroulent jusqu'à ce que le médicament soit disponible sur le marché pour l'indication concernée.

**Cette mise à disposition exceptionnelle a lieu en toute transparence** : tous les programmes adoptés sont publiés sur le site Internet de l'AFMPS<sup>et70</sup> peuvent être consultés par les patients et les prestataires de soins de santé.

À la fin du mois d'août 2024, plus de 42 programmes étaient en cours.

Nombre de programmes d'usage compassionnel (CUP) et médicaux d'urgence (MNP) soumis à évaluation à l'AFMPS au cours des cinq dernières années





## Besoins en matière de politiques décisives et de partenariats

Force est toutefois de constater qu'il n'existe pas encore de traitement autorisé pour près de 95 % (!) des maladies rares identifiées<sup>72</sup>. Pour relever les défis auxquels la recherche de nouveaux traitements fait face, nous avons besoin de mesures politiques décisives et de partenariats entre le public et le privé.

L'**initiative Rare Disease Moonshot**, une coalition entre huit partenaires internationaux issus de l'industrie, des pouvoirs publics, du monde scientifique et des utilisateurs/patients, illustre parfaitement ce partenariat. Cette coalition a été lancée en 2022 pour accélérer les avancées dans les thérapies pour les maladies rares et les maladies chez des enfants impossibles à traiter actuellement.

Le Gouvernement belge souhaite aussi accélérer les choses. Le ministre fédéral de la Santé publique a ainsi annoncé le développement d'un nouveau Plan belge pour

les maladies rares lors de la Journée internationale des maladies rares (chaque année, le dernier jour de février) de 2024. pharma.be plaide dans ce cadre aussi pour le regroupement des forces et l'interaction entre les pouvoirs publics, l'industrie et les associations de patients.

Ce sujet a par ailleurs été abordé lors du Rare Diseases Forum qui s'est déroulé le 16 avril 2024, pendant la présidence belge du Conseil de l'Union européenne. En tant que co-organisateur, pharma.be s'est associé à neuf autres partenaires européens pour réunir des associations de patients, des entreprises et des pouvoirs publics et réfléchir aux façons de garantir la compétitivité européenne en R&D pour des maladies rares. Présente à cette table ronde, Caroline Ven, CEO de pharma.be, a entre autres souligné l'urgence de budgets suffisants pour le remboursement de traitements innovants, parmi lesquels des médicaments orphelins.



### 4.1.3 En s'appuyant sur l'éducation et le dialogue

En 2023, pharma.be a lancé une **campagne d'information éducative** axée sur les différents groupes cibles dans l'écosystème sanitaire. Pour de nombreuses questions liées à notre santé et aux médicaments, les réponses sont parfois très complexes. pharma.be veut apporter des réponses claires à ces questions. Des informations sur les raisons pour lesquelles certains problèmes ne peuvent être résolus que par la coopération et, surtout, sur ce que le secteur lui-même fait pour la santé de tous en Belgique. Une deuxième campagne axée sur la valeur et la disponibilité des médicaments a démarré le 7 octobre 2024 suite au succès de la première édition.

Cette année encore, pharma.be s'est adressée à de nombreuses parties prenantes en Belgique. Des (futurs) décideurs politiques et parties prenantes publiques ont été invités sur place, chez nos entreprises membres, pour une série de débats intéressants dans le cadre du **pharma.be on tour**. En adoptant une écoute mutuelle et en n'hésitant pas à engager une conversation critique, nous pouvons progresser.

**Les publications dans les médias**, qui critiquent parfois vivement l'industrie des médicaments, ont constitué un défi pour engager le dialogue avec les journalistes et expliquer la complexité des systèmes et

réglementations existants.

**L'équipe de pharma.be** elle-même a aussi participé à plusieurs **tables rondes** et **programmes de discussion** sur différents sujets, comme **l'indisponibilité (temporaire) de médicaments, la transparence dans les conventions avec les pouvoirs publics et la valeur des médicaments**.

Dans ce qui suit, nous approfondissons trois sujets autour desquels pharma.be a activement intensifié le dialogue au cours de l'année écoulée.

#### Une procédure de remboursement de médicaments pérenne et orientée patient

En Belgique, la **procédure de remboursement de médicaments actuelle** n'a fondamentalement plus changé depuis 2001. Désormais, elle ne **satisfait plus aux besoins de l'évolution rapide des innovations scientifiques et technologiques actuelles**.

En 2022, l'INAMI a donc entamé une vaste consultation des parties concernées, comme les pouvoirs publics, les associations de patients, le secteur des soins de santé et l'industrie biopharmaceutique, ainsi qu'avec pharma.be. La nécessité d'une collaboration entre les différentes parties prenantes vise à ce que les réformes correspondent véritablement aux besoins des patients et prestataires de soins. pharma.be a participé très activement aux discussions.

Le système pérenne se doit d'être innovant et rapide, avec un processus décisionnel transparent et inclusif.

A l'issue de ces discussions, une « **roadmap** » **pour la réforme de la procédure de remboursement** a vu le jour. Elle entrera progressivement en vigueur le 1er janvier 2025 et sera totalement mise en œuvre dans deux ans.

Quelques éléments constitutifs du nouveau système de remboursement auxquels pharma.be a contribué :

- Un important pilier du nouveau système consiste en un renforcement de l'implication des associations de patients dans le processus de prise de décision concernant le remboursement de médicaments. La Commission de remboursement des médicaments (CRM) sera élargie avec des porte-paroles des patients, ce qui contribuera à plus de prises de décisions orientées patients.
- Pour la première fois, les (associations de) patients seront désormais impliqué(e)s dans la décision de remboursement de médicaments.
- Les procédures seront simplifiées et accélérées, afin

que les patients puissent avoir plus rapidement accès à de nouveaux médicaments innovants. Ce qui est littéralement vital pour des patients atteints de maladies graves ou rares, pour qui il n'existe que peu ou pas d'autres options de traitement.

- Le remboursement deviendra plus transparent. Les (associations de) patients et prestataires de soins obtiendront plus rapidement, de plus nombreuses informations claires sur la disponibilité et le remboursement de médicaments.

Pour que notre système de soins de santé puisse mettre les innovations du secteur biopharmaceutique à la disposition des patients rapidement et à un prix abordable, pharma.be participe déjà activement au déploiement de cette importante réforme.

### « Stronger than cancer together! »

**Le cancer est depuis 2019 la principale cause de mortalité en Belgique. Chaque jour, près de 228 Belges meurent d'un cancer.** Si le plan cancer actuel a enregistré d'importants résultats, il date toutefois de 2008. Il est sans doute inutile de préciser que bien des choses se sont passées depuis lors. D'une part, nous avons enregistré une énorme avancée dans les technologies, les thérapies innovantes et les connaissances, mais d'autre part, nous avons aussi constaté une évolution des problèmes et des besoins des patients et prestataires de soins. Bien que le nombre de diagnostics de cancer augmente chaque année, de plus en plus de personnes survivent après le diagnostic de la maladie.

En 2022, la Fondation contre le cancer s'est associée au Belgian Board of Oncology (anciennement Collège d'oncologie), au Belgian Cancer Registry et à Sciensano pour publier le Baromètre belge du cancer, qui a mis en lumière les points d'amélioration précis concernant, notamment, la prévention primaire, le screening, le diagnostic et le traitement, les soins de suivi et la vie après un cancer, ainsi que les soins palliatifs.

Grâce notamment au groupe miroir belge du Plan européen pour vaincre le cancer (EBCP), la Belgique est très active dans un (grand) nombre de projets financés par l'Europe. Malgré cela, il reste nécessaire d'avoir une vision belge avec une approche plus intégrée, une ambition claire, des objectifs et un financement adéquat.

Le Centre belge du Cancer de Sciensano dresse actuellement un Inventaire belge du cancer, un nouveau cadre destiné à surveiller le traitement du cancer et les politiques de lutte contre le cancer en Belgique.

Le 14 mars 2024, le groupe de travail Plan cancer de pharma.be a organisé une table ronde avec les représentants de la Belgian Society of Medical Oncology (BSMO), la Belgian Hematology Society (BHS) et la Belgian Society of Paediatric Haematology Oncology (BSPHO), à l'occasion de laquelle ont entre autres participé des représentants de la Fondation contre le cancer, de Kom op tegen Kanker, du Belgian Cancer Registry, du SPF Santé publique, du Cancer Center de Sciensano, du Belgian Board of Oncology, de politiciens, du Patient Expert Center et de l'association de patients Prolong.

Une bonne collaboration entre les pouvoirs publics, les prestataires de soins professionnels, les entreprises pharmaceutiques et les associations de patients est la clé qui ouvrira la porte à une meilleure qualité de vie pour les patients atteints d'un cancer et pour leurs proches.

*Elke Stienissen, Chair patient committee of the Belgian Hematology Society*



## Le remboursement de médicaments contre le cancer pour les enfants

**Depuis le 1er janvier 2024, l'INAMI a lancé un projet pour le remboursement des médicaments contre le cancer destinés spécifiquement aux enfants.**

Les oncologues pédiatriques prescrivent souvent un traitement dit « **off-label** » aux **enfants**, parce que **peu de médicaments spécifiques contre le cancer** sont à leur disposition. Si ces traitements sont à l'origine développés pour des adultes, ils semblent aussi être cliniquement efficaces pour les enfants. Le traitement off-label n'était par contre pas toujours remboursé, confrontant les parents à de lourdes charges financières.

Ce projet vise à remédier à ce problème. pharma.be soutient l'accès temporaire, puisqu'il est basé sur l'évidence scientifique actuellement disponible pour l'administration à des enfants sous la surveillance du comité de suivi de l'INAMI.

Ces solutions doivent veiller à ce que les traitements standards pour les enfants souffrant d'un cancer puissent être en permanence ajustés et améliorés. Les enfants atteints d'un cancer et leurs familles pourront ainsi compter sur le meilleur soutien possible.



Les enfants atteints d'un cancer sont un groupe très spécifique qui réclame une attention toute particulière

*Prof. Dr. An Van Damme, Belgian Society for Pediatric Hematology and Oncology*



## 4.1.4 En respectant l'environnement et le climat

### Deux ans de Green Deal « Soins de santé durables »

Dès ses débuts en 2023 Pharma.be a contribué au **Green Deal « Soins de santé durables »**. Cette **initiative du Gouvernement flamand** ne souhaite pas uniquement **armer nos soins de santé** contre les conséquences du changement climatique et de la pollution, il souhaite aussi **réunir les individus et les organisations**. Les réunir pour réfléchir ensemble et échanger des idées au sujet des efforts de durabilité par le biais d'actions concrètes.

Quatre thèmes importants ont été identifiés au sein du Green Deal : « Nature & santé », « Climat & infrastructure », « Matériaux & déchets » et « Médicaments dans l'eau ». pharma.be participe activement aux deux derniers et dirige le thème « médicaments dans l'eau » avec le Vlakwa (Vlaamse Kenniscentrum Water) et la Vlaamse Milieumaatschappij (VMM).

Au sein de « **Matériaux & déchets** », nous collaborons avec les autres parties concernées à une meilleure connaissance des mesures prises par notre secteur pour réduire la quantité de déchets et à une **façon correcte de**

**collecter les déchets et les médicaments non utilisés** (voir paragraphe suivant).

Pour « **Médicaments dans l'eau** », un certain nombre d'actions spécifiques ont été proposées après avoir étudié différentes pistes, qui devraient aboutir à des résultats concrets d'ici la fin de ce Green Deal en 2026.

Il sera par exemple envisagé d'intensifier la collaboration avec les régions entourant la Flandre, de déterminer les médicaments figurant sur la liste européenne des produits à suivre qui sont particulièrement importants en Flandre et comment nous pouvons **sensibiliser davantage les prestataires de soins** aux **possibles effets des médicaments sur notre environnement de vie en général et sur l'écosystème aquatique en particulier**.

Par ces actions concrètes, nous visons avec des médecins, pharmaciens et hôpitaux un environnement de vie sain, où l'attention à l'environnement et l'attribution du traitement adéquat aux humains et aux animaux iront de pair.

### Collecte plurilatérale de médicaments périmés et inutilisés

Un autre exemple des efforts fournis par les membres de pharma.be pour réduire leur impact environnemental concerne la **collecte des médicaments périmés et inutilisés**. Ils ne peuvent pas être simplement jetés dans les toilettes ou dans la poubelle. Ils doivent être triés et collectés séparément parce qu'ils peuvent être dangereux pour l'environnement et la santé publique. Un « déchet médicamenteux » reste un médicament et il ne peut être utilisé à mauvais escient (par des enfants qui jouent ou des animaux qui cherchent de la nourriture, par exemple).

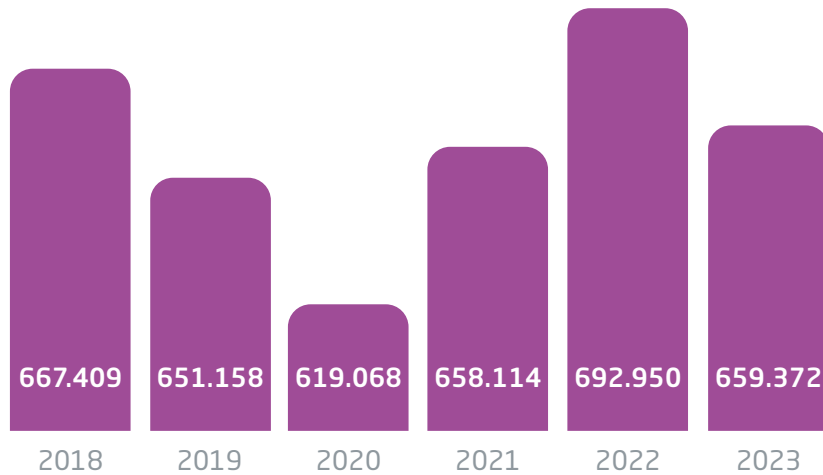
Afin d'encourager le tri et d'assurer une collecte correcte, l'industrie biopharmaceutique a collaboré avec plusieurs parties prenantes pour élaborer une solution gratuite pour les patients. Grâce à cette **initiative plurilatérale**, vous pouvez simplement ramener vos médicaments inutilisés et périmés à la pharmacie. Le pharmacien rassemblera les médicaments dans des boîtes prévues à cet effet Les grossistes-répartiteurs les récupèrent pour

les détruire ensuite dans des fours d'incinération. L'énergie dégagée lors du processus de destruction est ensuite réutilisée.

L'industrie biopharmaceutique prend en charge les frais des boîtes en carton et d'incinération, y compris les frais de transport entre le centre de distribution du grossiste et le site d'incinération. Ces frais sont répartis selon le nombre de médicaments vendus l'année précédente sur le marché ambulatoire.

**En Belgique, en 2023, cette collaboration a permis de collecter 659.372 kg de médicaments périmés et inutilisés.**

## Quantité totale de médicaments expirés ou non utilisés collectés en kg.

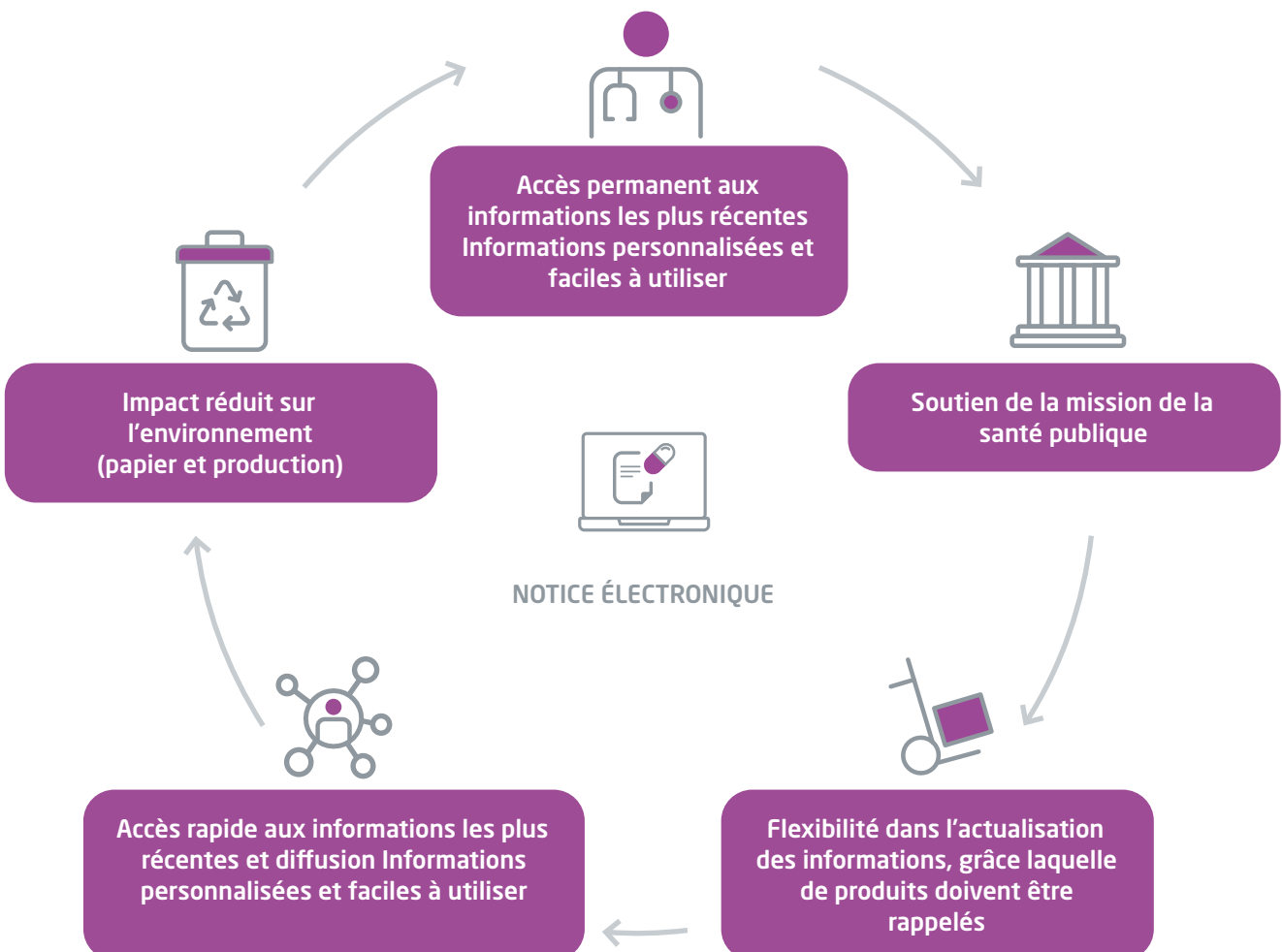


Source : pharmabe

## Les informations sur les médicaments passent d'une version papier à une version électronique

Jusqu'à présent, la réglementation européenne impose d'ajouter dans chaque emballage une notice contenant les informations et directives nécessaires à une utilisation sûre et efficace d'un médicament. Rien qu'en Belgique,

plus de 100 millions d'emballages de médicaments remboursés sont livrés chaque année. Les notices en papier ont donc un impact gigantesque sur l'environnement.



## e-Pil, une première en Europe

C'est pourquoi, en 2018, l'industrie biopharmaceutique belge a commencé à tester une notice électronique : **l'Electronic Patient Information Leaflet** ou e-Pil, en abrégé. Ce projet pilote était une première en Europe. L'e-Pil a dans un premier temps été appliqué à un nombre limité de médicaments, au sein de l'environnement contrôlé d'un hôpital. L'e-Pil a été mis à disposition auprès de sources fiables, comme la banque de données de l'AFMPS, le site web du CBIP (Centre belge d'information pharmacothérapeutique) et le site web de pharma.be, « e-compedium ».

En 2022, l'évaluation intermédiaire s'est avérée particulièrement positive, non seulement en ce qui concerne l'impact sur l'environnement, mais également d'un point de vue facilité d'utilisation : grâce à l'e-Pil, les utilisateurs ont en permanence accès aux informations les plus récentes, elles sont faciles à consulter et à rechercher, etc. L'e-Pil n'a donc certainement rien à envier à la notice en papier, bien au contraire. Dès 2023, le projet pilote a donc été élargi à une plus grande sélection de médicaments.

## L'Europe elle-même semble séduite par l'e-Pil

Les effets positifs n'ont pas non plus échappé à l'Europe. Dans le cadre de la réforme de la législation pharmaceutique en cours, la Commission européenne souhaite intégrer la possibilité de passer des notices papier aux notices électroniques. Les États membres devraient pouvoir en déterminer eux-mêmes le déploiement (progressif). La Commission précise toutefois que les patients devront toujours avoir le droit de demander une notice papier.

En avril 2024, le Parlement européen s'est exprimé sur cette proposition de la Commission européenne. Explicitement, il appartient aux États membres de décider si la notice doit être fournie uniquement par voie électronique, ou à la fois en version électronique et en version papier. Le Parlement européen considère qu'une telle décision ne peut être prise qu'en se basant entre autres sur de plus amples données provenant de patients, de prestataires de soins de santé et d'autres parties concernées. Le Conseil européen se penchera encore sur cette proposition fin 2024.

## Un nouveau test de fiabilité

Au niveau européen le processus décisionnel ne pourra sans doute pas aboutir avant 2025. En attendant, l'industrie biopharmaceutique belge souhaite poursuivre ses préparatifs en vue de la transition. Le point de départ en est entre autres l'évaluation finale du projet pilote belge (octobre 2024). pharma.be examine actuellement la possibilité de mettre en place un nouveau test de fiabilité, cette fois en dehors de l'environnement hospitalier. L'industrie pourra ainsi se préparer au mieux à la transition des notices papier aux notices électroniques.

pharma.be s'appuie sur les questions suivantes pour la mise en forme de ce nouveau test de fiabilité :

- Quel est concrètement l'objectif du test de fiabilité ?
- Quels aspects voulons-nous mesurer et comment procéder ?
- Quels types de médicaments devons-nous privilégier ?
- Quel est le meilleur mode d'accès à la notice électronique pour les patients et prestataires de soins ?

pharma.be va consulter l'ensemble des parties prenantes pour obtenir une réponse globale. Une collaboration ouverte entre l'industrie, les pouvoirs publics et les administrations, les prestataires de soins et les patients est en effet essentielle pour faciliter la transition vers les notices électroniques, tenant compte des besoins de chacune des parties.



## L'ESG dans le secteur biopharmaceutique

### Qu'est-ce que l'ESG ?

ESG est le sigle de **Environmental, Social et Governance**. Il s'agit d'une référence à trois facteurs importants qui aident les entreprises et investisseurs à évaluer le degré de durabilité et de responsabilisation d'une entreprise :

- **Environmental (Environnemental)** : Quels sont les efforts consentis par une entreprise pour l'environnement ? Cela englobe des sujets tels que la pollution, la consommation d'énergie et le changement climatique ;
- **Social** : Comment une entreprise se comporte-t-elle au niveau humain ? Cela englobe des sujets tels que les droits des travailleurs, la diversité et l'impact sociétal ;
- **Governance (Administration)** : Comment l'entreprise est-elle organisée et administrée ? Cela englobe la transparence, le comportement éthique, et le rôle du conseil d'administration.

Ensemble, ces facteurs aident à prendre des décisions d'investissement responsables et à favoriser l'entrepreneuriat durable.

### Quels sont les résultats du secteur biopharmaceutique belge dans le domaine de la durabilité ?\*

- 40 % des entreprises considèrent une stratégie durable comme essentielle et 30 % ont adopté une stratégie formelle de durabilité.
- Environ 50 % des entreprises ont très fortement intégré leur rôle et l'impact sociétal dans leur stratégie (durable).
- 50 % des entreprises ont déjà pris des initiatives pour diminuer leur empreinte carbone, alors que 25 % ont commencé à calculer leurs émissions.
- Près de 2 entreprises examinées sur 3 ont une personne dédiée au ESG dans l'organisation.
- Plus de la moitié des entreprises examinées indique que la durabilité joue un rôle important dans l'obtention d'un financement de capital.

\* Sur base d'une enquête de PwC « sustainability survey in the healthcare space ». 41 entreprises dans le secteur de la santé ont été interrogées, dont 17 entreprises biopharmaceutiques. Les pourcentages concernent uniquement les réponses des entreprises biopharmaceutiques.

### Quels sont des défis relatifs au ESG pour le secteur biopharmaceutique ?\*\*

En matière de rapport de durabilité, depuis cette année, l'Europe a imposé de nouvelles exigences aux plus grandes entreprises. C'est la fameuse CSRD (Corporate Sustainability Reporting Directive). Ces entreprises seront désormais tenues de réfléchir à l'intégration de la durabilité dans leur stratégie et de faire un rapport sur leurs prestations ESG conformément au cadre de rapportage décrit par la CSRD. Elles devront donc faire un rapport sur leur mode d'intégration de la durabilité dans leurs activités, leurs objectifs et leurs prestations par rapport à ces objectifs.

Le secteur biopharmaceutique a un impact sociétal très important et positif par le développement de médicaments qui sauvent des vies, améliorent la santé publique, la qualité de vie, etc. Le secteur commence désormais à prendre toujours plus ses responsabilités vis-à-vis des questions environnementales. En calculant par exemple son empreinte carbone. De nombreuses entreprises biopharmaceutiques en Belgique calculent déjà l'empreinte carbone de leurs propres activités. Mais seulement un quart d'entre elles environ calcule aussi celle de l'ensemble de leur chaîne de valeur (émissions dites de scope 3). Ces émissions de scope 3 devront faire l'objet d'un rapport de la part de toutes les entreprises importantes dans le cadre des obligations de rapportage CSRD. Elles montrent aussi la responsabilité que les entreprises seront amenées à prendre pour l'ensemble de leur chaîne de valeur.



Il reste donc du chemin à parcourir avant de pouvoir combler le fossé entre l'impact environnemental et le sociétal. Les entreprises biopharmaceutiques doivent veiller à continuer à sauver des vies avec des médicaments et vaccins innovants et essentiels, tout en réduisant au mieux l'empreinte écologique de leur chaîne de valeur, de la recherche et du développement à l'utilisation par le patient, en passant par la production, la logistique et le transport.



De nos jours, de nombreuses entreprises biopharmaceutiques prennent déjà des mesures pour réduire leurs émissions : verdir leurs parcs automobiles, leurs bâtiments et leurs infrastructures, installer des panneaux solaires, acheter de l'énergie verte, etc. La pression des parties prenantes dans le domaine de la durabilité ne fera toutefois qu'augmenter au cours des prochaines années et le fait que cette pression dépasse le rôle sociétal positif déjà tenu par les entreprises biopharmaceutiques est essentiel. Les petites entreprises finiront elles aussi par subir cette pression et par devoir améliorer leurs prestations ESG, puisque l'ensemble de l'écosystème évoluera vers une plus vaste position durable.

Tous ces efforts doivent être fournis sans mettre en danger les exigences en matière de sécurité. Au cours de la prochaine décennie, en Belgique et en Europe, le secteur devra donc mettre l'accent de manière plus équilibrée sur l'impact sociétal et sur la durabilité environnementale. Cette avancée devra inclure une approche conjointe et multisectorielle pour s'assurer que l'industrie puisse poursuivre sa mission qui est de sauver des vies, tout en respectant l'environnement.

*\*\*Basé sur une entrevue avec Samar Héchaimé,  
Director Sustainability Strategy & Transformation chez PWC,  
et Thomas De Cuyper, Senior Director Assurance chez PWC*

### **Priorité à la durabilité : pharma.be et ses membres participent ensemble à un avenir vert.**

L'Europe fait d'importants progrès pour devenir climatiquement neutre d'ici 2050, entre autres par le biais du Green Deal européen. Les objectifs ambitieux n'influencent pas seulement les secteurs comme l'énergie et le transport, mais aussi l'industrie pharmaceutique. Nos membres ont beau avoir déjà consenti de nombreux efforts pour réduire leur empreinte écologique, de nouvelles lois et propositions de lois européennes relatives à la durabilité pourraient avoir un impact important sur notre secteur. Comme la réglementation s'adressant aux substances chimiques, à l'épuration de l'eau et à la circularité des produits.

En tant qu'organisation coordinatrice, nous soutenons pleinement les efforts pour un monde plus durable.

La protection de la santé publique et la protection de l'environnement sont l'une de nos priorités. Nous sommes pourtant face à des défis : l'impact de cette législation (non pharmaceutique) sur notre secteur pourrait s'étendre à l'ensemble de la chaîne de valeur des médicaments. Cela pourrait avoir des conséquences imprévues sur l'innovation, la compétitivité et même la disponibilité de médicaments en Belgique et en Europe.

Pour mieux comprendre comment ces nouvelles législations influencent notre secteur, nous discutons de ces dossiers relatifs à la durabilité écologique dans un groupe de travail spécifique d'experts actifs dans nos entreprises-membres. Nous collaborons ainsi à des solutions aussi bénéfiques pour l'environnement que pour la santé des citoyens.

Par nos efforts conjoints, nous continuons à contribuer activement à un avenir durable et à participer à une Europe saine et écologique.

Nous ambitionnons de devenir une entreprise durable, respectée pour apporter une plus-value à la société. Nous réfléchissons à long terme et comprenons que notre avenir dépend d'un environnement sain, d'une société saine et d'une économie saine. En encourageant le changement pour vaincre des maladies, tout en visant un impact nul sur l'environnement, nous prenons à bras le corps certaines des plus importantes menaces sur la santé et le bien-être de l'homme.

Nous considérons la durabilité comme une exigence clé indissociable de tout ce que nous faisons, qui guide notre ambition d'avoir un impact positif sur la société, tout en nous permettant d'assurer la réussite de l'entreprise à long terme.

Notre objectif est à 100 % orienté vers la société et constitue la base de notre culture.

## Que pensent les entreprises biopharmaceutiques belges d'ESG ?

Nos stratégies de durabilité et d'entreprise sont parfaitement accordées et pointent chacune vers la responsabilité et l'impact sociétaux, avec les patients en point de mire.

Nous essayons de stimuler les actions durables de nos collaborateurs sans contrainte ou politique, préférant plutôt en faire une culture. Nous donnons le bon exemple en utilisant par exemple plus de transport électrique et en regroupant les commandes pour éviter l'expédition de grandes quantités de petites commandes.

Dans le cadre de notre mission qui est de mettre la science au service de la société, nous devons connaître et reconnaître pleinement l'impact sociétal élargi de nos activités.

## 4.1.5 En prenant soin des personnes et animaux

### Limitation de l'expérimentation animale<sup>71</sup>

L'une des pierres angulaires de la recherche sur les animaux de laboratoire est le principe des « 3R » qui oblige les chercheurs à **réduire** le nombre d'animaux utilisés dans les expériences, à **raffiner** les tests pour minimiser la souffrance animale et à **remplacer** autant que possible l'utilisation d'animaux de laboratoire par d'autres méthodes. L'industrie pharmaceutique **adhère** à ces principes.

En 2022 (derniers chiffres disponibles), 430.671 animaux ont été utilisés dans la recherche, soit une diminution de 1,5 % par rapport à 2020. 56,1 % des animaux de laboratoire étaient des souris et 14,6 % des lapins. Les chiens et les chats sont utilisés dans une bien moindre mesure (respectivement 0,08 % et 0,05 %).

En 2022, la majorité des animaux de laboratoire ont été utilisés pour la recherche fondamentale et appliquée (77 %). En 2020, la proportion était de 66,2 %. Un peu moins de 100.000 animaux de laboratoire ont été utilisés, (soit 23 % du nombre total d'animaux de laboratoire) pour la recherche légalement obligatoire et la production courante (tests de qualité et d'efficacité, détermination de la toxicité d'un produit, etc.). Par rapport à 2020, il s'agit d'une diminution de près de 30.000 animaux.

### Nombre d'animaux utilisés dans la recherche



Source : EU Statistical Data of all users of animals

### Utilisation plus rationnelle des antibiotiques chez les animaux

Veiller à ce que les médicaments soient utilisés correctement est un objectif clé pour pharma.be et ses membres. L'une des initiatives prises par l'industrie pharmaceutique dans ce domaine a été la création en 2011 de l'**AMCRA**, le Centre de connaissances concernant l'utilisation des antibiotiques et l'antibiorésistance chez les animaux (voir encadré).

Afin de promouvoir l'utilisation rationnelle des antibiotiques chez les animaux sur la base du principe : « **autant que nécessaire, aussi peu que possible** » pharma.be collabore, au sein de l'AMCRA, avec les facultés de médecine vétérinaire des universités de Gand et de Liège, des organisations agricoles, des vétérinaires et des producteurs de nourriture animale.

L'élaboration de lignes directrices, de rapports de benchmarking pour les vétérinaires et de campagnes d'information pour les éleveurs et le grand public nous a permis de réduire de manière significative l'utilisation d'antibiotiques auprès des animaux sans avoir un impact négatif sur la santé et le bien-être des animaux d'élevage et domestiques.

**Les chiffres relatifs à l'utilisation des antibiotiques en 2023 montrent que nous sommes clairement sur la bonne voie**, avec une utilisation totale de 55,0 mg d'antibiotiques par kilogramme de biomasse. Ce chiffre représente une diminution de 21,7 % par rapport à 2022, mais surtout une diminution totale de 62,4 % par rapport à 2011.

En ce qui concerne les antibiotiques essentiels, nous constatons également une diminution de plus de 75 % depuis le début de nos efforts.

Une nouvelle vision a été développée pour la période 2025-2030 au sein de l'AMCRA afin de poursuivre dans cette voie.

Cette vision s'appuie sur les efforts consentis par le passé et englobe comme toujours quelques objectifs clairs et actions concrètes.

En collaboration avec les vétérinaires et les éleveurs, nous visons à rapprocher l'utilisation des antibiotiques chez les animaux de la moyenne européenne d'ici 2030 et à réduire

considérablement l'utilisation d'antibiotiques essentiels au traitement des humains.

Pour ce faire, nous poursuivons nos efforts dans la collecte de données concernant l'utilisation d'antibiotiques chez les animaux, dans le soutien des éleveurs et la promotion de la prévention, et dans l'utilisation de thérapies alternatives.

pharma.be et ses membres resteront donc un partenaire fidèle de l'AMCRA. Nous continuerons à travailler avec toutes les parties concernées afin que les animaux et les humains puissent continuer à compter sur des antibiotiques efficaces lorsqu'ils en ont besoin.

## Qu'est-ce que l'AMCRA ?

AMCRA est l'abréviation de « Antimicrobial Consumption & Resistance in Animals ». Il s'agit d'un centre de connaissances fédéral consacré à la réduction de l'utilisation des antibiotiques et de l'antibiorésistance chez les animaux en Belgique. L'organisation collecte et analyse les données pertinentes et les utilise pour sensibiliser et fournir des conseils ciblés aux vétérinaires et aux propriétaires d'animaux.

Ce n'est pas une coïncidence si le groupe Animal Health de pharma.be a été l'un des cofondateurs de l'AMCRA en 2012. Les objectifs de l'AMCRA reflètent largement la vision de notre organisation.

pharma.be s'efforce de faire en sorte que les animaux malades en Belgique puissent être traités avec des médicaments vétérinaires de haute qualité. Le concept de « One Health » (une seule santé) est essentiel à cet égard : la santé animale, la santé humaine et la santé de l'environnement sont étroitement liées et s'influencent mutuellement. Une utilisation durable des antibiotiques en médecine vétérinaire est donc importante pour contribuer à préserver la santé publique.



## 4.2 Nous travaillons ensemble dans l'intérêt du patient

### 4.2.1 Collaboration avec les associations de patients

#### De patient à partenaire

Chez pharma.be, le patient occupe une place centrale tout au long du processus. L'objectif est de garantir aux **patients le meilleur accès possible à l'innovation thérapeutique**. Pas uniquement pour, mais surtout en collaboration avec le patient. Car c'est à cette seule

condition que cet objectif pourra être pleinement atteint. Ce n'est donc pas un hasard si la Table ronde 2023 pour les associations de patients s'intitulait « De Patient à Partenaire ».

#### Mission et objectifs

Au printemps 2021, pharma.be a lancé le groupe de travail « Patient Engagement ». Ce groupe de travail est composé d'ambassadeurs patients et de responsables « patients » chez les membres de pharma.be. Chaque année, ils déterminent ensemble les principaux points d'action.

Pour 2024, le groupe de travail a mis en évidence une **mission** précise :

***Intégrer systématiquement la voix du patient dans le système des soins de santé et devenir un partenaire de collaboration fiable, sur base de notre checklist en 10 points.***

La checklist en 10 points a été développée en 2023 avec l'aide de patients et propose un fil conducteur aux entreprises pharmaceutiques pour travailler de manière orientée patient.

La mission pour 2024 a été transcrite en trois objectifs concrets :

1. Soutenir l'éducation de patients à la santé et aider à poursuivre la simplification de l'administration pour les associations de patients
2. Améliorer la collaboration entre les entreprises et les associations de patients
3. Intégrer systématiquement le point de vue du patient dans le fonctionnement

#### Du dialogue...

La mission et les objectifs sont le résultat d'une écoute et d'une collaboration intensive avec les associations de patients. Pour pharma.be, le dialogue avec les associations de patients est fondamental. La checklist en 10 points offre aux membres un fil conducteur pour orienter les patients, mais pharma.be dispose également de ses propres méthodes pour stimuler ce dialogue. Le groupe de travail Patient Engagement est l'une d'entre elles, le Patient Advisory Board en est une autre.

Mais la plus évidente est sans doute la Table ronde annuelle pour les associations de patients.

Chaque année, cette Table ronde est un moment fort, où les connaissances sont très intensément partagées, écoutées et débattues. Le groupe de travail Patient Engagement utilise ensuite l'apport extrêmement précieux de cette table ronde pour entamer ses travaux. La **troisième édition de la Table ronde du 21 octobre 2024** n'a pas non plus manqué de fournir de nombreux points d'action.

Plus de 50 associations de patients y ont participé. Sous le titre « L'implication des patients est un droit et une responsabilité », ce riche programme proposait une rétrospective des résultats de la Table ronde précédente et des présentations des évolutions et sujets sensibles les plus récents.

- Valeur ajoutée des associations de patients
- Patient Empowerment Charter
- Éducation à la santé
- La voix du patient dans la nouvelle procédure de remboursement
- L'importance des données de santé.

De petits groupes ont ensuite intensivement débattu sur comment encore plus et mieux faire entendre la voix du patient dans le système de santé au sens large et sur la possible existence de nouvelles opportunités de collaboration.

### ... à l'action

Ces Tables rondes ne se contentent pas d'informer, de débattre et de réseauter. Elles forment avant tout aussi une base d'élaboration pour des actions concrètes. Deux projets ont ainsi été mis sur les rails en 2024, leur objectif étant d'offrir aux patients plus d'influence.

#### 1. Consultancy agreement

La Table ronde du 28 novembre 2023 a clairement établi que l'industrie biopharmaceutique doit poursuivre la simplification de l'administration pour les associations de patients. Elles n'ont en effet pas toutes le temps, ni l'expertise, ni le personnel nécessaire pour vérifier ou rédiger de longs contrats.

C'est pourquoi pharma.be s'est associé aux entreprises pour élaborer un modèle simplifié de « Consultancy agreement ». De telles conventions peuvent compter jusqu'à cinquante pages, voire plus. Les paragraphes strictement essentiels ont été résumés en trois pages dans la convention simplifiée, ce qui fait une énorme différence. Cette nouvelle convention n'en contient pas moins tous les critères pour se conformer à la stricte réglementation du secteur biopharmaceutique.

La convention simplifiée a été validée tant par les membres de pharma.be que par les associations de patients et le Patient Advisory Board.



Les associations de patients sont devenues de précieux partenaires au sein du paysage sanitaire. Ils s'investissent pour des changements positifs bénéfiques à toutes les parties prenantes et à la communauté. Leur voix et leur perspective sont aujourd'hui, plus que jamais, d'une importance capitale pour que perdure l'innovation dans le système de santé.



*Sofie Bekaert, Head of Programme, Santé, Fondation Roi Baudouin*

## Le conseil consultatif des patients de pharma.be

Afin d'aider le groupe de travail Patient Engagement à hiérarchiser et à évaluer ses projets, pharma.be fait appel à un conseil consultatif de patients (Patient Advisory Board).

Celui-ci compte 9 membres :

- Inge Van de Velde (MS, Ligue de la sclérose en plaques en Flandre)
- Veerle De Pourcq (ReumaNet, réseau d'associations flamandes représentant les maladies rhumatismales)
- Elke Stienissen (Lymphome)
- Axel Vanderperre (VIH)
- Eva Schoeters (RadiOrg)
- Stefan Joris (Association Muco)
- Gay Charles (MyMu, ASBL pour les personnes atteintes de myélome multiple)
- Veronique Van Assche (Amyotrophie spinale)
- Katleen Franc (maladie de Crohn et colite ulcéreuse)

Le conseil consultatif de patients discute des besoins actuels mais aussi des besoins futurs. Nous définissons ensemble les actions qui auront le plus d'impact. Ainsi, nous souhaitons renforcer la collaboration entre les entreprises pour que le résultat pour les associations de patients soit de meilleure qualité et que leur travail soit plus aisé.

Consultez  
le modèle



## 2. Un mode d'emploi pour mieux collaborer

Une autre action concrète pour simplifier la collaboration consiste en un manuel de collaboration entre des entreprises biopharmaceutiques, des associations de patients, des prestataires de soins et d'autres organisations. Les collaborations sont en effet toujours plus fréquentes, ce qui est souhaitable, mais il manque encore trop de synergie entre les entreprises biopharmaceutiques autour d'un même projet. Cela nous fait manquer des occasions de renforcer qualitativement certains projets et de les rendre plus durables.

C'est pourquoi pharma.be développe actuellement un manuel pour collaborer tout au long du parcours du

patient. Ce guide proposera un cadre théorique, ainsi que de nombreux exemples inspirants pour des collaborations en cours et futures, avec des conseils & astuces pratiques pour qu'une collaboration se déroule de manière optimale. Il sera mis en place comme un document « vivant » pouvant être complété par de nouveaux exemples et enseignements.

Par de telles actions concrètes et un dialogue systématique, pharma.be souhaite continuer à créer une valeur ajoutée pour les patients et leurs associations, et travailler à des solutions pour les meilleurs soins de santé possibles. Ensemble, nous construirons un avenir où la voix du patient est fermement ancrée dans le système des soins de santé.



## 4.2.2 Collaboration pour des données de santé pertinentes

### Que sont les Real World Data et les Real World Evidences ?

Les données du monde réel (RWD-Real World Data) sont un terme générique désignant les données relatives aux effets des soins de santé (comme la sécurité ou l'efficacité) qui ne sont pas recueillies dans le cadre d'essais cliniques contrôlés randomisés (Randomized Clinical Trial, RCT). Il peut s'agir de résultats cliniques et économiques, de données administratives, de résultats rapportés par les patients (PRO) et de la qualité de vie liée à la santé (HRQoL). Ces données peuvent être obtenues à partir de nombreuses sources, telles que les registres de patients, les dossiers

médicaux électroniques ou les bases de données des compagnies d'assurance maladie.

Selon la Food and Drug Administration (FDA) américaine, les Real World Evidences (RWE) sont la preuve clinique concernant l'utilisation et les bénéfices ou risques potentiels d'un produit médical dérivé de l'analyse des RWD. Les RWE complètent les études cliniques traditionnelles pour permettre une validation dans la pratique clinique de routine.

### La valeur ajoutée des données du monde réel (RW)

#### Dans l'utilisation primaire et secondaire

De très nombreuses données sont collectées pour pouvoir offrir les meilleurs soins possibles à chaque patient individuellement. Il peut s'agir d'informations sur des allergies, des médicaments utilisés, des opérations antérieures, sur des résultats de scanners ou de prises de sang, etc. Ces données sont partagées avec le patient et ses prestataires de soins. Toutes les personnes concernées peuvent ainsi collaborer efficacement à la santé ou à la guérison du patient. Il s'agit de l'utilisation primaire des données de santé.

Les données de santé de patients individuels peuvent par ailleurs fournir de très nombreuses informations utilisables pour d'autres patients actuels et futurs. En partageant et analysant un grand nombre de données, les prestataires de soins peuvent concevoir de meilleurs parcours de soins, accélérer les recherches médicales pour de nouveaux traitements, etc. Elles mettent par ailleurs en évidence des modèles et des correspondances non visibles chez des patients pris individuellement. Ces données sont

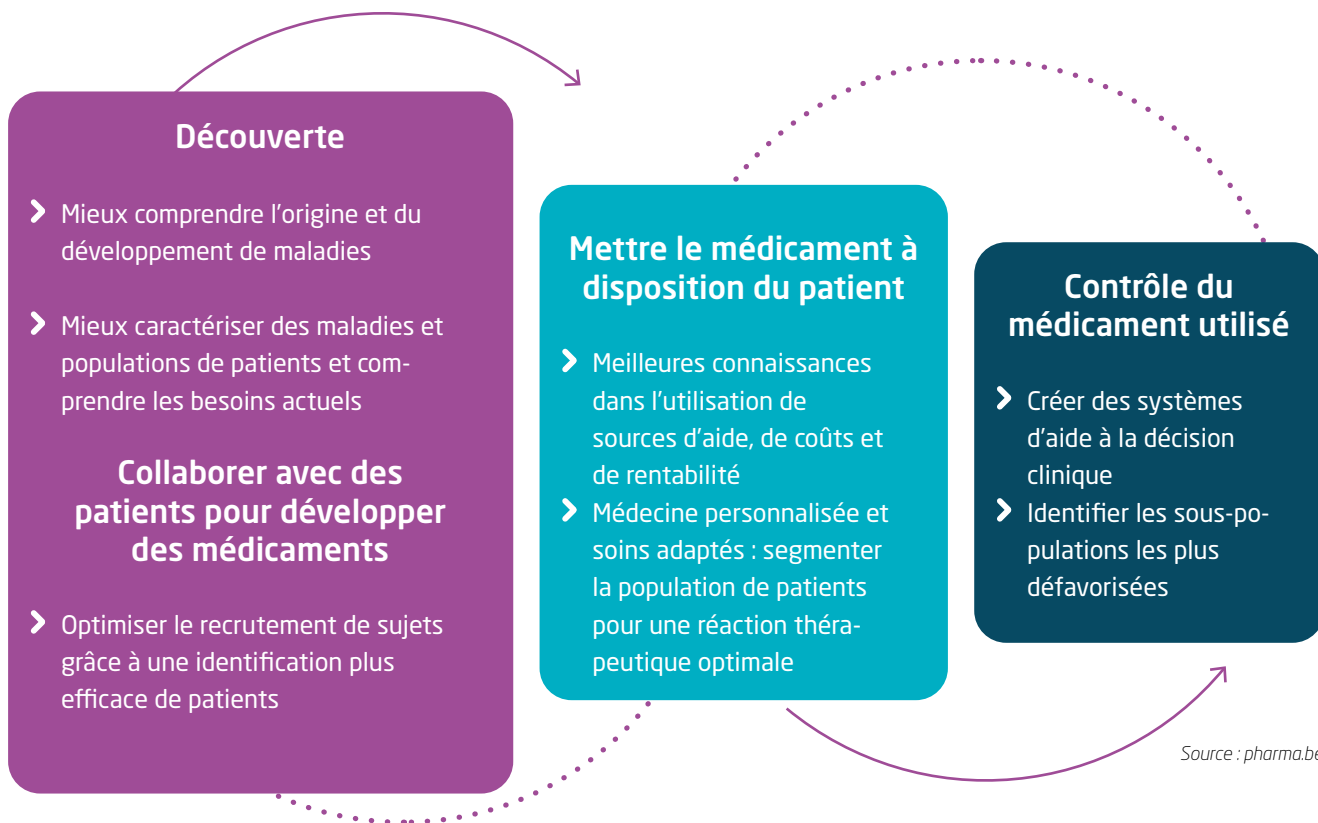
essentielles à l'élaboration de stratégies de soins performantes et efficaces. Cette réutilisation ou utilisation secondaire de données de santé participe ainsi à une amélioration permanente des prestations de soins et de notre système de soins de santé.

#### Dans le cycle de vie d'un médicament

Tout au long du cycle de vie d'un médicament, les données de santé ont une valeur tout aussi inestimable, depuis la phase de découverte d'origine, à la commercialisation en passant par la phase de suivi. Les RWD veillent ainsi à une meilleure compréhension de l'apparition et de l'évolution des maladies. Ils facilitent le recrutement de patients pour des études cliniques, fournissent de meilleures connaissances sur les coûts et le rapport coût-efficacité, favorisent la médecine factuelle, etc.



Le présent diagramme donne un aperçu de la valeur ajoutée de l'utilisation de RWD tout au long du cycle de vie d'un médicament.

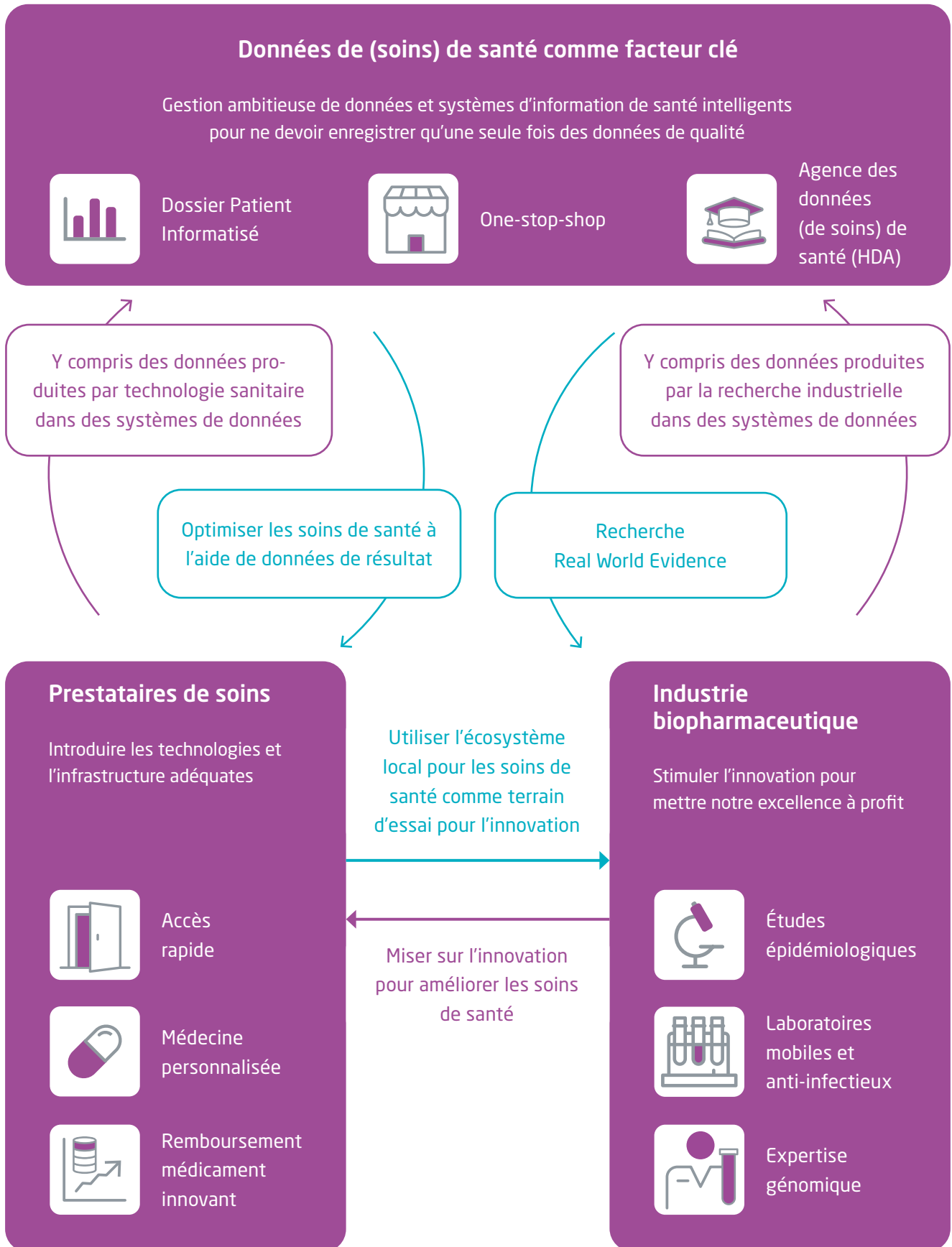


## Un écosystème pour les données de santé

Un écosystème fonctionnant correctement est nécessaire pour pouvoir utiliser les RWD pour des traitements efficaces et innovants qui améliorent la qualité de vie de patients. Cela commence par la base : les données de santé de patients individuels. Ces données doivent satisfaire à certaines conditions pour pouvoir envisager la réutilisation. Lors de la collecte et du traitement des données, la vie privée des patients doit être à tout moment protégée.

Les données seules ne nous mèneront pourtant pas très loin. Si nous voulons tirer pleinement partie des RWD, nous avons besoin d'un engagement précis de la part des acteurs clés (prestataires de soins et industrie biopharmaceutique) et de conclure avec eux des accords clairs. Ils doivent en outre disposer de l'expertise et de l'infrastructure (technologique) nécessaires. Des prestataires de services externes peuvent leur apporter leur soutien à ce sujet. Les pouvoirs publics jouent eux aussi un rôle essentiel dans l'écosystème : offrir un cadre légal et réglementaire, ainsi que des incitants pour stimuler la réutilisation de RWD afin d'améliorer nos soins de santé.

## De meilleurs soins de santé et plus d'innovation biopharmaceutique grâce à l'utilisation secondaire des données



## Protection de la vie privée

Les RWD sont aussi précieuses que sensibles, car il s'agit d'informations particulièrement personnelles sur les patients. Qu'elle soit primaire ou secondaire, l'utilisation des RWD doit donc toujours **privilégier la protection de la vie privée du patient**. Les données de santé peuvent uniquement être réutilisées dans le respect du Règlement général sur la protection des données (RGPD) et de la législation belge concernant la vie privée.

## Données FAIR

Une approche fédérée nécessite des **données trouvables, accessibles, échangeables et réutilisables**. Sans données satisfaisant à ces principes FAIR, les chercheurs et développeurs se retrouveront bloqués et les RWD n'apporteront aucune valeur ajoutée.



Les données ne peuvent par exemple en aucun cas permettre de remonter au patient individuel. L'analyse fédérée est pour ce faire une importante méthodologie. Par cette approche, les données restent chez les sources d'origine. Les chercheurs disposent uniquement des résultats regroupés et anonymisés de l'analyse et non les données elles-mêmes. Cela minimise le risque d'infraction à la vie privée.

## Un écosystème de données sur la santé

Les données FAIR constituent la base d'un écosystème de données sur la santé (« health data »). FAIR signifie :



## La politique belge concernant les RWD et la numérisation

En Belgique, nous avons déjà bien avancé dans l'approche « FAIR » des données de santé. Nous le devons entre autres à la *Health Data Agency* (Agence belge des données de santé). Cette agence a été lancée en mars 2023 pour faciliter l'utilisation de données de santé dans la recherche scientifique. L'une de ses activités principales est de veiller à ce que les données soient FAIR. Le fait de disposer de notre propre agence de données fait de notre pays l'un des leaders en Europe.

L'INAMI participe également à cette position de leader, grâce notamment au réseau d'apprentissage RWE4 Decisions. Cette initiative rassemble différentes parties prenantes, des associations de patients aux experts en données, en passant par les pouvoirs publics et l'industrie biopharmaceutique. Ensemble, ils s'efforcent de savoir quand et comment qui peut collecter quelles RWD pour

générer des RWE en mesure de soutenir les patients, prestataires de soins et systèmes de soins de santé dans la prise de décisions.

Notre pays obtient également de bons résultats en ce qui concerne la numérisation dans le cadre des soins de santé. Nous occupons même le haut du classement concernant notre infrastructure santé et nos données.

La numérisation renvoie à un large éventail de technologies qui permettent à des médecins d'enregistrer électroniquement des données de santé, d'assurer un suivi, etc. Grâce à myHealthBELGIUM, la Belgique fait partie des pays pionniers en Europe pour le soutien de la technologie dans les soins de santé. Nous y jetons par exemple les bases de la télémédecine et de la télésurveillance.

## pharma.be et RWD

Outre son rôle de leader dans les études cliniques, notre pays dispose donc de nombreux atouts pour élaborer un excellent écosystème de données de santé et pour endosser une position mondiale prépondérante dans la recherche RWD. Il n'y a pourtant pas un instant à perdre pour mettre en œuvre l'ambitieuse politique des données. pharma.be y collabore (pro)activement, à différents niveaux. **La recherche biopharmaceutique menée avec les RWD génère en effet de nouveaux résultats en matière de santé, utiles aux patients.**

C'est pourquoi pharma.be dispose depuis presque dix ans d'un groupe de travail RWD et, depuis 2022, d'une Task Force sur les données de santé et la numérisation. Cette Task Force soutient ou lance des projets et des initiatives politiques dans le domaine des données de santé et de la

numérisation. Un exemple en est l'élaboration de directives et d'une feuille de route pour aligner correctement les projets RWD sur le RGPD et la législation belge en matière de protection de la vie privée.

Les résultats des initiatives de la taskforce seront également discutés lors du Forum Health Data & Digitalisation annuel de pharma.be. Ce forum stimule un débat ouvert entre experts en RWD et soins numériques, entreprises, pouvoirs publics et autres parties prenantes. Afin de garantir une réutilisation sûre et éthique des RWD, pharma.be soutient également des initiatives gouvernementales comme celle de l'Agence belge des données de santé. L'industrie biopharmaceutique a en effet déjà acquis beaucoup d'expérience et de connaissances dans des projets de données et est toute disposée à les partager.

## Valeur ajoutée supplémentaire de RWD grâce à l'IA

pharma.be est donc impatient de poursuivre la transformation numérique de l'écosystème des soins de santé belges avec nos partenaires et d'améliorer les résultats sanitaires des patients. De nombreuses opportunités nous attendent déjà. L'une des plus importantes ou avant-gardistes n'est autre que **l'intelligence artificielle (IA)**. Alors que la réelle valeur ajoutée de l'IA pour les soins de santé n'apparaissait pas

encore clairement aux débuts de cette technologie, il est depuis devenu **évident que l'intégration de l'IA dans le secteur biopharmaceutique est capable de modifier radicalement la façon dont les médicaments sont développés, testés et délivrés.**

L'un des principaux avantages de l'IA est l'accélération du processus de développement des médicaments.

À ce jour, le développement d'un nouveau médicament est le résultat d'un processus de plusieurs années, particulièrement onéreux et aux chances de réussite limitées. Les algorithmes IA permettent désormais d'analyser de gigantesques séries de données et d'identifier bien plus rapidement des médicaments-candidats potentiels.

L'IA joue également un rôle important dans l'amélioration des études cliniques. Grâce à l'IA, les entreprises biopharmaceutiques peuvent identifier plus rapidement les patients appropriés, ce qui réduit considérablement le temps de recrutement. L'IA permet également de suivre les patients pendant les études cliniques et d'analyser les grandes quantités de données collectées au cours de celles-ci. Cela permet non seulement de rendre les essais plus efficaces, mais aussi d'obtenir des résultats de meilleure qualité et plus fiables.

La médecine personnalisée est elle aussi capable de faire d'impressionnants progrès grâce à l'IA. L'analyse de

données des patients et la reconnaissance de modèles permettent aux systèmes d'IA de mettre au point des traitements sur mesure qui répondent mieux aux besoins individuels des patients. Il en résulte des traitements plus efficaces et moins d'effets secondaires. En Belgique, l'IA est utilisée pour développer des traitements spécifiques pour les patients, en particulier dans des domaines complexes tels que le cancer et les maladies rares.

Toutefois, dans ce contexte, de nouvelles opportunités s'accompagnent de nouvelles préoccupations, ou du moins, ce sont les anciennes préoccupations qui refont surface. Pour pharma.be, la protection des données du patient et l'utilisation éthique des données et de nouvelles technologies ont toujours été essentielles. Et aujourd'hui, plus que jamais. Nous voulons être un partenaire de confiance pour le traitement de données et un bon citoyen pour les données au sein de l'écosystème des soins de santé.



## 4.2.3 Collaboration pour la disponibilité des médicaments et des vaccins

Les médicaments doivent toujours être disponibles lorsque les patients en ont besoin. Dans la réalité cependant, les médicaments sont parfois temporairement indisponibles, ce qui peut poser problème aux patients. De leur côté, les entreprises biopharmaceutiques souhaitent

évidemment que leurs médicaments soient toujours disponibles à la demande des patients. La lutte contre les pénuries de médicaments ne se limite toutefois pas à la bonne volonté des acteurs sur le terrain.

### Situation en Belgique

En Belgique, en concertation avec l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS), de nombreuses initiatives ont déjà été prises pour approvisionner les grossistes-répartiteurs et les pharmaciens en temps utile. L'AFMPS a été la première en Europe à mettre en place une application en ligne, « PharmaStatut » qui garantit une grande transparence sur les causes et la durée de l'indisponibilité d'un médicament, au bénéfice des professionnels de santé et

des patients (voir encadré). De leur côté, les entreprises stockent les médicaments avec prudence afin de pouvoir approvisionner directement les pharmaciens et garantir la disponibilité pour les patients belges.

**L'indisponibilité est toutefois un problème complexe dont les causes sont multiples et se situent à différents niveaux.**

### Un processus de production complexe

Premièrement, les entreprises pharmaceutiques ne prennent aucun risque en termes de sécurité et de qualité des produits. Les contrôles sont également particulièrement stricts en Europe. **Les processus de fabrication des médicaments demandent beaucoup de temps et sont particulièrement fragiles et complexes.** La plupart des vaccins, par exemple, ont un processus de production qui dure plus de 18 mois. Il en va de même pour les autres médicaments biologiques développés à partir de cellules vivantes. Il se peut qu'un événement inattendu dans l'une des étapes de ce processus ne puisse être immédiatement ou simplement saisi, ce qui entraîne des retards importants dans la livraison du lot suivant. Les

conséquences qui en résultent sont des ruptures de stock, souvent pour le marché belge, mais aussi pour d'autres pays européens, voire non européens. Après tout, les médicaments sont rarement produits pour un seul pays, mais pour une région entière, voire le monde entier. Accroître la production en cas d'augmentation de la demande ne peut se faire du jour au lendemain. Les matières premières sont souvent rares et doivent être manipulées avec beaucoup de précaution. Le maintien d'un stock de réserve important n'est donc pas justifié et pourrait entraîner une forte pression à la hausse sur les prix, voire une pénurie d'autres médicaments nécessitant les mêmes matières premières.

### Pression sur les prix

Deuxièmement, nous constatons que le maintien de la production locale en Europe est un défi majeur pour tous les secteurs industriels. **Les coûts salariaux et énergétiques plus élevés signifient que la production à bas prix n'est pas compétitive et que ces activités soient déplacées vers d'autres parties du monde.**

Le secteur biopharmaceutique n'échappe pas à cette dynamique. Seules les activités à forte valeur ajoutée qui nécessitent aussi beaucoup de connaissances spécialisées y échappent pour l'instant.

En outre, en raison des fréquentes réductions de prix imposées par le gouvernement belge pour des médicaments dont le brevet est arrivé à échéance, les entreprises ne sont parfois plus en mesure de maintenir le médica-

ment disponible et celui-ci disparaît définitivement du marché belge, ce qui peut parfois être néfaste pour les patients belges.

## Libre circulation des marchandises

Enfin, les médicaments en Belgique doivent pouvoir circuler conformément à la libre circulation des marchandises au sein de l'Union européenne. Comme le prix d'un médicament est déterminé par le gouvernement de chaque pays membre, on observe des flux depuis les pays où les prix sont peu élevés vers les pays où ils sont vendus plus chers. Nous appelons cela **l'exportation**

**parallèle.** Le système de quotas tente de résoudre ce problème mais, en cas de fuite à l'exportation, il est souvent impossible pour les entreprises biopharmaceutiques de prévoir rapidement suffisamment de stock. L'augmentation de la production n'est pas si simple.

## Protéger le patient contre les coûts supplémentaires

Un système a été mis au point en 2024 en collaboration avec toutes les parties prenantes. Il protégera les patients contre les coûts supplémentaires si leur médicament n'est pas disponible et que le pharmacien doit l'importer de l'étranger.

Ces médicaments sont souvent plus chers et non remboursables, ce qui peut vite faire grimper les coûts. Par le biais d'un nouveau système auquel contribueront toutes les entreprises biopharmaceutiques, les patients n'auront plus à payer des frais supplémentaires pour un médicament importé de l'étranger pour remplacer le produit non disponible.

## Notre engagement

Dans le cadre de projets de réforme, la question de l'indisponibilité est discutée avec le ministre de la Santé. À l'avenir, afin de mettre et de maintenir les médicaments à la disposition des patients belges, nous devons procéder aux ajustements nécessaires sur le long terme pour rendre notre système de distribution moins sensible à toutes sortes de facteurs externes. Encourager un environnement économique concurrentiel sain, qui permette la présence de multiples acteurs sur le marché belge, est l'un des ajustements nécessaires à la mise en place d'un système de distribution durable.

C'est notre engagement envers la société, un rôle que nous prenons très au sérieux en tant qu'industrie.

**pharma.be va donc collaborer avec toutes les parties prenantes de la chaîne d'approvisionnement et l'AFMPS pour trouver des solutions afin de limiter au maximum l'impact de l'indisponibilité d'un médicament sur le patient.**

## Que nous apprend PharmaStatut ?

L'industrie biopharmaceutique doit, en collaboration avec les autres acteurs, faire preuve de transparence et fournir des informations claires sur l'indisponibilité des médicaments. L'application en ligne PharmaStatut de l'AFMPS joue un grand rôle à cet effet puisqu'elle permet aux médecins, aux pharmaciens et aux patients de facilement vérifier la durée et la raison de l'indisponibilité de leur médicament. De plus, par le biais de l'application, l'AFMPS peut également proposer d'autres solutions aux médicaments indisponibles. Enfin, les grossistes-répartiteurs, les pharmaciens et les entreprises peuvent utiliser PharmaStatut pour chercher ensemble une solution en cas d'indisponibilité d'un médicament dans une pharmacie ou chez un grossiste-répartiteur.

Les chiffres concrets montrent que 590 médicaments étaient temporairement indisponibles en octobre 2024. Bien que cette indisponibilité ait un impact sur le patient et le prestataire de soins (obtention d'une nouvelle prescription, nouvelle visite à la pharmacie), l'impact sur la continuité du traitement est limité. En effet, dans 393 cas, il y avait au moins un autre médicament disponible et dans 332 de ces cas, il y avait même trois alternatives ou plus. Dans la majorité des autres cas, il était possible d'aider davantage le patient en important un médicament de l'étranger ou en adaptant son traitement. Là où ces solutions ne sont pas possibles, l'AFMPS réunit un groupe de travail chargé de formuler des recommandations afin d'assurer la prise en charge des patients concernés.

### 4.2.4 Collaboration pour une application correcte de la réglementation européenne

#### La réglementation européenne concernant l'évaluation des technologies de la santé (ETS) entrera en vigueur à partir du 12 janvier 2025

La nouvelle réglementation européenne concernant l'ETS entrera en vigueur à partir du 12 janvier 2025, avec comme premier enjeu les nouveaux produits oncologiques et médicaux de thérapie innovante (ATMP). La première mise en œuvre sera suivie en 2028 par les médicaments orphelins et d'autres médicaments suivront en 2030. Cette nouvelle réglementation entraînera des changements significatifs pour l'évaluation de nouveaux médicaments.

La nouvelle procédure européenne d'ETS implique que l'évaluation de nouveaux médicaments ne se fasse plus exclusivement au niveau national, mais dans le cadre d'un processus européen commun. Cette approche intégrée entre l'UE et l'ETS nationale favorisera une utilisation efficace des ressources, évitera les doubles emplois et conduira à une plus grande clarté et prévisibilité dans le processus d'évaluation. Pour un alignement optimal, il est essentiel que toutes les parties prenantes soient

préalablement impliquées.

Une collaboration entre l'INAMI, la Commission de remboursement des médicaments (CRM), les entreprises biopharmaceutiques, les patients et les cliniciens est d'une importance capitale pour réussir pleinement la mise en œuvre de cette nouvelle réglementation. L'évaluation clinique conjointe (Joint Clinical Assessment, JCA) améliorera la qualité et le calendrier des décisions au niveau national. Elle évitera que les mêmes évaluations soient à nouveau effectuées au niveau national, accélérant ainsi l'accès des patients belges à des technologies innovantes.

Le 30 janvier 2024, la Commission européenne et le groupe des responsables d'agences d'ETS (HAG, Heads of HTA Agencies Group), ainsi que les agences nationales d'ETS des Pays-Bas, de l'Autriche, de la Belgique, de l'Irlande et du Luxembourg, ont organisé une réunion axée sur la mise en œuvre nationale de cette réglementation.

L'événement a rassemblé les principales parties prenantes, y compris l'INAMI et les représentants des associations de patients, les professionnels de la santé, les associations scientifiques, les représentants de l'industrie, les décideurs nationaux et les autorités sanitaires régionales. pharma.be, qui a participé au panel Ensuring engagement and cooperation in joint clinical assessments, a insisté sur l'importance d'une collaboration dès les débuts des évaluations cliniques conjointes.

Le 30 septembre 2024, pharma.be, l'INAMI et le KCE ont organisé conjointement une séance d'information sur la mise en oeuvre pratique de cette nouvelle réglementation européenne au niveau national. Dans le contexte de la réglementation ETS européenne, tant l'INAMI (Institut national d'assurance maladie invalidité) que le KCE (Centre

fédéral d'expertise pour les soins de santé) ont un rôle spécifique à jouer au sein du Groupe de coordination. L'INAMI est responsable de la procédure et de l'évaluation en vue du remboursement des nouveaux traitements. Le KCE donne un avis scientifique et apporte son soutien dans l'évaluation de nouvelles thérapies en développant des méthodes de recherche. Les deux organisations collaborent étroitement pour garantir une évaluation efficace et un accès aux médicaments pour le patient belge.

Une concertation anticipée entre toutes les parties prenantes permettra de rassembler l'expertise, les connaissances et les points de vue et d'assurer l'amélioration de l'accès des patients de Belgique à de nouveaux médicaments efficaces, sûrs et de qualité dans un avenir proche.

**La coopération proactive belge évitera aux parties prenantes de faire le même travail deux fois et permettra de mettre en place des processus ETS efficaces dans l'UE et en Belgique.**

## EXPERTISE PRODUIT BELGE DES DTS

### 1. Fournir des données pertinentes

- Connaissance de la maladie et du paysage thérapeutique
- Expertise méthodologique
- Connaissance en développement de produit et paquet de données
- Points finaux

### 2. Obtenir des informations

- Informations concernant des analyses complémentaires pour la Belgique
- Informations concernant les PICO belges

Développeur  
de technologies  
de la santé (DTS)



Cliniciens



## BESOINS DES PATIENTS BELGES

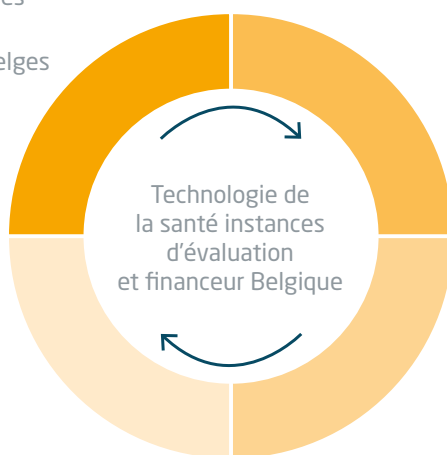
- Scoping PICO tenant compte des besoins des patients BE
- Reflète la voix du patient belge (PAG's)



Patients



Collaboration  
internationale



## EXPERTS CLINIQUES BELGES

- Implication experts BE pour un scoping PICO efficace
- Expertise sur la pratique clinique belge
- Expérience des besoins médicaux locaux non satisfaits



**Participation belge  
active et efficace à l'ETS  
UE**

## La Belgique pionnière dans le déploiement de la directive européenne Médicaments falsifiés

La directive européenne Médicaments falsifiés (Falsified Medicines Directive, FMD) est entrée en vigueur le 9 février 2019. Depuis, la plupart des médicaments sous prescription doivent être pourvus d'un dispositif de sécurité appelé *anti-tampering device*. Il permet de vérifier si un emballage a été ouvert ou pas. Les médicaments doivent par ailleurs présenter un code matriciel bidimensionnel unique.

Le titulaire d'autorisation d'un médicament doit activer ce code par le biais d'un réseau européen sécurisé. Le code est ensuite téléchargé dans une base de données et sert à la vérification lors de la distribution d'un médicament. Le grossiste-répartiteur vérifie ensuite le code lors de la livraison lorsqu'il n'achète pas directement chez le fabricant. Lors de la remise d'un médicament au patient, le pharmacien (hospitalier) scanne une nouvelle fois le code pour le processus de vérification finale et la désactivation.

En cas de message d'erreur lors de la vérification, les grossistes-répartiteurs et pharmaciens doivent isoler le produit incriminé jusqu'à ce que l'authenticité du médica-

ment soit confirmée ou infirmée. Ce système de contrôle élaboré joue un rôle capital dans la protection de la chaîne d'approvisionnement de médicaments contre la falsification et la contrefaçon.

La Belgique a pris les devants dans le déploiement de la FMD au sein de l'Union européenne. Le déploiement complet de la FMD dans notre pays a eu lieu le 9 février 2024, exactement cinq ans après son introduction.

Nous le devons aux efforts de la Belgian Medicines Verification Organisation (BeMVO). Cette organisation est responsable en Belgique de la gestion du système technique pour le suivi et la validation des codes uniques sur les emballages de médicaments.

En tant que membre de l'organe directeur de la BeMVO, pharma.be participe activement à ces mesures importantes, au même titre que d'autres partenaires dans la chaîne d'approvisionnement de médicaments. Une bonne collaboration est en effet essentielle pour éviter que des médicaments falsifiés ou contrefaits n'attérisent chez les patients.

Par la mise en œuvre complète de la Directive européenne, nous faisons un progrès important afin de garantir la sécurité de nos médicaments. Nous pouvons être fiers de cette prestation qui fait du secteur l'un des précurseurs en Europe.

*Philippe Coene, General Manager BeMVO*





# ANNEXE 1 - MÉTHODE D'ANALYSE COÛT-BÉNÉFICE

Au point 3.2.2, nous avons rédigé un résumé de l'analyse coût-bénéfice de l'industrie biopharmaceutique pour le gouvernement belge. Vous trouverez ci-dessous les aperçus détaillés des dépenses et des recettes sur lesquelles est basée notre analyse.

## Aperçu détaillé des dépenses (en milliers d'euros)

<b>Coûts pour les pouvoirs publics (2023)</b>	<b>4.459.675</b>
Dépenses de l'État pour les médicaments (coût de l'industrie, hors TVA) - INAMI	4.360.013
1.2. Subsidés	99.662

Les dépenses de l'État en médicaments sont basées sur les chiffres de l'INAMI pour les dépenses des spécialités pharmaceutiques. Ces dépenses sont composées du prix ex-usine des médicaments, des coûts de distribution et de la TVA. Dans cette analyse, nous ne considérons que le prix ex-usine des médicaments et laissons de côté les dépenses de distribution et la TVA.

Le montant des subsides versés par les pouvoirs publics à l'industrie biopharmaceutique provient des comptes annuels des entreprises opérant en Belgique. Il s'agit des rubriques 740 (subsides d'exploitation et montants compensatoires reçus des pouvoirs publics), 9125 (subsides en capital accordés par les pouvoirs publics) et 9126 (subsides en intérêts accordés par les pouvoirs publics).

## Aperçu détaillé des recettes (en milliers d'euros)

<b>Recettes pour les pouvoirs publics (2023)</b>	<b>5.939.843</b>
2.1. Charges sur le travail	2.762.516
2.1.1. Cotisations sociales à la charge des employeurs	964.401
2.1.2. Cotisations sociales à charge des travailleurs	523.229
2.1.3. Montants retenus à charge des tiers, au titre de précompte professionnel	1.274.887
2.2. Impôt des sociétés	418.459
2.3. Taxes	1.643.181
2.3.1. TVA sur chiffre d'affaires (6 % prix ex-usine médicaments non remboursables)	198.486
2.3.2. Cotisations INAMI sur le chiffre d'affaires	444.553
2.3.3. Montants retenus à charge des tiers, au titre de précompte mobilier	84.906
2.3.4. Impôts et taxes sur les sociétés	915.235
2.4. Recettes indirectes provenant d'achats à des tiers et d'investissements	1.115.687
2.4.1. Achats de matières premières et de marchandises, de biens et services divers	1.028.975
2.4.2. Investissements	86.712

Les recettes des charges sur le travail proviennent des comptes annuels des entreprises opérant en Belgique. Il s'agit des rubriques 621 (cotisations patronales d'assurances sociales), 620 (rémunérations et avantages sociaux directs, partie de l'ONSS) et 9147 (précompte professionnel). Il en va de même pour l'impôt des sociétés, Repris sous la rubrique 670 (impôts).

Les taxes sont divisées en quatre éléments :

**1.** la TVA sur les médicaments non remboursés

*Pour le calcul, nous utilisons le chiffre d'affaires pour les médicaments non remboursés, comme mentionné par l'QVIA. Nous ne tenons pas compte de la TVA sur les médicaments remboursés parce que l'INAMI la paie à l'administration fiscale, elle n'a donc aucun impact sur la comparaison.*

**2.** les taxes que les entreprises versent à l'INAMI sur la base de leur chiffre d'affaires

*Ce montant provient de l'INAMI.*

**3.** le poste de bilan 9148 (précompte mobilier)

**4.** le poste de bilan 640 (charges fiscales d'exploitation)

Outre les recettes directes, il existe également des recettes indirectes pour les pouvoirs publics :

**1.** les recettes provenant des achats nationaux de matières premières, de marchandises, de biens et services divers de l'industrie biopharmaceutique

Le calcul est basé sur les informations des tableaux d'entrées et de sorties (Bureau fédéral du Plan), illustrant la demande intérieure de l'industrie biopharmaceutique pour les autres secteurs. Pour chaque secteur, nous appliquons à cette demande intérieure le rapport entre la valeur ajoutée et le chiffre d'affaires (également disponible dans les tableaux d'entrées et de sorties). Ensuite, nous appliquons le taux d'imposition (para-fiscal) moyen (42,43 %, OCDE).

**2.** les recettes résultant des investissements de l'industrie biopharmaceutique

Nous appliquons le rapport entre la valeur ajoutée et le chiffre d'affaires de l'industrie manufacturière au montant des investissements, sur la base des données de Statbel. Ensuite, nous appliquons le taux d'imposition (para-fiscal) moyen (42,43 %, OCDE).

## ANNEXE 2 - ABRÉVIATIONS

- AM CRA : Antimicrobial Consumption & Resistance in Animals (Centre de connaissances concernant l'utilisation des antibiotiques et l'antibiorésistance chez les animaux)
- ATC : Anatomical Therapeutic Chemical (Classification anatomique, thérapeutique et chimique)
- ATMP : Advanced Therapy Medicinal Product (Médicaments de thérapie innovante)
- CBIP : Centre belge d'information pharmacothérapeutique
- BCCE : Bureau de Contrôle de la Communication Écrite
- Commission DEP : Commission de Déontologie et d'Éthique Pharmaceutique
- CRM : Commission de Remboursement des Médicaments
- CUP : Compassionate Use Programme (Programme d'usage compassionnel)
- DALY : Disability Adjusted Life Years (Années de vie en bonne santé perdues)
- EFPIA : European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (Fédération européenne des industries et associations pharmaceutiques)
- EMA : European Medicines Agency (Agence européenne des médicaments)
- E-PIL : Electronic Patient Information Leaflet
- ETA : Early Temporary Authorisation (Autorisation provisoire anticipée)
- AFMPS : Agence fédérale des médicaments et des produits de santé
- FAIR : Findability, Accessibility, Interoperability, and Reusability (principe pour que les données soient faciles à trouver, accessibles, interopérables et réutilisables)
- FDA : Food and Drug Administration (Agence fédérale américaine des produits alimentaires et médicamenteux)
- HRQoL : Health Related Quality of Life (Qualité de vie liée à la santé)
- IFPMA : International Federation of Pharmaceutical Manufacturers & Associations (Fédération internationale des fabricants et associations pharmaceutiques)
- MIDAS : Migraine Disability Assessment (Questionnaire visant à évaluer handicap fonctionnel dû aux céphalées ou à la migraine)
- MNP : Medical Need Program (Programme médical d'urgence)
- OCDE : Organisation de coopération et de développement économiques
- R&D : Recherche et Développement
- PEC : Patient Expert Center
- PO : Patient Organisation, associations de patients
- PRO : Patient-Reported Outcomes (Résultats de santé rapportés par le patient)
- QALY : Quality-Adjusted Life Year (Années de vie ajustées sur la qualité)
- RCT : Randomized Controlled Trial (Essai clinique contrôlé randomisé)
- INAMI : Institut national d'assurance maladie-invalidité
- RWD : Real World Data (Données du monde réel)
- RWE : Real World Evidence (Preuves issues « de la vraie vie »)
- SmPC : Summary of Product Characteristics (Résumé des caractéristiques du produit)
- Statbel : l'Office belge de statistique
- STEM : Science, Technology, Engineering & Mathematics (Sciences, technologie, ingénierie et mathématiques)

## Références

- 1 Source : Règlement n° 1901/2006, <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FR/TXT/HTML/?uri=CELEX:32006R1901>
- 2 Source : <https://www.uantwerpen.be/nl/centra/universiteitsfonds/maak-mee-het-verschil/doe-eeen-gift/onze-leerstoelen/antwerp-pediatric-clinical-trial-network/>
- 3 Source : <https://www.bpcrn.be/network-updates/bpcrn-kick-off-meeting-september-6th-2024-uz-gent>
- 4 Source : [https://www.sciensano.be/sites/default/files/vaccine\\_coverage\\_2020-21\\_nl\\_final.pdf](https://www.sciensano.be/sites/default/files/vaccine_coverage_2020-21_nl_final.pdf)
- 5 Source : <https://www.phrma.org/Scientific-Innovation/Progress-in-Fighting-Rare-Diseases>
- 6 Source : <https://www.riziv.fgov.be/nl/thema-s/verzorging-kosten-en-terugbetaling/wat-het-ziekenfonds-terugbetaalt/geneesmiddelen/geneesmiddel-terugbetalen/weesgeneesmiddelen>
- 7 Lichtenberg, 2022
- 8 Sebio, 2020
- 9 EFPIA, 2019
- 10 Lichtenberg, 2019
- 11 EFPIA, 2019
- 12 EFPIA, 2022
- 13 Sebio, 2020
- 14 Wassenberg T, Molero-Luis M, Jeltsch K, et al. Consensus Guideline for the diagnosis and Treatment of Aromatic L-Amino Acid Decarboxylase (AADC) Deficiency. *Orphanet J Rare Dis* 2017;12(1):12
- 15 Mangeold C, Hoffmann G, Degen I, et al. Aromatic L-Amino Acid Decarboxylase Deficiency: Clinical Features, Drug Therapy and Follow-Up. *JIMD*. 2009 ; 32 : 371-380
- 16 Résumé des caractéristiques du produit, 11 mars 2024 (le lien peut être demandé à l'adresse [info@pharma.be](mailto:info@pharma.be))
- 17 Tai CH, Lee NC, Chien YH, Byrne BJ, Muramatsu SI, et al. Long-term efficacy and safety of eladocagene exuparovovec in patients with AADC deficiency. *Mol Ther*. 2022 ; 30(2) : 509-518
- 18 Chen, T., D. Wu, H. Chen, W. Yan, D. Yang, G. Chen, K. Ma, D. Xu, H. Yu, H. Wang, T. Wang, W. Guo, J. Chen, C. Ding, X. Zhang, J. Huang, M. Han, S. Li, X. Luo, J. Zhao and Q. Ning (2020). « Clinical characteristics of 113 deceased patients with coronavirus disease 2019: retrospective study. » *Bmj* 368: m1091
- 19 Cummings, M. J., M. R. Baldwin, D. Abrams, S. D. Jacobson, B. J. Meyer, E. M. Balough, J. G. Aaron, J. Claassen, L. E. Rabbani, J. Hastie, B. R. Zhang, J. Salazar-Schicchi, N. H. Yip, D. Brodie and M. R. O'Donnell (2020). "Epidemiology, clinical course, and outcomes of critically ill adults with COVID-19 in New York City: a prospective cohort study." *Lancet* 395(10239): 1763-1770
- 20 Parasher A. 2021. COVID-19: Current understanding of its Pathophysiology, Clinical presentation and Treatment. *Postgrad Med J* 97:312-320. DOI: 10.1136/postgradmedj-2020-138577
- 21 Harvey WT, et al. 2021. SARS-CoV-2 variants, spike mutations and immune escape. *Nat Rev Microbiol* 19:409-424. DOI: 10.1038/s41579-021-00573-0
- 22 Source : <https://www.inami.fgov.be/fr/l-inami>
- 23 Résumé des caractéristiques du produit, décembre 2023 (le lien peut être demandé à l'adresse [info@pharma.be](mailto:info@pharma.be))
- 24 Hammond, J., H. Heister-Tebbe, A. Gardner, P. Abreu, W. Bao, W. Wisemandle, M. Baniecki, V. M. Hendrick, B. Damle, A. Simon-Campos, R. Pypstra, J. M. Rusnak and E.-H. Investigators (2022). "Oral Nirmatrelvir for High-Risk, Nonhospitalized Adults with Covid-19." *N Engl J Med* 386(15): 1397-1408
- 25 Aggarwal, N.R., et al., Real-world use of nirmatrelvir-ritonavir in outpatients with COVID-19 during the era of omicron variants including BA. 4 and BA. 5 in Colorado, USA: a retrospective cohort study. *The Lancet Infectious Diseases*, 2023
- 26 Lewnard JA, et al. 2023. Effectiveness of nirmatrelvir-ritonavir against hospital admission or death: a cohort study in a large US healthcare system. *Lancet Infect Dis* 2023 [https://doi.org/10.1016/S1473-3099\(23\)00118-4](https://doi.org/10.1016/S1473-3099(23)00118-4)
- 27 Schwartz, K. L., Wang, J., Tadrous, M., Langford, B. J., Daneman, N., Leung, V., Gomes, T., Friedman, L., Daley, P., & Brown, K. A. 2023 Population-based evaluation of the effectiveness of nirmatrelvir-ritonavir for reducing hospital admissions and mortality from COVID-19. *CMAJ : Canadian Medical Association journal = journal de l'Association medicale canadienne*, 195(6), E220-E226. <https://doi.org/10.1503/cmaj.221608>
- 28 Shah MM, Joyce B, Plumb ID, Sahakian S, Feldstein LR, Barkley E, Paccione M, Deckert J, Sandmann D, Gerhart JL, Hagen MB. Paxlovid associated with decreased hospitalization rate among adults with COVID-19 - United States, April-September 2022. *Am J Transplant*. 2023 Jan;23(1):150-155. doi: 10.1016/j.ajt.2022.12.004. Epub 2023 Jan 11. PMID: 36695616; PMCID: PMC9833372
- 29 Globocan 2020. Fiches thématiques sur l'Union européenne Dernière consultation : juin 2022
- 30 Ahn S, et al. *J Pathol Transl Med*. 2020;54(1):34-44
- 31 Barok M, et al. *Breast Cancer Res*. 2014;16(2):209
- 32 Newsletter Transplant 2015-2021. Disponible sur <https://freepub.edqm.eu/publications>. Dernière consultation : février 2024
- 33 Eurostam Report (A Europe-wide strategy to enhance transplantation of highly sensitized patients on the basis of acceptable HLA mismatches.) Disponible sur <https://cordis.europa.eu/project/id/305385/reporting>. Dernière consultation : mars 2024
- 34 Mamode N, et al. European Guideline for the Management of Kidney Transplant Patients With HLA Antibodies: By the European Society for Organ Transplantation Working Group. *Transpl Int*. 2022 Aug 10;35:10511. Disponible sur <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36033645/>. Dernière consultation : mars 2024
- 35 Alelign T, Ahmed MM, Bobosha K, Tadesse Y, Howe R, Petros B. Kidney Transplantation: The Challenge of Human Leukocyte Antigen and Its Therapeutic Strategies. *J Immunol Res*. 2018 Mar 5;2018:5986740. Disponible sur <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5859822/>. Dernière consultation : mars 2024
- 36 Heidt S, et al. Highly Sensitized Patients are Well Served by Receiving a Compatible Organ Offer Based on Acceptable Mismatches. *Front Immunol*. 2021;12:687254. Disponible sur <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34248971/>. Dernière consultation : mars 2024
- 37 Lonze BE, et al. IdeS (Imlifidase): A Novel Agent That Cleaves Human IgG and Permits Successful Kidney Transplantation Across High-strength Donor-specific Antibody. *Ann Surg*. 2018 Sep;268(3):488-496. doi

- 38 Canaud B, Kooman JP, Selby NM, Taal MW, Francis S, Maierhofer A, Kopperschmidt P, Collins A, Kotanko P. Dialysis-Induced Cardiovascular and Multiorgan Morbidity. *Kidney Int Rep.* 2020 Sep 9;5(11):1856-1869. Disponible sur <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33163709/>. Dernière consultation : mars 2024
- 39 Redfield RR, et al. The mode of sensitization and its influence on allograft outcomes in highly sensitized kidney transplant recipients. *Nephrol Dial Transplant.* 2016 Oct;31(10):1746-53. doi: 10.1093/ndt/gfw099. Epub 2016 Jul 6. PMID: 27387475. Dernière consultation : mars 2024
- 40 Furian et al. Managing Sensitized Kidney Recipients. *Transplant International, Frontiers* 9 avril 2025, Volume 37, Article 12475
- 41 S. Jordan, et al. Long-Term Follow Up of Imlifidase Desensitized Kidney Transplant Recipients: 5 Year Pooled Analysis. Présenté au American Transplant Congres, juin 2024
- 42 Poggio ED, et al. Long-term kidney transplant graft survival-Making progress when most needed. *Am J Transplant.* 2021 Aug;21(8):2824-2832. doi: 10.1111/ajt.16463. Dernière consultation : février 2024
- 43 Kankerregister 2021
- 44 Palumbo A, A.-L. H. 2015 Revised International Staging System for Multiple Myeloma: A report from International Myeloma Working Group. *Journal of clinical oncology: official journal of the American Society of Clinical Oncology*, 33(26):2863-286
- 45 Delforge, M., Vekemans, M.-C., Anguille, S., Depaus, J., Meuleman, N., Van de Velde, A., Vandervennet, S. (2021). Real-World Outcomes for Standard-of-Care Treatments in Patients with Relapsed/Refractory Multiple Myeloma. *Blood* 2021; 6(12):e813
- 46 Moreau, P. G.-M. (2022). Teclistamab in Relapsed or Refractory Multiple Myeloma. *New England Journal of Medicine*, 387 (6):495-505
- 47 Johnsen AT, T. D. 2009 Health related quality of life in a nationally representative sample of haematological patients. *European Journal of Haematology*, 83, 139-148
- 48 Mateos MV, N. H. (2020). Subcutaneous versus intravenous in patients with relapsed or refractory multiple myeloma (COLUMBA): a multicenter, open-label, non-inferiority, randomised, phase 3 trial. *The Lancet*, publié en ligne le 23 mars
- 49 R.J. Motzer, T.K. Choueiri, T. Hutson et al., Characterization of Responses to Lenvatinib plus Pembrolizumab in Patients with Advanced Renal Cell Carcinoma at the Final Prespecified Survival Analysis of the Phase 3 CLEAR Study, *Eur Urol* (2024), <https://doi.org/10.1016/j.eururo.2024.03.015>
- 50 Albiges L, Gurney H, Atduev V, Suarez C, Climent MA, Pook D, Tomczak P, Barthelemy P, Lee JL, Stus V, Ferguson T, Wiechno P, Gokmen E, Lacombe L, Gedye C, Perini RF, Sharma M, Peng X, Lee CH. Pembrolizumab plus lenvatinib as first-line therapy for advanced non-clear-cell renal cell carcinoma (KEYNOTE-B61): a single-arm, multicentre, phase 2 trial. *Lancet Oncol.* 2023 Aug;24(8):881-891. doi: 10.1016/S1470-2045(23)00276-0. Epub 11 juillet 2023. PMID: 37451291
- 51 EAU Guidelines. Edn. Présenté au EAU Annual Congress, Parijs 2024. ISBN 978-94-92671-23-3
- 52 Kankerregister 2019
- 53 Foulkes WD, Smith IE, Reis-Filho JS. Triple-negative breast cancer. *N Engl J Med.* 2010;363(20):1938-48
- 54 Sharma P. Biology and Management of patients with triple-Negative Breast Cancer. *Oncologist.* 2016;21(9):1050-62
- 55 American Cancer Society. <https://www.cancer.org/cancer/types/breast-cancer/risk-and-prevention/breast-cancer-risk-factors-you-cannot-change.html>. Consulté le 31 mai 2022
- 56 Linda Lindstrom et al. Clinically used breast cancer markers such as estrogen receptor, progesterone receptor, and human epidermal growth factor 2 are unstable throughout tumor progression. *J of Clin Oncol* 2012;30(21):2601-8
- 57 Lee A, Djamgoz MBA. Triple negative breast cancer : Emerging therapeutic modalities and novel combination therapies. *Cancer Treat Rev.* 2018;62:110-22
- 58 Shah MV et al. Patient-reported symptoms and impacts of locally advanced or metastatic urothelial cancer (la/mUC) after chemotherapy followed by a PD-1/PD-L1 checkpoint inhibitor (CPI). *J Clin Oncol* 2019; 37 (7\_suppl). Poster présenté au ASCO GU, 14-16 février 2019. Abstract 380
- 59 National Cancer Institute 2023. Bladder Cancer Symptoms. Disponible sur <https://www.cancer.gov/types/bladder/symptoms>. Dernière consultation : avril 2024
- 60 Kankerregister 2022. Cancer Burden in Belgium 2004-2019. Disponible sur [www.kankerregister.org](http://www.kankerregister.org). Dernière consultation : avril 2024
- 61 Maiorano et al. Enfortumab vedotin in metastatic urothelial carcinoma: the solution E ventually? *Front Oncol* 2023; 13:1254906
- 62 Powles T et al. Enfortumab Vedotin in Previously Treated Advanced Urothelial Carcinoma. *N Engl J Med* 2021; 384:1125-1135
- 63 Rosenberg J et al. Health-related Quality of Life in Patients with Previously Treated Advanced Urothelial Carcinoma from EV-302: A Phase 3 Trial of Enfortumab Vedotin Versus Chemotherapy. *Eur Urol* 2024
- 64 Résumé des caractéristiques du produit, 2021 (le lien peut être demandé à l'adresse [info@pharma.be](mailto:info@pharma.be))
- 65 Damato BE, Dukes J, Goodall H, Carvajal RD. Tebentafusp: T Cell Redirection for the Treatment of Metastatic Uveal Melanoma. *Cancers (Basel).* 11 juli 2019;11(7):971. doi: 10.3390/cancers11070971. PMID: 31336704; PMCID: PMC6679206
- 66 Nathan, P.; Hassel, J.C.; Rutkowski, P.; Baurain, J.F.; Butler, M.O.; Schlaak, M.; Sullivan, R.J.; Ochsenreither, S.; Dummer, R.; Kirkwood, J.M.; et al. Overall Survival Benefit with Tebentafusp in Metastatic Uveal Melanoma. *N. Engl. J. Med.* 2021, 385, 1196-1206
- 67 Hassel JC, Piperno-Neumann S, Rutkowski P, Baurain JF, Schlaak M, Butler MO, Sullivan RJ, Dummer R, Kirkwood JM, Orloff M, Sacco JJ, Ochsenreither S, Joshua AM, Gastaud L, Curti B, Piulats JM, Salama AKS, Shoushtari AN, Demidov L, Milhem M, Chmielowski B, Kim KB, Carvajal RD, Hamid O, Collins L, Ranade K, Holland C, Pfeiffer C, Nathan P. Three-Year Overall Survival with Tebentafusp in Metastatic Uveal Melanoma. *N Engl J Med.* 14 décembre 2023;389(24):2256-2266. doi: 10.1056/NEJMoa2304753. Epub 21 octobre 2023. PMID: 37870955
- 68 Belgique, République tchèque, Danemark, Finlande, France, Allemagne, Grèce, Italie, Lituanie, Pays-Bas, Norvège, Roumanie, Espagne, Slovénie, Suède, Turquie et Royaume-Uni
- 69 Sur la base d'un entretien avec Stéphane Petit (président du conseil d'administration de Becro) et Piet Smet (vice-président du conseil d'administration de Becro)
- 70 Source : [https://www.afmps.be/fr/humain/medicaments/medicaments/recherche\\_developpement/usage\\_compassionnel\\_-\\_programmes\\_medicaux\\_d\\_urgence](https://www.afmps.be/fr/humain/medicaments/medicaments/recherche_developpement/usage_compassionnel_-_programmes_medicaux_d_urgence)
- 71 <https://circabc.europa.eu/ui/group/8ee3c69a-bccb-4f22-89ca-277e35de7c63/library/051e5787-7746-46cf-8a0d-310f84fd1900/details?download=true>
- 72 Source : <https://www.rarediseasemoonshot.eu/>

## Mot de remerciement

Ce Report to Society n'aurait pas été possible sans la participation des collaborateurs de pharma.be qui ont aidé à la rédaction du contenu, des membres de pharma.be qui ont fourni une description de leurs nouveaux médicaments remboursés, BeCRO pour leur contribution à la partie traitant de la collaboration avec des Contract Research Organisations, PwC Belgium pour leur contribution au chapitre consacré au ESG, des parties prenantes qui ont accepté de fournir une citation, de Conny Van Gheluwe de l'agence de rédaction Sproke pour la rédaction et de Karakters pour la mise en page de ce rapport.

ASBL - BE 0407.622.902 – RPM Bruxelles – Dépôt légal : D/2024/4021/02  
Éditeur responsable : Caroline VenCantersteen – 47, 1000 Bruxelles, Belgique  
[www.pharma.be](http://www.pharma.be) – [info@pharma.be](mailto:info@pharma.be)  
TVA BE 0407.622.902 – Numéro d'entreprise 0407.622.902

