

# PATIENTS ON BOARD ?

Après le premier volant de notre enquête sur l'impact des fondations américaines sur le développement de certaines biotechs françaises dont Sparing Vision, Theranexus, DiogenX et bien d'autres, nous poursuivons cette semaine nos insights en suivant les patients présents au board et aux commandes des healthtechs. Quels intérêts, quels avantages et quels inconvénients pour les patients eux-mêmes et les sociétés ? Quels impacts positifs ou négatifs dans les relations avec les investisseurs ?

Phénomène naissant il y a une quinzaine d'années, l'intégration, ou a minima la consultation des patients et/ou associations de patients dans la stratégie de développement des entreprises de santé s'impose dorénavant presque comme une évidence. Certaines startups de biotech choisissent ainsi d'inclure des bénéficiaires de leur technologie dans leur conseil d'administration pour obtenir des perspectives directes sur l'impact de leurs produits. C'est le cas d'Audentes Therapeutics qui, avant son acquisition par Astellas Pharma, travaillait sur des thérapies géniques pour des maladies rares, avec un comité consultatif de patients afin de recueillir des informations sur leurs besoins. Mais également de Genentech qui, bien que n'étant plus une start-up, a été saluée pour son engagement auprès des patients via des programmes de travail collectif visant à influencer la recherche et le développement de médicaments. L'entreprise biopharmaceutique Vertex Pharmaceuticals s'est, quant à elle, engagée à impliquer des patients atteints de mucoviscidose dans son process de R&D, afin d'orienter l'entreprise.

Encore plus nombreux sont les exemples au sein d'organisations à but non lucratif. Cure SMA (Spinraza) a inclus des patients atteints d'amyotrophie spinale (SMA) dans son conseil d'administration pour garantir que les décisions prises bénéficient directement aux patients. La Michael J. Fox Foundation for Parkinson's Research créée par l'acteur diagnostiqué très tôt pour la maladie de Parkinson finance des recherches pour trouver des traitements. La Kids v. Cancer est dédiée à l'accélération du développement de traitements pour les cancers pédiatriques. Elle a été fondée par Nancy Goodman qui a perdu sa fille âgée de 10 ans des suites d'un glioblastome. L'entreprise Pictal Health, fondée par Katie McCurdy, patiente atteinte de polyarthrite rhumatoïde et de lupus développe des outils visuels pour aider



Sabine Dandiguian,  
Managing Partner chez Jeito

les patients à mieux communiquer avec leurs professionnels de la santé. Prion Alliance soutient la recherche sur les maladies à prions. Elle a été co-fondée par Sonia Vallabh lorsqu'elle a appris qu'elle avait la maladie de Creutzfeldt-Jakob, qui se traduit par une neurodégénérescence incurable. Genetic Alliance se consacre à améliorer la santé par le biais de technologies génomiques. Elle a été fondée par Sharon Terry, mère de deux enfants atteints d'une maladie rare. La Cure Sanfilippo Foundation et son entreprise de biotech Q-therapeutics vise à développer des traitements pour la maladie métabolique rare dont était atteinte la fille des fondateurs.

Autant d'exemples qui illustrent combien l'expérience personnelle d'une maladie peut motiver les patients et leurs familles à s'engager activement dans la recherche, l'innovation et la création d'organisations ou d'entreprises pour faire progresser les traitements et améliorer la qualité de vie des personnes touchées... à l'instar du Dr Stéphane Huberty, à l'origine de CuraVac (voir Encadré).

« Le bénéficiaire patient est le vecteur de création de valeur de l'innovation thérapeutique. »

## Quel impact pour les fonds ?

« Plusieurs entreprises du portefeuille de Jeito travaillent avec des patients et associations de patients », indique Sabine Dandiguian, Managing Partner chez Jeito. « Dans les biopharmas que nous accompagnons, le bénéficiaire patient est le vecteur de création de valeur de l'innovation thérapeutique avec l'espoir de changer la vie des gens » déclare-t-elle. Selon elle, la réussite des sociétés biotech viendra de la bonne connaissance du patient et il n'y aura point de salut sans innovations majeures. D'ailleurs « les produits de confort n'obtiennent plus de remboursement car les avancées attendues par les autorités doivent transformer la vie des patients de manière significative et non pas à la marge ». Seules des molécules exceptionnelles répondant à ces critères auront grâce aux yeux d'un fonds aussi expert et spécialisé que Jeito !

## Un élément clé

Le patient un élément clef c'est ce qu'affirme Laure Jamot Présidente de la biotech HuntX Pharma, créée en décembre 2022 à Grenoble pour développer des médicaments visant à prévenir l'apparition et le développement de maladies neurologiques génétiques en restaurant le transport axonal. S'intéressant à un groupe d'une cinquantaine de maladies partageant toutes une même cause (une mutation génétique) et une même cible (le transport axonal), la start-up affiche l'ambition de permettre aux patients de vivre normalement. « Nous entretenons des liens très étroits avec les associations de

patients, et souhaitons avoir leur retour quant à l'amélioration réelle de leur état santé et de leur qualité de vie" explique-t-elle, rappelant le lancement d'ici 2026 d'un essai clinique concernant le premier candidat médicament, HX127, capable d'inhiber une réaction enzymatique modulant le transport de BDNF (Brain Derived Neurotrophic Factor) du cortex vers le striatum. Restaurer le transport axonal de BDNF en début de maladie permettrait de bloquer l'apparition des troubles moteurs cognitifs et psychiatriques. Un immense espoir pour les 300 000 personnes concernées dans le monde (18 000 en France) dont un tiers symptomatiques et deux-tiers pré-symptomatiques. Autant le travail engagé avec les patients concernant l'optimisation des questionnaires sur leur qualité de vie est précieux, autant il peut, selon Laure Jamot, être délicat de les intégrer de façon institutionnelle au board. "Le développement de médicaments implique de faire entrer des VCs, donc il



Laure Jamot,  
Présidente de la biotech HuntX Pharma

est très pertinent d'inviter les patients à participer au Scientific Advisory Board,

« Il est très pertinent d'inviter les patients à participer au Scientific Advisory Board, qui est consultatif, mais non au board des directeurs. »

qui est consultatif, mais non au board des directeurs" analyse-t-elle. C'est aussi la position de Neurogene, qui a inclus des patients touchés par des maladies génétiques rares du système nerveux central dans son conseil consultatif pour orienter ses efforts de R&D, et de BridgeBio Pharma qui a créé le BridgeBio Patient and Family Advisory Council. ■

Nathaly Mermel

## STÉPHANE HUBERTY, PATIENT FONDATEUR ET COMMANDANT DE BORD DE CURAVAC



Stéphane Huberty,  
co-fondateur de CuraVac

« Je trouvais inadmissible qu'un traitement aussi novateur reste dans un tiroir en tant qu'hypothèse moléculaire. »

Créée en 2002, l'histoire de la biotech belge CuraVac est tout à fait exemplaire ! Atteint soudainement à l'âge de 33 ans, alors qu'il est jeune médecin sportif, de myasthénie grave (MG), le Docteur Stéphane Huberty se voit proposer comme unique traitement des immunosuppresseurs et de la cortisone. Les effets secondaires sont alors selon lui plus terribles que la maladie, dénonçant "on s'attaque globalement au système immunitaire alors que 0,1% du SI fait erreur". Il découvre alors les travaux du Prof. J.Edwin Blalock de l'University d'Alabama at Birmingham (UAB), démontrant le concept de vaccination thérapeutique sur des chiens de compagnie atteints naturellement de MG après l'avoir démontré in vitro et in vivo au laboratoire.

Ensemble, ils fondent CuraVac avec l'objectif de développer une formulation humaine du vaccin thérapeutique contre la myasthénie grave et établir la preuve de concept visant d'autres maladies auto-immunes. Convaincu de l'efficacité, il réalise 3 auto-injections, ce qui lui vaut un article dans The Wall Street Journal en septembre 2010... et est guéri ! Le principe (efficace) consiste à neutraliser les anticorps bloquant les récepteurs de l'acétylcholine (RACH) au niveau de la jonction neuromusculaire grâce à un peptide complémentaire anti-cible conjugué à une protéine porteuse.

Après l'obtention du statut de médicament orphelin par l'EMA et la FDA, CuraVa obtient en 2013 un financement européen (FP7) de 6 millions d'euros qui permet la conduite d'une phase 1b sur patients. Celle-ci démontre l'innocuité et indique l'efficacité. Cette étude pointe vers le développement d'une formulation plus immunogène pour la phase 2. "Le contact avec des associations de patients telle que l'Association des Myasthéniques Isolés et Solidaires (AMIS) nous a permis de recruter 24 patients en 1 an et un sondage effectué en 2019 a généré 2500 réponses en 5 semaines quant à l'intérêt d'un vaccin thérapeutique" rapporte Stéphane Huberty, conscient que sans sa motivation de patient et sa vision d'une santé restaurée le projet n'aurait jamais démarré. "Je trouvais inadmissible qu'un traitement aussi novateur reste dans un tiroir en tant qu'hypothèse moléculaire, et notre marché n'est aujourd'hui plus à démontrer sachant qu'un malade atteint de MG coûte 45 000 dollars à la société" déclare-t-il. CuraVac est actuellement dans une nouvelle phase de levée de fonds de 10 millions d'euros, dont un subside de 4 millions d'euros et déjà obtenu auprès de la région Wallonne, et entend bien étendre son concept de vaccin complémentaire à toute maladie auto-immune dont on connaît la cible, la MG ne représentant que 0,4% de ces dernières.