

TRANSFORM National Roundtable in France

**L'Union Européenne: un espace de recherche
et d'innovation pour les thérapies géniques et
cellulaires**

**The European Union: a place of research and
innovation for gene and cell therapies**

Colloque – Académie de Médecine, Paris

6 Juillet 2023



**European Alliance
for Transformative
Therapies**

#TRANSFORMenFrance



RAPPORT D'ÉVÉNEMENT

Executive Summary

On 6 July 2023, the TRANSFORM Alliance hosted a national roundtable in Paris, to discuss the ATMP landscape in France and share TRANSFORM's positions at the EU level on ensuring safe and timely access to advanced therapies for all EU patients.

Key points and recommendations raised amongst speakers during the exchange included:

- The proposed Pharmaceutical Package will revise the EU's pharmaceutical legislation for the first time in 20 years, meaning the Union now has an opportunity to support therapeutic innovation. During the COVID-19 pandemic, the EU proved that it was adept in times of crisis. This leadership should also now be maintained post-pandemic.
- There was consensus among panellists that the Union should assume leadership on medicines evaluation, as 27 national healthcare systems results in severe delays for patient access to advanced therapies. The 2021 EU Health Technology Assessment Regulation is paving the way for better harmonisation, as it will enable a common European assessment method and procedure across the EU. ATMPs will be the first products to undergo Joint Clinical Assessments from 2025 onwards.
- France, and the EU more widely, is lagging behind the US and China on R&D, therapeutic innovation, and clinical trials. To compensate, public and private actors must collaborate and invest not only in infrastructure, but also in dialogue with patients, whose experiences are valuable to better understand both more common and rare diseases.
- Considering the disparities between Member States when it comes to access to treatments, cross-border exchanges play a central role and must be strengthened to ensure equity amongst European citizens. Moreover, early diagnosis and treatment must be standardised across Europe.
- Finally, the EU will have a clear added value once it manages to collect patient data in a harmonised manner. Such data must be further taken into consideration in scientific evaluations, to understand the effects of innovative therapies on the daily lives of patients, as well as to reflect on how future treatments could better accommodate their needs.
- To summarise, the EU has a window of opportunity to act and deliver safe and timely access to advanced therapies. Policymakers should strive to achieve a high degree of harmonisation across the Union and engage with all stakeholders involved, leaving no one behind.

Grand témoignage

Philippe Berta (Député, Modem) a présenté les enjeux de la table ronde, au travers d'un discours inaugural.

"Il est primordial que l'évaluation des thérapies innovantes se fasse au niveau européen : l'évaluation française ne doit en aucun cas s'y superposer, puisque cela engendrerait de conséquents délais. Les patients ne peuvent se permettre d'attendre."

Selon M. le député Berta, l'accès aux thérapies innovantes constitue un véritable enjeu national et européen, et ce particulièrement pour les maladies rares. Il estime par conséquent que l'évaluation doit se faire au niveau de l'Union européenne et non pas au niveau national, ce dernier ralentissant fortement l'accès. Il a en effet rappelé que 35% des thérapies autorisées par l'UE n'étaient pas accessibles en France. Le modèle économique français actuel ne semble donc pas encore adapté aux thérapies géniques et cellulaires, très onéreuses, et ne semble pas capable de supporter leur rapide expansion. Une véritable équité concernant l'accès aux soins ne pourra exister que par le biais d'une collaboration européenne accrue. Selon M. Berta, la France aura donc besoin de l'Union Européenne pour agir sur sa chaîne de valeur. Pour conclure, M. le député a insisté sur le coût élevé des absences de traitement pour la société française, et sur la nécessité d'agir rapidement.

Anne Sander (Députée Européenne, PPE) a introduit le colloque en tant que membre du groupe d'intérêts de députés européens TRANSFORM.

"La crise sanitaire a démontré que l'Union européenne pouvait agir vite et efficacement, si elle s'en donnait les moyens. Il faut maintenant s'assurer que la nouvelle législation pharmaceutique résistera à l'épreuve du temps et assurera la continuité de l'offre de soins innovants, au delà d'un contexte de crise."

Mme la députée Anne Sander tout d'abord a présenté le travail du groupe TRANSFORM. Ce dernier veille actuellement à assurer que la nouvelle législation pharmaceutique, présentée le 26 avril 2023 par la Commission européenne, sera adaptée aux spécificités des thérapies géniques et cellulaires. Elle a donc insisté sur la nécessité de prodiguer un accès égal aux médicaments innovants à tous les citoyens européens. Elle considère que les mesures d'accès aux soins transfrontaliers ne sont, pour le moment, pas suffisantes, alors qu'elles représentent un moyen crédible d'y parvenir. Mme la députée a en outre souligné la capacité de l'Union européenne à agir vite et fort en temps de crises, comme ce fut le cas avec la pandémie de COVID-19. Selon elle, le Parlement européen, en sa qualité de co-législateur, doit maintenant s'assurer que cette force sera transposée en dehors du contexte d'urgence lors des négociations institutionnelles à venir, afin de s'assurer que la nouvelle législation européenne résistera à l'épreuve du temps et assurera la continuité de l'offre de soins innovants. Mme Sander a par ailleurs rappelé que le Position Paper de TRANSFORM, publié le 1^{er} juin 2023, détaillait les mesures pour y parvenir, invitant l'auditoire à en prendre connaissance.

Table Ronde 1 : Définir un cadre réglementaire européen adapté aux spécificités des thérapies innovantes

- **Cyrille Isaac-Sibille**, Député MoDem et co-président de la MECSS
- **Virginie Hivert**, Directrice du développement thérapeutique d'EURORDIS
- **Christian Cottet**, Conseiller de la présidente d'AFM-Téléthon
- **Frédéric Chassagnol**, Directeur Exécutif Accès, Affaires Publiques & Communication, Directeur Général Délégué, Roche France
- **Judith Fernandez**, Directrice adjointe du département de l'évaluation des technologies de la santé à la HAS

- **Cyrille Isaac-Sibille** : *“Si le coût des thérapies géniques et cellulaires semble de prime abord trop conséquent pour un système souffrant de déficit budgétaire, il se transforme à long-terme en économies. L'administration étant unique, le patient peut se réinsérer dans la société et la vie active.”*

M. le député Isaac-Sibille a présenté son point de vue de législateur français sur la question des révisions réglementaires nécessaires pour un système sanitaire fonctionnel. Il a rappelé que le Projet de loi de financement de la Sécurité Sociale (PLFSS) opérait avec un budget limité, entravant cruellement la course à l'innovation. Pour renforcer son propos, il a rappelé quelques chiffres clefs mettant le rôle de l'innovation thérapeutique en exergue. Les 28 thérapies géniques - sur 93 existantes - qui seront accessibles en 2026 coûteront 1,5 milliards d'euros pour 5000 patients, ce qui semble de prime abord être une somme pharaonique. Or, comparé aux coûts des soins ponctuels et de la prise en charge quotidienne, l'investissement dans ces thérapies permettra en réalité de faire des économies financières à long terme, entraînant un gain de 150 000 années de traitement. M. le député a conséquemment confronté l'audience aux défaillances de l'Assurance Maladie, peu adaptée au caractère novateur des thérapies géniques et cellulaires. Il a donc insisté sur l'importance de réorganiser les financements publics, actuellement mal alloués, en agissant en premier lieu sur les maladies chroniques et les morts évitables coûtant cher aux sociétés et en second lieu sur la prévention.

- **Virginie Hivert** : *“Si la Commission européenne affiche une volonté d'innover et de réformer le cadre pharmaceutique, de nombreux points restent à éclaircir, comme l'implication des patients dans le processus, les critères de définition, l'accès aux dialogues précoces ou encore la place réservée aux Réseaux européens de Référence.”*

Virginie Hivert a présenté les attentes des groupes de patients concernant le nouveau cadre réglementaire européen. Si elle a salué l'intention de la Commission européenne d'innover davantage, elle a également mis en garde sur la nécessité de mettre en place un cadre règlementaire pérenne, pouvant accueillir les innovations futures. Selon elle, les « *regulatory sandboxes* » représentent par exemple des outils intéressants, permettant d'adapter la législation au fur et à mesure. EURORDIS voit par ailleurs d'un œil positif le maintien du seuil de prévalence des maladies rares, ainsi que la

modulation des incitations dédiées aux thérapies avancées. Cependant, Mme Hivert a souligné que de nombreuses imprécisions restaient à éclaircir. Des termes comme « *meaningful reduction* » d'une maladie et « *exceptional therapeutic advantage* » sont trop peu définis, ce qui posera problème pour l'évaluation des thérapies. En outre, l'implication des groupes de patients semble conditionnelle, alors qu'elle est impérative. Un dialogue précoce est en effet indispensable pour discuter du développement thérapeutique. Enfin, Mme Hivert a insisté sur le rôle clef joué par les *Réseaux Européens de Référence* (ERNs), permettant aux patients atteints de maladies rares de prendre connaissance des soins disponibles, et par conséquent de leur nécessaire harmonisation.

- **Christian Cottet** : *“ Le dépistage néonatal représente un avantage sociétal et économique, puisqu'un traitement administré dès la naissance permet des économies de long-terme. Or, si 70% des nourrissons sont dépistés en Europe, ils ne le sont qu'à titre expérimental en France. Il semble donc nécessaire d'harmoniser ces pratiques au niveau Européen. ”*

M. Cottet a tout d'abord rappelé à l'audience le parcours et l'évolution de l'AFM-Téléthon, au départ une association de malades et parents de malades. L'organisation a progressivement lancé des partenariats industriels, entrepreneuriaux et de recherche, pour approfondir la connaissance concernant les maladies rares et obtenir des traitements. L'AFM-Téléthon a par exemple créé ses propres instituts de recherche, dont le Généthon, spécialiste européen des thérapies géniques, avant de faire son entrée dans l'industrie en 2016. M. Cottet a ensuite évoqué le rôle clef du diagnostic néonatal, les thérapies géniques étant d'autant plus efficaces qu'elles sont administrées tôt. Or, certains patients sont souvent diagnostiqués trop tard pour que des traitements existants aient de l'effet, ce qui est par exemple le cas pour les amyotrophies spinales. Il a donc présenté l'importance sociétale et économique du dépistage néonatal, et insisté sur le retard accusé par la France, puisque 70% des nourrissons sont dépistés en Europe mais ne le sont qu'à titre expérimental en France. Le dépistage suivi d'un traitement génétique dès la naissance permettrait en outre des économies aux systèmes de santé. M. Cottet a donc insisté sur la nécessaire collaboration européenne en termes recherche et de production, afin de faire baisser le prix des thérapies géniques, les méthodes nationales actuelles étant très coûteuses. De plus, une nouvelle approche et un nouveau mode de financement compassionnels doivent selon lui être mis en place, L'AFM-Téléthon proposant ainsi la création d'un fond, le « FITURARE », mutualisant des financements de l'assurance maladie et de l'industrie.

- **Frédéric Chassagnol** : *“Le nombre de nouvelles innovations est aujourd'hui colossal, ces dernières s'étant développées avec une extrême rapidité. Les contraintes réglementaires doivent donc être adaptées à la vitesse du développement scientifique, tout en assurant le même niveau de sécurité.”*

Frédéric Chassagnol a présenté une perspective industrielle au sujet des changements engendrés par le paquet pharmaceutique. Il a souligné la vitesse de création de nouvelles innovations, impliquant une nécessaire adaptation des contraintes règlementaires. Selon lui, l'Europe fait face à un manque d'attractivité collective, en partie à cause des délais de mise sur le marché et d'un manque de souplesse. Il estime par exemple qu'il est nécessaire d'améliorer la compétitivité des essais cliniques

européens. Ces derniers accusent en effet un sérieux retard face aux concurrents américains et chinois, et ne doivent pas entrer en concurrence les uns les autres. M. Chassagnol adhère donc à l'idée d'une harmonisation du cadre réglementaire et du cadre d'évaluation européens, même s'il met en garde face à un potentiel effet de duplication avec les systèmes nationaux, qui engendrerait un effet contraire. En outre, il estime que l'évaluation devra tenir compte du caractère ultra-personnalisé des thérapies innovantes, ce qui n'est pas encore le cas dans l'organisation actuelle. Une approche systémique et collaborative apparaît donc in fine comme nécessaire, et ce au-delà des thérapies innovantes.

- **Judith Fernandez** : *“Il ne faut pas attendre du paquet pharmaceutique proposé par la Commission qu'il résolve tous les problèmes d'accès, ces derniers étant causés par la répartition des compétences au niveau national, et la difficile harmonisation de 27 systèmes différents.”*

Judith Fernandez a commencé par rappeler que la Haute Autorité de Santé était un membre fondateur de l'Association Européenne des Organisations d'Évaluation en Santé, se positionnant donc en faveur d'une coopération et harmonisation accrue. Cette coopération, engagée il y a plus de 20 ans, a par ailleurs mené au règlement HTA de 2021. Mme Fernandez a expliqué que ce dernier offrira un cadre aux agences voulant travailler ensemble, évitera la duplication et permettra une mise en commun des connaissances. Il offrira en outre une plus grande prévisibilité sur les données attendues pour l'évaluation et réduira la charge de travail des industriels, avec un dossier unique à constituer. Lorsque l'évaluation commune débutera en 2025, les MTI seront priorisés, au côté des traitements contre le cancer. Cependant, Mme Fernandez n'attend pas du paquet pharmaceutique qu'il résolve tous les problèmes d'accès en Europe, puisque les compétences européennes restent limitées, l'organisation des soins relevant du niveau national. Elle a finalement précisé qu'une amélioration du système prendrait du temps, étant confiante qu'à terme, l'évaluation des produits de santé au niveau européen deviendra plus efficiente.

Table Ronde 2: Envisager les parcours de soin à l'aune des thérapies innovantes

- **Catherine Deroche**, Sénatrice et Présidente de la Commission des Affaires sociales du Sénat
- **Martine Pergent**, Présidente de IPOPI
- **Dominique Bremond-Gignac**, cheffe de service d'Ophtalmologie de l'Hôpital Universitaire Necker Enfants malades à Paris, Coordinatrice du Centre de Référence de Maladies Rares (CRM) OPHTARA, Représentante de l'EU EYE au sein du Groupe de Travail des Professionnels de la Santé (HCPWP) de l'Agence Européenne de Médecine
- **Aymeric De Chasteigner**, Directeur Médical Thérapies Géniques de Novartis Gene Therapies
- **Clémentine Body**, Directrice des Projets transverses et International à l'Agence pour l'Innovation en Santé

Catherine Deroche : *“Pour un meilleur accès, les objectifs à court et moyen termes français mais également européens doivent se focaliser sur la recherche et l'innovation. La France ne retrouvera sa place de leader que si elle réduit son poids administratif.”*

La Sénatrice Deroche a rappelé que l'accès à l'innovation relevait de la Commission des Affaires Sociales du Sénat, qu'elle préside. Un rapport sur l'accès aux MTI a par ailleurs été rendu en 2017, suivi d'un autre rapport en 2019 visant à évaluer les changements mis en place. Mme Deroche a été à l'initiative d'une proposition de loi, aux côtés de la sénatrice Annie Delmont-Koropoulis, déposée en mars 2022. Selon elle, le cadre a évolué dans le bon sens, l'accès précoce permettant par exemple de corriger certaines des lourdeurs existantes. Or, des progrès restent à réaliser en matière d'évaluation, l'HAS travaillant actuellement sur ce sujet. Madame la Sénatrice a insisté sur l'importance de la recherche européenne pour atteindre permettre un meilleur accès à court et moyen terme. Ceci impliquera davantage de budget, mais également de collaborations public-privé. De plus, elle a rappelé que les procédures administratives restaient un frein et devront être fluidifiées. Selon elle, les lenteurs administratives créent des manques à gagner puisque les comités de protection des personnes ne permettent pas de lancer des essais cliniques assez rapidement et les décisionnaires n'ont pas une connaissance suffisante de l'évolution rapide des sujets.

- **Martine Pergent** : *“L'Union Européenne aurait une valeur ajoutée immense, si elle collectait les données de manière harmonisée, en suivant des lignes directives communes. Elle pourrait ensuite aider les Etats Membres en fonction des spécificités de leurs systèmes de santé.”*

En sa qualité de présidente d'IPOPI, Martine Pergent a souligné la place primordiale jouée par l'évaluation de la vie quotidienne des patients, cette dernière pouvant être d'une grande aide pour faire progresser la science et l'innovation. En effet, elle a souligné le manque de registres consacrés à cette question, alors que les patients sont à même de partager des données clés. L'UE aurait donc une valeur ajoutée immense si elle collectait ces dernières de manière harmonisée, par le biais de normes et lignes directives communes. Elle a par ailleurs souligné qu'en France, l'HAS et ses processus de validation occasionnaient de sérieux retards de mise sur le marché et qu'une uniformisation des règles à l'échelle européenne était également nécessaire à ce niveau. Elle a rappelé que ce problème n'était pas stricto-sensu français, les difficultés d'accès se retrouvant dans d'autres Etats membres, chacun affichant différentes législations nationales. Enfin, elle a corroboré les propos de ses

homologues présents concernant l'importance du dépistage néonatal, dont l'absence engendre des coûts à long terme pour la société.

- **Dominique Bremond-Gignac** : *“La France déplore un manque de valorisation de la recherche et du milieu hospitalier, le pays étant marqué par de nombreux dogmes. L’Union européenne a la capacité d’insuffler un vent de changement, si elle va au bout de son projet de modernisation pharmaceutique.”*

Dominique Bremond-Gignac a exposé son point de vue de chercheuse et praticienne, impliquée au niveau européen au sein de l'Agence européenne des Médicaments. Selon elle, différentes mesures européennes pourraient être instaurées pour améliorer les parcours de soin. Tout d'abord, la mise en place d'un Plan commun de maladies rares, tel qu'existant en France, serait très pertinente. Pour éviter certaines errances, l'échange avec les associations de patients est essentiel, dans la mesure où il permet de mieux comprendre et appréhender la maladie et son impact sur la vie quotidienne. Selon Mme. Bremond-Gignac, l'Europe a un grand rôle à jouer tant qu'elle parvient à maintenir sa cohérence. La France déplore un manque d'accès rapide et simplifié aux essais cliniques, ainsi qu'un véritable soutien et une valorisation de l'hôpital et des chercheurs, qui pourraient être renforcés par le biais de l'UE. Le lien avec l'industrie se doit également d'être consolidé, cette dernière disposant de plus de moyen et pouvant représenter un soutien. Les hôpitaux devraient pouvoir poursuivre des activités à essence commerciale, pour pouvoir accéder à des financements pour leurs projets de recherche. Finalement, elle a estimé comme nécessaire d'agir sur les droits aux soins transfrontaliers, en s'assurant que les échanges entre les pays restent équitables.

- **Aymeric de Chasteigner** : *“L'échelon national fonctionne, mais peut être amélioré grâce à l'introduction d'un nouvel échelon : l'échelon européen. Avec une collecte de données harmonisée permettant d'alimenter des registres, l'écosystème national participera donc à un écosystème européen.”*

Aymeric de Chasteigner a présenté la perspective des industriels sur le sujet des parcours de soin, par le biais de l'exemple de l'amyotrophie spinale infantile. Cette maladie rare se caractérise par une dégénérescence de la moelle épinière, menant à une atrophie musculaire. La quasi-absence de dépistage néonatal en France entraîne un manque de diagnostic et de traitement précoces. Pourtant, des structures de soin et de prise en charge existent, mais la France reste malgré tout un des derniers pays européens en la matière, dépistant par exemple 14 maladies ultra rares quand l'Italie en dépiste 35. M. de Chasteigner a rappelé à l'auditoire l'existence d'un projet innovant d'intégration de dépistage moléculaire à un écosystème centré sur le biochimique. Ce dernier est financé par trois laboratoires pharmaceutiques et porté par l'AFM-Téléthon. Ce dépistage passe par des centres régionaux, en plus d'un centre national, et démontre la capacité nationale à innover. Selon M. de Chasteigner, une harmonisation européenne permettrait de passer un échelon supplémentaire, mais ne devra pas supplanter le niveau national.

- **Clémentine Body** : *“Le développement de thérapies géniques comporte un véritable risque. L'utilisation de données de vie réelle et le recours à des paiements à la performance*

constituent donc des outils importants, qui pourraient convaincre les payeurs de financer les thérapies.”

Clémentine Body a tout d’abord introduit le rôle de l’Agence pour l’Innovation en Santé (AIS), fraîchement créée. Cette dernière a pour vocation principale de coordonner de manière systémique toutes les innovations en matière de santé sur le territoire français. Une de ses missions principales consiste à assurer une coordination optimale entre recherche fondamentale et translationnelle. L’AIS aide également les startups à trouver des financements, et travaille sur la mise en œuvre de la recherche clinique, sur l’accès aux traitements, sur les dispositifs médicaux ainsi que sur les dispositifs numériques des patients. L’Agence essaie de s’assurer que les innovations arrivent rapidement aux patients, et puissent être évaluées de la meilleure façon par les autorités. Un pôle prospectif identifie en outre les besoins des patients et les innovations pouvant y répondre, tandis qu’un pôle accompagnement aide les porteurs de projets, aujourd’hui au nombre de 44. Au niveau européen, l’Agence a vocation à travailler avec ses homologues européens, en promouvant ses intérêts à l’échelle européenne. Mme Body a par ailleurs remarqué que le Plan Innovation Santé 2030, à l’origine de la création de l’AIS, encourageait la prise de risques, notamment financiers, établissant que le recours aux données de vie réelles et au paiement à la performance pourraient convaincre les payeurs de financer les thérapies et ainsi soutenir leur développement. Selon elle, il serait également adéquat de faciliter le dialogue public-privé, potentiellement en suivant le modèle d’évaluation NICE du Royaume-Uni.

Conclusions

Virginie Hivert a clôturé l’événement, présentant les leçons tirées de la table-ronde. Si elle a noté une forme de consensus concernant l’évolution du cadre européen, elle a pour autant rappelé que de nombreux changements restaient à mettre en place. Selon elle, l’accès, le prix et le financement des parcours de soin sont des paramètres clefs sur lesquels agir au niveau national et européen. Une multiplicité d’acteurs a un rôle à jouer, leurs expertises devant être mutualisées. Mme Hivert a insisté sur l’importance du dépistage néonatal, longuement discuté. La France se doit de rattraper son retard, et de rester un pionnier en termes d’innovation. Cela implique de nouveaux modèles économiques et réglementaires, ainsi que de nombreux investissements nationaux et européens : des investissements financiers, des investissements dans la R&D, des investissements dans les infrastructures, mais également dans l’inclusion et l’intégration des patients.



About the European Alliance for Transformative Therapies (TRANSFORM)

We invite you to join the TRANSFORM Community on [Twitter](#) and [LinkedIn](#) and keep an eye on the [website](#) to continue this important discussion online and to stay updated about the TRANSFORM MEP Interest Group and Alliance of experts' plans.

You can read the TRANSFORM MEP Charter for EU Cooperation to Enable Safe and Timely Patient Access to Advanced Therapies in Europe launched on 13 October 2022 here:
<https://transformalliance.eu/charter/>

You can read the TRANSFORM Policy Asks on the Regulatory Framework for ATMPs launched on 16 June 2022 here:
https://transformalliance.eu/wp-content/uploads/2022/06/TRANSFORM-Policy-Asks-on-Regulatory-Framework-for-ATMPs_FINAL_June2022.pdf

You can read the TRANSFORM Policy Asks on Access to Authorised ATMPs launched on 31 March 2022 here:
<https://transformalliance.eu/wp-content/uploads/2022/03/TRANSFORM-Policy-Asks-for-Access-to-Authorised-ATMPs.pdf>

You can read the TRANSFORM MEP Interest Group Policy Asks on Cross-Border Healthcare launched on 10 November 2021 here:
<https://transformalliance.eu/wp-content/uploads/2021/11/TRANSFORM-MEP-Interest-Group-Five-Asks-on-Cross-border-Access-to-ATMPs-1.pdf>

You can read the TRANSFORM Recommendations for Actions in the context of the Pharmaceutical Strategy for Europe launched in June 2021 here:
https://transformalliance.eu/wp-content/uploads/2021/06/TRANSFORM-Recommendations-Version1.0_June2021-1.pdf



The European Alliance for Transformative Therapies (TRANSFORM) is a multi-stakeholder Alliance that connects Members of the European Parliament (MEPs) and policy-makers with patient groups, medical experts and associations, scientists, researchers, industry actors, networks and other relevant stakeholders. TRANSFORM aims to foster effective dialogue and provide evidence-based policy recommendations to enable safe and timely patient access to cell and gene therapies, whilst ensuring sustainability of healthcare systems.

The work of the TRANSFORM Secretariat, provided by FIPRA, is enabled by funding from EUCOPE and its members, BioMarin, CSL Behring, Gilead Sciences, Miltenyi Biomedicine, Novartis, Novo Nordisk, Orchard Therapeutics, PTC Therapeutics, Santen and Vertex Pharmaceuticals.

The European Medicines Agency is an Observer to the Alliance.

 <p>EFNA – European Federation of Neurological Associations</p>	 <p>RI – Retina International</p>	 <p>WDO – World Duchenne Organization</p>	 <p>IPOPI – International Patient Organisation for Primary Immunodeficiencies</p>
 <p>TIF – Thalassaemia International Federation</p>	 <p>EHC – European Haemophilia Consortium</p>	 <p>EURORDIS – Rare Diseases Europe</p>	 <p>EPTRI – European Paediatric Translational Research Infrastructure</p>
 <p>CCI Europe – Childhood Cancer International Europe</p>	 <p>SIOP Europe – the European Society for Paediatric Oncology</p>	 <p>EAHAD – European Association for Haemophilia and Allied Disorders</p>	 <p>EU EYE – European Alliance for Vision Research and Ophthalmology</p>
 <p>ESGCT – European Society of Gene and Cell Therapy</p>	 <p>EUCOPE – European Confederation of Pharmaceutical Entrepreneurs</p>	 <p>reNEW Consortium – Stem Cell Medicine</p>	