

ATELIER A5:

L'utilisation des données, avant et après AMM

Jeudi 27 Novembre 2013



Anne d'Andon, *Chef de service évaluation des médicaments (HAS)*

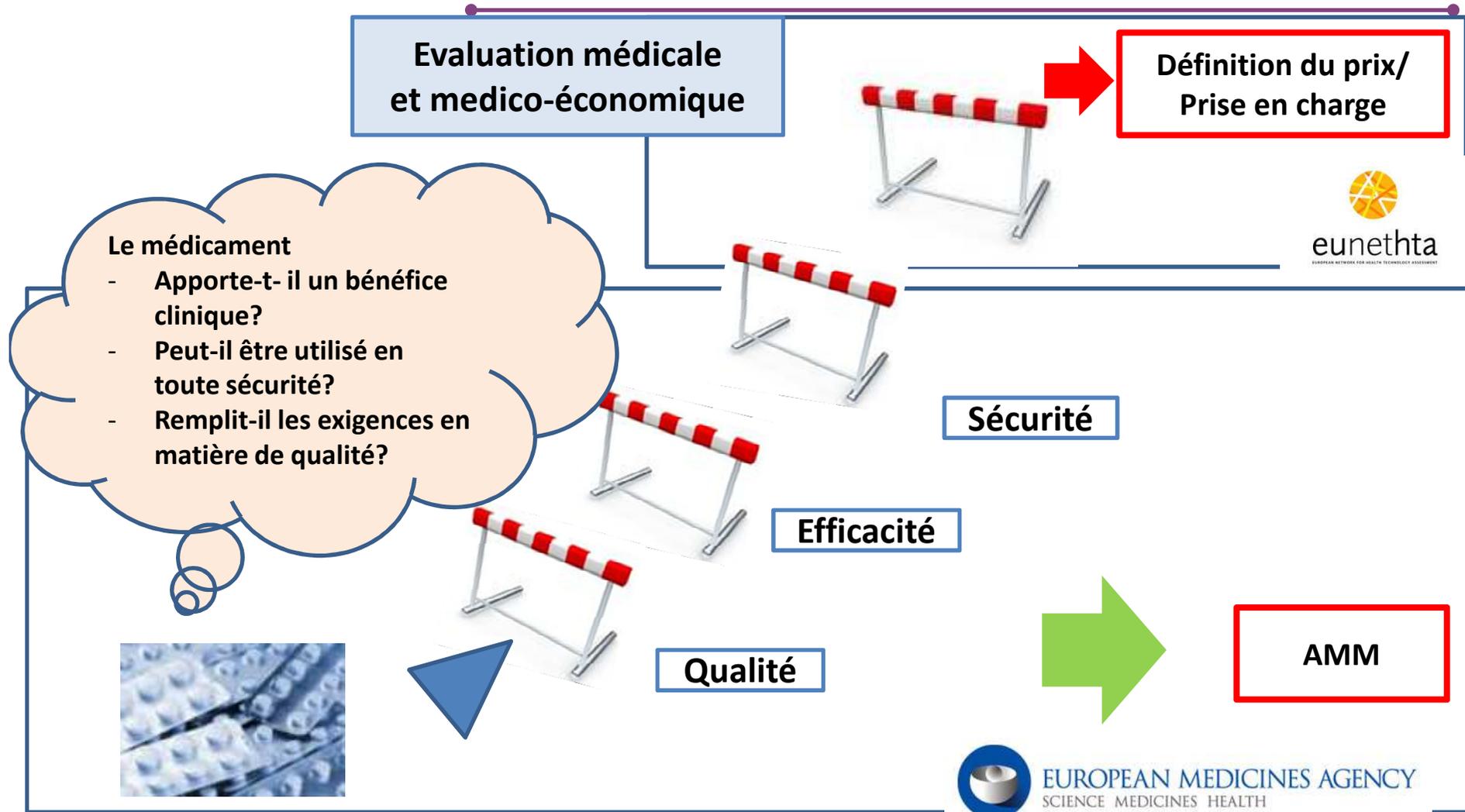
Joseph Emmerich, *Directeur, Direction des médicaments en cardiologie, endocrinologie, gynécologie et urologie (ANSM)*

Sékolène Aymé, *Directeur de recherche INSERM, EUCERD, Orphanet, IRDiRC*

Martine Zimmermann, *VP Global Regulatory Affairs
Alexion Pharma International Sarl*



Les 4 contraintes



- **Peut-on envisager que les études d'histoire naturelle de la maladie -études en vie réelle - soient poursuivies une fois les traitements disponibles et que le niveau de preuve des données relatives aux bénéfices des traitements qui y sont collectées soit reconnu pour une évaluation medical et medico economique sequentielle?**



- Du fait de l'avancées des connaissances
 - Sous-populations de répondeurs
 - Sous-populations susceptibles aux effets indésirables
- De la nécessité d'aller vers « l'Adaptative licensing »
 - Accumulation progressive de données pour les petites populations
 - L'évidence est un processus sans fin
- De la nécessité de justifier des prix/ prévoir les budgets
 - Données vie réelle
 - Démonstration de l'efficacité des produits coûteux



Information pour la décision clinique

- Histoire naturelle de la maladie, groupes traités et non traités
- Cible: industrie/cliniciens / autorités de santé et médico économique

Information pour évaluer efficacité et sécurité

- exposition, indication, effets indésirables, état clinique
- Agences réglementaires / cliniciens / industrie

Information coût/efficacité

- Coûts directs et indirects, économies, amélioration de l'état clinique
- Evalueurs / autorités médico économique/

A tout moment de la vie du médicament

Lecture critique des données : niveau de preuve, biais, transposabilité, pertinence clinique, incertitude

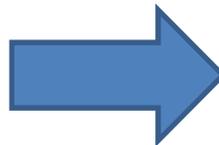
Demande de réalisation recueil de données / d'études ad hoc indispensables à l'évaluation à venir et a priori réalisable

Impact sur

- L'évaluation initiale
- La réévaluation quinquennale
- La réévaluation à tout moment sur la base de données substantielles

A l'initiative

- Du laboratoire
- De la CT
- Du ministère



Peut conduire à une modification du remboursement (taux, population cible) ou du prix des médicaments





**EUCERD CORE RECOMMENDATIONS
ON RARE DISEASE PATIENT
REGISTRATION AND DATA COLLECTION
TO THE EUROPEAN COMMISSION,
MEMBER STATES
AND ALL STAKEHOLDERS**

rare 2013
Les rencontres Eurobiomed des maladies rares

5 JUNE 2013





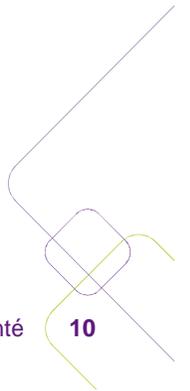
EUCERD CORE RECOMMENDATIONS ON RARE DISEASE (RD) PATIENT REGISTRATION AND DATA COLLECTION - June 2013

- ◆ RD patient registries and data collections need to be internationally interoperable as much as possible and the procedures to collect and exchange data need to be harmonised and consistent.
- ◆ All sources of data should be considered as sources of information for RD registries and data collections, to speed up the acquisition of knowledge and the development of clinical research.
- ◆ Collected data should be utilised for public health and research purposes.
- ◆ Patient registries and data collections should adhere to good practice guidelines in the field.
- ◆ Existing and future patient registries and data collections should be adaptable to serve regulatory purposes, where required.
- ◆ Patient registries and data collections should be sustainable for the foreseeable timespan of the registries' utility.



Adaptative licencing ? versus

- ◆ Present licensing
- ◆ Conditional Marketing authorization
- ◆ Orphan disease status
- ◆ Compassionate use
- ◆ ATUc
- ◆ RTU



- **L'utilité des registres dans le pré et le post AMM est reconnue de tous**
- Faciliter l'adéquation des données générées pour répondre aux questions posées
- La collecte des données dans les registres doit être fait dans un but d'utilisation
 - Eviter la fragmentation des données
 - Garantir la cohérence des données
- Disposer d'un support technique et réglementaire
 - Modèles de règles de gouvernance
- Un partenariat public/privé est nécessaire
- Réaliser des études de bonne qualité



La coopération précoce entre tous les acteurs est indispensable

Implication de toutes les parties prenantes

