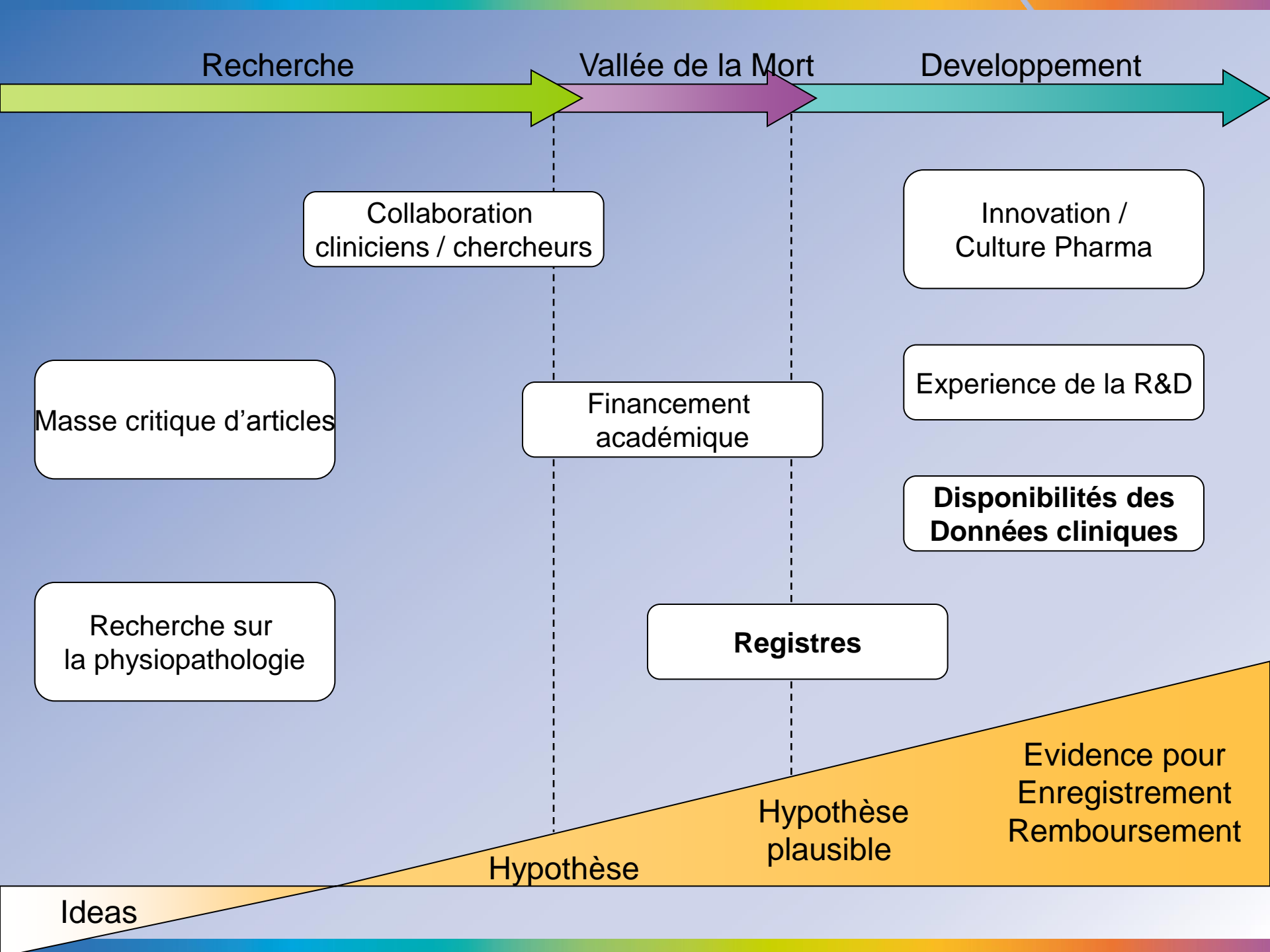


L'utilisation des Données avant et après AMM

Le point de vue de l'EUCERD

Sékolène Aymé
INSERM US14, Paris, France

Atelier A5 - Rare 2013
Montpellier, 28 Novembre 2013



Recherche

Vallée de la Mort

Développement

Collaboration
cliniciens / chercheurs

Innovation /
Culture Pharma

Masse critique d'articles

Financement
académique

Experience de la R&D

Recherche sur
la physiopathologie

**Disponibilités des
Données cliniques**

Registres

Hypothèse

Hypothèse
plausible

Evidence pour
Enregistrement
Remboursement

Ideas

De plus en plus de raisons de disposer de données....

- Du fait de l'avancées des connaissances
 - Sous-populations de répondeurs
 - Sous-populations susceptibles aux effets indésirables
 - Thérapies ciblées par mécanisme biologique
 - **Maladies rares**
- De la nécessité d'aller vers « l'Adaptative licensing »
 - Accumulation lente 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

De quelle information avons-nous besoin?

- Information pour la décision clinique
 - Histoire naturelle de la maladie, groupes traités et non traités
 - Cible: cliniciens / autorités de santé
- Information pour évaluer efficacité et sécurité
 - exposition, indication, effets indésirables, état clinique
 - Agences réglementaires / cliniciens / industriels
- Information coût/efficacité
 - Coûts directs et indirects, économies, amélioration de l'état clinique
 - Evalueurs / Assureurs santé (payeurs) / administration

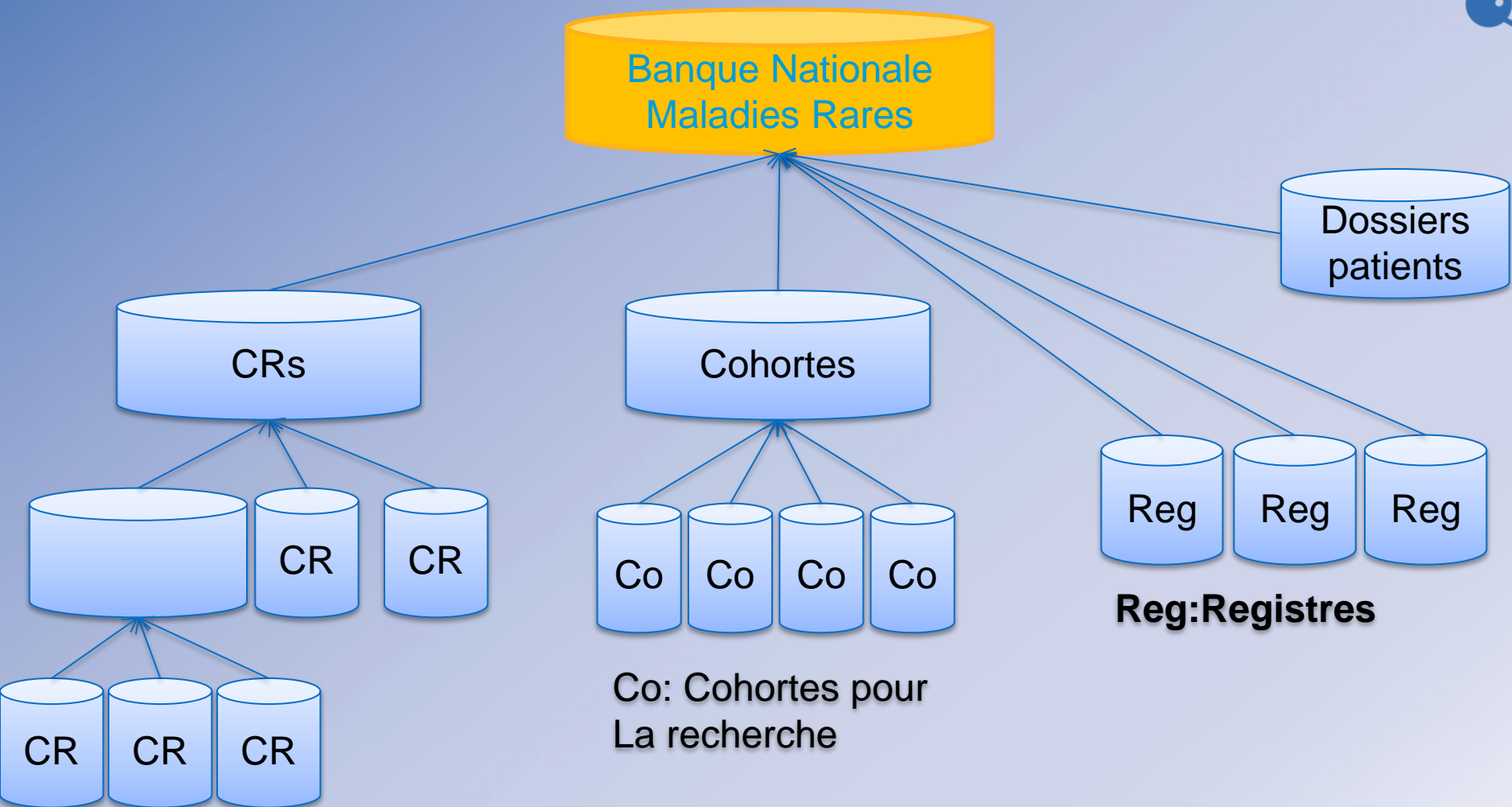
WORKSHOP à l'EMA Octobre 2011

- **Des données pour servir de multiples usages**
 - Evaluation de l'efficacité sur des indicateurs pertinents
 - Evaluation de l'usage des produits en situation réelle
 - Analyses coût/efficacité
 - Surveillance des effets secondaires et des complications long terme
- **40% des médicaments orphelins ont une AMM sous circonstances exceptionnelles**

Sources de Données Patients

- Collections de données à des fins de recherche
 - **Registres « maladie »**
 - ✓ **Registres « produit »**
 - Cohortes
 - Enquêtes Ad-Hoc
- Collections de données à des fins cliniques
 - Dossiers Patient électroniques

Le modèle français rêvé



Co: Cohortes pour
La recherche

Reg:Registres

CR: Centre de Référence

Une plateforme européenne est en développement à Ispra, Italie

La Plateforme de Registres à Ispra

- Fédérer les registres nationaux Maladies rares: France, Italie, Espagne, Allemagne, Belgique...
- Offrir une plateforme technique pour les nouveaux registres et un archivage de données pour les registres indépendants
- Etre un portail d'entrée vers toutes les ressources européennes
- Offrir des services d'aide: formation, conseil.....

Les Registres comme ressource précompétitive

- **Rapports de l'EUCERD www.eucerd.eu**
 - RDTF Report « Patient registries in the field of rare diseases » 2008 / 2011
 - RDTF Report « Health indicators for rare diseases » 2010, 2011
 - EUCERD Core Recommendations on Rare Disease Patient Registration and Data Collection 2013
 - Orphanet Report « Disease registries in Europe » 2013

Principes à suivre

- Eviter la duplication des efforts/ le gâchis de ressources
- Disposer d'une source unique de données par maladie et non par produit, pour évaluer l'utilité des thérapies
 - Pour les chercheurs, les malades, les industriels, les agences réglementaires et les financeurs de la santé

WORKSHOP à l'EMA: le constat

- Diversité des législations nationales vis-à-vis de la protection des données
- Manque de compréhension des comités d'éthique
- Manque de financement dans la plus part des pays
- Des besoins divergent entre académiques et industriels
- Peu de valorisation académique de l'activité

WORKSHOP à l'EMA: le consensus

- Données de la compagnie A pas disponible pour la compagnie B: inadmissible
- Obligation devrait être faite de contribuer aux Registres pour les prescripteurs de traitements innovants et coûteux
- Accès libre aux données pour la recherche
- Implications des patients à tous les stades, de la conception à l'exploitation, en passant par la gestion

WORKSHOP à l'EMA: recommandations

- **Un partenariat public/privé est nécessaire**
 - Model 1: Registre Académique cofinancé par l'Industrie, données accessibles aux industriels pour leurs obligations réglementaires
 - Model 2: Registre cogéré par les académiques et l'Industrie
- **Co-financement par l'Industrie et les Autorités de Santé**
- **Les registres sont des infrastructures, pas des projets**
- **Gouvernance assurant la qualité des données, le respect des lois et la transparence des résultats**
- **Recommandations pour les comités d'éthique**

Conclusions

- Imperatif d'éviter la fragmentation
- Le partenariat public/privé est nécessaire – ne peut être obligatoire mais peut être suggéré par l'EMA et les agences réglementaires nationales
- Fournir un support technique et réglementaire
- Modèles de règles de gouvernance
- Cadre réglementaires et standards
- Données en accès libre
- Gestion académique pour assurer le long-terme

Prochaines étapes

- Groupe de travail public-privé pour rédiger les bases d'un accord
- en lien avec les conclusions du rapport CAVOMP-IF (clinical added value of orphan medicinal products Information Flow)
- Initier le dialogue avec les agences réglementaires, les payeurs, les industriels, les cliniciens, les associations en France

CAVOMP-IF

- Un processus d'échange de connaissances entre Etats-Membres
- Respectant le role de chaque partie
- Une série d'actions et interactions pour faciliter cet échange
- Pour casser l'effet "silos" du processus actuel de la désignation au remboursement
- "Ce l'huile dans la machine" – pas un nouvelle machine

4. Evaluation de l'efficacité relative

- Sous les auspices de EUnetHTA
 - Qui va devenir un réseau permanent entre agences d'évaluation
- Nécessite:
 - La disponibilité d'outils méthodologiques appropriés pour évaluer le produits orphelins
 - L'usage de ces produits.....
- Evaluation flexible, adaptée
- Implication de toutes les parties: patients, cliniciens, industriels, MAH

Considerations Clés

- Chaque acteur joue son rôle et assume sa part de responsabilité dans le processus
- Implication de toutes les parties prenantes
 - Avantage démontré au COMP et à l' EUCERD
- Implémentation progressive de tout ce qui peut l'être en fonction des comportements des parties

1. Pharmacovigilance

- ...“*post-authorisation efficacy studies where concerns relating to some aspects of the efficacy of the medicinal product are identified and can be resolved only after the medicinal product has been marketed*”
- Les demandes du PRAC sont incorporées dans l’opinion du CHMP
- Processus d’acquisition de données Post-Marketing
- Coordination vitale

Merci de votre attention