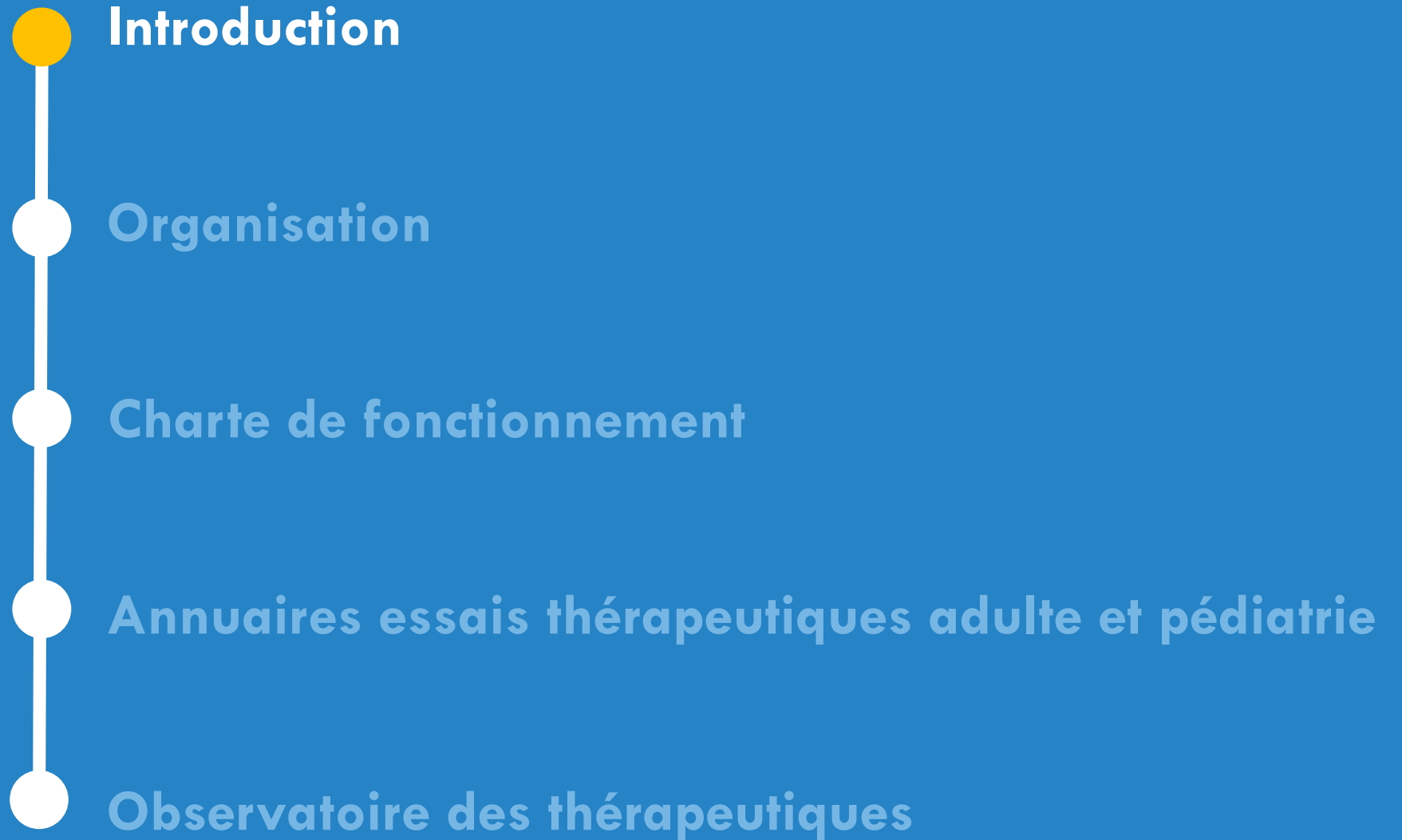


Filnemus

Filière Neuromusculaire

**Commission
Essais thérapeutiques**

9 Octobre 2020



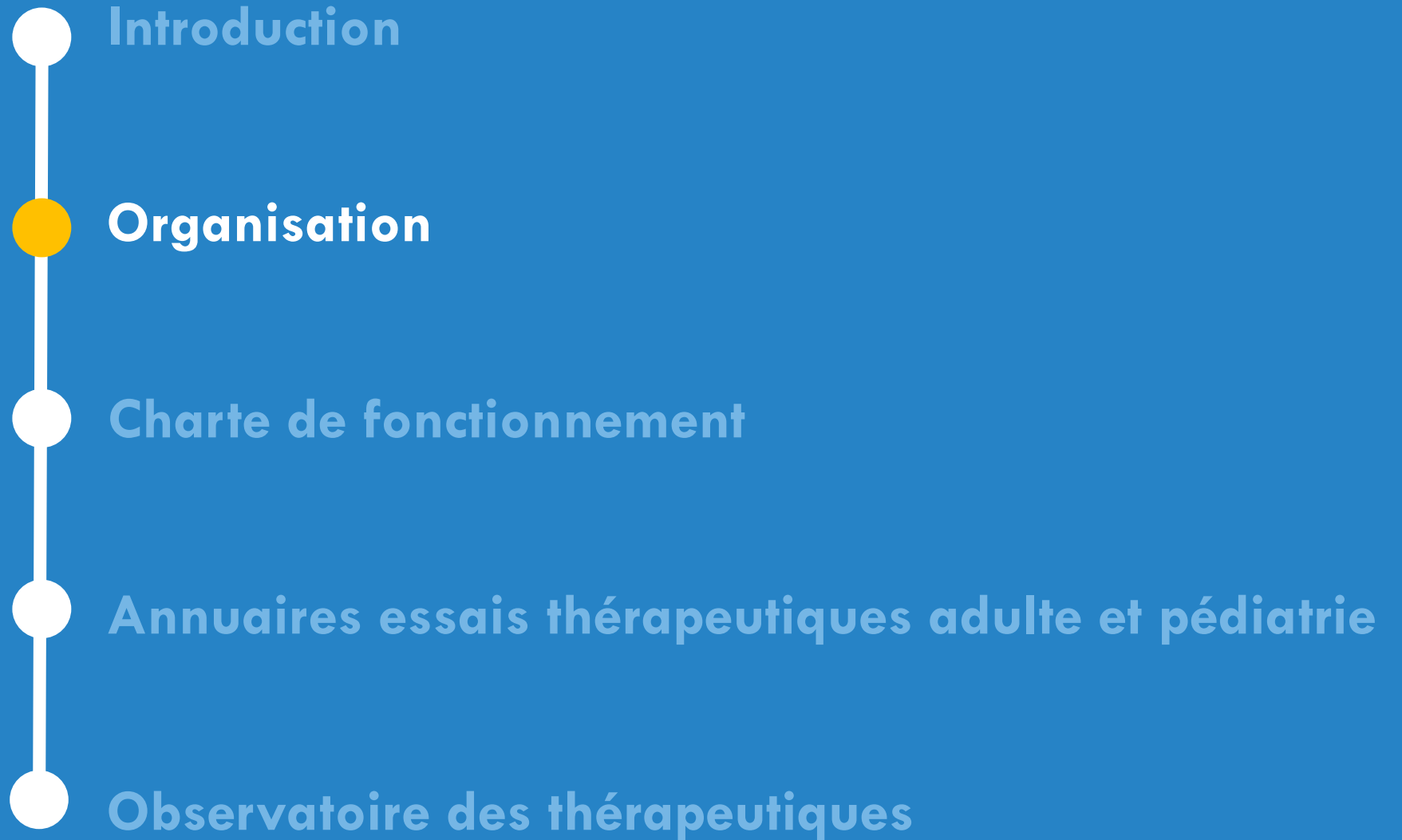
La commission essais thérapeutiques :

➤ Les principaux objectifs sont :

- Informer / diffuser l'information sur les essais thérapeutiques
- Promouvoir la réalisation et le bon déroulement des essais thérapeutiques
- Renforcer les liens fonctionnels entre les différentes équipes partenaires
- Améliorer et optimiser l'accès aux essais thérapeutiques pour l'ensemble des patients
- Optimiser la participation d'un maximum de centres dans le domaine des maladies neuromusculaires

➤ Déroulement :

- Réunions mensuelles (3^{ème} jeudi de chaque mois)
- 3 réunions faites depuis le démarrage



Organisation

Membres de la cellules essais thérapeutiques adulte :

Co-coordonateurs

- Pr Attarian
- Pr Adams
- Pr Laforêt

Comité de pilotage

- Pr Camdessanbé
- Dr Cintas
- Pr Magy
- Dr Nadaj-Pakleza
- Pr Péréon
- Dr Solé
- Dr Spinazzi
- Dr Stojkovic
- Dr Tard

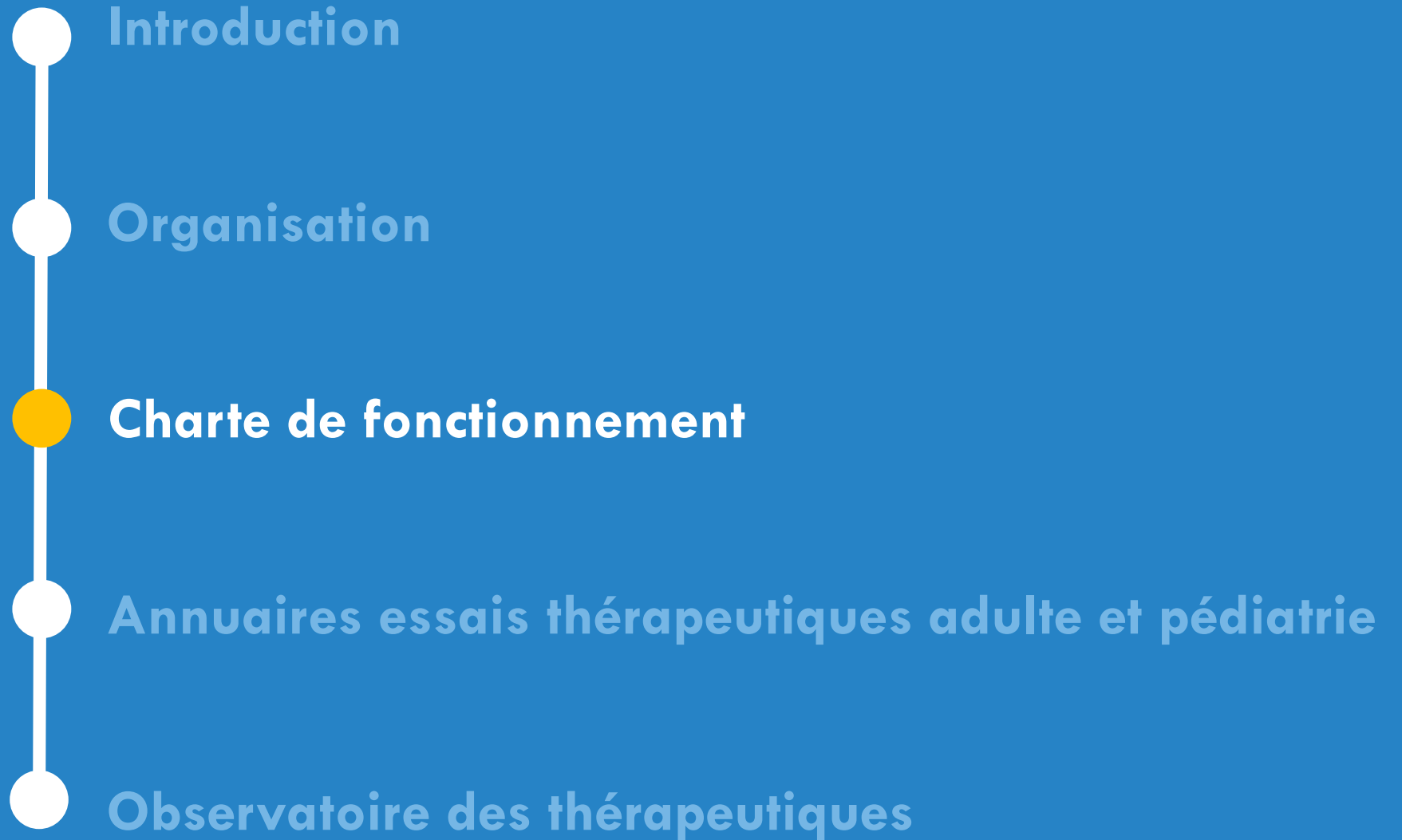
Chargée de mission à 0,5 ETP

- Lucie Pisella

ARC à 0,5 ETP

- Billal Djemaia

Associations



Charte de fonctionnement

La cellule essais thérapeutiques a mis en place une charte de fonctionnement

1. Investigateur

Proposition à Filnemus par adresse email académique (Guichet Web Filnemus)

Filnemus@ap-hm.fr

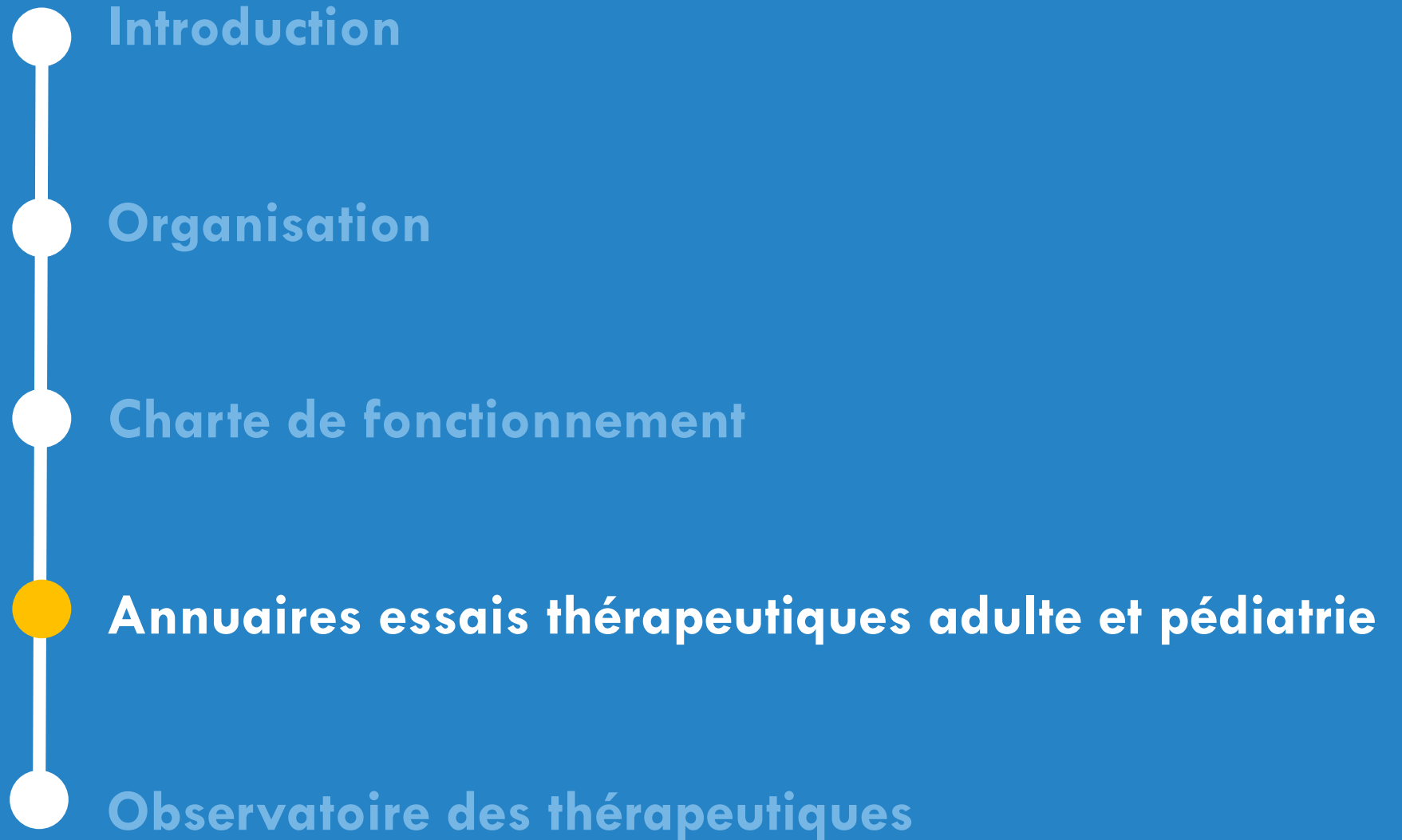
2. Cellule essais thérapeutiques

Evaluation de la proposition par la commission qui conclue si Filnemus soutient ou non cette proposition

3. Si avis favorable

La commission demande aux centres qui veut participer et transmet la liste au promoteur.

Une demande d'essai a déjà bénéficié de ce mode de fonctionnement.



Annuaire essais thérapeutiques adulte et pédiatrie

Deux annuaires concernant les essais thérapeutiques adultes et pédiatriques ont été mis en place

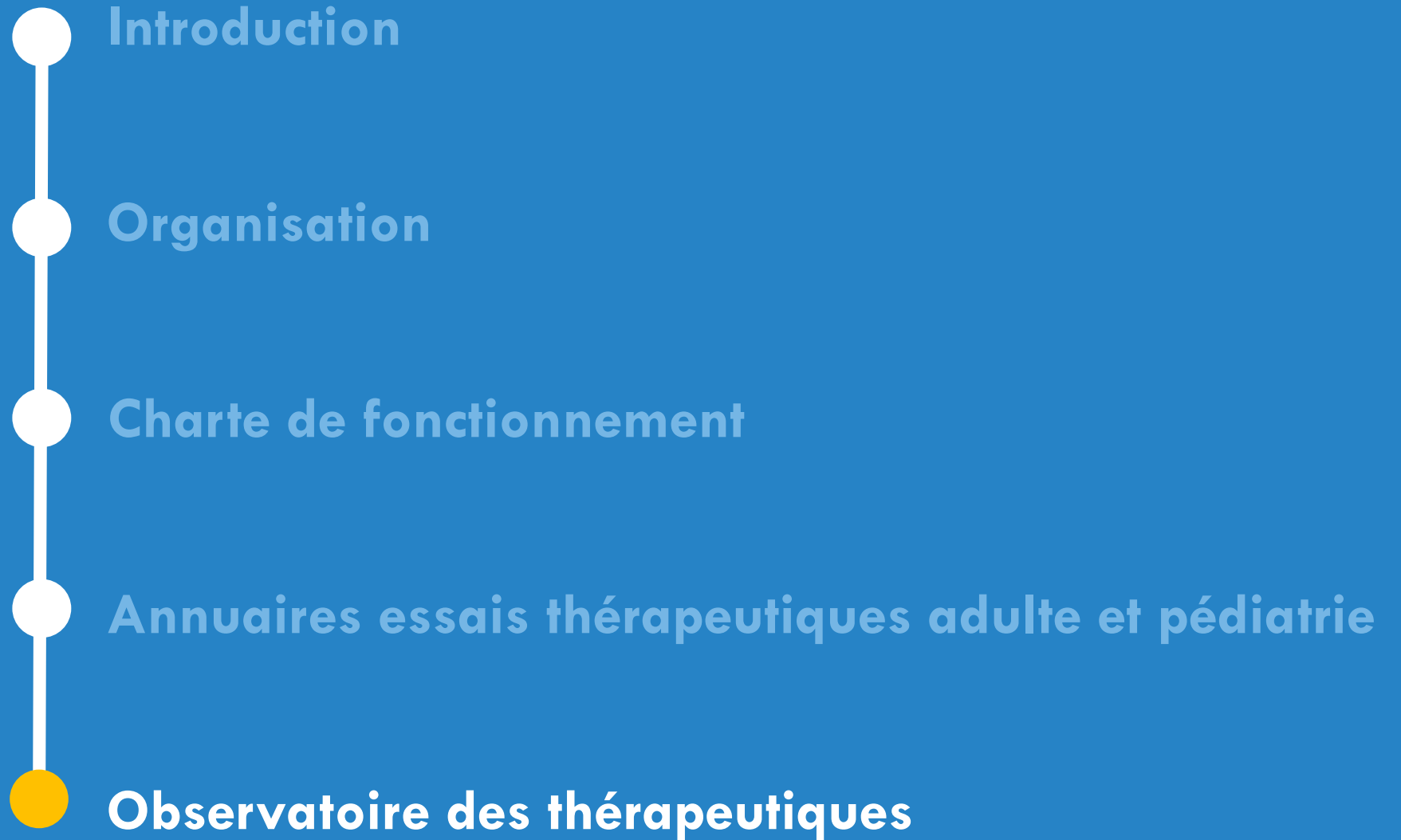
- Ils répertorient tous les essais thérapeutiques neuromusculaires effectués en France et possédant un numéro clinicaltrial.gov.
- Tous les centres participants aux essais sont répertoriés pour chaque essai thérapeutique.
- Ces annuaires seront disponibles prochainement sur le site internet.
- Une mise à jour de ces annuaires sera effectuée régulièrement.

34 essais thérapeutiques adultes

- Amyotrophie spinale : 2
- Myasthénie : 4
- Neuropathie : 16
- Myopathie : 12

27 essais thérapeutiques pédiatriques

- Amyotrophie spinale : 6
- Maladies mitochondriales : 1
- Neuropathie : 2
- Myopathie : 18

- 
- Introduction
 - Organisation
 - Charte de fonctionnement
 - Annuaires essais thérapeutiques adulte et pédiatrie
 - **Observatoire des thérapeutiques**

Observatoire des thérapeutiques

➤ Les principaux objectifs sont :

- Faire de la veille des traitements pour disposer d'un état des lieux des thérapeutiques actuelles
- Encadrer et harmoniser l'utilisation des médicaments hors-AMM
- Identifier les problématiques liées à chaque médicament (ex : efficacité, remboursement, certitude sur le futur ...) et mettre en place des actions pour les résoudre

➤ Les médicaments seront répertoriés selon 4 catégories :

1

Médicaments post-phase III essais thérapeutiques

2

Médicaments orphelins

3

Médicaments couramment utilisés mais nécessitant une homogénéisation des pratiques

4

Médicaments candidats mais pas assez documentés