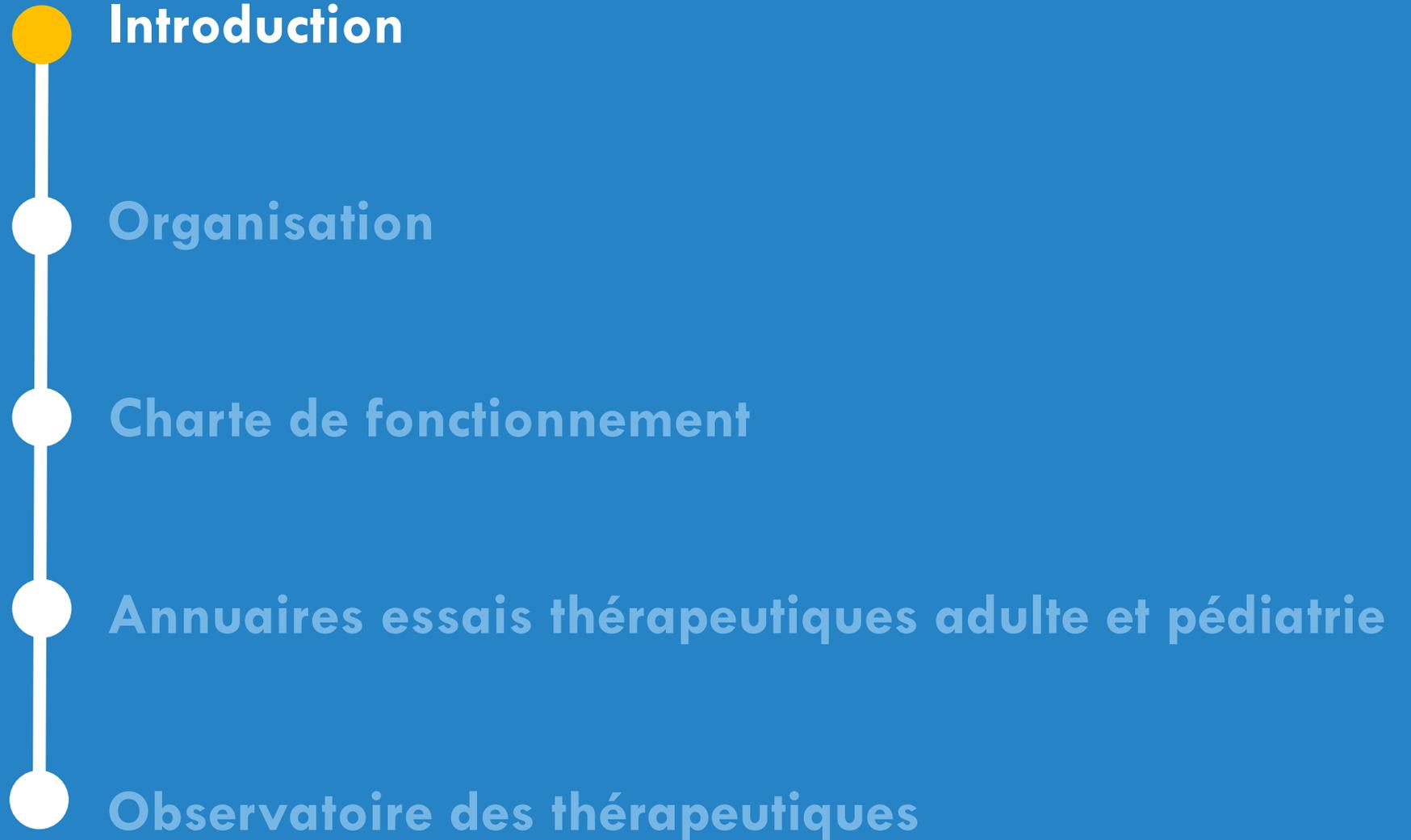


*Filnemus*

Filière Neuromusculaire

**Commission  
Essais thérapeutiques**

**9 Octobre 2020**



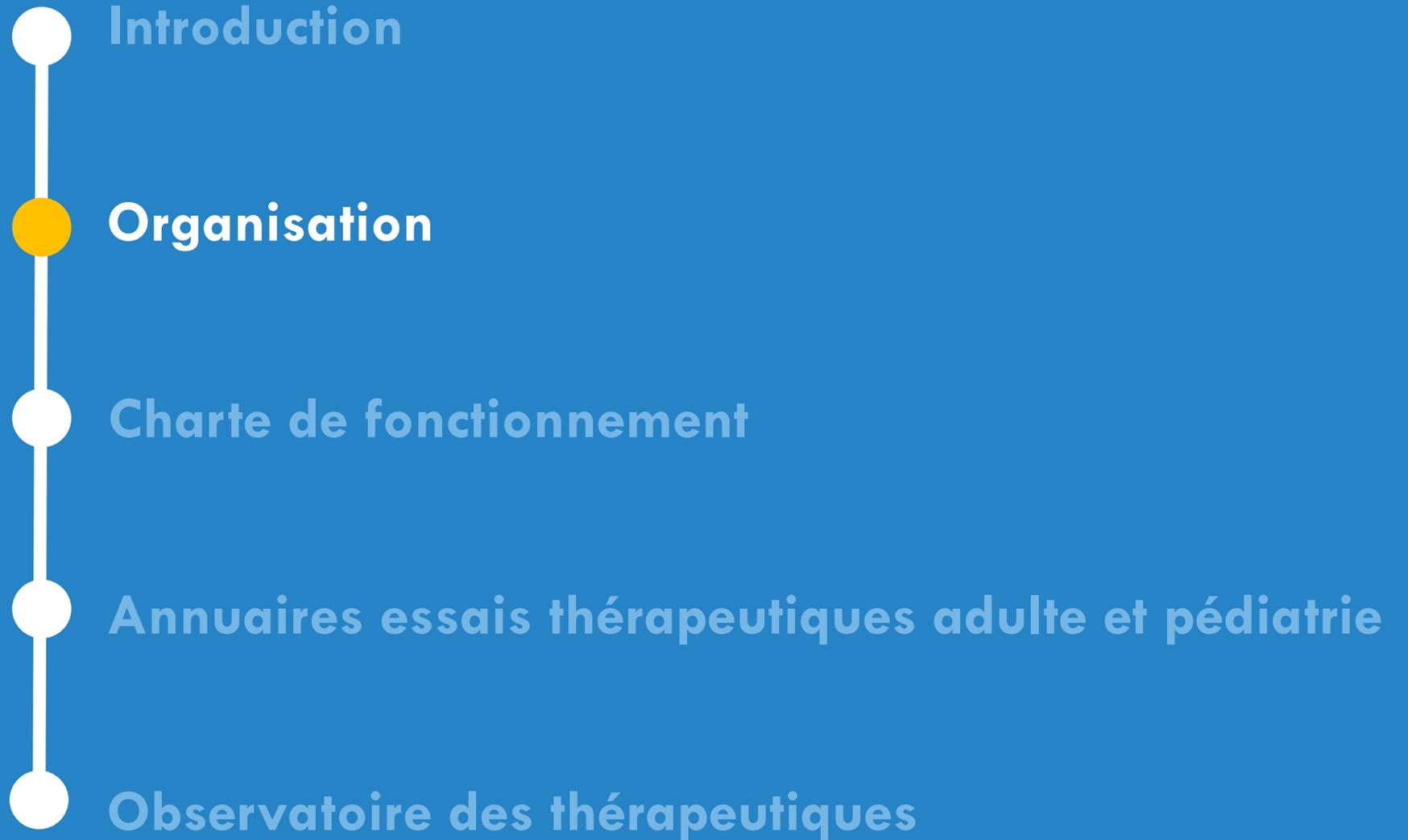
## La commission essais thérapeutiques :

### ➤ 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<sup>ème</sup> 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

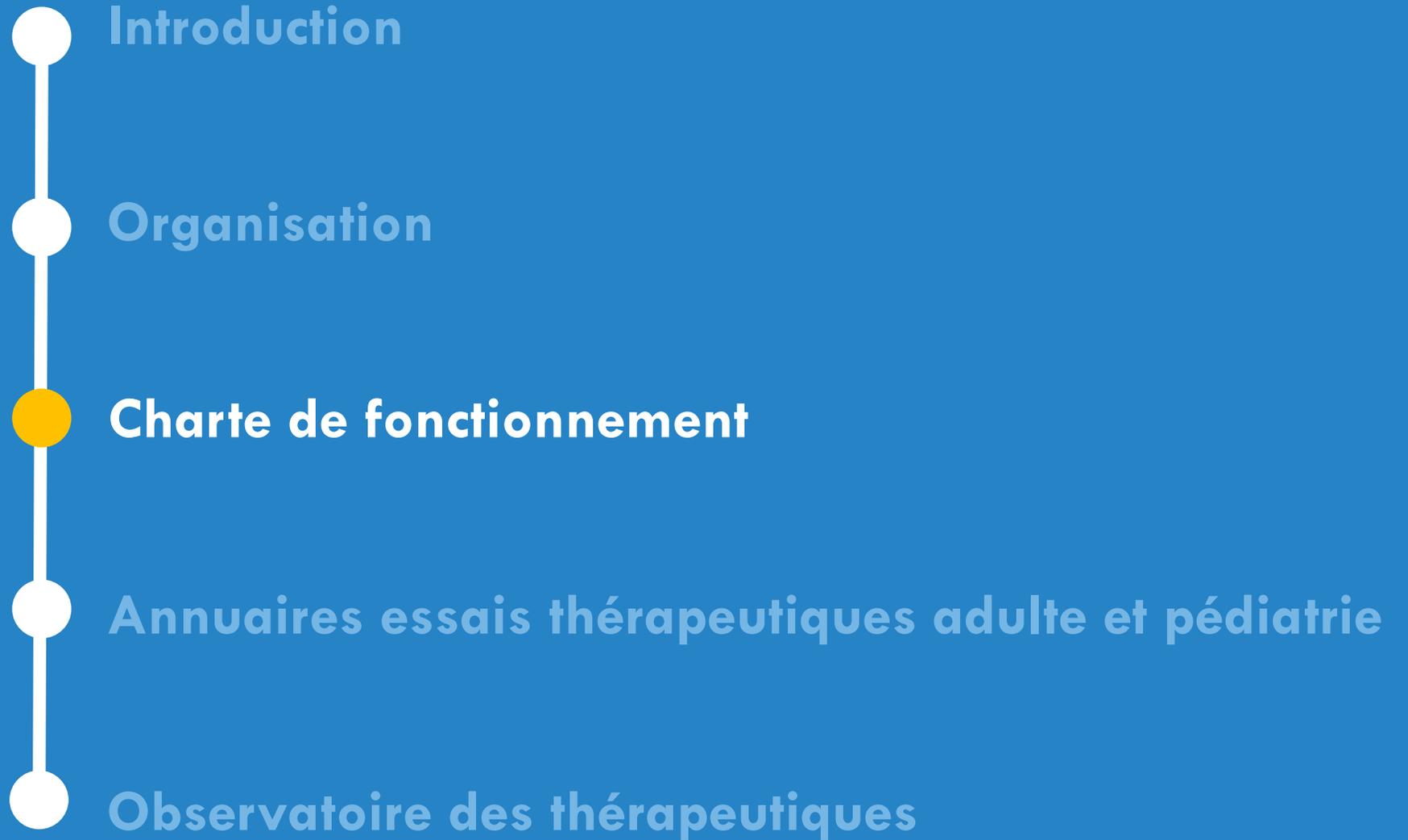
### Chargée de mission à 0,5 ETP

- 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



# 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