

« Organisation des structures de soins pour l'utilisation des thérapies innovantes »

Réflexions

Dr Cancès Claude

Médicaments de Thérapie Innovante (MTI/ATMP)

Défini par le règlement européen n°1394/2007, décret n°2012-1236 du 6/11/2012 : notion de MTI, avec un statut juridique spécifique, encadrant la recherche et le développement, puis l'obtention de l'AMM

Les médicaments de "thérapie génique"

Les médicaments de "thérapie cellulaire somatique"

Les médicaments "issus de l'ingénierie cellulaire ou tissulaire"

Les médicaments "combinés de thérapie innovante"

...Exigences applicables après AMM

Un suivi particulier de l'efficacité et des effets indésirables

Une gestion adaptée des risques

Médicaments de Thérapie Innovante (MTI)

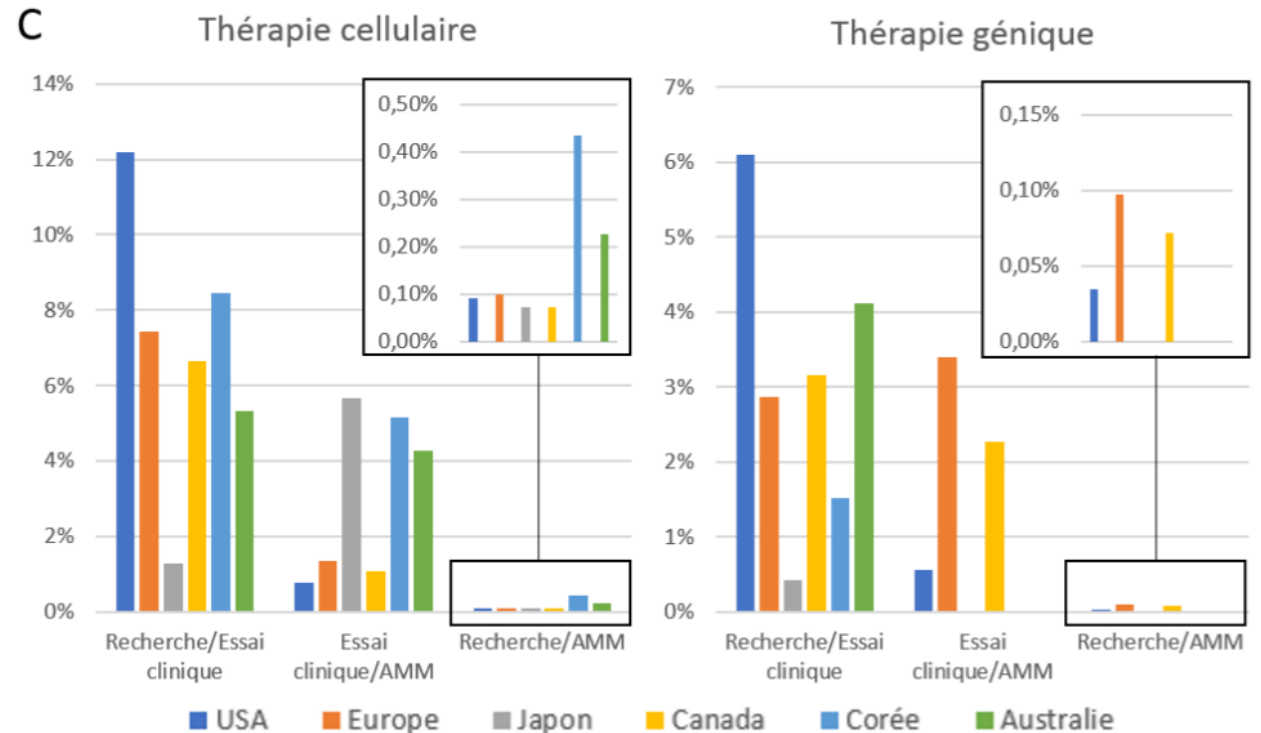
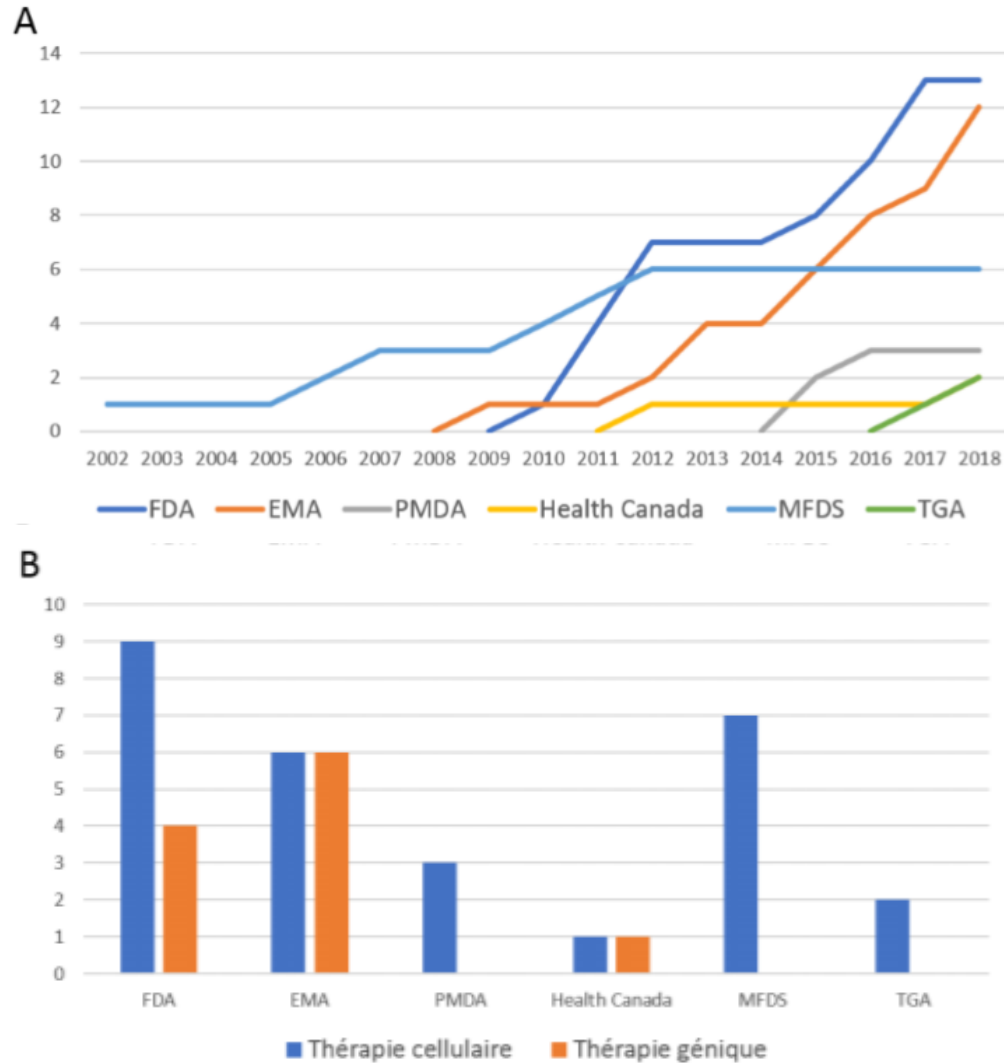


Figure 17 : Commercialisation des thérapies innovantes

(A) suivi au cours du temps et (B) nombre total de thérapies innovantes commercialisés par pays (Tableau récapitulatif en annexe 5) (C) Etude du rapport entre recherche (Nombre de publications), essais cliniques et AMM (nombre de produits commercialisés).

Médicaments de Thérapie Innovante : De la Recherche, aux Soins

Liens étroits et indissociables

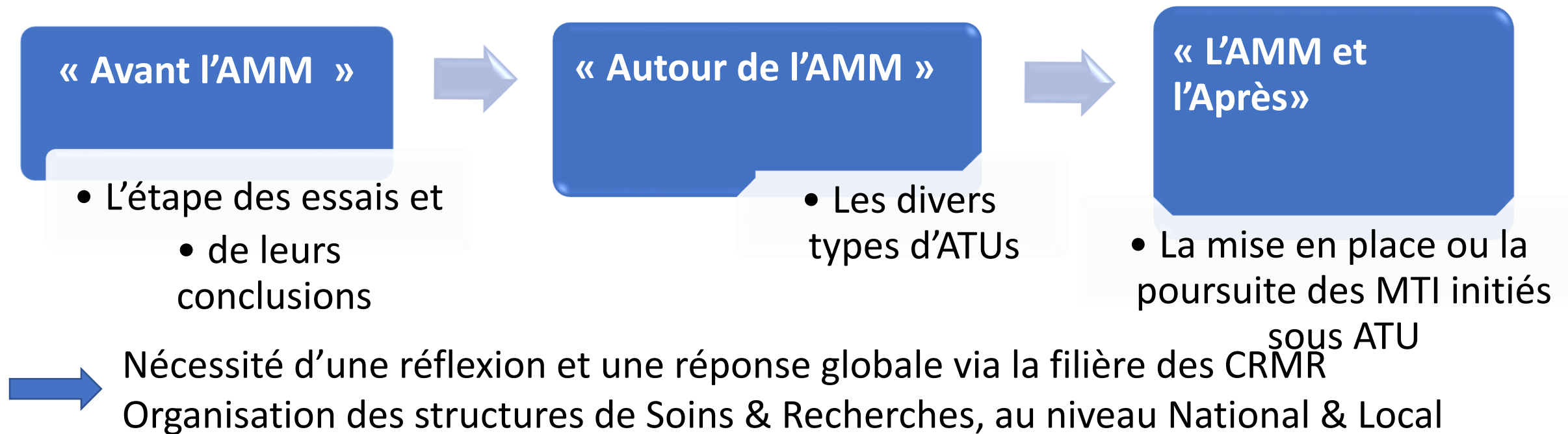
Participation active aux divers Essais Thérapeutiques :

- ➔ 1. Afin d'en faire bénéficier nos patients
- ➔ 2. Phase préparatoire pour la mise en œuvre des MTI « dans les soins »

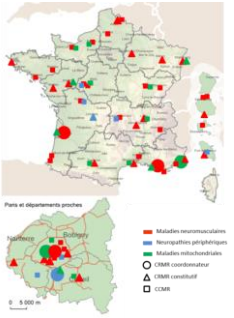
= Permet d'anticiper la MEP des MTI, une fois l'AMM (ou ATU)

Médicaments de Thérapie Innovante

De la Recherche, aux Soins



Médicaments de Thérapie Innovante : Réflexions au sein de la filière



1. Accessibilité aux MTI, via les divers Essais Thérapeutiques :

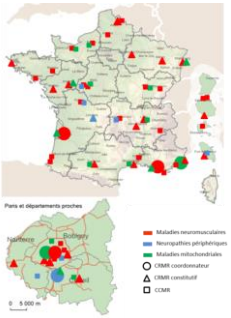
➔ Commission Essais Thérapeutiques : COMET
Améliorer et renforcer son fonctionnement

2. Accessibilité aux MTI, dans le cadre des soins :

➔ Réunions de Concertation Multidisciplinaire nationales (3) : à renforcer +++
Indications & Procédures
Modalités de MEP & de suivis
Modalités d'adaptations des traitements

Médicaments de Thérapie Innovante :

1. Mise en œuvre au sein de la filière : proposition



Niveau 1 : pathologies rares, mais non exceptionnelle + Techniques usuelles

Maillage national « large » (CRMR + CC) :

Ex. du nusinersen : 23 (24) centres impliqués

Niveau 2 : pathologies rares, « indications singulières » +/- Techniques usuelles

Maillage national « plus restreint » (CRMR) :

Ex. de la thérapie génique / SMA : 8 centres « habilités »

Niveau 3 : Pathologies rares, « indications exceptionnelles »

Maillage « unique » (CRMR)

Ex. de la thérapie génique /MTMX : 1 (à 3) centres

Médicaments de Thérapie Innovante :

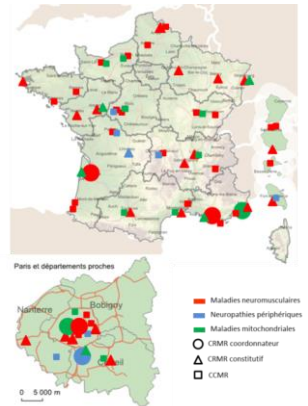
1. Mise en œuvre au sein de la filière

Harmonisation des moyens « quasi identiques » pour chaque centre de même niveau :

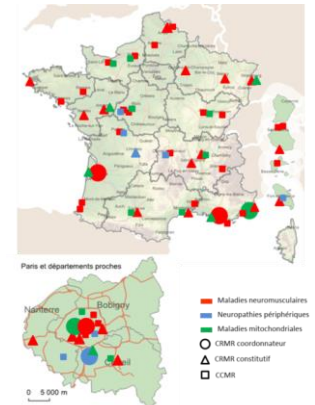
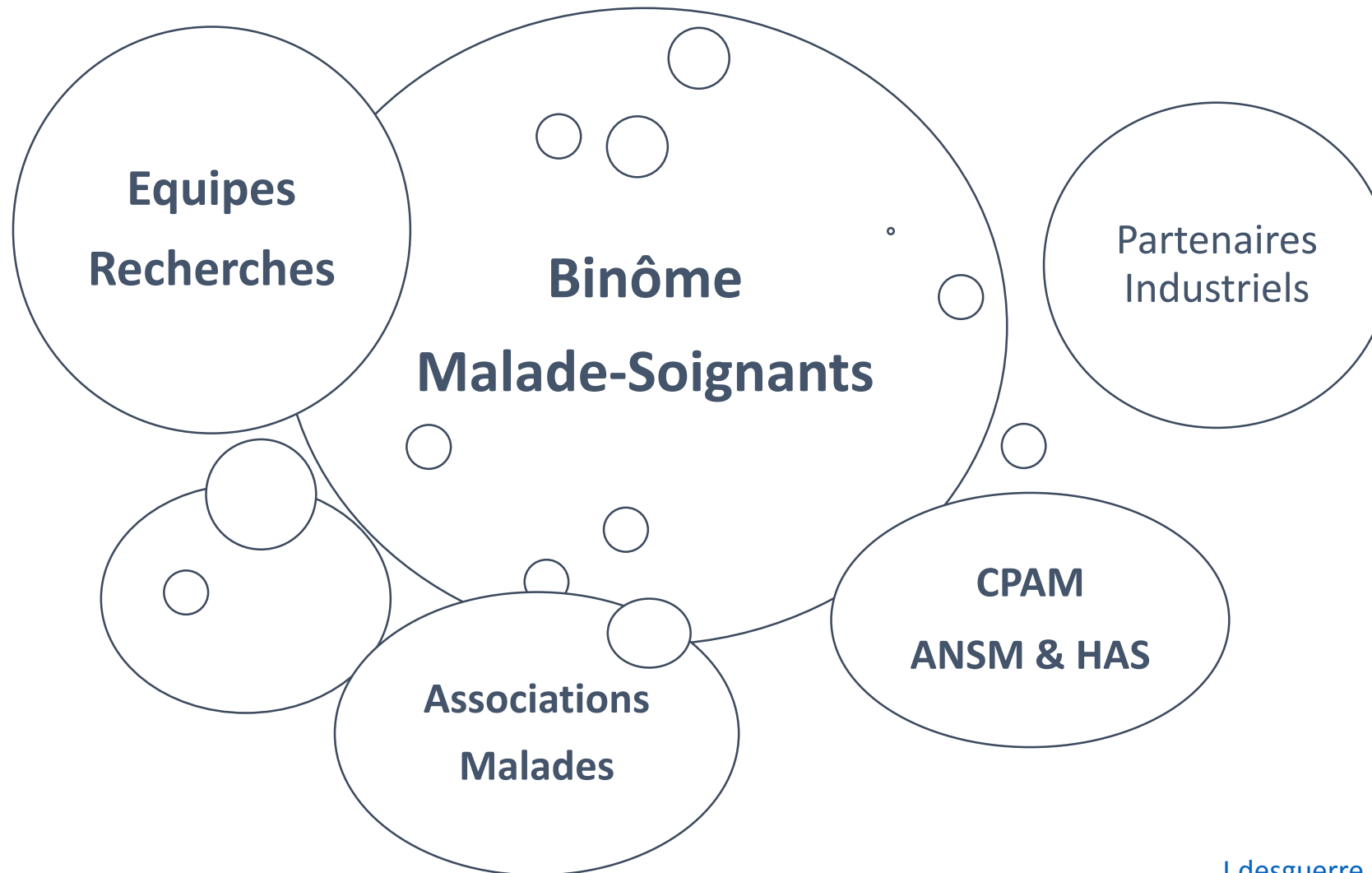
De la mise en œuvre des MTI, à leur évaluation ultérieure

Partages des connaissances vis-à-vis des MTI

➔ Elaboration de modèles de soins plus flexibles



Médicaments de Thérapie Innovante : Modèles de soins plus flexibles



Médicaments de Thérapie Innovante :

2. Mise en œuvre au sein de chaque centre

Réflexion sur la mise en œuvre possible des procédures d'accès aux MTI

= interrogation sur la faisabilité, selon son centre

(Compétences diverses, plateaux techniques, infrastructures,...)

= travail préalable, entre les diverses équipes de son centre

(Soignants, pharmaciens, radiologues,)

(Unités de recherche clinique : phase IV, registres, observation en vie réelle, ...)

(Services administratifs)

Médicaments de Thérapie Innovante :

2. Mise en œuvre, « en théorie »

Equipes Mobiles de «soins innovants »

[Desguerre i](#), Med Sci (Paris). 2019 Mar;35, HS1

Dispositifs d'accueil adaptés, type HDJ « *biothérapies* » [Cances c](#), Med Sci (Paris). 2019 Mar;35, HS1

Journées dédiées /pathologies

Partages des compétences médicales, paramédicales et coordinations

Capacités modulables

Coordinations paramédicales & secrétariats renforcés

Médicaments de Thérapie Innovante :

3. Mise en œuvre, « sur le terrain »

	Site Enfants (18)	Sites Adultes (6)
MTI utilisés :		
Alpha alglucosidase	11	4
Nusinersen	15	3
TG	2	
Autres	3	2
Essais thérapeutiques	6	1
Structure de réalisation MTI :		
HDJ ou H « classique »	15	5
HDJ ou H « spécifique »	(2) *	1
Autorisation de lieu TG/soins	8	
Autorisation de lieu TG/Recherche	7	2 (CIC)
Equipe dédiée MTI :		
IDE Coordination	4**	2
TEC/ARC	5	2
Kinésithérapeutes formés	13**	2
Temps Médical dédié	3**	
MTI dissociés des CMD	14 (+/-1)	3
Recherche :		
Implication URC/MTI	4	2
URC ou CIC avec habilitation MTI	4	2
Organisation spécifique MTI	7	1

* : 2 organisations soit en cours d'ouverture, soit en cours de réalisation

** : Personnels des CRMR, impliqués/MTI

Médicaments de Thérapie Innovante :

3. Mise en œuvre, « sur le terrain » (suite)

Organisations spécifiques MTI : actuelles ou en projets...

Actuelles :

- Lits dédiés pour la TG : 4 lits NEM (mais...) (1)
- Jours dédiés pour ET, MTI et CMD (en même temps) en neuroped. (1)

En projets :

- Lit dédié pour MTI + IDE Pratique Avancée (neuroped) (1)
- Structuration équipes (IDE coord + ARC/CDP + prof formés (kinés), +/- journées dédiées (3))
- HDJ Biothérapies, avec mutualisation des moyens avec les CMD (2)
- Projet Plateforme d'évaluation et de recherche ET & MTI, pour Enfants & Adultes (1)

Merci à vous tous pour vos réponses à cette « enquête flash »

Médicaments de Thérapie Innovante :

3. Mise en œuvre, « en pratique »

Structures « classiques » : HDJ « soit polyvalent », soit « biothérapie »
avec journées dédiés, et capacités d'accueil modulables

Ex. du nusinersen, des ET, des enzymothérapies, ...

- Equipes de soignants, à renforcer
- Equipes de kinésithérapeutes +++
- Implication des URC, dans les unités de soins
- Intrication MTI et CMD sur une même journée

Coordination +++



Médicaments de Thérapie Innovante :

3. Mise en œuvre, « en pratique »



Structures « habilités » : l'exemple de la thérapie génique

1. Etapes préalables : les autorisations

- Autorisation pour chaque modalité d'utilisation d'une TG

2. Etape du traitement

- Lieu spécifique : chambres ciblées dans une USI ou unités de TG, ...
- Equipes de soins +++ / pharmacie +++ / administration hospitalière

3. Etape du suivi au long court

- Suivi classique
- Restitution des données dans le cadre du PUT/Registre



Médicaments de Thérapie Innovante :

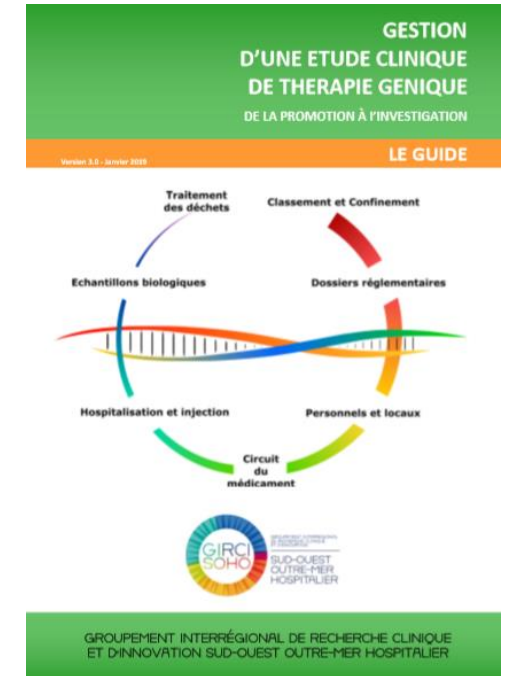
4. Organisations « à prévoir »

Être prêt pour la Thérapie Génique / Recherche & Soins :

➔ Agrément de site pour l'utilisation confinée d'OGM, via l'application DUO
= Haut Conseil des Biotechnologies (HCB)

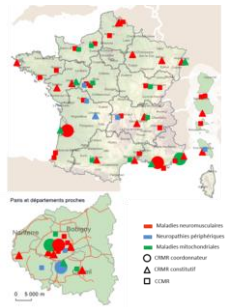
➔ Classement final de l'OGM de C1, C2, C3, C4, avis valable 5 ans,
Une demande pour chaque modalité d'utilisation

➔ A défaut de règles dans le cadre du soin : même procédure Recherche & Soins (...)



Médicaments de Thérapie Innovante :

4. Organisations « à penser et/ou renforcer »



1. Validation Indications MTI en RCP nationale (/indications pouvant évoluer)
2. Selon Indications « non exceptionnelles », ou « singulières » ou « exceptionnelles » :
Nécessité de définir le référencement des patients,

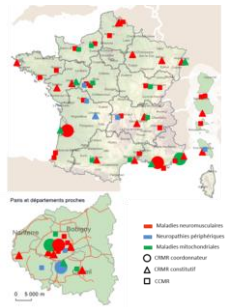
Des centres de « niveau 1 » (CRMR coord.(3), CRMR const.(19), CCMR (24))

➡ aux centres de « niveau 2 » (Cert. CRMR coord et CRMR const.)

➡ à 1 à 3 centres de « niveau 3 » (CRMR coord ou CRMR const.)

Médicaments de Thérapie Innovante :

4. « Organisations futures »



1. Structuration nationale, en cours d'élaboration,...

Les grandes lignes sont posées :

Réunions de Concertations « Pluridisciplinaires » nationales

Plusieurs niveaux d'interventions MTI/territoire

Intrication Soins & Recherches cliniques

Les points à travailler : « feuille de route » sur l'harmonisation des moyens nécessaires (statut spécifique des MTI pour leur mise en œuvre)

2. Structuration locale, actuelle et à venir, inégale, ...

Manque crucial de moyens +++

« Une belle aventure et un joli défi pour nous tous »