

Commission Essais Thérapeutiques

❑ **Coordonnateurs :**

Shahram ATTARIAN, Pascal LAFORÊT, François RIVIER

Chargée de Mission : [Kathleen LAVASTRE](#)

❑ **Membres de la commission :**

ADAMS David

AMTHOR Helge

BARNERIAS Christine

BENDAHAN David

BENVENISTE Olivier

CAMDESSANCHE Jean-Philippe

CANCES Claude

CARLIER Robert

CUISSET Jean-Marie

[DABAJ Ivana](#)

DOGAN Céline

DUBOC Denis

ECHANIZ-LAGUNA Andoni

FAUROUX Brigitte

[FONTAINE Stéphanie](#)

HONNET Géraldine

ISAPOF Arnaud

LAGRUE Emmanuelle

MICALLEF Joëlle

NICOLAS Guillaume

ORLIKOWSKI David

PEREON Yann

[SABOURAUD Pascal](#)

SACCONI Sabrina

SERVAIS Laurent

VIALA BOSC Karine

WAHBI Karim


Commission Essais Thérapeutiques

Expertises spécifiques :

- **Neuropathies** : S Attarian, D Adams, G Nicolas, JP Camdessanche, Y Péréon, K Viala Bosc
- **Myopathies** : P Laforêt, O Benveniste, A Echaniz-Laguna, S Sacconi
- **Pathologies Pédiatriques** : F Rivier, C Barnérias, I Dabaj, E Lagrue, C Cancès, JM Cuisset, H Amthor, L Servais, A Isapof, P Sabouraud
- **Cardiologie / Pneumologie** : K Wahbi, D Duboc, D Orlikowski, B Fauroux
- **Evaluation**: S Fontaine, R Carlier, D Bendahan, J Micallef
- **Relation avec les Commissions**
 - **'Recherche'** : G Honnet, F Rivier, A Echaniz-Laguna.
 - **'Bases de Données'** : C Dogan, P Laforêt
 - **'Réseaux internationaux et européens'** : Y Péréon, S Attarian, F Rivier, P Laforêt, S Sacconi, L Servais.

Objectifs Généraux

- **Promouvoir le développement des thérapeutiques dans les MNM**
- **Faciliter la circulation de l'information**
- **Renforcer la continuité entre prise en charge et essais cliniques**



**Création d'un réseau 'essais thérapeutiques'
pour les maladies neuromusculaires:
ComET-Filnemus**

ComET-Filnemus : Objectifs

Promouvoir la réalisation et le bon déroulement des essais thérapeutiques :

- Favoriser notre **visibilité** et faciliter le dialogue avec les promoteurs,
- Répondre **rapidement** et de façon **coordonné**,
- Permettre de répondre aux **questions des promoteurs** (Com BdD).

Renforcer les liens fonctionnels entre les différentes équipes partenaires :

- Faciliter la circulation de **l'information**,
- Partager les **compétences** méthodologiques, techniques et logistiques,
- Identifier précisément le **potentiel** et les domaines d'expertise.

Améliorer l'accès aux essais thérapeutiques pour l'ensemble des patients :

- Permettre le déroulement des essais **au plus près des patients**,
- Renforcer la **continuité** entre prise en charge et essais pour éviter les ruptures,
- Travailler en lien avec les différentes **associations** de patients.

ComET-Filnemus : Organisation ?

Membres du Réseau

- Professionnels Filnemus
- Représentants Identifiés
- Experts

Comité de Pilotage

- 10 membres représentatifs
- 4 grands axes
- Répartition territoriale
- Dont 3 coordonnateurs

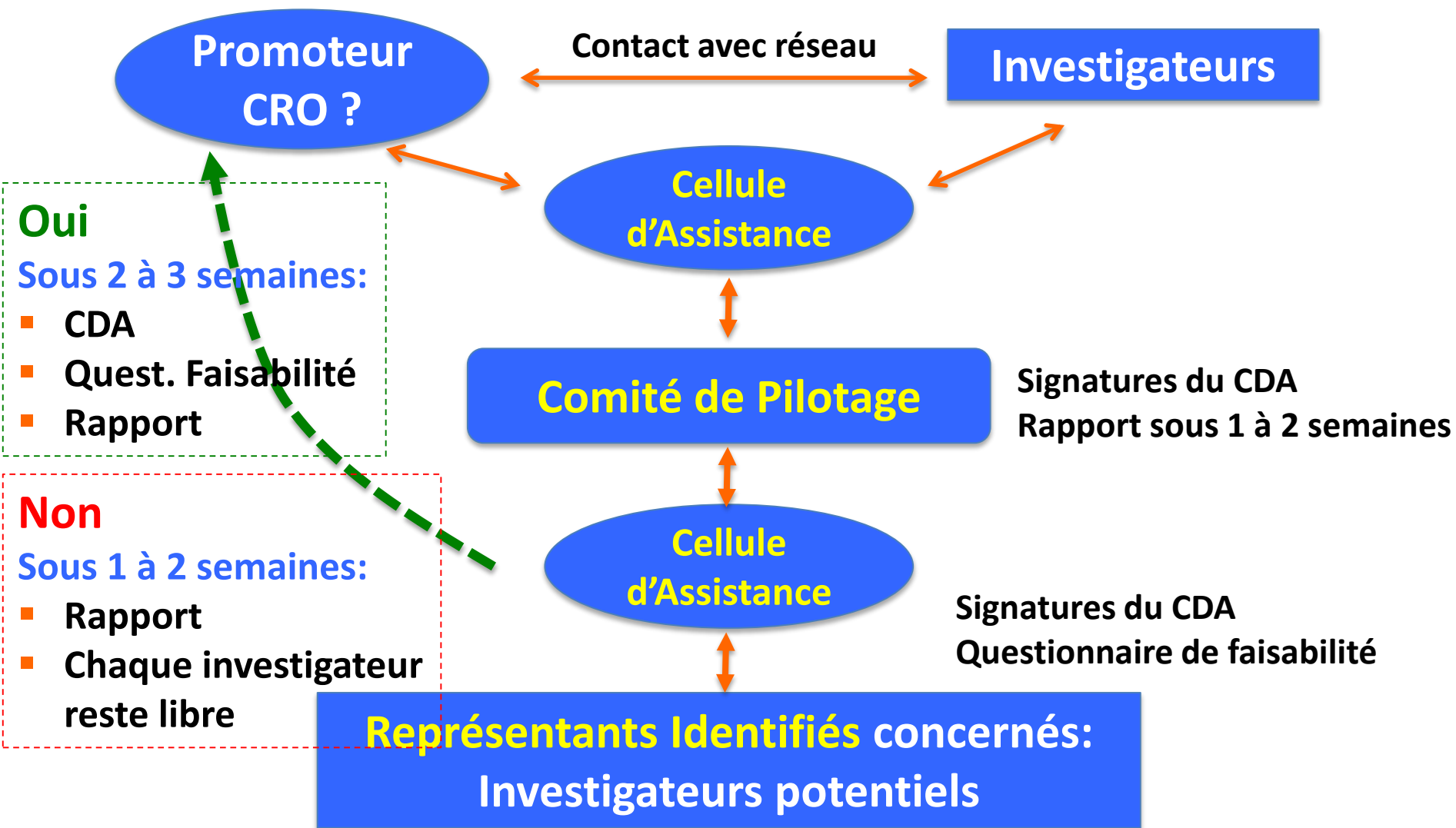
Cellule d'Assistance

- 1 chargée de mission
 - 1 secrétaire
- Animation

ComET-Filnemus : Engagements ?

- Faire la **promotion du réseau** auprès des promoteurs
- **Participer** par l'intermédiaire de leur *Représentants Identifiés* aux activités du réseau
- **Inform**er le *Comité de Pilotage (Cellule d'Assistance)*, dès qu'un essai est proposé
- **Répondre rapidement** à la *Cellule d'Assistance*
- **Identifier des Experts** par thématique au sein de leur équipe
- **Respecter la confidentialité**

ComET-Filnemus : Fonctionnement ?



ComET-Filnemus : Retour des promoteurs ?

Roche, Biogen, Sanofi-Genzyme, PTC, Santhera,

Points positifs :

- **Visibilité**
- **Connaissance précise du potentiel de participation**

Questions :

- **Confidentialité ?**
- **Réactivité ?**
- **Possibilité de solliciter l'avis du réseau en amont ?**

ComET-Filnemus : Exemples ?

Nusinersen et SMA:

- Possibilité d'une ATU pour SMA1
- Rédaction d'une lettre d'information aux parents (Laurent Servais)
- Activation des responsables pour la BdD SMA

Sollicitation des Neuropédiatres pour un essai à venir dans la SMA:

- Contact du promoteur le 14/10/2016
- Réponse le 28/10/2016
 - 13 CDA signés
 - 12 Questionnaires de faisabilité renseignés

ComET-Filnemus : Avenir ?

Validation de la charte

Transmission aux coordonnateurs des CR et CC

- Adhésion au réseau ?
- Représentants Identifiés pour chaque site (Enfant, Adulte) ?
- Experts potentiels ?

Equipes neuropédiatriques les 1eres sollicitées

- Essais DMD
- Essais SMA

Merci d'embarquer pour ComET-Filnemus !