

# Commission Essais Thérapeutiques

## ❑ **Coordonnateurs :**

**Shahram ATTARIAN, Pascal LAFORÊT, François RIVIER**

## ❑ **Membres de la commission :**

**ADAMS David**

**AMTHOR Helge**

**BARNERIAS Christine**

**BENDAHAN David**

**BENVENISTE Olivier**

**BERARD Carole**

**CAMDESSANCHE Jean-Philippe**

**CANCES Claude**

**CARLIER Robert**

**CUISSET Jean-Marie**

**DOGAN Céline**

**DUBOC Denis**

**ECHANIZ-LAGUNA Andoni**

**FAUROUX Brigitte**

**HONNET Géraldine**

**ISAPOF Arnaud**

**LAGRUE Emmanuelle**

**MICALLEF Joëlle**

**NICOLAS Guillaume**

**ORLIKOWSKI David**

**PEREON Yann**

**SACCONI Sabrina**

**SERVAIS Laurent**

**VIALA BOSCH 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, E Lagrue, C Cancès, JM Cuisset, H Amthor, L Servais, A Isapof
- **Cardiologie / Pneumologie** : K Wahbi, D Duboc, D Orlikowski, B Fauroux
- **Evaluation**: C Bérard, 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**

# Etat des lieux

## → Recensement des essais thérapeutiques en cours

Shahram ATTARIAN

### *Pédiatrie :*

- 12 études pédiatriques ont été recensées.
- 10 de ces 12 études sont multicentriques et internationales, 2 monocentriques.
- 7 études sont comparatives, contre placebo en double aveugle et 5 autres en ouvert.
- 5 études sont de la thérapie génique, une de la thérapie cellulaire.

### *Adultes :*

- 24 études effectuées chez des patients adultes ont été recensées.
- 16 des 24 études sont de type multicentriques dont 12 internationales, 3 bicentriques et 5 monocentriques.
- 17 études sont comparatives, contre placebo en double aveugle et 7 autres en ouvert. Six études sont de type « non médicamenteux».
- 3 études ont bénéficié d'un financement par le PHRC.

# Etat des lieux

## → Fiche Ressource / Equipe clinique

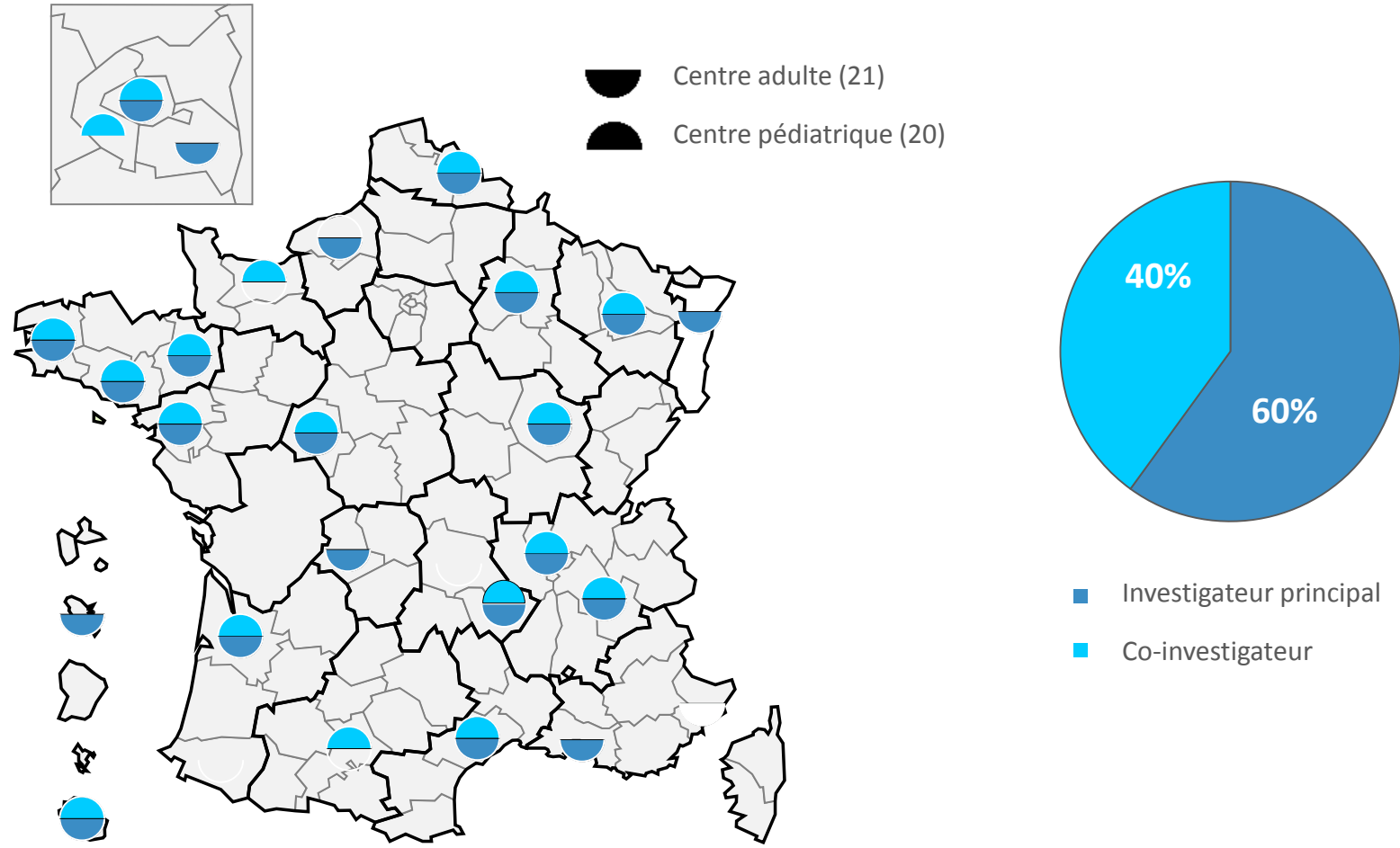
Céline DOGAN

Elaboration de « fiches ressource » envoyées à chaque équipe clinique :

- principales maladies suivies dans le centre,
- moyens humains et techniques à disposition pour la réalisation des essais,
- collaboration éventuelle avec un centre d'investigation clinique (CIC),
- plateau technique dédié recherche
- relation avec un centre de ressources biologiques (CRB ou Biobanque),
- nombre d'essais auxquels le centre a déjà participé,
- nombre d'essais en cours et programmés.
- type d'essais (phase précoce, 1, 2, 3)
- bases de données locales nationales
- relations avec les associations de malades

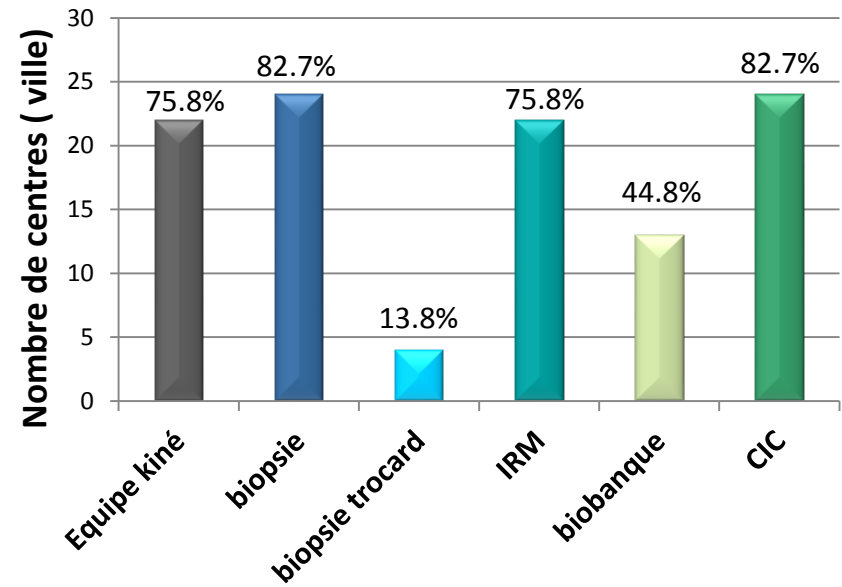
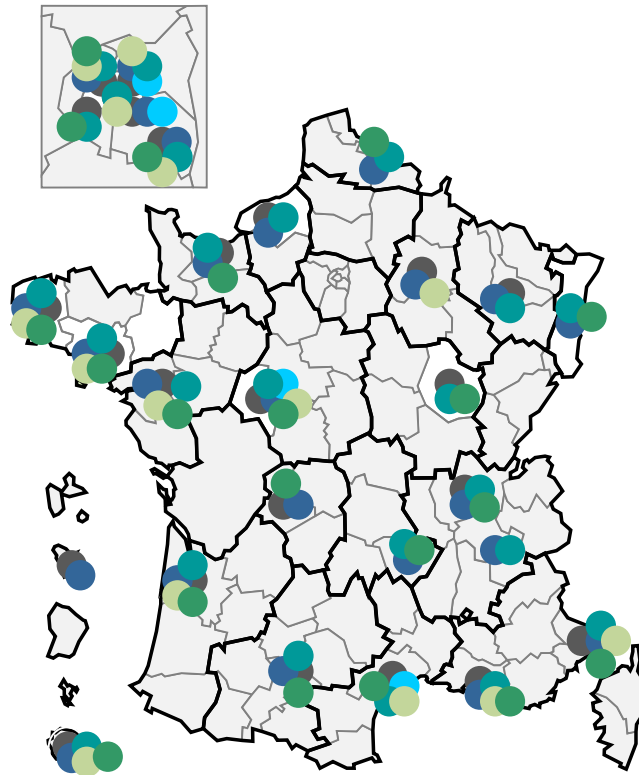
# Enquête sur les ressources en recherche clinique

## « 41 centres répondants »



# Enquête sur les ressources en recherche clinique

## « Expertises dédiées aux essais cliniques »



*Biobanques* : muscles, ADN, ARN, fibroblastes, sérum, plasma, urine

**Techniques en développement** : Isocinétisme, marche 3D, oxygénation musculaire (NIRS), électrophysiologie, métabolome, densitométrie des fibres nerveuses (IENFD), Séquençage à haut débit, échelles qualité de vie, grip test, ...

# Enquête sur les ressources en recherche clinique

## « Bilan de l'activité en recherche clinique »

- **Tous les centres** participent à au moins une étude
- **35 pathologies neuromusculaires** couvertes (thématiques d'intérêt ou objet d'une étude)
- **Des études Européennes ou internationales** (n=3 en cours, n=1 à venir)

### Essais cliniques

#### En cours (n=13)

DMD	SMA/ASI	FSH	Pompe	PIDC
CMT	DM1	Myasthénies	SLA	Canalopathies
NeuroP sensibles	NeuroP amyloïdes	NeuroP périphériques		

#### A venir (n=16)

DMD	SMA/ASI	FSHD	Pompe	PIDC
CMT (x4)	DM1	Myasthénies	SLA	Ataxie
Myopathie de Nonaka	NeuroP Amyloïdes (x2)	Dysferlino-pathies		

### Etudes observationnelles-histoire naturelle

#### En cours (n=10)

DMD	SMA/ASI	FSH	Pompe	PIDC
CMT	DM	Dysferlino-pathies	MFM	Dystrophies occuloP

#### A venir (n=4)

DMD	QoI /DM
SMA/ASI	HAS/DM



# Projet en cours

---

- ❑ **Terminer le recensement des forces en présence:**
  - **Fiches ressources / équipes clinique**
  - **Fiches ressources / équipes de recherche**
  
- ❑ **Création d'un réseau 'essais thérapeutiques' pour les maladies neuromusculaires.**

# Projet

## → Création d'un réseau 'essais thérapeutiques'

### Objectifs :

- Faciliter la **circulation de l'information**,
- **Partager les compétences** méthodologiques, techniques et logistiques pour la réalisation des essais thérapeutiques,
- **Identifier** précisément le **potentiel** et les domaines d'expertise partagés et/ou spécifiques de chaque équipe,
- Favoriser notre **visibilité** et faciliter le **dialogue** avec les investigateurs institutionnels et industriels,
- Faciliter le recrutement des patients,
- Permettre le déroulement des essais **au plus près des patients** et de leur prise en charge sur l'ensemble du territoire,
- Renforcer la continuité entre prise en charge et essais pour éviter les ruptures,
- Possibilité de s'articuler avec d'autres réseaux similaires comme par exemple le réseau des CIC pédiatriques,
- Développer des **partenariats** européens et internationaux.

# Projet

## → Création d'un réseau 'essais thérapeutiques'

### Bases de l'animation de ce réseau pour le rendre opérationnel :

- **Coordination représentative** des différents partenaires sur le territoire et des grands groupes de pathologies (neuropathies périphériques, myopathies de l'adulte, pathologies pédiatriques),
- **Plateforme/interface/support partagé** pour faciliter le dialogue avec les sponsors académiques ou industriels ; le recueil et la circulation des informations entre les équipes et avec les patients,
- Liens avec les **associations de malades** et **groupes d'experts**
- Liens avec **l'industrie** : LEEM, AFCRO
- Liens avec **structures académiques**

**Charte de fonctionnement commune**

# Projet

## → Création d'un réseau 'essais thérapeutiques'

Géraldine HONNET

### Dissémination de l'information

- Nécessité d'informer les différents acteurs, notamment industriels
- Acteurs industriels clés identifiés :
  - **AFCRO** (Association Française des CROs – Les entreprises de la Recherche Clinique)
  - **LEEM** (Les Entreprises du Médicament)

→ Première rencontre avec l'AFCRO le 15 juillet 2015

# Projet

## → Création d'un réseau 'essais thérapeutiques'

Géraldine HONNET

### Première rencontre avec l'AFCRO le 15 juillet 2015

- **Participants AFCRO**: Denis Comet (Président de l'AFCROs), Véronique Marty (Déléguée Générale AFCROs)
- **AFCROs ?** :
  - Créé il y a **12 ans**, elle représente 65-70% des CROs :
  - **Association d'entreprises** qui inclue des CROs mais aussi des call centers, des imprimeurs....toute activité liée à la recherche clinique
  - Travaille aussi bien avec des industriels ou des sociétés savantes
  - Activité principale : répondre à des appels d'offre publiques et de l'industrie pharmaceutique, de la clinique à la phase IV et post-AMM
  - Ils œuvrent sur la **partie réglementaire** pour la simplification administrative de la recherche clinique, acteur de lobbying très présent

# Projet

## → Création d'un réseau 'essais thérapeutiques'

Géraldine HONNET

### Première rencontre avec l'AFCRO le 15 juillet 2015

- Très intéressés par le projet d'un réseau « Essais Thérapeutiques »
- Leurs expériences auprès des réseaux existants :
  - Réseau de gynéco-obstétrique : l'AFCRO participe à la conférence annuelle sur la recherche spécifique à la gynéco et la pédiatrie pour se tenir à jour sur la recherche. Ce réseau partage les informations avec eux (Newsletter...)
  - Réseau en oncologie : formation faite par le réseau à l'AFCRO sur les spécificités des études en oncologie

→ Quand les réseaux fonctionnent bien, les CROs travaillent plus facilement, pas de problème de motivation des centres quand c'est organisé.

# Projet

## → Création d'un réseau 'essais thérapeutiques'

Géraldine HONNET

### Prochaines étapes...

#### 1. AFCRO, ce qu'ils peuvent faire :

- Diffusion de documents du réseau essais cliniques : plaquette d'information, Newsletter....
- Relais auprès des industriels, des CROs et des non-membres de l'association à l'aide de leur propre newsletter et de leur site internet
- Ils ont mis en place une formation en recherche clinique (Bonnes Pratiques Cliniques principalement) qu'ils pourraient ouvrir au réseau à des prix compétitifs
- Interventions lors de réunions/colloques

#### 2. Réunion de suivi avec l'AFCRO et 1<sup>ère</sup> réunion avec le LEEM à prévoir : → Nécessité d'avoir un réseau déjà structuré et opérationnel qui soit force de proposition auprès de ces acteurs industriels

# Projet

## → Création d'un réseau 'essais thérapeutiques'

---

### Calendrier prévisionnel :

- **2015 T3-T4** : Finalisation et traitement des fiches ressources des différentes équipes cliniques et équipes recherche.
- **2016 T1** : Elaboration de la charte de fonctionnement pour le réseau 'Essais Thérapeutique'.
- **2016 T2-T3** : Base de l'animation du réseau.



# Conclusion



## « Démocratiser » les essais cliniques dans les MNM :

- Implication de l'ensemble des équipes expertes
- Partage des expertises
- Offre et continuité dans la prise en charge pour les patients

## Prioriser les axes de recherche et de développement pour les traitements :

- Renforcer ou créer des **groupes thématiques** par maladies ou problématiques (Associations de patients, chercheurs et cliniciens).
- ➔ **Mettre en relation** les attentes des personnes concernées par la maladie, les contraintes et impératifs cliniques et le potentiel de la recherche.



**Construire ensemble** un « **chemin du traitement** »  
pour les maladies neuromusculaires.