

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

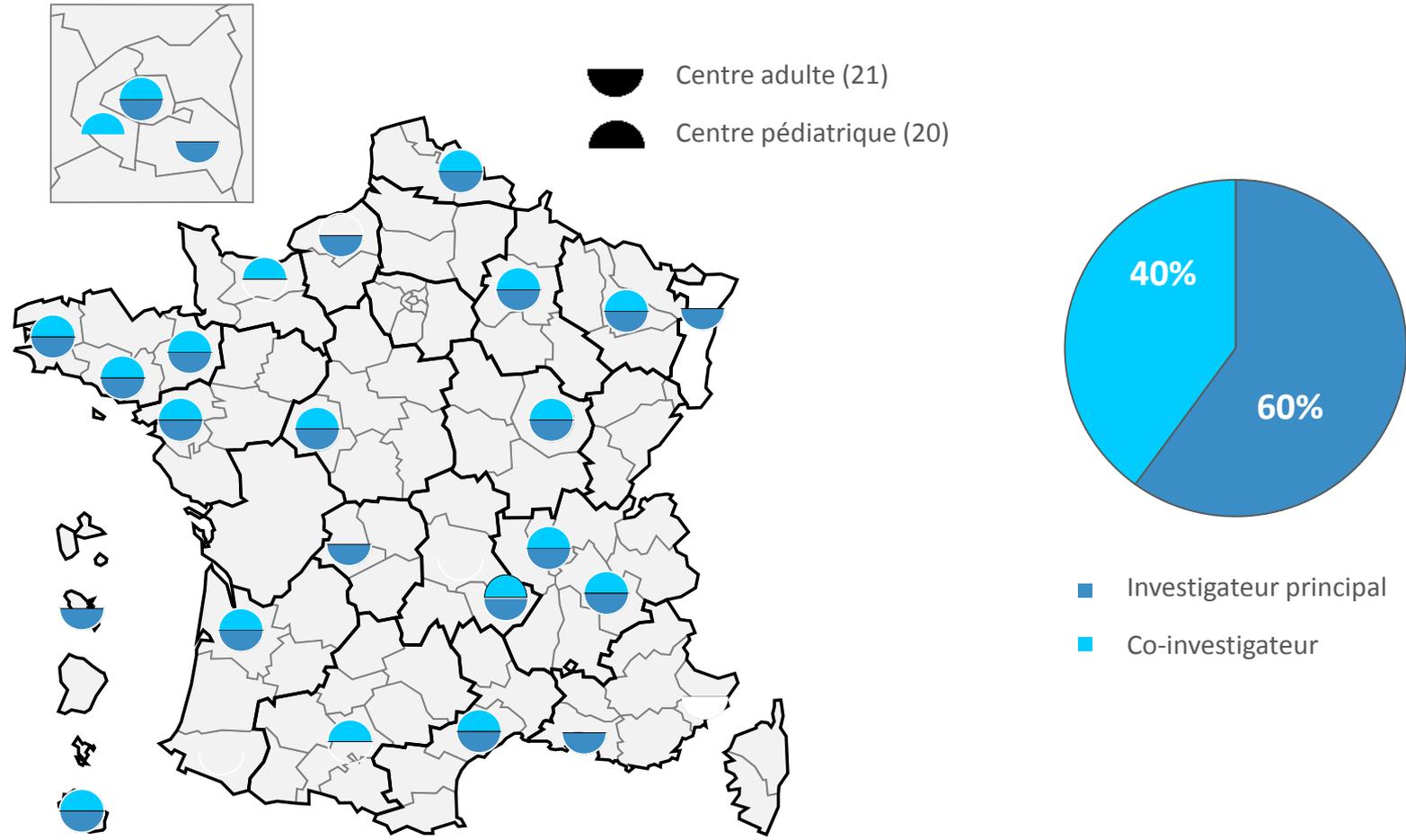
Céline DOGAN

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

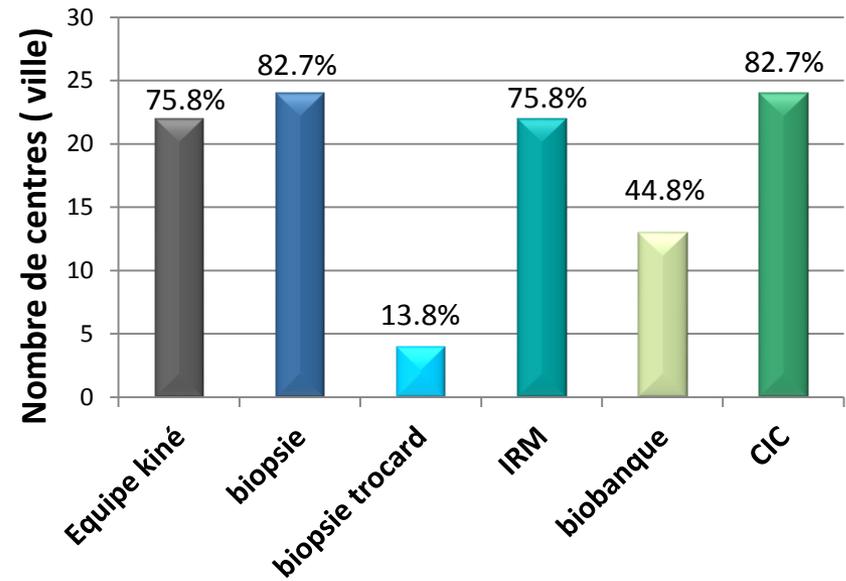
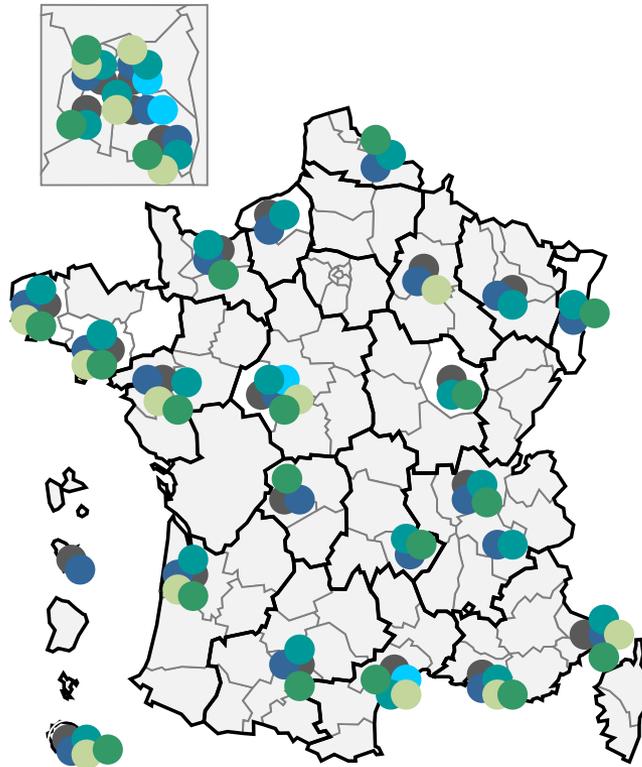
Enquête sur les ressources en recherche clinique

« 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^{ère} 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.