

---

## « Essais cliniques 2030 »

Atelier presse

le 10 mars 2022

*Etude réalisée par IQVIA  
auprès d'experts  
français et internationaux*

# Trois grandes catégories d'évolution

## Les évolutions des essais cliniques



### Nouvelles technologies de santé

- > Médicaments de Thérapie Innovante
- > Médicaments associés:
  - à des biomarqueurs
  - à un dispositif médical + service



### Nouvelles méthodologies

- > Nouveaux designs des essais
- > Intégration de bras virtuels
- > Combinaison au recueil en vie réelle



### Nouvelles modalités de réalisation

- > Décentralisation & digitalisation des essais



# Médicaments de thérapie innovante (MTIs)

*Une avancée thérapeutique qui commence à se concrétiser*

## Définition



En Europe, les médicaments de thérapie innovante (MTIs) regroupent:

- la thérapie génique
- la thérapie cellulaire
- la thérapie tissulaire

## Contexte



- > Maturité scientifique et clinique autour des MTIs et de leur utilisation
- > Besoins de solutions thérapeutiques pour les patients sans alternative (notamment maladies rares)

## Bénéfices pour le patient

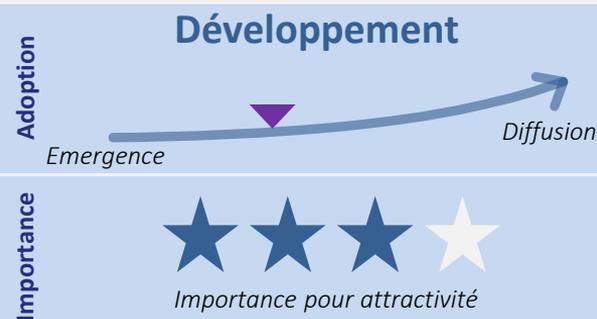


- > Accès à des thérapies innovantes pour des patients sans alternative thérapeutique
- > Accès à des solutions potentiellement curatives

## Adaptations nécessaires



- 1 Niveau standard de production (// rendement)
- 2 Modèles de remboursement adaptés (// investissements)
- 3 Designs de protocoles innovants (// population cible)





# Médicament associé à un biomarqueur

*Un développement lié à la médecine personnalisée*

## Définition



Un biomarqueur est une caractéristique mesurable qui constitue un indicateur biologique.

Il peut être détecté pour les étapes de:

- diagnostic,
- ciblage d'un traitement,
- suivi du traitement,
- pronostic,
- etc.

## Contexte



- > Nouvelles connaissances en protéomique et génomique
- > Développement de la médecine personnalisée

## Bénéfices pour le patient

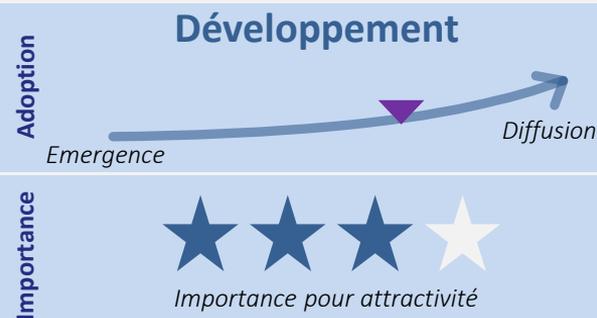


- > Renforcement de l'approche éthique avec prédiction des patients non répondeurs
- > Accélération de l'accès à l'innovation par réduction de la durée des essais cliniques

## Adaptations nécessaires



- 1 Outils pour augmenter l'accès aux patients « éligibles»
- 2 Systèmes informatiques adaptés (gestion et analyse des données)
- 3 Intégration renforcée du biomarqueur dans l'évaluation





# Médicament associé à un dispositif médical et un service

*Le numérique est intégré pour apporter un service additionnel*

## Définition



« Package » thérapeutique est issu de la fusion entre:

- le médicament,
- le dispositif médical permettant son administration,
- la solution numérique mesurant/suivant certains paramètres biologiques.

## Contexte



- > Maturité technologique et meilleure acculturation aux objets connectés
- > Difficultés liées à l'observance des patients pendant les essais

## Bénéfices pour le patient

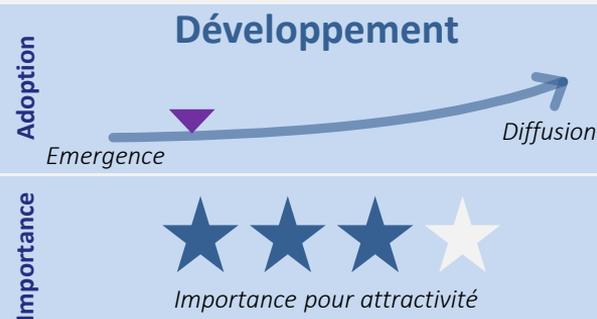


- > Amélioration du suivi (plus simple et plus individualisé)
- > Implication du patient (acteur dans l'essai)

## Adaptations nécessaires



- 1 Cadre collaboratif (du développement au modèle économique)
- 2 Evaluation intégrée du « package » thérapeutique
- 3 Accompagnement de la transition des métiers





# Intégration d'un bras virtuel dans un essai clinique

*Cette solution reste à ce jour limitée à des cas spécifiques*

## Définition



Les essais cliniques *in silico* ou intégrant un « bras virtuel » permettent de **simuler l'effet d'un médicament** (ou d'un placebo) sur un groupe de patients virtuels.

Ils utilisent des modèles **mathématiques** appliqués à des **données** recueillies en **vie réelle** (registres, cohortes, objets connectés, etc).

## Contexte



- > Maturité scientifique (numérique, intelligence artificielle)
- > Besoin d'**augmenter la quantité des données** (population faible) et question **éthique** des groupes placebos

## Bénéfices pour le patient

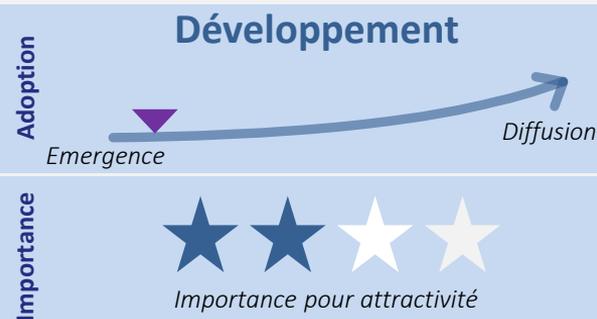


- > Augmentation du nombre de **patients** bénéficiant du nouveau médicament
- > Renforcement de la **robustesse** des essais cliniques

## Adaptations nécessaires



- 1 Standardisation des données (// items, qualité)
- 2 Partage des données et outils (// pool commun)
- 3 Formation des acteurs (// méthodes statistiques complexes)



# Combinaison d'un essai clinique à un recueil en vie réelle

Vers une facilitation de l'utilisation des données de vie réelle

## Définition



Les données de vie réelle sont recueillies lors du parcours de soins du patient.

Elles viennent compléter les données classiques d'un essai clinique issues d'un environnement contrôlé (nombre de patients définis, avec critères d'inclusion, suivi renforcé, etc).

## Contexte



- > Progrès technologique (collecte, accès et protection de la donnée)
- > Personnalisation des traitements évalués avec recrutement spécifique (petits groupes / stratification)

## Bénéfices pour le patient

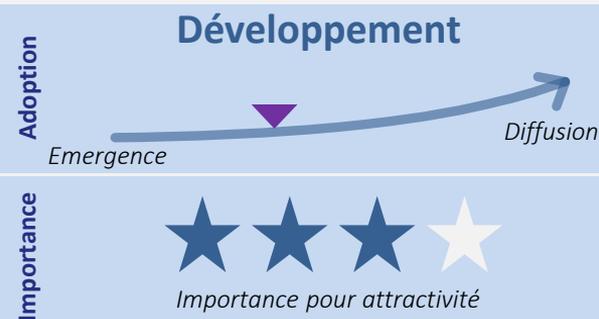


- > Réduction de la durée des essais
- > Suivi long terme (notamment pour les traitements innovants type MTIs)

## Adaptations nécessaires



- 1 Formalisation d'un cadre (quels essais? / profusion data/ etc)
- 2 Investissements pour équipements (recueil) / outils (analyse)
- 3 Formation aux nouveaux métiers autour de la donnée





### Définition



Avec la décentralisation, l'essai clinique **est dirigé vers le patient et son domicile** plutôt que vers l'hôpital.

Les nouveaux circuits de recherche s'appuient sur du **personnel de recherche mobile** et sur des **outils numériques** (traitement à domicile, suivi par télémédecine, etc).

### Contexte



- > Difficultés de recruter et suivre les patients pendant toute la durée de l'essai
- > La pandémie COVID-19 et l'impossibilité pour les patients participant à des essais de se rendre à l'hôpital

### Bénéfices pour le patient

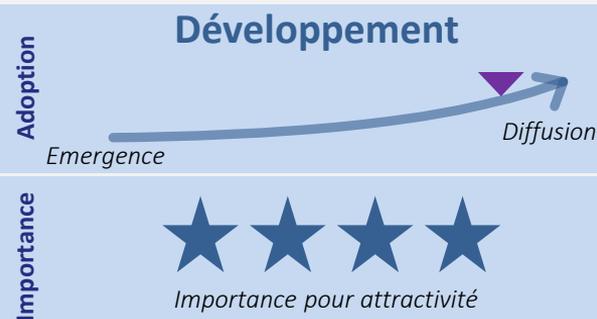


- > Equité territoriale (patients éloignés des grands hôpitaux)
- > Meilleure qualité de vie pendant l'essai clinique

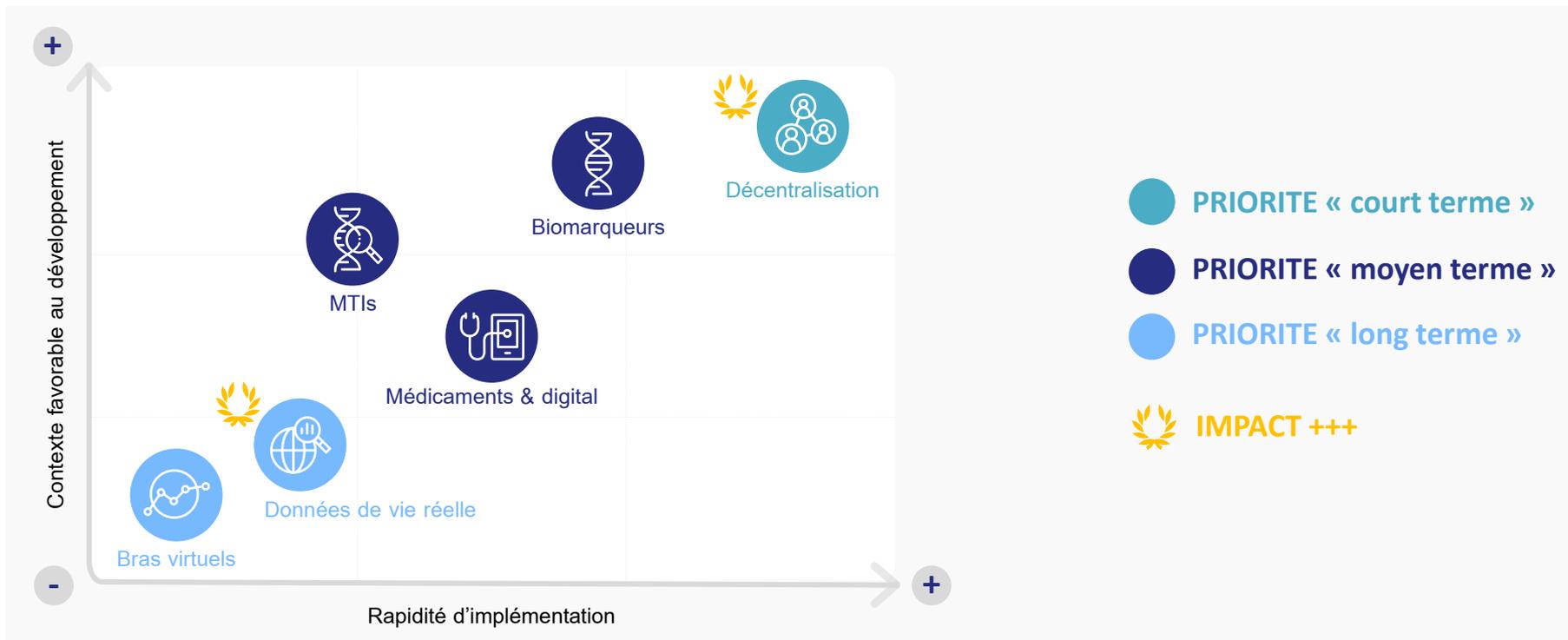
### Adaptations nécessaires



- 1 Modèles de services et logistiques (// personnel, livraison)
- 2 Transformation des SI et plateformes (// inter-opérabilité)
- 3 Réglementaires (// pérennisation recos de la pandémie)



# La décentralisation des essais cliniques = évolution prioritaire

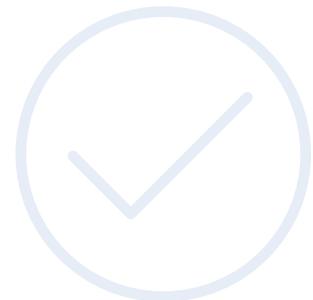




# Comparaison des pays sur les innovations majeures

*Les Etats-Unis et le Royaume-Uni sont les pays le plus avancés*

Stade d'adoption



## Comparaison des pays

-  Pour l'ensemble des évolutions majeures les **Etats-Unis** sont en tête du palmarès mondial // MTI, biomarqueurs, données vie réelle, décentralisation
-  Le **Royaume-Uni** se démarque grâce à un cadre réglementaire favorable // digital et solutions centrées patients
-  L'**Espagne**, avec son engagement général au niveau des essais cliniques, occupe la seconde position en Europe // décentralisation
-  La **France** se positionne comme un pays relativement ouvert avec véritable engagement des acteurs // MTI, données de santé
-  L'**Italie** et l'**Allemagne** accusent un certain retard du fait d'une organisation du système de santé et de recherche très régionalisée.

# CHIFFRES CLES DES EVOLUTIONS EN RECHERCHE CLINIQUE

## Essais cliniques décentralisés

5-15 %

Avant le COVID-19  
D'essais cliniques hybrides  
parmi le nombre total  
d'essais



30-50 %

Après le COVID-19  
D'essais cliniques hybrides  
parmi le nombre total  
d'essais

## Données de vie réelle

70 %

Des laboratoires pharmaceutiques  
considèrent que les données de vie  
réelle seront **très importantes** dès 2022

## Bras virtuels

0

Bras virtuel en Europe

## Biomarqueurs

25,9 %

De probabilité d'enregistrement d'un  
médicament avec biomarqueur  
(+20 points vs. sans biomarqueur)

## MTIs

Nombre de programmes de développement de MTIs par pays en 2020

Etats-Unis  1 500

Royaume-Uni  149

France  100

## Médicaments services

26

Médicaments services  
en développement dans l'Union  
Européenne

