



Démarche en co-construction

Démarche de *design* d'un appel à manifestation d'intérêt pour usage secondaire de la donnée, notamment à des fins de création de **bras de contrôle synthétiques**

Contenu proposé

1. Contexte : opportunités à agir (vite),
2. Objectif : faire remonter des projets à réaliser *pro bono* / Filière,
3. Rationnels : convaincre investisseurs ou ANSM,
4. Que demander aux candidats ?
5. Que va apporter la filière ?

Opportunités à agir (vite)

1. Opportunité à agir (vite)

- La masse de donnée « en vie réelle » croît à une vitesse exponentielle.
- En regard, il est important d'aider la montée en qualité et la fonctionnalisation de ces données au bénéfice des innovateurs. (Harvard-MIT Center for Regulatory Science, 2018)
- Les autorités de régulation FDA, NICE, HAS et ANSM, montrent un intérêt croissant pour la réalisation d'études fondées sur les données en vie réelle.
- Entre 2011 et 2022, l'utilisation de ces données a été multiplié par quatre dans les dossiers évaluant les technologies de santé dans le monde.

1. Opportunité à agir (vite)

- L'usage « secondaire » de ces données **réduit les coûts** des démonstrations de valeur: on réutilise des données, on n'en crée pas ex *nihilo*.
- Nous proposons aujourd'hui **une démarche expérimentale pour accélérer**.
 - **Cet enjeu est un facteur d'attractivité de notre écosystème :**

les biotechs disposent de 18 mois de trésorerie en moyenne. Il est impératif de raccourcir le temps des démonstrations qui portent les innovations.

1. Opportunité à agir (vite)

- Notre vocation est de **cibler et qualifier des enjeux pour les traiter à travers des projets.**
- Pour y contribuer, l'objectif est de **faire remonter des dossiers de candidats ultérieurement accompagnés *pro bono* par le projet de filière.**
- Une fois ces projets réalisés, **les solutions et les méthodes utilisées ont vocation à être largement diffusées pour servir au-delà du projet de Filière.**



Première étape : faire remonter
des projets à réaliser ensemble

Quels sont les thèmes attendus ?

- Partout où la « tradition » de recherche clinique n'est pas possible ou pas éthique
- Cancers rares, de mauvais pronostic avec pas ou peu d'options de traitement, avec la promesse d'une amélioration spectaculaire au regard du standard de soin.



Objectifs et thèmes attendus : convaincre les investisseurs ou l'ANSM

Quelques cas d'usage auxquels nous nous attendons :

- **Compléter des données propriétaires de phase 1 par un bras de contrôle synthétique pour documenter le choix d'investir dans une phase 2.**
 - Cette modalité vise à convaincre les investisseurs. Aux États-Unis, dans le cancer de l'ovaire, **Celsion** a constitué une telle démonstration.
- **Réduire le nombre de patients sous placebo à travers un bras comparateur « hybride » composé de patients et de données.**
 - Dans une optique où pour l'heure, à l'égard des autorités de régulation, **il est prudent de compléter plus que de « remplacer » des bras de contrôle**, la FDA a accepté un bras contrôle hybride dans le glioblastome de phase 3 (**Medicenna**).

Voici quelques cas d'usage auxquels nous nous attendons :

- **Valider le positionnement d'innovations au regard des standards de soins et de l'ensemble des options thérapeutiques qui émergent.**
 - Comment vos innovations se positionneront-elles au regard des options thérapeutiques existantes ou émergentes ?
 - Afin de favoriser des essais cliniques en France, il est crucial d'utiliser des données récentes, en particulier documentées sur les antécédents thérapeutiques (des lignes de traitements antérieures), pour constituer des bras contrôle pertinents.
 - À cet égard, dès la construction de la phase 2, des démarches auprès de l'ANSM pour le design d'essais cliniques seront de plus en plus fréquentes.



Que demande-t-on aux candidats ?

Que demande-t-on aux candidats ?

- Accepter de **confronter des données « propriétaires » à des données réutilisées**, disponibles dans l'écosystème national.
- Pour ce faire, nous envisageons de diffuser un questionnaire de participation sur les éléments suivants :
 - **Quelles données êtes-vous prêt à partager ?** Quelle est leur nature et typologie, leur volume ?
 - **Quelles données visez-vous pour le *dataset* de comparaison ?**
 - **Avez-vous déterminé le coût, la rapidité d'accès aux données de comparaison ?** Quel est le niveau des échanges en cours ?

Que demande-t-on aux candidats ?

- Avez-vous déjà à l'esprit une **méthode de vérification du *match* entre caractéristiques des patients des données propriétaires et des données de comparaison ?**
 - Types des cancers, degré d'avancement, critères d'évaluation utilisés...
 - Méthodes de *Propensity Score Matching* ou *Weighting*.
 - Pour mener cette vérification, y a-t-il un **partenaire spécialisé dans cette mesure qui soit déjà proche de vous ?**

Que demande-t-on aux candidats ?

- Au sein de votre stratégie de développement, quel est **l'objectif de votre démarche** ? Choisir une phase d'investissement ultérieur ? Designer un essai clinique, ou autre ?
- En quoi considérez-vous votre démarche **emblématique** ? Comment jugez-vous sa **réplicabilité** dans la filière ?
- Enfin, quel est votre **calendrier idéal**, du début de la démarche jusqu'à son **terme** ? Comment s'inscrit-il dans votre développement ?
- Comment avez-vous traité ou comment envisagez-vous de traiter les questions de **consentement des patients** pour accès à leurs données ?



Que va apporter la filière ?

Que va apporter la filière ?

- **Un accompagnement *pro bono* de la prise en charge jusqu'au terme du projet.**
 - Budget voté en conseil d'administration.
 - Grille de sélection portera notamment
 - (i) sur la maturité de la démarche,
 - (ii) son réalisme
 - et (iii) son aspect emblématique / porteur pour toute une filière.

Que va apporter la filière ?

- Nous apportons **une visibilité nationale du lancement, jalons et résultats de(s) projet(s) lauréat(s)**.
- Nous organiserons un **Comité de sélection et de suivi** d'experts non rémunérés – possibles à ce stade : Experts INCa et ANSM, Muriel Dahan, Marc Buyze, Pierre Demolis).
- En contrepartie, il est souligné que **l'ensemble des méthodes ont vocation à être diffusées le plus largement possible** pour servir l'attractivité nationale.



france
biotech

biotech | medtech | e-santé | IA
LES ENTREPRENEURS DE LA HEALTHTECH

<http://www.filiere-ia.fr>