

Apports de la Recherche Clinique et Accès à l'innovation et à l'excellence Médical

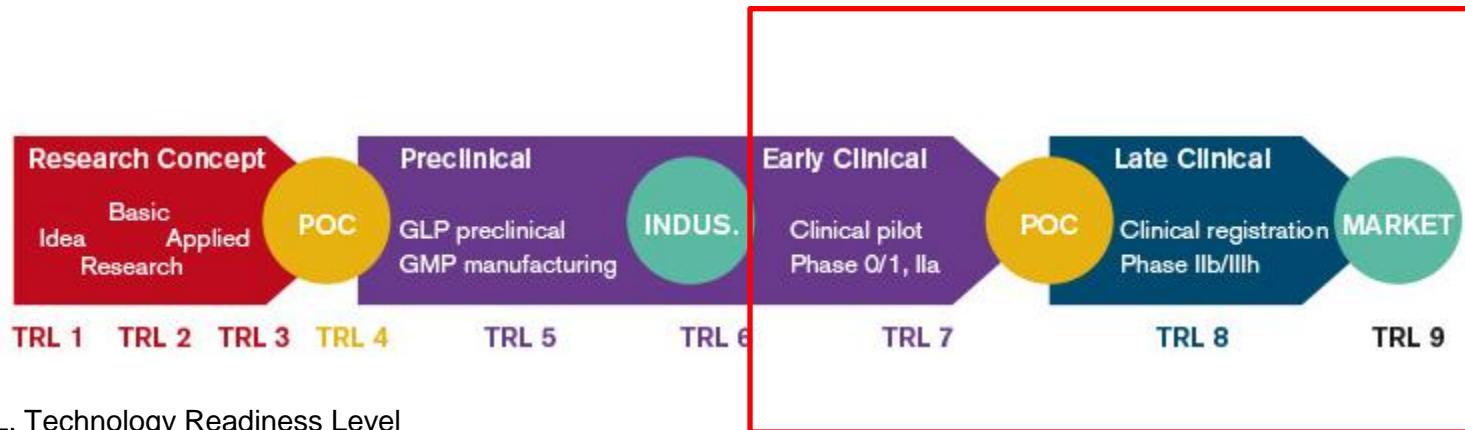
Dr Lamine MAHI

*AXELYS SANTE
Alger - Paris*

La Recherche Clinique

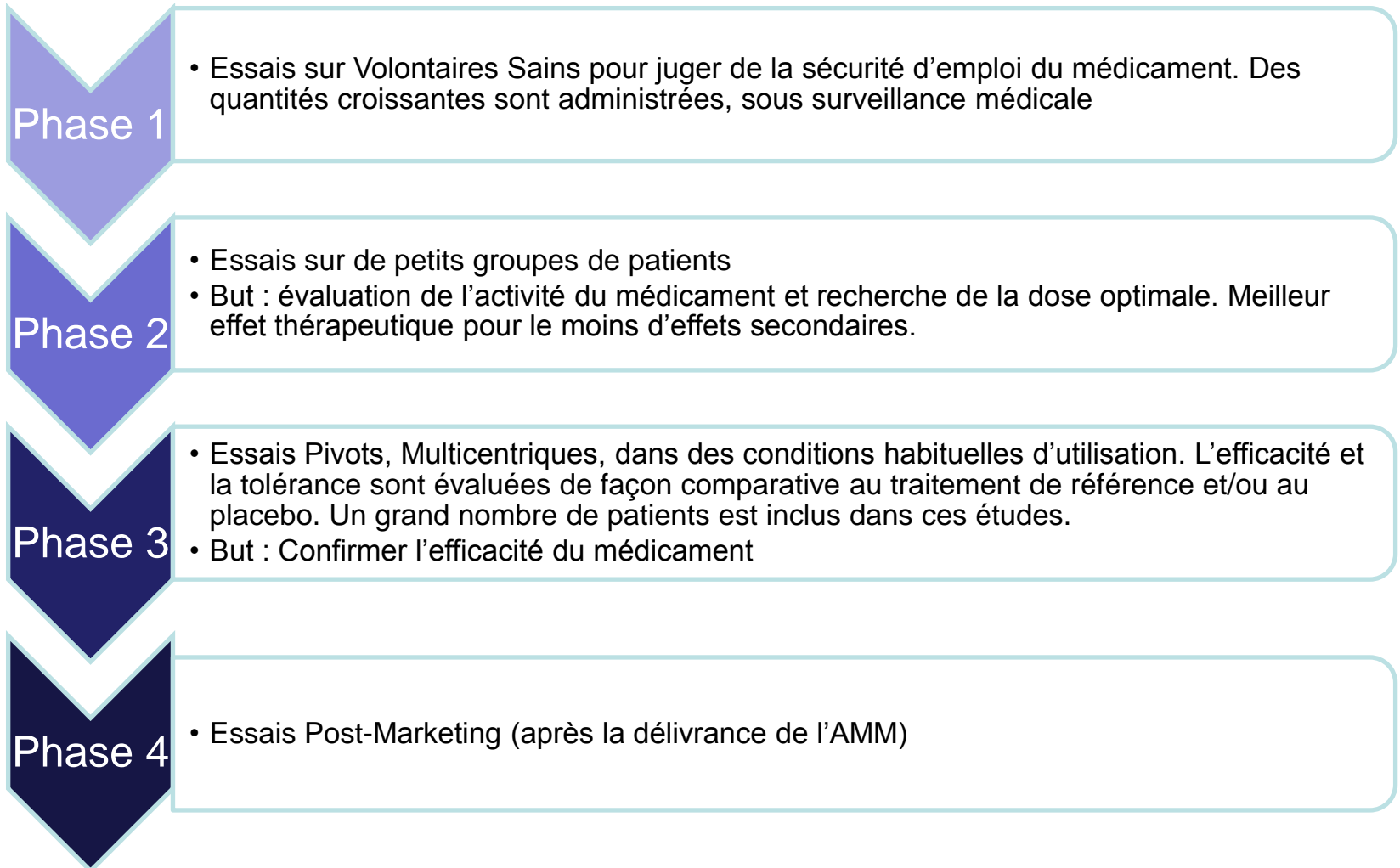
Le terme de **recherche clinique** recouvre l'ensemble des recherches, à **visée médicale**, menées sur l'être humain, **malade ou non**;

ECHELLE DE NIVEAU DE MATURITÉ TECHNOLOGIQUE

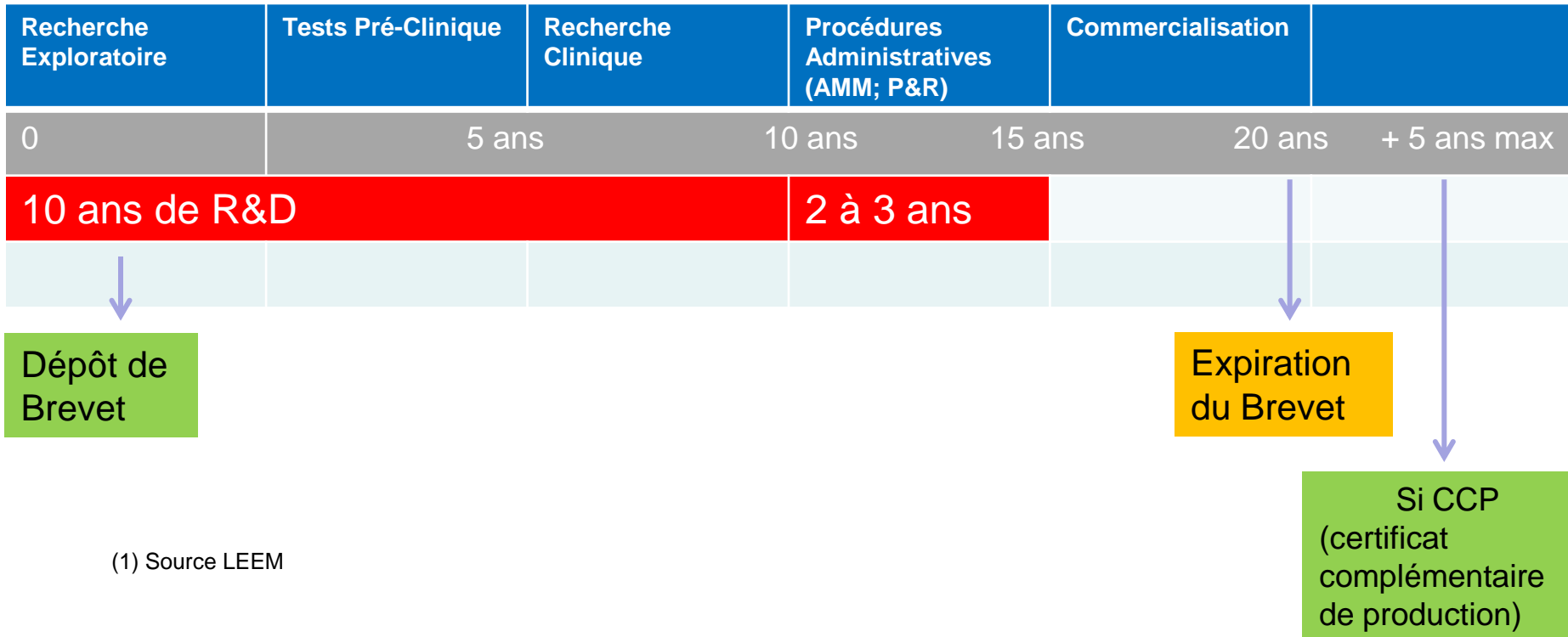


TRL, Technology Readiness Level

<https://aviesan.fr/fr/aviesan/accueil/menu-header/r-d-bio-medicaments>



Le Temps ...

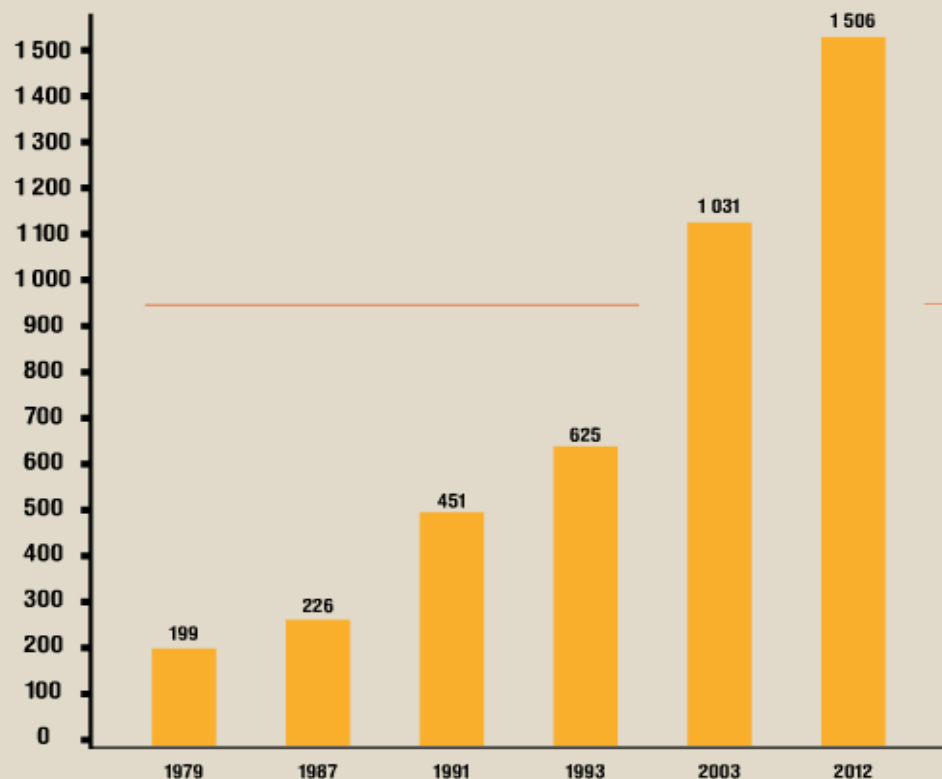


(1) Source LEEM

COÛT TOTAL DE RECHERCHE ET DÉVELOPPEMENT D'UN MÉDICAMENT CHIMIQUE OU BIOLOGIQUE JUSQU'À SA MISE SUR LE MARCHÉ (EN MILLIONS DE \$. BASE 2011)

0,78 Mrd€

C'est le coût moyen de développement d'un médicament¹



Source : Efpia. Key figures. 2013

J. Mestre - Ferrandiz, J. Sussex and A. Towse, The R&D cost of a new medicine, office of Health Economics, Décembre 2012 (Hansen, 1979; Wiggins, 1987 ; DiMasi et al, 1991; OTA, 1993; DiMasi et al, 2003; Mestre - Ferrandiz et al, 2012)

Apports de La Recherche Clinique

- ✓ Les essais cliniques contrôlés contribuent à apporter les évidences supportant **les stratégies thérapeutiques**.
- ✓ Les seuls à pouvoir démontrer, sur des **bases scientifiques rigoureuses** évitant tous les biais d'une interprétation subjective, **l'efficacité et la sécurité** d'un traitement pharmacologique.

Apports de La Recherche Clinique (2)

- ✓ Les essais cliniques sont souvent perçus comme **expérimentaux, risqués**, voire dangereux.

- ✓ La recherche est parfois plus sûre que la médecine quotidienne car elle nécessite des mesures de **sécurité supplémentaire**.



BJOG

An International Journal of
Obstetrics and Gynaecology

axelys
SANTÉ

DOI: 10.1111/1471-0528.14528

www.bjog.org

Systematic review

Participation in clinical trials improves outcomes in women's health: a systematic review and meta-analysis

SK Nijjar,^a MI D'Amico,^a NA Wimalaweera,^b NAM Cooper,^a J Zamora,^{a,c} KS Khan^d

^a Women's Health Research Unit, Centre for Primary Care and Public Health, Blizard Institute, Barts and The London School of Medicine and Dentistry, London, UK ^b The London School of Medicine and Dentistry, London, UK ^c Clinical Biostatistics Unit, Hospital Ramon y Cajal (IRYCIS) and CIBER Epidemiología y Salud Pública, Madrid, Spain ^d Multidisciplinary Evidence Synthesis Hub (mEsh), Barts and the London School of Medicine and Dentistry, Queen Mary University, London, UK

Correspondence: Maria I. D'Amico, Women's Health Research Unit, Centre for Primary Care and Public Health, Blizard Institute, Barts and The London School of Medicine and Dentistry, London E1 2AB, UK. Email m.damico@qmul.ac.uk

Accepted 12 December 2016. Published Online 14 February 2017.

Les femmes qui participent à des essais cliniques en obstétrique et en [gynécologie](#) ont 25% de chances en plus de voir leur santé s'améliorer, par rapport aux femmes qui ne participent pas à ces études.

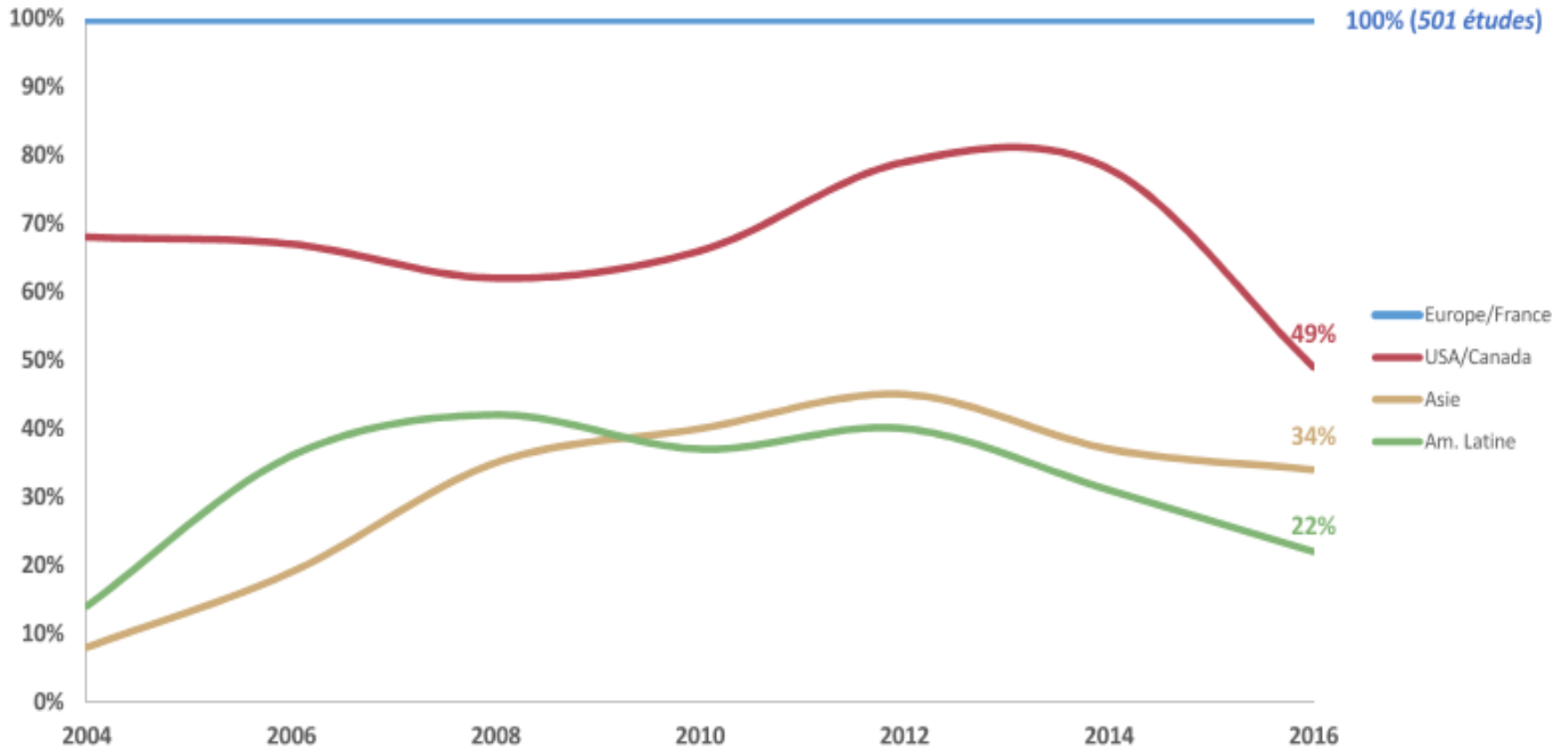
Pourquoi la Recherche Clinique est-elle Stratégique ?

- ✓ La recherche clinique a une valeur **formatrice et structurante** :
 - un mode privilégié d'**accès à l'innovation thérapeutique** pour le patient,
 - une source de **formation continue** pour les personnels médicaux et soignants et améliore ainsi la qualité des soins.

- ✓ Elle contribue à **la réputation** de la médecine d'un pays

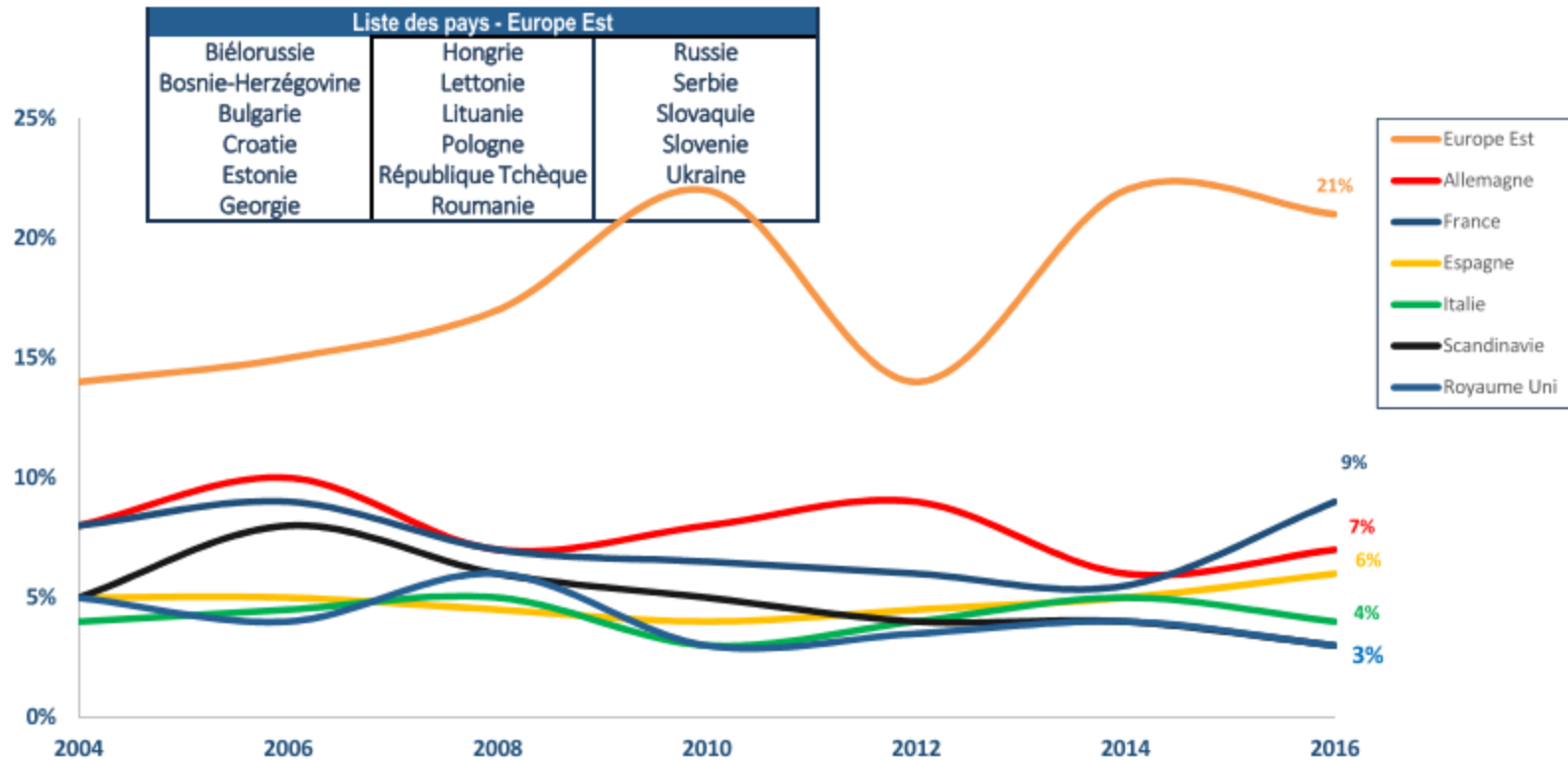
UN ENJEU PLANETAIRE (1)

Le pourcentage d'études en Europe est par définition de 100%



<http://www.leem.org/7e-enquete-attractivite-de-france-pour-recherche-clinique-internationale-leem-appelle-tous-les-acteu>

UN ENJEU PLANETAIRE (2)

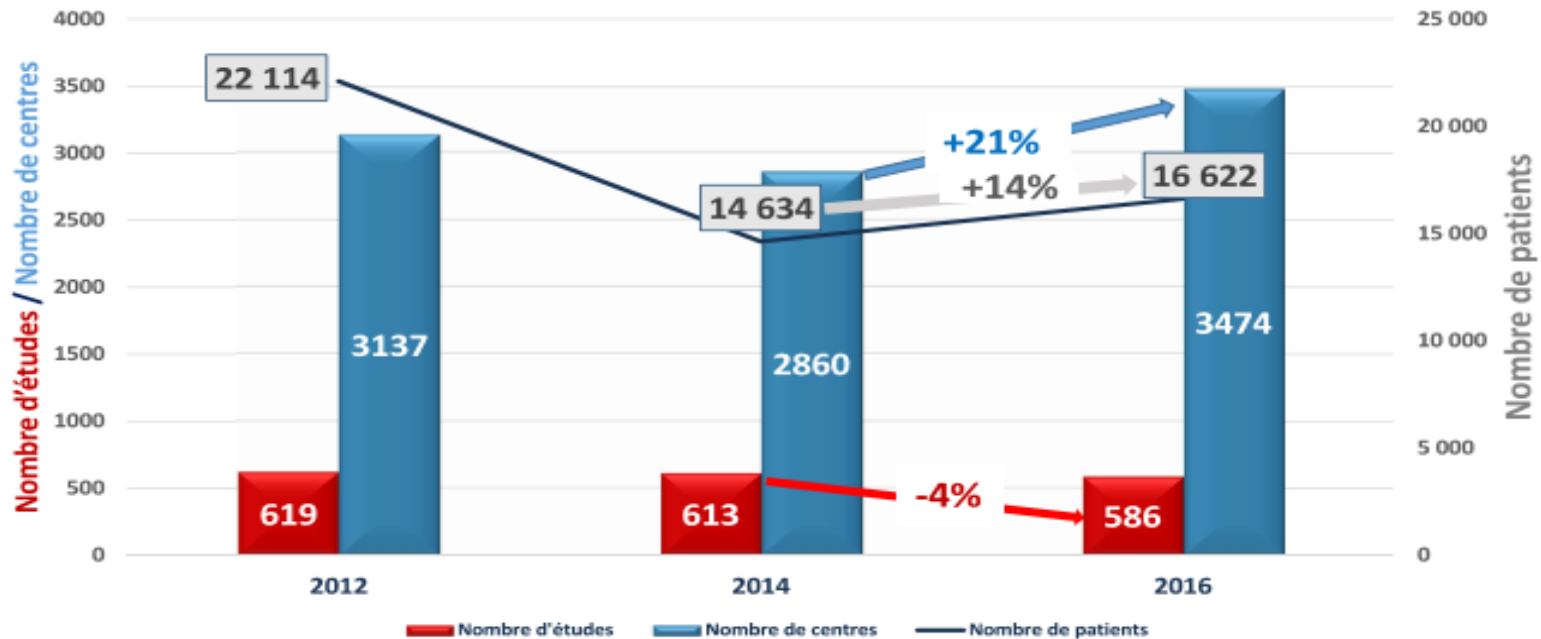


<http://www.leem.org/7e-enquete-attractivite-de-france-pour-recherche-clinique-internationale-leem-appelle-tous-les-acteu>

Nombre d'études et taux de participation : Ex. France

DONNÉES RECENSÉES EN 2016 (vs. 2014) : UN PEU MOINS D'ÉTUDES, MAIS SIGNIFICATIVEMENT PLUS DE CENTRES ET DE PATIENTS

**Evolution du nombre d'études, de centres et de patients renseignés*
(avec 2012 = 30 labos / 2014 = 36 labos / 2016 = 30 labos)**

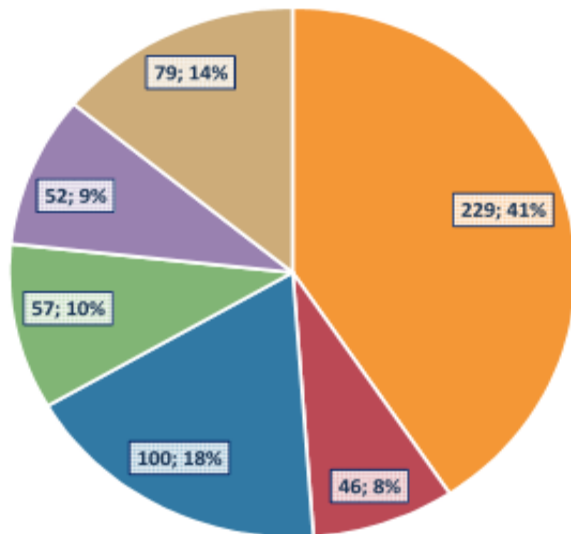


- * - Le nombre d'études correspond au nombre d'études renseignées dans la partie quantitative France
 - Le nombre de centres correspond au nombre de données renseignées : 1 donnée = une étude x un centre x un laboratoire
 - Le nombre de patients correspond au nombre de patients renseignés dans l'analyse quantitative France

Aires Thérapeutiques

Répartition du nombre d'études recensées par aire thérapeutique

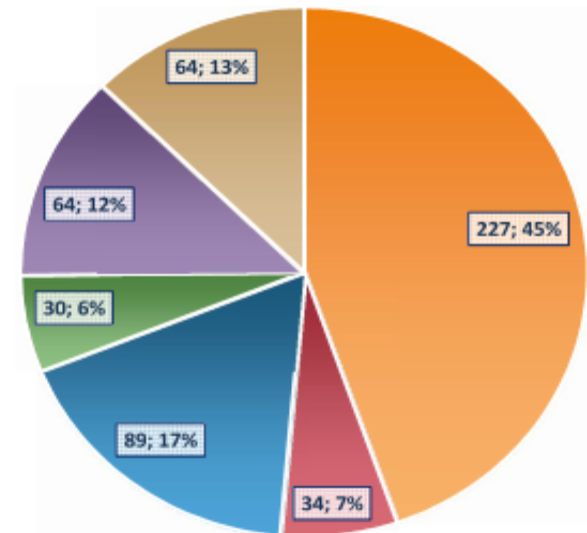
Enquête 2014 – 563 études



Toutes Phases

- Oncologie / Onco-hématologie
- Inflammation / Rhumatologie
- Autres*
- SNC / Neurologie / Psychiatrie / Alzheimer
- Cardio vasculaire / Diabète / Métabolisme
- Anti-infectieux / Virologie / Vaccins

Enquête 2016 – 508 études



*Autres :
Maladies respiratoires
Gastroentérologie
Dermatologie
Gynécologie
Ophtalmologie
etc...

<http://www.leem.org/7e-enquete-attractivite-de-france-pour-recherche-clinique-internationale-leem-appelle-tous-les-acteu>

- ✓ Comme toute activité scientifique, la recherche clinique est **internationale** et les données venues de toute la planète s'additionnent les unes aux autres pour améliorer la connaissance des maladies et de leurs traitements,

IMPACTS DE LA RECHERCHE :

Evolution de la Prise en charge du Cancer du Sein

Le cancer du sein est le cancer féminin le plus fréquent dans les pays de l'OCDE.

Il est la principale cause de mortalité féminine liée au cancer, estimée à 11,913 décès en 2015¹.

Background: Role of Adjuvant Chemotherapy in Early Breast Cancer

- Adjuvant chemotherapy reduces recurrence in ER-positive, node-negative breast cancer
- U.S. N.I.H consensus panel in 2000 concluded “...*adjuvant ..chemotherapy ... should be recommended to the majority of women with localized breast cancer regardless of lymph node, menopausal, or ... receptor status.*”

Vol. 320 No. 8

CHEMOTHERAPY FOR BREAST CANCER — MANSOUR ET AL.

485

EFFICACY OF ADJUVANT CHEMOTHERAPY IN HIGH-RISK NODE-NEGATIVE BREAST CANCER

An Intergroup Study

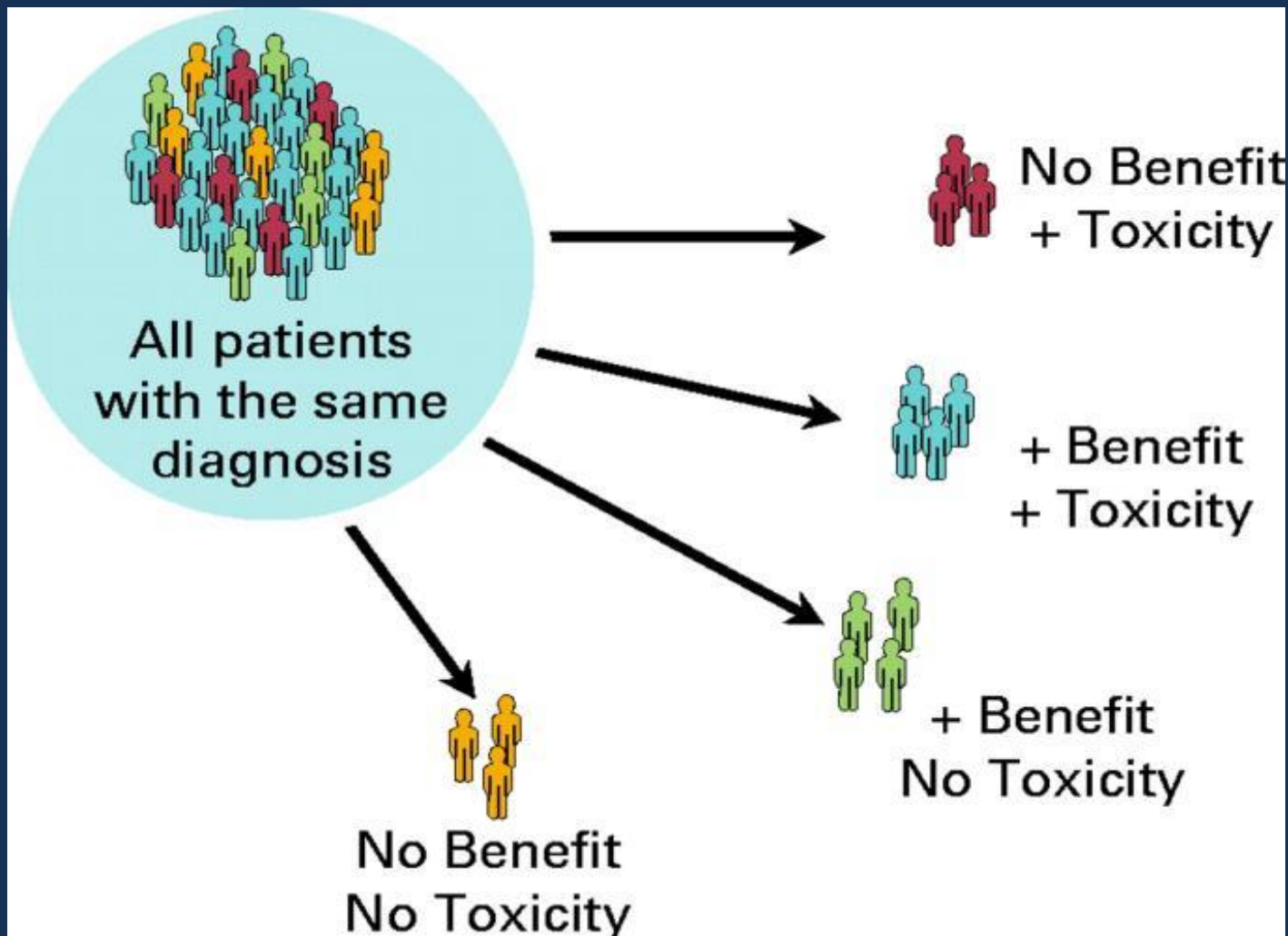
EDWARD G. MANSOUR, M.D., ROBERT GRAY, PH.D., AHMAD H. SHATILA, M.D., C.K. OSBORNE, M.D.,
DOUGLASS C. TORMEY, M.D., PH.D., KENNEDY W. GILCHRIST, M.D.,
M. ROBERT COOPER, M.D., AND GEOFFREY FALKSON, M.D.

SPECIAL ARTICLE

**National Institutes of Health Consensus Development
Conference Statement: Adjuvant Therapy for Breast
Cancer, November 1–3, 2000**

*National Institutes of Health Consensus Development Panel**

Chimiothérapie adjuvante dans le cancer du sein



SIGNATURE GENOMIQUE ET ... CHANGEMENT DE PARADYGME ..



L'utilisation du Score de Récurrence® (RS) est intégré (Signature Génomique) dans toutes les recommandations internationales telles que ASCO®, NCCN®, ESMO® et le consensus de St-Gallen.²⁻⁵

Elle permet de personnaliser la décision thérapeutique dans la prise en charge du cancer du sein.

Ainsi, chez les patientes présentant un faible risque, la chimiothérapie adjuvante peut être évitée. |

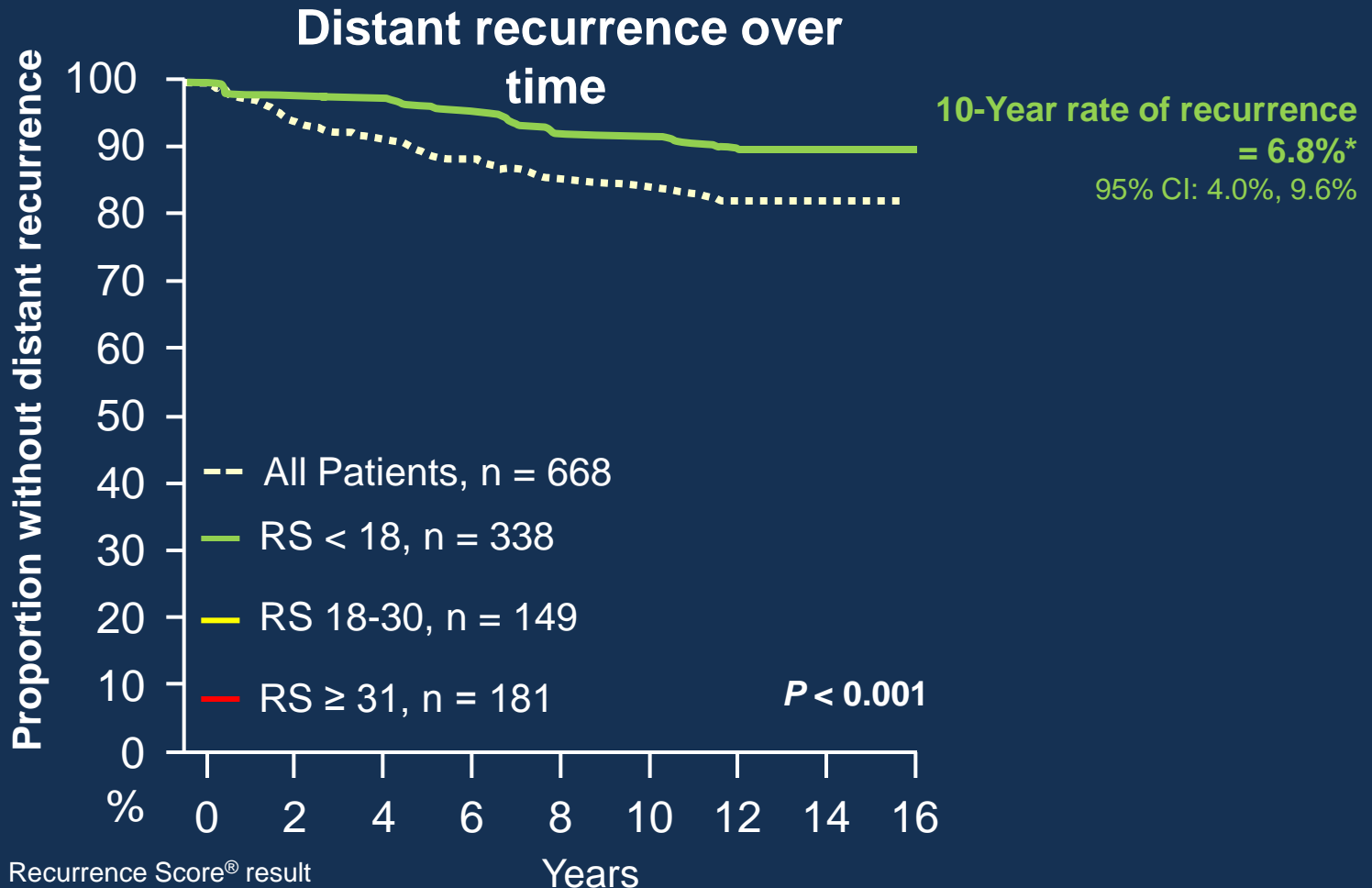
[2] Harris L, et al. American Society of Clinical Oncology 2007. J Clin Oncol. 2007;25(33):5287-5312.

[3] National Comprehensive Cancer Network Practice Guidelines in Oncology. Breast Cancer. www.nccn.org, v2.2011.

[4] Aebi S, et al. Primary breast cancer: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. Ann Oncol. 2010;21(Suppl 5):v9 – v14.

[5] Goldhirsch A, et al. Thresholds for therapies: highlights of the St Gallen International Expert Consensus. Ann Oncol. 2009;20(8):1319-29

Oncotype DX[®] Clinical Validation: NSABP B-14, Distant Recurrence

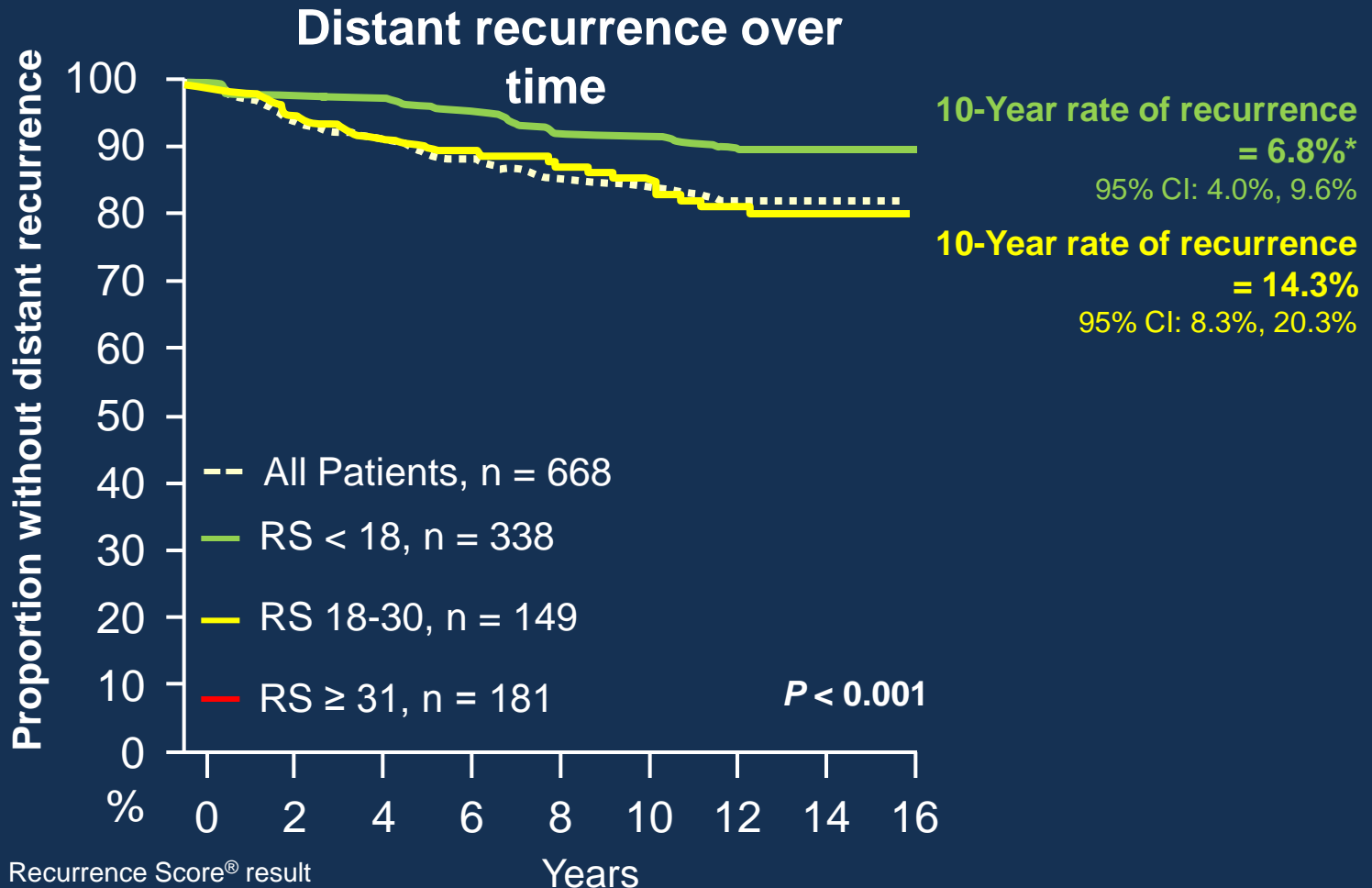


RS, Recurrence Score[®] result

*10-Year distant recurrence comparison between low- and high-risk groups: $P < 0.001$

Paik S, et al. *N Engl J Med.* 2004;351:2817-2826.

Oncotype DX[®] Clinical Validation: NSABP B-14, Distant Recurrence

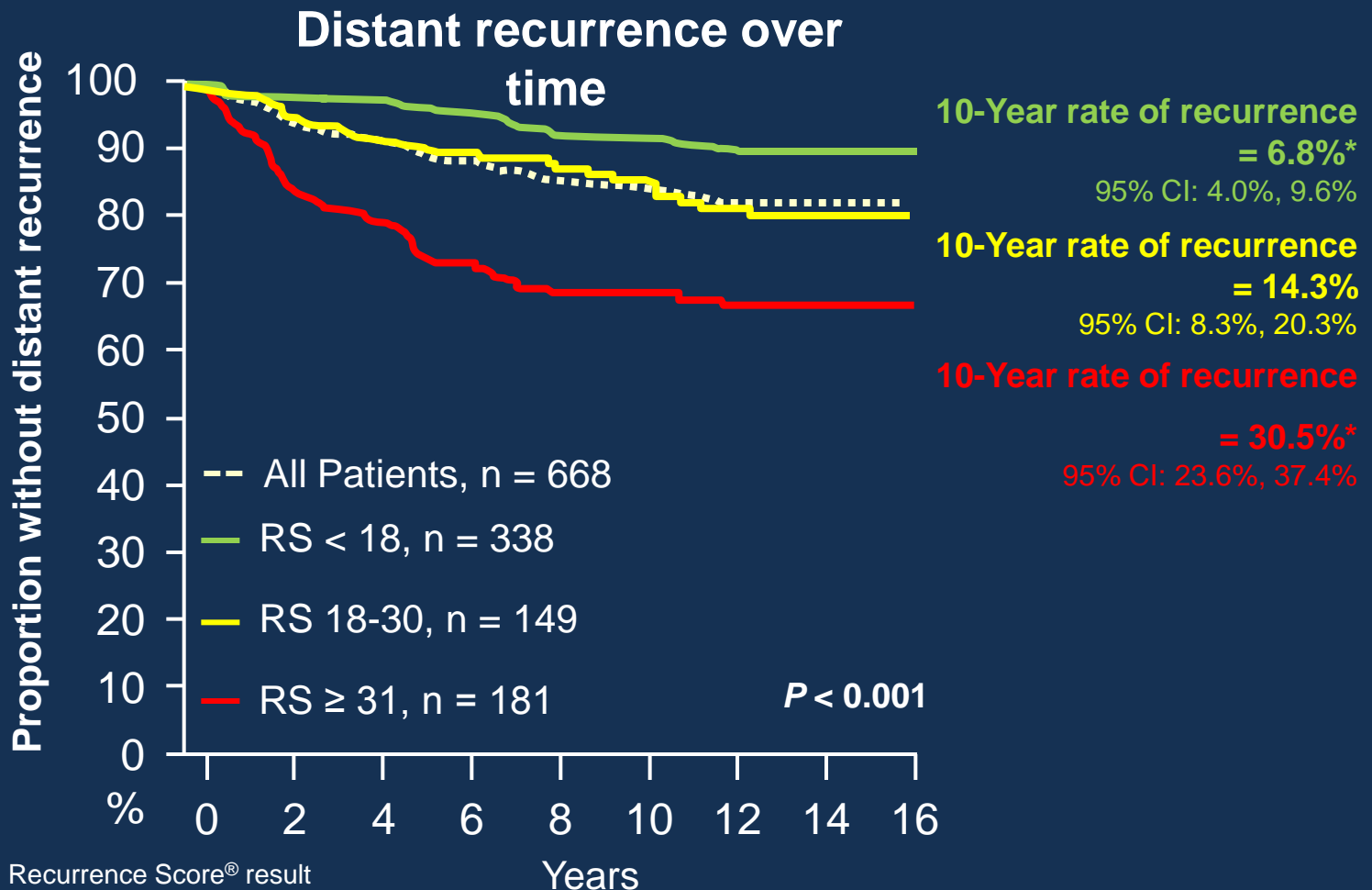


RS, Recurrence Score[®] result

*10-Year distant recurrence comparison between low- and high-risk groups: $P < 0.001$

Paik S, et al. *N Engl J Med.* 2004;351:2817-2826.

Oncotype DX[®] Clinical Validation: NSABP B-14, Distant Recurrence



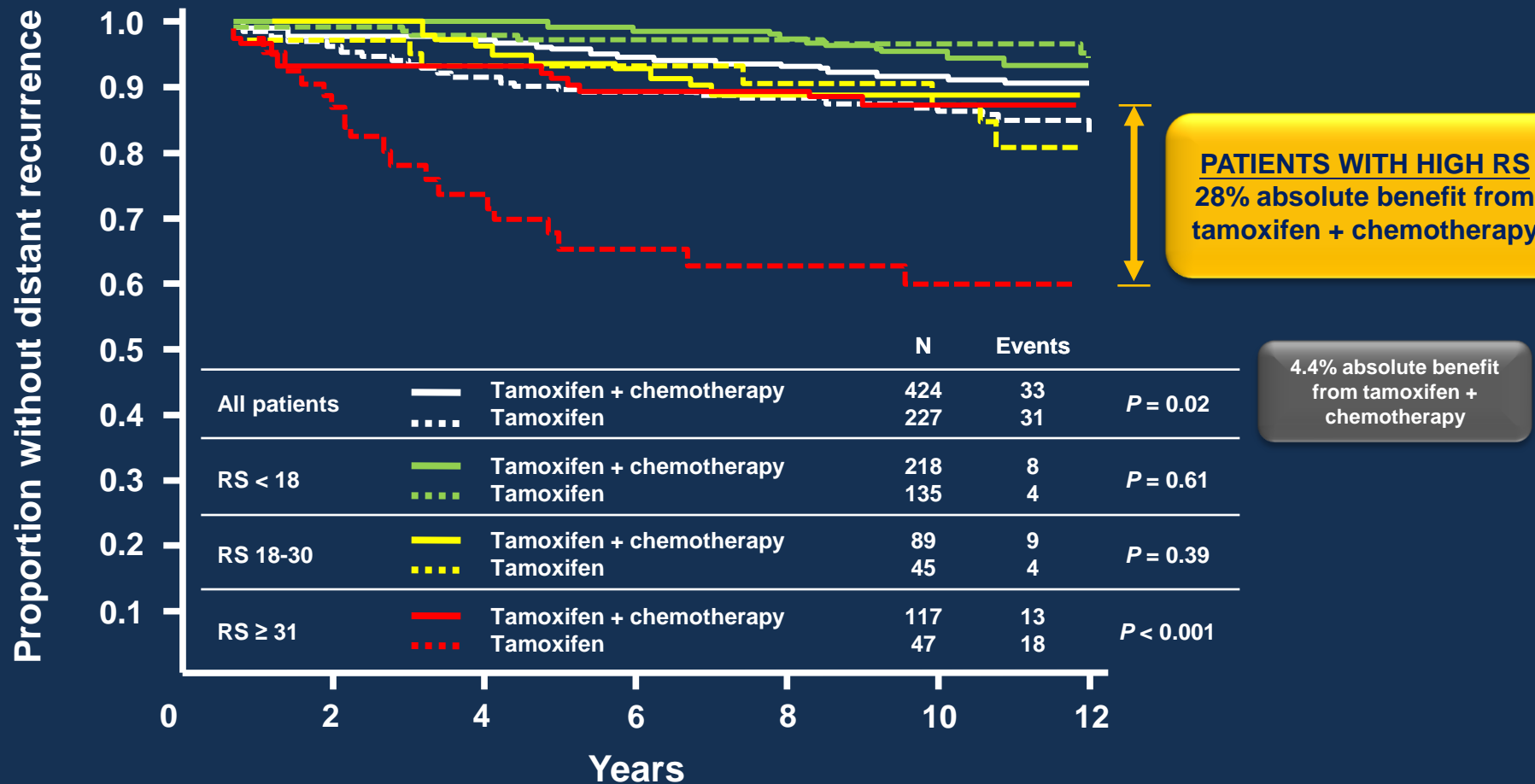
RS, Recurrence Score[®] result

*10-Year distant recurrence comparison between low- and high-risk groups: $P < 0.001$

Paik S, et al. *N Engl J Med.* 2004;351:2817-2826.

- ✓ Les différentes tests génomiques ont permis de **quantifier le risque** de récidives potentielles sous hormonothérapie sur la base de validation à travers des études randomisées rigoureuses et le niveau de preuve fondée sur l'EBM (*Evidence Based Medecine*).

High Recurrence Score[®] Result Correlates with Greater Benefit from Chemotherapy (NSABP B-20)



RS, Recurrence Score result

Paik S, et al. *J Clin Oncol*. 2006;24:3726-3734.

- ✓ Avec l'avènement de l'étude des gènes de la tumeur initiée par la classification moléculaire, l'aide à la décision pour une chimiothérapie n'est plus seulement basée sur les critères clinico-pathologiques comme la taille de la tumeur, l'atteinte ganglionnaire, le grade histo-pronostique, les embolies vasculaires, les récepteurs hormonaux, la surexpression d'HER2, le Ki67 et l'âge, mais aussi sur des **critères génomiques**.

Trial Assigning IndividualLized Options for TReatment (TAILORx):

Phase III trial of chemoendocrine therapy versus endocrine therapy alone in hormone receptor-positive, HER2-negative, node-negative breast cancer and **an intermediate prognosis 21-gene recurrence score.**

Joseph A. Sparano, et al. On behalf of the TAILORx Investigators

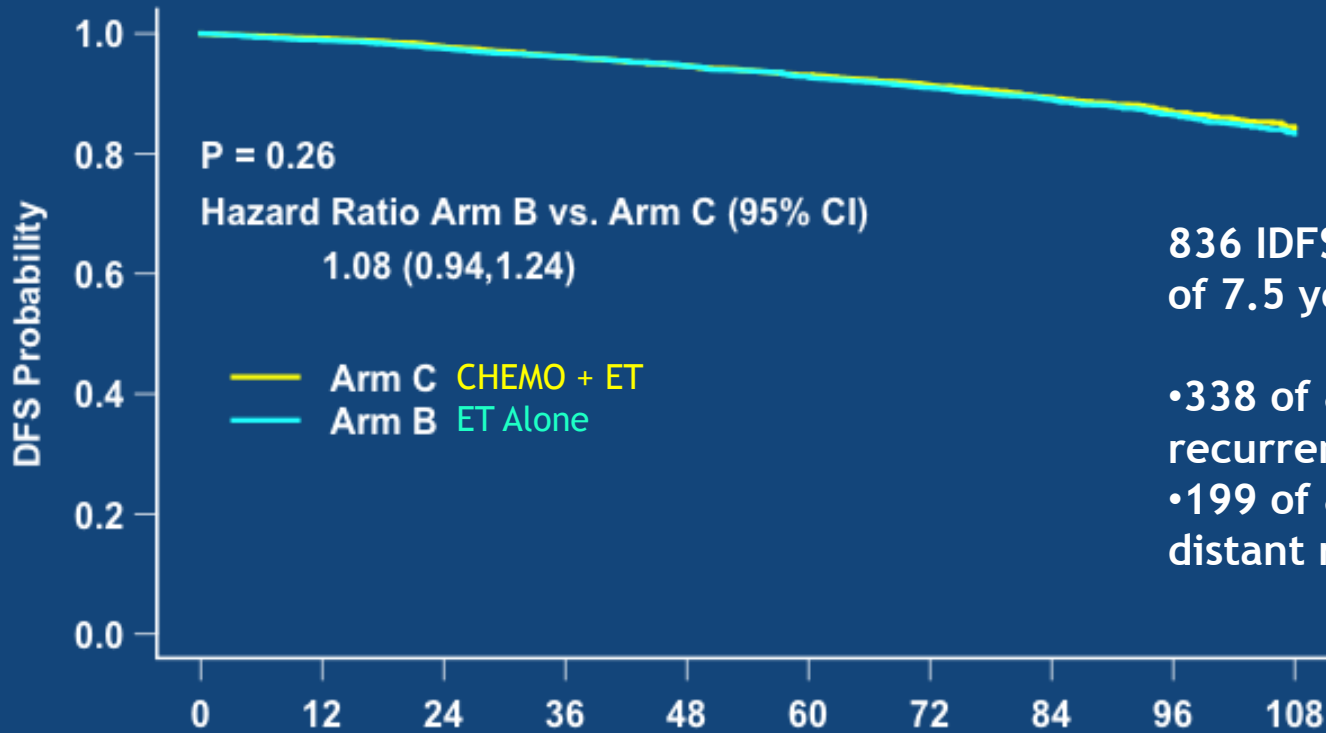
N=10,253 women aged 18-75 years of age with tumours from 1.1 to 5.0 cm in size (or 0.6-1.0 cm and intermediate or high grade tumours).

<https://www.esmo.org/Oncology-News/ASCO-2018-TAILORx-Guides-Adjuvant-Chemotherapy-in-Breast-Cancer>



TAILORx Results - ITT Population: Recurrence Score® result 11-25 (Arms B & C)

Primary Endpoint Invasive Disease-Free Survival



836 IDFS events after median of 7.5 years

- 338 of 836 (40.3%) with recurrence as first event
- 199 of 836 (23.8%) were distant recurrence

Number at risk

Months

— Arm C CHEMO + ET	3312	3204	3104	2993	2849	2645	2335	1781	1130	523
— Arm B ET Alone	3399	3293	3194	3081	2953	2741	2431	1859	1197	537

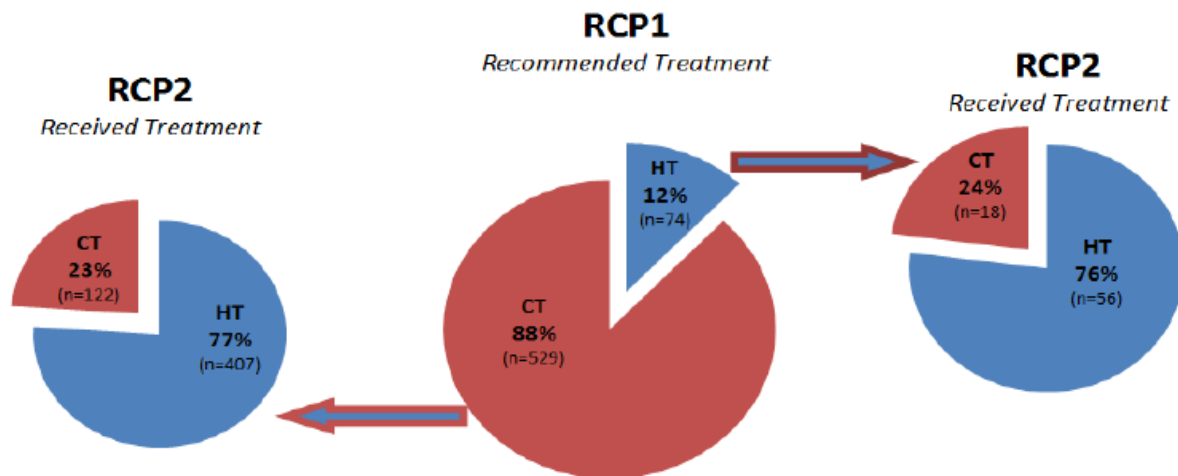
FRENCH PROSPECTIVE MULTI-CENTER COHORT ON THE DECISION IMPACT ASSESSMENT

Michaud P¹, Mouysset JL², Dohollou N³, Laplaige P⁴, Lafuma A⁵, Fignon A⁶

¹ OncoCentre, Orleans ; ² Centre Ressource, Aix-en-Provence, ³ Polyclinique Bordeaux Nord Aquitaine, Bordeaux, ⁴ Polyclinique de Blois, La Chaussée St Victor, ⁵ Cemka-Eval, Bourg la Reine, ⁶ Clinique de l'Alliance, St-Cyr-sur-Loire.



Figure 3. Overall impact of knowing the Recurrence Score[®] result on treatment received (N=603)



Treatment decisions changed in nearly two-third of all cases, and that 76% of the study population received HT. These findings warrant further consideration for the use of this genomic assay in patients early stage ER(+) and HER2(-) BC in France.

ISPOR 21st ANNUAL INTERNATIONAL MEETING Washington, DC USA May 21-25 2016

LES RAISONS DE SE MOBILISER

- ✓ **Pour le Patient : accéder au progrès et à l'Innovation thérapeutique,**
- ✓ **Pour les équipes soignantes : Favoriser la qualité des soins et l'excellence en attirant les compétences et en rayonnant à l'international,**
- ✓ **Pour les industriels : renforcer la compétitivité et la recherche efficiente,**
- ✓ **Pour le pays : Accroître l'attractivité et la notoriété dans le domaine de la recherche et augmenter la visibilité à l'international**

... UN ECOSYSTEME FAVORABLE

- ✓ **Réduire les délais des autorisations des études**
- ✓ **Faciliter la diversification de la Recherche Clinique**
- ✓ **Renforcer la formation des Professionnels de Santé**
- ✓ **Informier et mobiliser les patients**

PARTENAIRE DES INDUSTRIES DE SANTÉ

AFFAIRES RÉGLEMENTAIRES
ET PHARMACEUTIQUES

AFFAIRES MÉDICALES ET
RECHERCHE CLINIQUE

CONSEIL



DÉVELOPPEMENT



STRATÉGIE



COMMUNICATION
SCIENTIFIQUE



COMPLIANCE



FORMATION



SERVICES À
360°

MARKET ACCESS

UNE GAMME COMPLETE DE SERVICES

<http://www.axelys-sante.com/>

<http://www.axelys-sante.dz/>

Merci