Mathieu ROBAIN, UNICANCER

Les RWData, les données secondaires acquises hors cadre expérimental sont utilisées pour créer des RWEvidences aujourd'hui indispensable à la décision en Santé.
La définition des RWD s'élargit en pratique aux données issues de cohortes, d'études observationnelles et également aux données générées directement par les patients (PRO). La multitude des sources de données et l'hétérogénéité des informations créé la richesse de ces données mais impose une maitrise de leurs limites liées à la parfaite connaissance de leur niveau de validité intrinsèque.

Depuis peu, la réelle prise de conscience politique au plus haut niveau sur l'utilisabilité de ces données en Santé publique est illustrée par les différents rapports récents en lien avec les Données de Vie Réelle, la Santé Numérique, l'IA en particulier en Santé, et les réflexions sur les enjeux éthique des données de masse en Santé. La création d'une structure dédiée pour coordonner l'accès au SNDS et plus récemment la constitution du HDH témoignent de cette politique volontariste sur l'utilisation des RWD.

Les RWD sont complémentaires à celles des essais cliniques randomisés (ECR), Gold standard pour étudier l'efficacité biologique d'un produit, mais qui ne permet pas d'aborder son utilisation en population générale dont l'effectivité clinique. La FDA travaille depuis plusieurs années sur l'utilisation de ces données, et commence à intégrer les RWE à un niveau décisionnel (comme la reconstruction de bras historique), ce qui n'est pas encore aussi abouti en France, ou en Europe, qui doit poursuivre ses réflexions et son acculturation sur l'utilisation des RWD.

Une réflexion sur l'évolution des principes de l'Evidence Base Médecine en intégrant une nouvelle étape sur RWD ou la réflexion parallèlement indépendante sur un principe spécifique au RWD commencent à être évoquées. De même les méthodes statistiques spécifiques à ces données commencent à être utilisées et diffusées.

La France à une forte culture historique des données en santé, en particulier en épidémiologie, mais également des approches en biostatistiques et technologiques en Santé. Tous les éléments positifs aujourd'hui présents doivent permettre de conforter une place de leader sur ce sujet si nous parvenons à mettre ne place une gouvernance cohérente et acceptée par les différents acteurs publiques, privés et académiques.

Mahmoud ZUREIK, Epi-Phare (ANSM / CNAM)

Mahmoud, en tant qu'épidémiologiste et spécialiste en surveillance des produits de santé a montré l'importance des données en vie réelle pour la PV en confirmant que la durée des essais cliniques est trop limitée pour observer des Effets Indésirables au long terme et incluaient des nombres de sujets inclus trop limités ; les deux démarches ne s'opposent cependant pas, elles sont complémentaires.

- Mahmoud a ensuite informé les participants de l'existence de pôle épidémiologie au sein de l'ANSM dédié à l'exploitation des données de l'Assurance maladie (65 millions de personnes : données médicales structurées et actualisées + données de remboursement + données d'hospitalisation) ; il a aussi rappelé que la CNAM a aussi un département d'étude en santé publique
- Il a également rappelé le rôle d'Epi-Phare : la réunion du Pôle épidémiologie de l'ANSM et du Département des études de santé publique de la CNAM. Epi-Phare coordonne désormais des études épidémiologiques en vie réelle sur les produits de santé pour les Autorités
- Il a conclu en soulignant l'opportunité majeure que représente la mutualisation d'un savoir-faire inégalé dans le domaine de l'épidémiologie des produits de santé associé à une mutualisation des moyens

Philippe Jean BOUSQUET, (INCa)

- Philippe-Jean a confirmé qu'il ne fallait pas opposer les données issues des essais cliniques aux données d'observation, le challenge principal consistant à déterminer comment les interpréter, comment les analyser.
- Il a aussi souligné les difficultés encore rencontrées : la puissance de différentes bases de données est en effet différente, la qualité des données n'est pas la même, les codages sont différents. Les données sont nombreuses et complexes. Example : une cohorte de cancer issue du SNDS : 8 millions de personnes, équivalant à 800 fichiers Excel, 20 milliards de lignes !
- L'autre défi consiste à faire reconnaitre ces données par les Autorités. Pour cela il faut démontrer leur qualité, leur exhaustivité et leur représentativité.

Jean Marc PINGUET, ROCHE

- Jean Marc a ensuite résumé les initiatives récemment prises par ROCHE : moduler le prix des médicaments innovants en fonction de leur utilisation en vrai vie et du bénéfice observé par le patient conduisant à la création du PRM (personnalized remboursement model) il y a cinq ans . L'objectif final du PRM étant de collecter des données d'utilisation du produit en vrai vie pour négocier le prix avec le Comité Economique
- Aujourd'hui 136 centres collectent :
  - les données d'utilisation des traitements anticancéreux en vie réelle dans le cancer du poumon et du sein
  - les données du parcours de soin des patients
- Jean Marc a souligné les avantages de cette initiative :
  - l'utilisation des données déjà existantes et des systèmes de collecte déjà existants dans les centres.
  - la flexibilité et la rapidité d'extraction des données

- les centres sont motivés grâce au retour de l'information collectée (de l'ensemble de données) , de ce fait ils partagent plus facilement leur données.

- Selon Jean-Marc cette démarche a déjà eu des résultats positifs, ces données pouvant être acceptées par le Comité économique : un produit a déjà obtenu son prix sur la base de ces données et a été mis sur le marché.
- Les objectifs à plus long terme sont de :
  - médicaliser encore plus la base pour avoir une meilleure visibilité de la prise en charge des patients..
  - Elargir le programme sur d'autres traitements anticancéreux