

Are patients affected by slowly progressing diseases condemned to remain without treatment?

Maladies lentement évolutives : les patients sont-ils condamnés à rester sans traitements ?

Modérateur

Marc Bonneville
ariis

Intervenants

Gérard Raymond
France Asso Santé

Emmanuel Pham
Nova in silico

Werner Rein
Theranexus

Véronique Briquet-Laugier
FondaMental

Cécile Ollivier
C-Path

L'objectif principal de cette table ronde est d'échanger sur le développement d'options thérapeutiques sûres et adaptées pour les pathologies difficiles à gérer, avec un accent particulier sur les nouvelles méthodologies cliniques digitales pour les pathologies à évolution lente. Les discussions ont porté sur les conditions d'utilisation et l'efficacité des approches telles que la simulation.

Importance de l'engagement des patients

Les échanges ont souligné l'importance de consulter les patients pour comprendre leurs besoins et attentes. Les associations de patients doivent jouer un rôle actif et transparent pour influencer la recherche et la réglementation. Il est essentiel de recueillir et de synthétiser les attentes des patients pour être un interlocuteur crédible auprès des pouvoirs publics. La réalisation des études sur la qualité de vie avec une participation importante des structures associatives indépendantes est cruciale pour garantir une évaluation objective.

En outre, l'inclusion des patients dès le début des processus de recherche et de développement est essentielle pour créer des traitements et des soins plus efficaces, personnalisés et acceptés. Cette approche

collaborative permet de s'assurer que les innovations médicales répondent véritablement aux besoins des patients, tout en optimisant les ressources et en accélérant les progrès scientifiques. De plus, une participation précoce des patients peut aider à identifier rapidement les problèmes éventuels et à ajuster les protocoles d'étude, réduisant ainsi les coûts liés aux essais cliniques et aux développements infructueux. Elle permet également d'améliorer l'adhésion aux traitements et la participation des patients aux études cliniques.

Enfin, une participation active des patients dans la création de nouvelles études cliniques garantit que leur qualité de vie soit prise en compte.

Modélisation numérique et innovations digitales

Les discussions ont permis de montrer à quel point les modèles mathématiques et les outils digitaux sont des moyens de surmonter les défis des maladies rares et à évolution lente. La modélisation des pathologies et des traitements permet de créer des populations virtuelles, intégrant des aspects complexes des maladies ainsi que des interactions avec divers traitements.

Cette approche repose sur trois piliers principaux : **modélisation de la pathologie, modélisation du traitement** et analyse de ces modèles sur une **population virtuelle**.

Ces modèles permettent d'identifier rapidement l'efficacité d'un produit avant de passer aux essais cliniques traditionnels chez des patients. Ils sont particulièrement utiles pour les maladies rares où le nombre limité de patients rend difficile l'obtention de données statistiquement significatives. La modélisation permet de tester divers scénarios de traitement et de prédire les résultats à long terme.

Validation des modèles en collaboration avec les autorités de santé

Un des défis majeurs de ces approches est la qualité des données et la validation des hypothèses. Les outils numériques reposent sur des données réelles issues de la littérature scientifique et des bases de données cliniques. Pour que ces modèles soient fiables, il est crucial d'avoir des données de haute qualité et de valider les hypothèses sous-jacentes. Cela nécessite une collaboration étroite entre les chercheurs, les cliniciens et les experts en données pour s'assurer que les modèles reflètent fidèlement la réalité clinique.

La validation des modèles numériques peut se faire par des études rétrospectives, où les prédictions des modèles sont comparées aux résultats réels observés dans des cohortes de patients. Une autre approche consiste à intégrer ces modèles dans les essais cliniques prospectifs, où les prédictions

peuvent être testées en temps réel. Cette validation continue est essentielle pour renforcer la confiance des régulateurs et des cliniciens dans ces nouvelles méthodologies.

Inclure les autorités de santé et de réglementation dès le début des projets est crucial pour minimiser les incertitudes et faciliter l'acceptation des nouvelles technologies. Des discussions avec les régulateurs sont nécessaires pour établir des critères d'évaluation homogènes et transdisciplinaires. Cela permet de s'assurer que les nouvelles méthodologies sont évaluées de manière cohérente et rigoureuse.

Conclusion

Les méthodologies digitales et la modélisation représentent des outils prometteurs pour améliorer la performance de la recherche clinique en médecine et répondre aux besoins spécifiques des patients.

Les associations de patients jouent un rôle crucial en s'assurant que leurs voix soient entendues et prises en compte dans les décisions cliniques et réglementaires. La collaboration entre les chercheurs, les régulateurs et les patients est essentielle pour avancer de manière cohérente et efficace.

Ces innovations méthodologiques offrent un espoir significatif pour les patients souffrant de maladies complexes et rares, permettant un accès plus rapide à des traitements innovants et personnalisés.
