

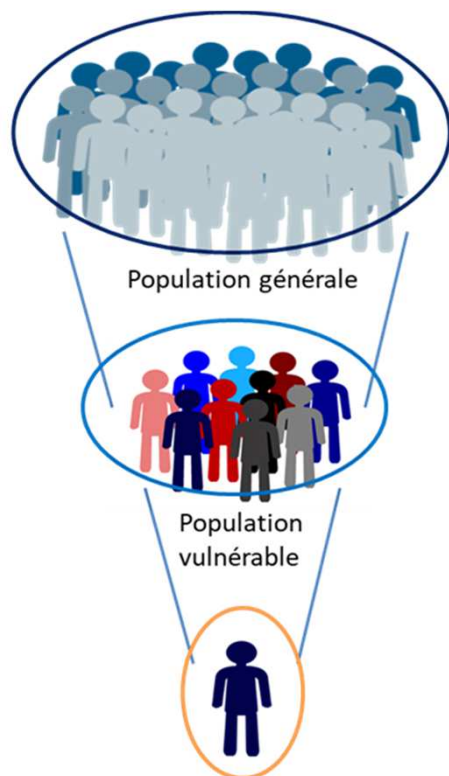
Comment faire entrer la médecine de précision dans la décision thérapeutique de routine au lit du malade ?

Coordonnateur : Romain Guilhaumou : PH, Pharmacologie Clinique et PharmacoSurveillance, APHM, Past-Président du Groupe Suivi Thérapeutique Pharmacologique et Personnalisation des Traitements de la SFPT

Modérateur académique : Florian Lemaitre : MCU-PH, Pharmacologie, CHU de Rennes/Université Rennes 1, Président du Groupe Suivi Thérapeutique Pharmacologique et Personnalisation des Traitements de la SFPT

Modérateur industriel : Virginie Florentin : Expert Accès Médecine personnalisée, Roche Pharma France

Médecine de précision et enjeux actuels



Approche populationnelle

Médecine stratifiée

Médecine individualisée

Nouvelles technologie de diagnostic et suivi des patients

- Génomique
- Intelligence artificielle
- ...

Augmentation exponentielles des données

- Biologiques
- Omics (notamment génomique)
- Pharmacologiques, ...



Redéfinition du périmètre des pathologies

Cadre économique contraint

Prise de décision au lit du malade

- Poser un diagnostic
- Prescrire un traitement personnalisé
- Individualiser le suivi du patient

- 11 experts participants

Académiques

- Nicolas Picard : PU-PH Pharmacologie, Limoges, Président RNPGx
- Hervé Pelloux : PU-PH Parasitologie-Mycologie, Grenoble
- Christophe Le Tourneau : PU-PH Oncologie Médicale, Institut Curie, Paris
- Arnaud Bayle : Oncologue, Institut Gustave Roussy, membre CEDIag

Institutionnels

- Marie Lang : Directrice du CNCR
- Valérie Denux : Directrice Europe et Innovation, ANSM
- Dinh-Phong NGUYEN : Responsable de la veille et de la prospective, AIS

Industriels

- Sylvain Benito : Co-fondateur Exactcure
- Daria Korchagina : Associate director market access, EU west, Illumina
- Jean-Vannak Chauny : Directeur Accès au Marché, Amgen
- Ariane Galaup Paci : Directrice Recherche Clinique, LEEM

- 2 experts auditionnés

- Mme Yvanie Caillé, Association de patients Renaloo
- Mme Claire Vigier, Délégation du numérique en santé

Médecine de précision

Toute approche permettant d'optimiser la prise en charge médicale d'un individu en la personnalisant, que ce soit:

- Affirmer et préciser un diagnostic (diagnostique, pronostique)
- Identifier une population d'intérêt/un traitement adapté à une cible donnée (théranostique)
- Individualiser le traitement et son suivi clinique ou biologique

Entrent dans cette définition (non exhaustive) : les médicaments, tests biologiques dont tests moléculaires (biologiques/génétiques/génomiques), dispositifs médicaux, solutions numériques dont solutions d'IA, 3D, actes et procédures

→ **Focus sur les aspects diagnostique, pharmacologique et médicamenteux vs dimensions sociales, psychologiques et environnementales**

3 champs d'applications - 7 questions – 19 recommandations

1/ Méthodologie d'évaluation des outils de médecine de précision

- Q1. Comment évaluer les solutions de médecine de précision sur des populations restreintes?
- Q2. Comment assurer une concomitance de la mise à disposition d'une technologie de santé et d'un acte ?
- Q3. Comment assurer le bon usage des solutions de médecine de précision ?

2/ Accès aux solutions de médecine de précision par les professionnels de santé et les patients

- Q4. Comment garantir le meilleur accès dans les territoires ?
- Q5. Comment assurer la pérennité des modalités de financement d'une technologie de santé et d'un acte ?

3/ Bon usage des solutions de médecine de précision

- Q6. Quelle utilisation des résultats générés par les solutions de médecine de précision ?
- Q7. Comment informer et former les utilisateurs à l'usage des outils de médecine de précision ?

3 champs d'applications - 7 questions – 19 recommandations

1/ Méthodologie d'évaluation des outils de médecine de précision

- Q1. Comment évaluer les solutions de médecine de précision sur des populations restreintes?
- Q2. Comment assurer une concomitance de la mise à disposition d'une technologie de santé et d'un acte ?
- Q3. Comment assurer le bon usage des solutions de médecine de précision ?

2/ Accès aux solutions de médecine de précision par les professionnels de santé et les patients

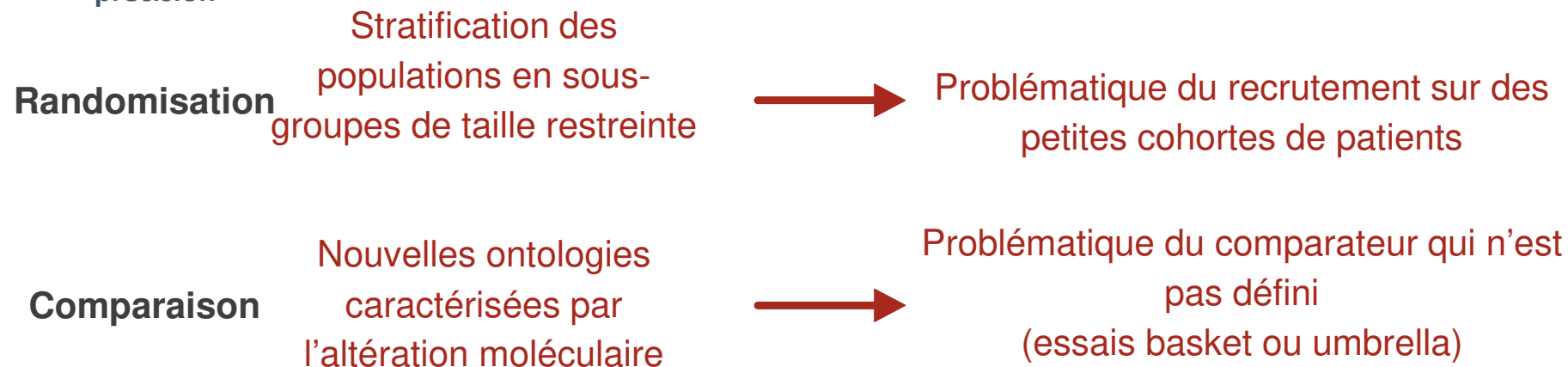
- Q4. Comment garantir le meilleur accès dans les territoires ?
- Q5. Comment assurer la pérennité des modalités de financement d'une technologie de santé et d'un acte ?

3/ Bon usage des solutions de médecine de précision

- Q6. Quelle utilisation des résultats générés par les solutions de médecine de précision ?
- Q7. Comment informer et former les utilisateurs à l'usage des outils de médecine de précision ?

Comment évaluer les solutions de médecine de précision sur des populations restreintes ?

- Enjeu de reconnaissance du bénéfice apporté par ces innovations par la HAS
- Problématique de la démonstration sur la base de la méthodologie actuelle (paradigme de l'essai clinique comparatif randomisé) qui n'est pas adaptée aux particularités des solutions de médecine de précision



- Le cadre d'évaluation n'est pas complètement défini pour toutes les typologies de solutions de médecine de précision

Comment évaluer les solutions de médecine de précision sur des populations restreintes ?

Nos recommandations

Avoir un espace pour discuter le cadre d'évaluation

Organiser une consultation tripartite afin d'optimiser les méthodologies d'évaluation entre institutions, académiques, industriels et patients

Discuter les possibilités d'évolution des designs d'essais cliniques (ex : comparaisons indirectes, chaque patient comme son propre témoin, bras synthétiques, jumeaux numériques,...) et de leur acceptabilité

Discuter de la prise en compte de critères exploratoires (PRO, observance, facilité d'emploi, impact organisationnels, ...)

Optimiser le continuum dans le cycle d'évaluation du produit : formaliser des rencontres précoces

Perspectives : Création de la CEDiag en avril 2023

Encourager la HAS à recourir au sursis à évaluer, notamment pour les médicaments en accès précoce

Promouvoir une évaluation au long cours quand on cible de petites populations

Développer des registres de données en vie réelle pour nourrir l'évaluation en continu

Définir les critères en amont avec les institutions, notamment données d'efficacité

Définir les modalités de prise en compte par les institutions en complément des données des essais cliniques

Comment assurer une concomitance de la mise à disposition d'une technologie de santé et d'un acte ?

Enjeu de la mise à disposition concomitante de la technologie et de l'acte ou de 2 produits de santé/technologies :

- des dispositifs d'accès précoce et de prise en charge de droit commun existent
- ces dispositifs peuvent être optimisés et mieux articulés

Nos recommandations

Permettre une évaluation simultanée pour les solutions de médecine de précision avec les produits associés

- Favoriser et développer les mécanismes mis en place au sein de la HAS, et les dupliquer pour l'accès précoce
- Aligner les mécanismes de fixation de prix/tarifs et les publications correspondantes

Créer un cadre d'évaluation pour les solutions de médecine de précision non encore marquées CE, permettant un accès précoce

- ce cas n'est actuellement pas couvert

Perspectives : LFSS 2023 et futur décret RIHN

Comment assurer le bon usage des solutions de médecine de précision ?

- Enjeu d'aider les professionnels de santé à prescrire et/ou utiliser les solutions de médecine de précision
- Nécessité d'avoir des données fiables démontrant le bénéfice que l'on peut en attendre
- Nécessité d'avoir des recommandations d'usage pour identifier les solutions à utiliser, et savoir dans quel cadre le faire (systématique versus optionnel)

Nos recommandations

Mettre en place des évaluations sur la population d'intérêt pour évaluer la performance clinique et économique :

- dans le cas où le développement a été réalisé dans des populations qui ne présentent pas les mêmes caractéristiques que la population d'usage
- base pour étayer la place dans la prise en charge des patients

Inciter les sociétés savantes médicales à intégrer dans leurs recommandations les solutions de médecine de précision, en co-construction avec la HAS

- permettre face au volume de solutions, d'orienter les professionnels à l'aide d'un acteur institutionnel

Un cadre d'évaluation spécifique

Comment évaluer les solutions de médecine de précision sur des populations restreintes?

Recommandations :

- Consultation multipartite pour optimiser les méthodologies d'évaluation
- Procédure pour intégrer certains outils de médecine de précision dans les AMM

Une évaluation simultanée

Comment assurer une concomitance de la mise à disposition d'une technologie de santé et d'un acte ?

Recommandations :

- synchroniser les processus d'évaluation
- créer une procédure d'accès précoce en attente de marquage CE

Bon usage des solutions

Comment assurer le bon usage des solutions de médecine de précision ?

Recommandations :

- Evaluation sur la population d'intérêt
- Recommandations des sociétés savantes médicales

Une évaluation en continu

Enjeu d'une évaluation au long cours pour les petites populations cibles

Recommandations :

- Définir les critères les plus pertinents
- Définir les modalités de prise en compte par les institutions

3 champs d'applications - 7 questions – 19 recommandations

1/ Méthodologie d'évaluation des outils de médecine de précision

- Q1. Comment évaluer les solutions de médecine de précision sur des populations restreintes?
- Q2. Comment assurer une concomitance de la mise à disposition d'une technologie de santé et d'un acte ?
- Q3. Comment assurer le bon usage des solutions de médecine de précision ?

2/ Accès aux solutions de médecine de précision par les professionnels de santé et les patients

- Q4. Comment garantir le meilleur accès dans les territoires ?
- Q5. Comment assurer la pérennité des modalités de financement d'une technologie de santé et d'un acte ?

3/ Bon usage des solutions de médecine de précision

- Q6. Quelle utilisation des résultats générés par les solutions de médecine de précision ?
- Q7. Comment informer et former les utilisateurs à l'usage des outils de médecine de précision ?

Comment garantir le meilleur accès dans les territoires ?

- **Contexte :**
 - Médecine de précision : centres spécialisés (CHU et centres experts)
 - Pas d'organisation existante, pas de pilotage de l'expertise sur le territoire national
 - Un exemple à suivre : les centres nationaux de référence en maladies infectieuses (Santé Publique France)
 - Une extension récente du concept : les laboratoires de biologie médicale de référence (DGS)
- **Questions :**
 - Organisation : Qui fait quoi ?
 - Compétence technique : Qui est capable de faire quoi ?
 - Financière : Quel financement ? Quels arbitrages ?

Nos recommandations

Créer des centres experts en médecine de précision

Organisés sur le modèle des centres nationaux de référence des agents infectieux

Avec différents niveaux d'expertises (centres de références nationaux, centres de compétences régionaux et centres de proximité locaux)

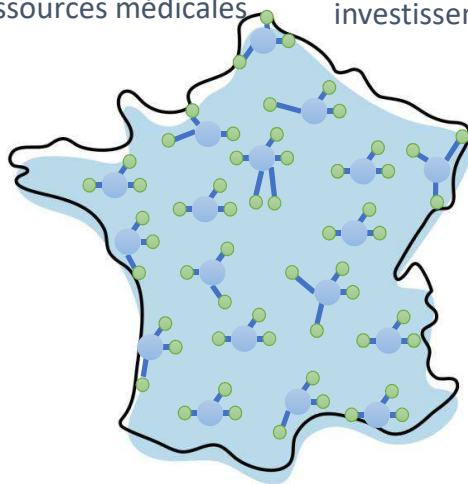
Répond au besoin de haute technicité et de compétences rares tout en rendant disponible et équitable l'accès à ces ressources médicales

Définir les niveaux de compétences des centres experts en médecine de précision

Dépendant du niveau d'expertise au plan du territoire

Les besoins en termes de ressources en équipement, logistique, compétences... doivent être adaptés aux besoins

Nécessité de mener une réflexion en amont sur le dimensionnement de ce système et d'identifier/cartographier quelles sont les solutions et expertises déjà présentes dans les sites, quels sont les besoins en investissement et formation



Comment garantir le meilleur accès dans les territoires ?

Nos recommandations

Développer un maillage territorial de centres de compétences en médecine de précision :

Echelon National : centres de référence permettant un accès à une expertise, des équipements, une technologie unique sur le territoire

Echelon Régional : centres de compétences permettant un recours à une expertise présente au niveau de centre hospitalier universitaire ou de réseaux de CHU

Echelon local : s'appuient sur les centres de compétences et de références via une centralisation des actes de médecine de précision (téléconsultation, télé-expertise, RCP virtuelles...) et au travers de recommandations publiées par les sociétés savantes

Perspectives : Propositions à présenter à la Direction Générale des Soins (LBMR) et à Santé Publique France (CNR)

Comment assurer la pérennité des modalités de financement d'une technologie de santé et d'un acte ?

- **Contexte :**
- Mécanismes de financement de l'innovation existants mais limités
- Ex : Accès précoces, référentiel des actes innovants, forfait innovation
- La pérennité des actes repose sur des modalités de financement stables (droit commun)
- Il n'existe à l'heure actuelle pas d'acte de médecine de précision

Comment assurer la pérennité des modalités de financement d'une technologie de santé et d'un acte ?

Nos recommandations

Développer des réunions de concertations pluridisciplinaires (RCP) de médecine de précision

Activités pilotés par les centres experts de médecine de précision et activables à la demande des requérants

Rend accessibles l'accès aux solutions innovantes au plus grand nombre tout en rationalisant l'utilisation de ces solutions

Permet de rendre ubiquitaire une ressource experte rare sur un territoire

Créer un acte de consultation de médecine de précision sur le modèle de la consultation complexe

Ces actes devraient être adossés à un forfait dédié sur le modèle des consultations complexes et très complexes

Cette consultation comprendrait l'acte médical ou paramédical ainsi que les examens biologiques, le recours à une solution de médecine de précision, l'interprétation des résultats et la communication/explication au patient durant un temps dédié

La création de cet acte de médecine de précision permet d'adosser la pratique à un acte et un remboursement dédié (modèle déjà existant)

Perspectives : Sollicitation du ministère par la SFPT pour la création d'une première consultation de médecine de précision ; création de protocole de coopération locaux sur la base de ces consultations

Comment assurer la pérennité des modalités de financement d'une technologie de santé et d'un acte ?

Nos recommandations

Créer une liste en sus pour les actes innovants de biologie réalisés à l'hôpital

Passage en droit commun d'actes de biologie onéreux pourrait ne pas être absorbable par les forfaits hospitaliers

Analogie avec les médicaments onéreux : pas de pénalisation de l'innovation

La création d'une liste en sus permettrait d'assurer une équité d'accès entre les acteurs publics et privés

Relancer et assurer la dynamique d'entrée/sortie des actes innovants du RIHN/liste complémentaire

Assurer un flux continu de ces entrées et sorties

Nécessite une méthode d'évaluation rapide et agile

Requière une procédure de tarification et d'intégration dans les forfait hospitalier (tarif de remboursement génériques par catégories d'actes et liste en sus pour les actes onéreux)

La juste prescription de ces actes innovants nécessite un suivi qui peut être fait au travers des bases de données uniques françaises. Néanmoins, les méthodes de codage actuelles présentent des limites notamment la difficulté à relier à un patient/séjour et donc rendant difficile l'évaluation de la pertinence dans une indication donnée.

Perspectives : Proposition de décret RIHN à venir

3 champs d'applications - 7 questions – 19 recommandations

1/ Méthodologie d'évaluation des outils de médecine de précision

- Q1. Comment évaluer les solutions de médecine de précision sur des populations restreintes?
- Q2. Comment assurer une concomitance de la mise à disposition d'une technologie de santé et d'un acte ?
- Q3. Comment assurer le bon usage des solutions de médecine de précision ?

2/ Accès aux solutions de médecine de précision par les professionnels de santé et les patients

- Q4. Comment garantir le meilleur accès dans les territoires ?
- Q5. Comment assurer la pérennité des modalités de financement d'une technologie de santé et d'un acte ?

3/ Bon usage des solutions de médecine de précision

- Q6. Quelle utilisation des résultats générés par les solutions de médecine de précision ?
- Q7. Comment informer et former les utilisateurs à l'usage des outils de médecine de précision ?

Quelle utilisation des résultats générés par les solutions de médecine de précision ?

- Contexte :
- Permettre l'utilisation des données générées par le personnel de santé/patient :

Structurées et homogènes

Disponibles

Interprétables

➔ Impact individuel et collectif

Nos recommandations

Intégrer systématiquement les données patients issues des solutions de médecine de précision dans *Mon espace Santé* de manière structurée.

Mon espace Santé = dossier médical partagé institutionnel national

Nécessité de développer un référentiel de présentation des données

Claire Vigier, *Délégation du numérique en santé*



Perspectives : Finalisation vague 1 du Ségur du numérique, vague 2

Comment former et informer les utilisateurs à l'usage des outils de médecine de précision ?

Nos recommandations

Diffuser la connaissance des solutions de médecine de précision et de leurs résultats avec le support des centres de référence

Développer les interfaces pour véhiculer l'information issue des solutions de médecine de précision et intégrer des professionnels d'interface à la prise en charge du patient

Relayer les informations auprès des patients via les associations de patients

Yvanie Caillé, Association de patients Renaloo

Intégrer la médecine de précision dans la formation initiale et la formation continue des professionnels de santé

En formation initiale :

- Formation au numérique en santé : intégration au 1^{er} cycle des études en santé et au formation paramédicale en sept-24

En formation continue : action prioritaire du DPC

Perspectives : Intégration à la rentrée 2024 au premier cycle des études de santé et aux formations paramédicales

- Médecine de précision : Champ de réflexion vaste et en constate évolution
- 19 recommandations établis par les membres de la table ronde
 - *Création de centres d'expertises*
 - *Création d'un acte de consultation de médecine de précision*
 -
- **Nécessité de pérenniser la réflexion au sein des Ateliers de Giens**
 - Evaluation des dispositifs médicaux numériques (Journée nationale de restitution AdG, 20 mars 2024)
 - TR PGx 2024
 - *Intégration de l'intelligence artificielle*