

# Collaboration de l'AFMPS avec les organisations de patients : Lancement des pilotes STA

Symposium de l'AFMPS sur la collaboration avec et pour les patients

BRUXELLES

25.09.2018

# Implication des organisations de patients atteints d'une maladie rare

## **Objectif : impliquer les organisations de patients atteints d'une maladie rare dans les demandes nationales de STA (et de CTA)**

STA = avis scientifique-technique/réglementaire

CTA = demande d'essai clinique

### **Phase 1 (T3-T4 2018) :**

= projet pilote pour les demandes de STA liées aux CTA (approche post-hoc)

### **Phase 2 (2019) :**

- Demandes de STA liées aux CTA dans les procédures en conditions réelles
- projet pilote concernant les CTA



# Cadre de collaboration avec les organisations de patients atteints d'une maladie rare

## Pilotes STA : aspects généraux

- T3-T4 2018 :
  - 5 procédures STA (liées à des questions d'essai clinique)/CTA évaluée rétrospectivement
- 1 dossier par mois
- Évaluation simulée conformément aux délais procéduraux standard d'une procédure STA de type II/III
- En collaboration avec les organisations et fédérations d'organisations de patients atteints d'une maladie rare (par ex. VPP, LUSS, RaDiOrg)
- Évaluation commune des pilotes début 2019 + étapes suivantes courant 2019 pour mise en œuvre progressive dans les procédures en conditions réelles



# Portée de la collaboration avec les organisations de patients atteints d'une maladie rare

## **Interagir avec les organisations de patients atteints d'une maladie rare dans les procédures STA en ce qui concerne par ex. :**

- La faisabilité et la conception de l'étude proposée
- Les paramètres de l'étude c/ le bénéfice clinique réel pour le patient c/ la survie
- La population de patients pertinente
- Comparateur ou non
- La durée de l'étude
- Les résultats pertinents pour les patients (par ex. les POUR)
- Les questions de sécurité
- Les aspects liés à la qualité de vie
- Les besoins médicaux non satisfaits



# Liste d'organisations de patients atteints d'une maladie rare

Les critères suivants ont été définis pour la sélection des organisations de patients atteints d'une maladie rare :

- Existence d'une expertise minimale (médicale et/ou de l'UE) au sein de l'organisation de patients (c'est-à-dire organisations qui n'ont pas besoin, à court terme, d'une formation par l'AFMPS)
- Intérêt manifeste à collaborer avec l'AFMPS dans le cadre des pilotes STA



# Liste d'organisations de patients atteints d'une maladie rare

## Les organisations suivantes ont manifesté leur intérêt :

- HTAP voor pulmonaire hypertensie België
- BOKS : maladies métaboliques
- Muco vereniging
- NET & MEN kanker
- Werkgroep hersentumoren
- 22q13 (Phelan McDerimid Syndroom)
- Bindweefsel
- Crohn en colitis ulcerosa vereniging
- Hodgkin & non-Hodgkin
- LGD alliance (lymphangiomatose et maladie de Gorham-Stout)
- Ligue Huntington
- Lymfklierkankervereniging Vlaanderen
- MS-liga
- RA liga (via Reumanet)
- Vlaamse Parkinson Liga



# Liste d'organisations de patients atteints d'une maladie rare

## Les organisations suivantes ont manifesté leur intérêt :

- Diabetes Liga
- GIRTAC : anticoagulants
- HAE : angioœdème héréditaire
- Association Lupus érythémateux
- GESED : Syndrome d'Ehlers-Danlos



# Projets sélectionnés sur la base de la liste

## 5 dossiers pilotes ont été sélectionnés :

- **Correspondance** entre les organisations de patients atteints d'une maladie rare intéressées et les demandes d'avis scientifiques récents donnés entre 2015 et 2018 (approche post-hoc)
- **Sujet** inclus : essais cliniques effectués chez des patients
- **Informations suffisantes** disponibles dans le dossier d'information

## Remarque générale :

Le domaine pathologique dans lequel sont actives les organisations de patients atteints d'une maladie rare intéressées ne correspondait pas exactement au domaine pathologique pour lequel l'AFMPS reçoit des demandes de STA et pour lequel des données pertinentes peuvent être fournies par les organisations de patients intéressées





# Projets sélectionnés sur la base de la liste

## 5 dossiers pilotes couvrant :

- 4 différents domaines thérapeutiques
- 5 organisations de patients axées sur la maladie
- 3 fédérations d'organisations de patients (VPP, LUSS, RaDiOrg)

Pilote 1 : Diabète de type I

Organisation de patients : Diabetes Liga

Pilote 2 : Fibrose kystique

Organisation de patients : Muco Vereniging

Pilote 3 : Oncologie

Organisation de patients : Hodgkin & Non-Hodgkin ; Lymfklierkanker Vereniging Vlaanderen

Pilote 4 : Colite ulcéreuse

Organisation de patients : Crohn en colitis ulcerosa vereniging

Pilote 5 : Diabète de type I (population pédiatrique)

Organisation de patients : Diabetes Liga



# Projets sélectionnés sur la base de la liste

## Pilote 1 : domaine thérapeutique DIABÈTE

### **Produit X : produit mixte médicament/appareil médical**

Appareil médical destiné à l'administration d'insuline par diffusion extrapéritonéale (c.-à-d. différent types d'insuline disponible sur le marché)

Indication : Diabète de type 1

Phase 1 ; Premier essai clinique chez l'homme (FIH)

Objectif de l'étude : étudier les performances en termes de sécurité et les premiers effets de l'appareil médical chez les patients souffrant d'un diabète de type 1 instable et mal équilibré et sujets à l'hypoglycémie.

Population de patients : population objet de la demande d'avis

Questions cliniques :

- Population de patients ciblée – critères d'exclusion
- Conception générale de l'étude FIH (première administration chez l'homme) et possibilité d'une extension de l'étude



Organisation intéressée : Diabetes Liga

# Projets sélectionnés sur la base de la liste

## Pilote 2 : domaine thérapeutique FIBROSE KYSTIQUE

**Produit Y : médicament inducteur à traduction ininterrompue (TRID) pour le traitement des conditions génétiques provoquées par une mutation non-sens**

Indication : fibrose kystique due à des mutations non-sens

Phase : étude de preuve de concept 1b/2a

Objectif de l'étude : évaluation de la sécurité, de la tolérabilité, de la pharmacocinétique, de la pharmacodynamique et mesures préliminaires de l'efficacité du produit administré par voie sous-cutanée comme monothérapie et en association avec le produit Z chez les patients nmCF.

Population de patients : patients souffrant de fibrose kystique présentant une mutation non-sens

Questions cliniques :

- essai clinique chez la population de patients ou chez des volontaires sains
- Timing de l'essai chez les patients (parallèlement à une étude à doses multiples croissantes (MAD) chez des volontaires sains)
- Conception de l'essai
- Évaluations pendant l'essai (sécurité, marqueur / fonction de la maladie, pharmacocinétique)



# Aspects pratiques

- Environnement reproduisant les situations de la vie réelle et calendrier de la procédure
- **Calendrier** : 7 semaines à partir de la réception du dossier STA dossier jusqu'à la réunion de discussion avec les experts de l'AFMPS (demandeur non présent dans l'approche post-hoc)
- **Dossier STA** = dossier complet pour les examinateurs de l'AFMPS = doc. d'information (principalement partie non clinique/clinique ) + protocole de l'étude, brochure du chercheur (IB), liste de questions et de positions de l'organisation  
(Toute la documentation est fournie en anglais, traduction non prévue)
  - Dossier complet, sans insu pour les représentants de l'organisation de patients + la fédération d'organisations
  - Sous-dossier anonymisé pour les patients consultés
- **Réunion préliminaire** avec l'organisation et la fédération d'organisations de patients impliquées, pour lancer la procédure et indiquer les grandes lignes des attentes de l'AFMPS (= ne fait pas partie de la procédure standard STA)



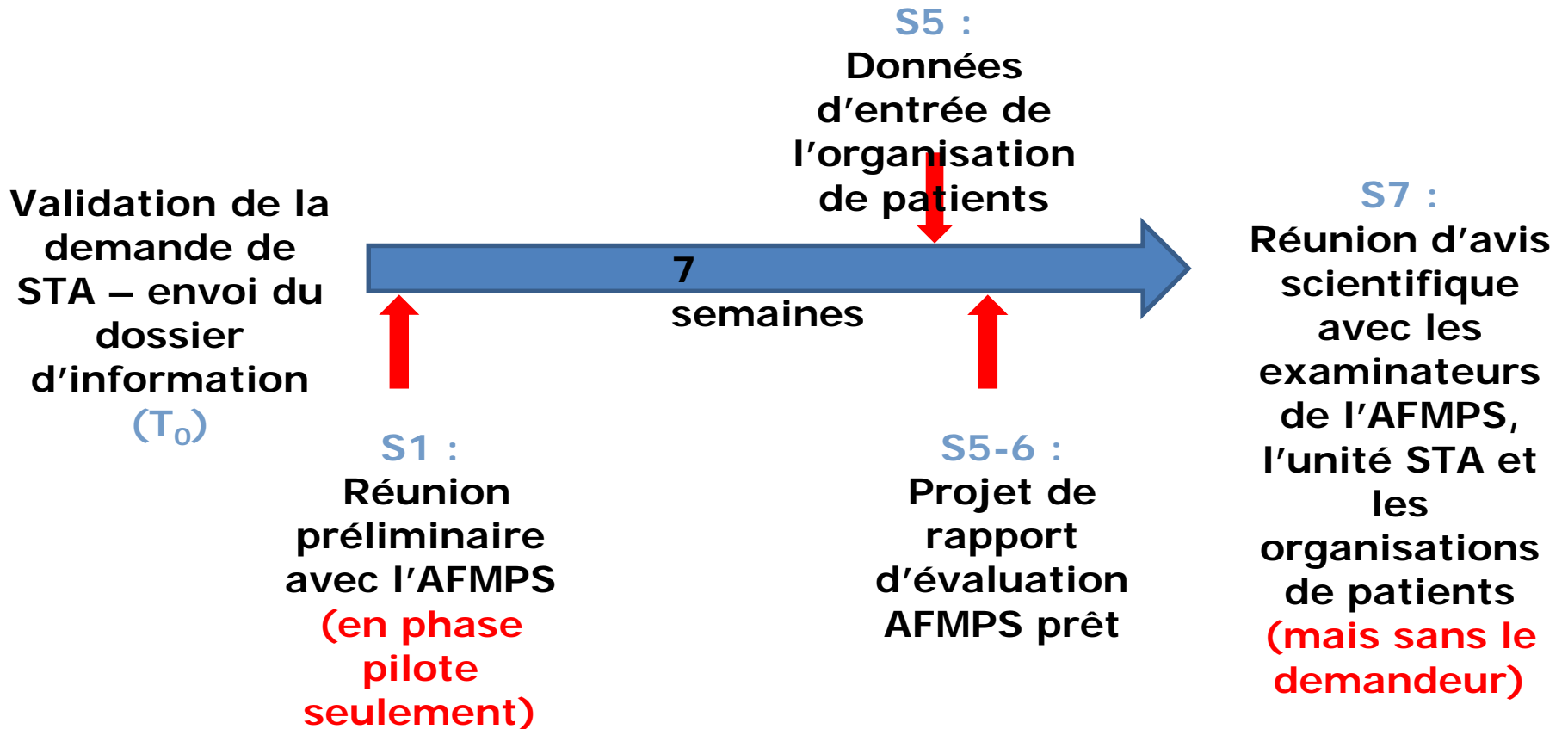
# Aspects pratiques

- Au bout de 5 semaines, un avis écrit sera fourni par l'organisation de patients concernant les questions de l'organisation ; cet avis sera transmis aux examinateurs.
- L'organisation de patients **peut exprimer un avis sur un choix de questions tirées de la liste de questions du demandeur** ; le représentant des patients ne doit pas évaluer toutes les questions (indications de l'AFMPS fournies).
- **Les avis donnés par l'organisation de patients** doivent porter uniquement sur les sujets mentionnés dans la liste de questions afin de respecter la procédure STA (mais les autres commentaires sont bienvenus).
- Les **avis doivent représenter l'opinion de la population de patients** et non celle d'un patient en particulier.
- Les organisations de patients expriment leurs commentaires (par écrit, en anglais) à l'AFMPS pendant la semaine 5 et reçoivent l'évaluation / l'avis de l'AFMPS sur les questions posées par l'organisation pendant la semaine 5 ou 6.
- Semaine 7 : **Réunion de discussion** entre les examinateurs de l'AFMPS, l'unité STA et les organisations de patients axées sur la maladie + les fédérations d'organisations de patients pour discuter des avis formulés par les deux côtés + **heure du feed-back**



# Aspects pratiques

L'environnement reproduit la vie réelle le plus exactement possible



## CONSIDÉRATIONS GÉNÉRALES

- La **confidentialité** du dossier d'information STA doit être garantie en permanence :
  - **Représentants des organisations et fédérations d'organisations de patients directement impliquées** : déclaration d'intérêt (DOI) et engagement de confidentialité (CU) conforme au modèle actuel de l'AFMPS avant la réception du dossier STA
  - **Patients membres consultés** : engagement de confidentialité interne seulement
- La **justification écrite du choix du représentant de l'organisation de patients axée sur la maladie** a également été demandée.
- **Pas de formation spécifique prévue**, mais la réunion préliminaire discute du lancement des dossiers de pilotes STA dans la pratique et alignent les attentes de l'AFMPS sur celles de l'organisation/fédération impliquée



# Premiers résultats

## ASPECTS (MÉTHODOLOGIQUES) GÉNÉRAUX

- Pour obtenir des données d'entrée pertinentes, il est essentiel d'expliquer le **contexte et les attentes**,

c.-à-d. le dossier STA, la procédure STA/CTA, les aspects relatifs à la première phase

de développement

→ Réunion préliminaire et réunion de discussion scientifique =  
facteurs clés du succès

Une formation et des conseils /un soutien supplémentaires peuvent être nécessaires (surtout pour les organisation de patients peu expérimentées)



- Délais procéduraux courts = défi

• Charge de travail supplémentaire ↔ création de valeur ajoutée



- La DOI et le CU sont parfois considérés comme un obstacle





# Premiers résultats

## ASPECTS SPÉCIFIQUES

- Les données d'entrée des organisations de patients et des patients sont **souvent très pertinentes et fournissent de la valeur ajoutée** mais le **processus de consultation doit encore être amélioré**, par ex. en ce qui concerne :

- Le(s) moment(s) de la consultation
- La participation à la réunion STA avec le demandeur
- Consultation sur les questions très spécifiques au patient

- **Différences dans les commentaires**



Représentants (semi)-professionnels de l'organisation de patients  
patients

mais il est important de saisir les deux.

- Les commentaires **concernent** parfois **d'autres aspects** : par ex. un programme de développement plus vaste, d'autres indications, le consentement éclairé

- **Représentativité des données d'entrée des patients**



# Premiers résultats

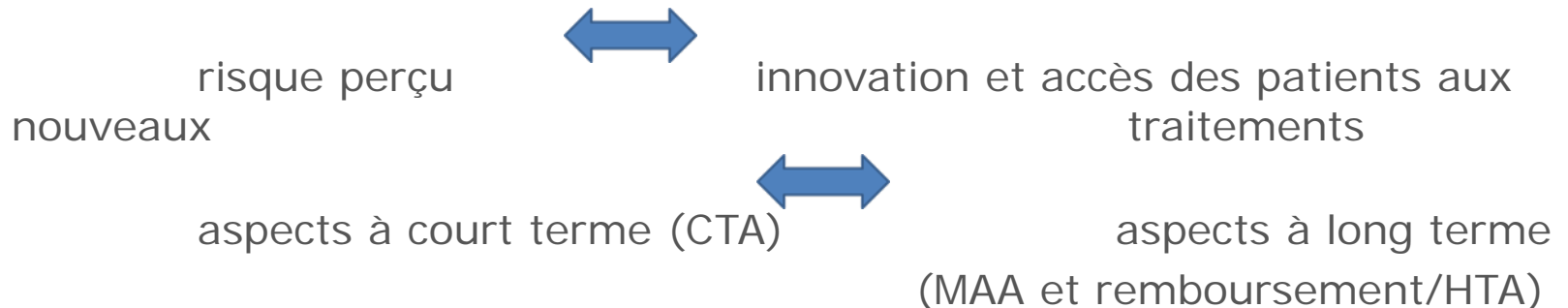
## ASPECTS SPÉCIFIQUES

- Importance de l'**heure du feed-back** pour l'organisation /les organisations de patients/les patients



Formation, motivation, autonomisation

- Importance de l'**estimation/explication de l'impact potentiel sur les recommandations proposées au patient**



### •Résultat global :

- prometteur et enrichissant
- complète les avis des expert internes et externes de l'AFMPS
- donner une place centrale au patient



# Prochaines étapes

- Début janvier 2019 :  
évaluation des 5 pilotes STA + détermination des prochaines étapes de mise en œuvre de l'implication du patient dans les procédures STA en conditions réelles
- Appel à manifestation d'intérêt :  
destiné aux organisations de patients qui n'ont pas été sélectionnées pour les  
5 pilotes STA, ou autres organisations de patients intéressées par un échange d'informations entre l'AFMPS et l'organisation de patients concernant une possible future collaboration
- Collaboration de l'AFMPS avec l'EUPATI pour faciliter la satisfaction des besoins de formation et de soutien des organisations de patients



## Contact

Mieke Delvaeye : [mieke.delvaeye@fagg-afmps.be](mailto:mieke.delvaeye@fagg-afmps.be)

02 528 44 61

Christophe Lahorte : [sta-wta@fagg-afmps.be](mailto:sta-wta@fagg-afmps.be)

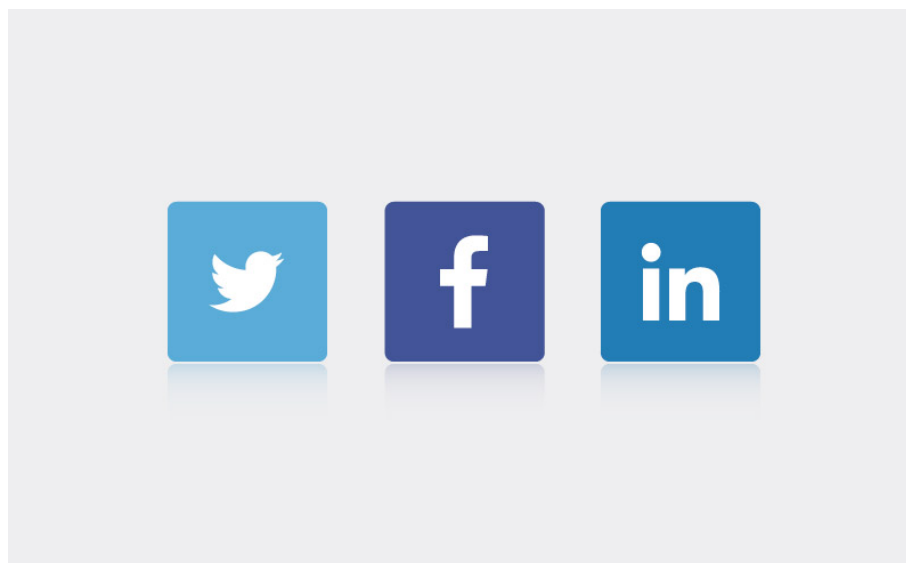
02 528 40 68

## Remerciements à :

- Karolina Szlufcik
- Mieke Delvaeye
- Greet Musch
- Tous les collègues de l'AFMPS participants
- Toutes les organisations de patients participantes et intéressées
- Annemiek Van Rensen



Suivez l'AFMPS sur Facebook, Twitter et LinkedIn



# Vos médicaments et produits de santé : notre préoccupation