

## POUR EN SAVOIR PLUS SUR : DONNEES DE SANTE ET PRATIQUES DE SOIN

---

Un véritable consensus existe quant à l'opportunité offerte par ces données numériques – dites de vie réelle – d'améliorer l'efficience de notre système de santé.

Ces données sont un levier de transformation :

- Des organisations et des pratiques de soins : correctement exploitées, elles permettent de renforcer la qualité et la pertinence des prises en charge, de guider les décisions des professionnels de santé.
- De nos modèles de recherche clinique et d'innovation : la disponibilité des données nous permet de situer et d'évaluer les stratégies thérapeutiques collectives les plus efficaces voire de personnaliser la prise en charge des patients en fonction de leurs profils et de leurs besoins.

L'émergence des données de vie réelle a un impact très concret puisqu'elle contribue à transformer notre approche du développement des innovations en passant d'un modèle « blockbuster » à un modèle de médecine ciblée, personnalisée ;

- Sur le modèle blockbuster
  - o Nous ne disposons pas des données et des puissances de calcul rendant possible le travail sur des sous-populations
  - o Les développements thérapeutiques se faisaient donc sur des populations larges
- Sur le modèle de la médecine personnalisée
  - o L'analyse des données de vie réelle disponibles nous permet d'identifier les voies prometteuses pour de nouveaux traitements ou d'accroître le bénéfice de l'arsenal thérapeutique existant
  - o La mise en œuvre de ce nouveau modèle repose sur la disponibilité des données et le développement des techniques de traitement et d'analyse de celles-ci (notamment l'IA)

Si nous mesurons le potentiel de transformation des données de vie réelle et ses premiers effets concrets, nous restons cependant confrontés à deux grands défis :

- Celui de la gouvernance des données (accès, valeur monétaire et propriété intellectuelle)
- Celui de la valorisation des données dans un système régulé

### **De la collecte à l'accès : des signaux positifs**

La France dispose d'un patrimoine numérique en santé de premier plan. Ce patrimoine reflète la volonté et l'audace des pouvoirs publics qui ont misé sur la centralisation des données médico-administratives pour développer le SNIIRAM et le PMSI. Il est également le fruit d'investissements significatifs consentis depuis 15 ans pour créer les conditions matérielles d'une collecte des données de santé en routine chez les offreurs de soins (plans Hôpital 2007, Hôpital Numérique, Hop'En, les cohortes telles que celles du grand emprunt COBLANCES par ex.).

L'exploitation de ces données locales et nationales, même incomplètes, doit permettre de réaliser des gains d'efficience à différents niveaux de notre système. Cette exploitation est néanmoins conditionnée à la réalité de l'accès à ces données.

La création de l'INDS en 2017 et du Health Data Hub en juin 2019 constituent des signaux très positifs. En structurant l'intégration de données nationales et locales, en accompagnant la montée en qualité des données produites, en organisant l'accès à ces données pour les acteurs de la recherche, le Health Data Hub semble en capacité d'apporter une réponse au défi de l'accès qui se pose en France. Ceci étant les modèles de gouvernances restent à définir afin que chacun des acteurs, public ou privé, puisse exploiter au mieux les données.

Un point de vigilance doit néanmoins être soulevé : sur les 10 projets pilotes retenus pour le lancement du Health Data Hub, aucun n'est porté directement par l'industrie du médicament. Il est essentiel que les acteurs privés, experts du médicament restent invités à contribuer à la réussite de cette plateforme nationale de données de santé. La ministre s'est voulue rassurante lors des débats sur la loi de transformation du système de santé en affirmant que « les industriels auront accès aux données dont ils auront besoin ».

## **De l'accès aux données à leur valorisation : un long chemin à accomplir ensemble**

Si des signaux positifs sont envoyés concernant l'accès aux données de vie réelle – et donc l'exploitation de celles-ci – le défi de la valorisation des données dans un cadre régulé semble encore complexe.

Nous sommes en effet face à un certain paradoxe :

- L'exploitation des données de vie réelle rend possible l'amélioration de l'efficience du système de santé
  - o En favorisant le développement de traitements ciblés et le suivi en vie réelle des conditions d'utilisation et de l'efficacité des traitements
  - o En rendant possible la mise en place de dispositifs de financement plus efficents tels que
    - La fixation des prix par indication
    - Le paiement à la performance
- La valeur de ces mêmes données n'est pas toujours reconnue par les autorités
  - o Acceptation limitée voire nulle des données provenant d'essais autres (ex : essai pragmatique) que RCT
  - o Non homogénéité de prise en compte des données de suivi dans les référentiels d'évaluation et les modèles de financement

Cette situation impacte les conditions d'accès à l'innovation en France :

- Délais d'accès
  - o Le décalage entre les méthodes de développement des médicaments innovants et les référentiels d'évaluation rend le processus d'évaluation illisible et imprévisible
  - o Les échanges se multiplient avec la CT et la CEESP sur des réserves méthodologiques qui n'en sont pas ou n'ont plus lieu d'être en regard des évaluations et autorisations FDA et EMA.
- Indications ciblées
  - o L'absence de reconnaissance des modèles de développement innovants (essais pragmatiques) utilisés sur des indications ciblées (petites populations) mène à des blocages, et ce malgré une présomption d'efficacité
  - o Alors que la FDA et l'EMA appellent à prendre en compte ces nouvelles approches en adaptant les cadres d'évaluation, rien n'a été fait en France à ce jour, mettant dans l'impasse des patients en attente d'options thérapeutiques.
- Perte d'efficience pour le système
  - o Dans un contexte de contrainte budgétaire, ne pas reconnaître les données de vie réelle alors que le sujet de l'efficience et de la qualité est la préoccupation de tous est un non-sens.
  - o Cela reviendrait à se priver d'un outil de pilotage des ressources dédiées aux innovations – intégration dans les organisations et les pratiques, utilisation, usage en vie réelle, efficacité

Pourtant, les méthodologies d'exploitation des données de vie réelle existent et sont validées par la communauté scientifique.

Les autorités doivent se saisir de ces méthodologies et proposer des évolutions du cadre d'évaluation pour que celui-ci s'adapte à la réalité des programmes de recherche clinique et des besoins des patients et cliniciens.

La reconnaissance de la valeur des données de vie réelle doit permettre de :

- Mieux répondre aux besoins médicaux des patients notamment pour les traitements ciblés, individualisés
- Améliorer notre connaissance des usages et de l'efficacité des traitements en vie réelle et des parcours de soins des patients pour optimiser l'appréciation de leur efficience au sein du système de santé.
- Encourager la recherche clinique en France en soutenant la génération de données pour confirmer l'efficacité des traitements post-AMM.

## **Quelques exemples illustrant la non-reconnaissance de la valeur des données de vie réelle par les autorités**

### ***Données de vie réelle et prise en charge conditionnelle***

Les immunothérapies sont susceptibles d'avoir de multiples indications, dans des localisations tumorales ou des sous-populations différentes, mais aussi des combinaisons de traitement où le bénéfice réel apporté aux patients peut être variable.

Ce même type de molécules innovantes est aussi de nature à poser de nouvelles questions aux différents acteurs, comme l'évaluation de la réponse ou la durée de traitement, auxquelles les données de vies réelles pourront apporter des réponses, sans pour autant retarder l'accès aux patients à ces innovations majeures.

La collecte des données de vie réelle permet d'accroître les connaissances sur l'utilisation de ces traitements anti-cancéreux innovants. La valorisation de ces données pourrait permettre de lier la prise en charge aux bénéfices réellement observés pour les patients. Ce n'est pas le cas aujourd'hui.

### ***Données de vie réelle et référentiels d'évaluation***

Dans le domaine cardiovasculaire et notamment dans la prévention des AVC, les résultats des essais cliniques portant sur les nouveaux anticoagulants oraux ont été salués au niveau international comme des innovations majeures.

Afin de confirmer ces données en vie réelle, les autorités ont formulé à l'attention des industriels des recommandations de génération de données en vie réelle en vue de leur réévaluation après une certaine période. Les autorités ont elle-même développé leurs propres études, à la fois ANSM et CNAMTS en France.

Ces données en vie réelle, dont les résultats ont été rendus disponibles depuis, ont été revues par les instances en charges de l'évaluation des produits de santé (notamment la HAS).

L'intégration complète dans l'évaluation s'est heurtée au cadre d'évaluation de ces instances avec préférence donnée aux preuves fondées sur les essais cliniques

### ***Données de vie réelle et réévaluation***

Dans la prise en charge des pathologies cardiovasculaires, une étude de vraie vie avec une population de patients traités avec des Anticoagulants oraux a démontré la supériorité de l'efficacité d'un nouveau traitement en comparaison à d'autres solutions thérapeutiques les Anti-vitamines K.

Ces données de vraie vie n'ont pourtant pas été prises en compte dans le processus de réévaluation.