

## **Journée internationale des maladies rares : utiliser les nouvelles technologies numériques et les données pour optimiser l'accès à l'innovation**

**Chris Moore, président Europe de Veeva Systems**

*Les essais cliniques numériques couplés à une stratégie commerciale fondée sur les données permettent des progrès considérables dans l'accélération du diagnostic et l'identification des traitements efficaces dans le domaine des maladies rares.*

On estime que près de 30 millions de personnes vivent avec une maladie rare en Europe<sup>1</sup>. Avec 6 000 à 8 000 maladies rares à prendre en compte, les professionnels de santé (PDS) ne parviennent souvent pas à identifier les symptômes qui concernent des populations de patients particulièrement restreintes (cinq ou moins sur 10 000 personnes). Le retard au diagnostic peut ainsi se compter en années.

Une première série de challenges doit être relevée pendant les **phases de développement cliniques**. En effet, il est difficile pour les entreprises pharmaceutiques de trouver, de recruter et de maintenir les patients dans les essais. Cela nécessite une coordination sans faille entre l'ensemble des acteurs de l'essai (centres d'investigations, CROs, laboratoires...) mais également au sein des laboratoires pharmaceutiques (équipes R&D et commerciales). Dans un second temps, une nouvelle série d'enjeux se pose avec la **phase de commercialisation**. Les équipes sur le terrain rencontrent des difficultés pour identifier et accéder aux professionnels de santé pertinents, c'est-à-dire ceux qui prennent en charge les patients pouvant bénéficier de l'innovation médicale : **52 % des professionnels de santé ne reçoivent la visite que de 3 laboratoires pharmaceutiques maximum par an en Europe**<sup>2</sup>.

Sur un marché très concurrentiel, les entreprises pharmaceutiques de toutes tailles doivent révéler rapidement la valeur clinique et commerciale de leurs travaux. **Voici comment certains leaders mettent en place une stratégie fondée sur les données pour accélérer la mise à disposition de nouveaux traitements pour les patients.**

### **Accélérer les cycles de développement et optimiser les essais cliniques**

En phase clinique, les entreprises pharmaceutiques doivent inclure dans un délai souvent très court des patients souffrant d'une maladie rare, résidant sur des sites géographiques différents,

---

<sup>1</sup> European Commission, Research and Innovation, '[EU Research on Rare Diseases](#)'

<sup>2</sup> [Veeva Pulse Field Trends Report](#)

tout en maîtrisant les coûts. Par chance, l'accélération de la numérisation des essais cliniques par les industriels facilite l'identification des patients dispersés au sein d'une large population tout en modérant les coûts. Une fois qu'ils ont été identifiés et recrutés, il s'agit alors de les maintenir dans l'essai, en particulier des visites sur le site d'investigation clinique sont nécessaires et que leur santé se détériore.

Améliorer le maintien des patients dans les essais, nécessite de proposer grâce aux nouveaux moyens numériques, plusieurs modalités de participation en tenant compte de leur état de santé au quotidien et de leurs préférences personnelles, que ce soit sur site ou à distance. Les technologies numériques mobiles, les résultats rapportés par les patients et les dispositifs de surveillance à distance peuvent aider à suivre les patients dans leurs déplacements et améliorer leur qualité de vie au fil du temps. Mais la technologie doit suivre le rythme de ces développements scientifiques. Les systèmes traditionnels de saisie électronique des données ne permettent plus aux équipes projets en charge des essais cliniques d'avoir une vue d'ensemble, et les gestionnaires de données ne disposent pas des outils nécessaires pour gérer de nouveaux types de données à grande échelle.

Une fois l'essai terminé, une approche intégrée de la technologie et des données pourrait réduire le temps de développement des traitements attendus par les patients atteints de maladie rare. Certaines entreprises accélèrent la mise sur le marché de leurs médicaments en améliorant la collaboration transversale et en travaillant sur la mise en place d'une plateforme unique pour les aspects cliniques, réglementaires, de sécurité et de qualité.

### **La data au service des relations professionnelles sur le terrain**

Dès lors que les entreprises ont reçues l'autorisation de mise sur le marché de leur médicament, il s'agit d'identifier les experts concernés et de développer des relations avec ceux qui contribueront à déterminer la stratégie médicale.

Au sein des entreprises pharmaceutiques et biotechnologiques, les responsables scientifiques régionaux (MSL) doivent gérer des enjeux bien spécifiques tels que l'identification rapide et la prise de contact avec les experts. Pour être efficaces, ils ont besoin d'un point d'accès unique à des informations pertinentes et actualisées sur les centres d'intérêt scientifique en matière de recherche. Dans ce contexte de profusion des données et en raison de leur évolution permanente, les équipes des affaires médicales ont tout intérêt à travailler à partir des données scientifiques les plus à jour.

La phase de lancement réalisée, les équipes commerciales doivent accélérer leur stratégie d'accès au marché. Avec peu de patients pour un chaque traitement, les entreprises doivent utiliser efficacement leurs ressources. Les données peuvent indiquer la voie à suivre, même lorsque les parcours patients sont complexes et variés (comme dans le cas des maladies auto-immunes rares).

Enfin, sensibiliser les professionnels de santé à une maladie rare est essentiel pour réduire le temps de diagnostic. Pour cela, les professionnels de la santé ont besoin d'un accès direct à

l'information - par exemple, une formation sur les symptômes qu'ils peuvent rencontrer afin de mieux les identifier.

### **Relever un défi unique pour proposer au bon patient le bon traitement**

Les défis posés par les maladies rares exigent une approche différente de bout en bout du processus de mise sur le marché d'un traitement. La technologie et la précision des données doivent fonctionner ensemble à chaque étape. Les équipes cliniques, commerciales et d'accès au marché doivent être en mesure de partager des informations et de travailler ensemble plus tôt pour accélérer le processus de lancement. N'ayant aucune marge d'erreur, les entreprises de toutes tailles axées sur ce domaine ont besoin d'une vision précoce de la viabilité du marché pour commercialiser de nouveaux traitements à grande échelle.

Malgré les obstacles, nous avons observé des entreprises innovantes et de premier plan délivrer le bon traitement aux bonnes personnes atteintes de maladies rares grâce à l'utilisation de la technologie et des données. Pour les patients comme pour les professionnels de la santé, la voie vers le traitement des maladies rares est en cours.

#### Références :

1. European Commission, Research and Innovation, 'EU Research on Rare Diseases'
2. Veeva Pulse Field Trends Report