

---

# Le numérique du point de vue des entreprises du médicament

Nathalie Manaud, Directrice  
Innovation - Leem

# Le Leem c'est quoi

Le Leem est l'organisation professionnelle des entreprises du médicament opérant en France. Il a pour mission de :

## REPRÉSENTER

et défendre les intérêts **des 280 entreprises du médicament adhérentes**. Le Leem pilote, à l'échelon national, les actions de défense collective et de valorisation de l'industrie du médicament.



## ACCOMPAGNER

les entreprises adhérentes dans leurs besoins et attentes à l'aide **d'une offre de services et d'expertises plurielle et performante**.



## NÉGOCIER

avec l'État la **politique conventionnelle de fixation et de régulation des prix des médicaments** en France au travers d'un «accord-cadre».



## FAIRE RESPECTER

**l'éthique professionnelle** au sein des entreprises du médicament avec le Codeem (COmité de DEontovigilance des Entreprises du Médicament)



Pour en savoir davantage : [www.leem.org](http://www.leem.org)

leem

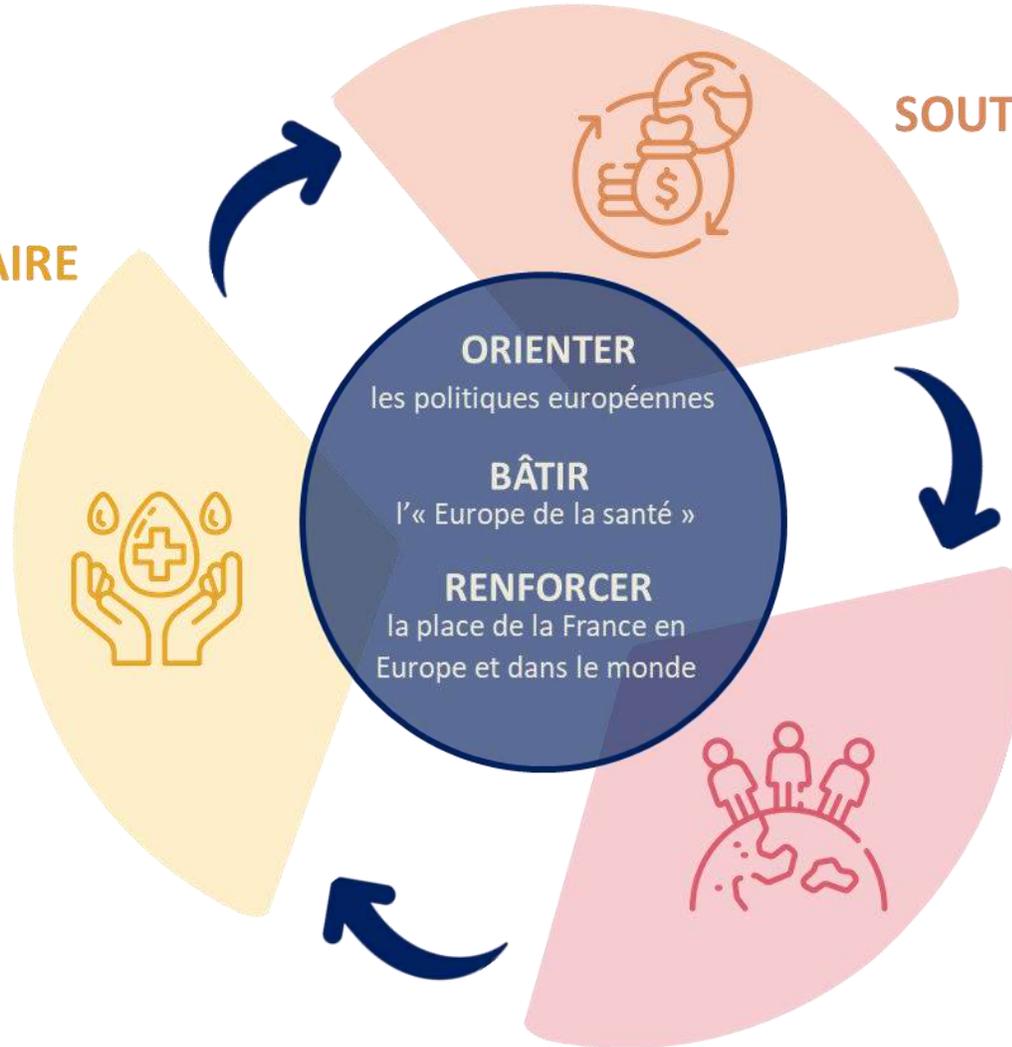
# Notre projet collectif : Soigner l'avenir

## SOUVERAINETÉ SANITAIRE

- Garantir l'accès à tous les médicaments du quotidien, essentiels et l'accès rapide à l'innovation, à la juste valeur

- Construire l'innovation et « les innovations » de demain

- **Bâtir nos ressources humaines pour demain**



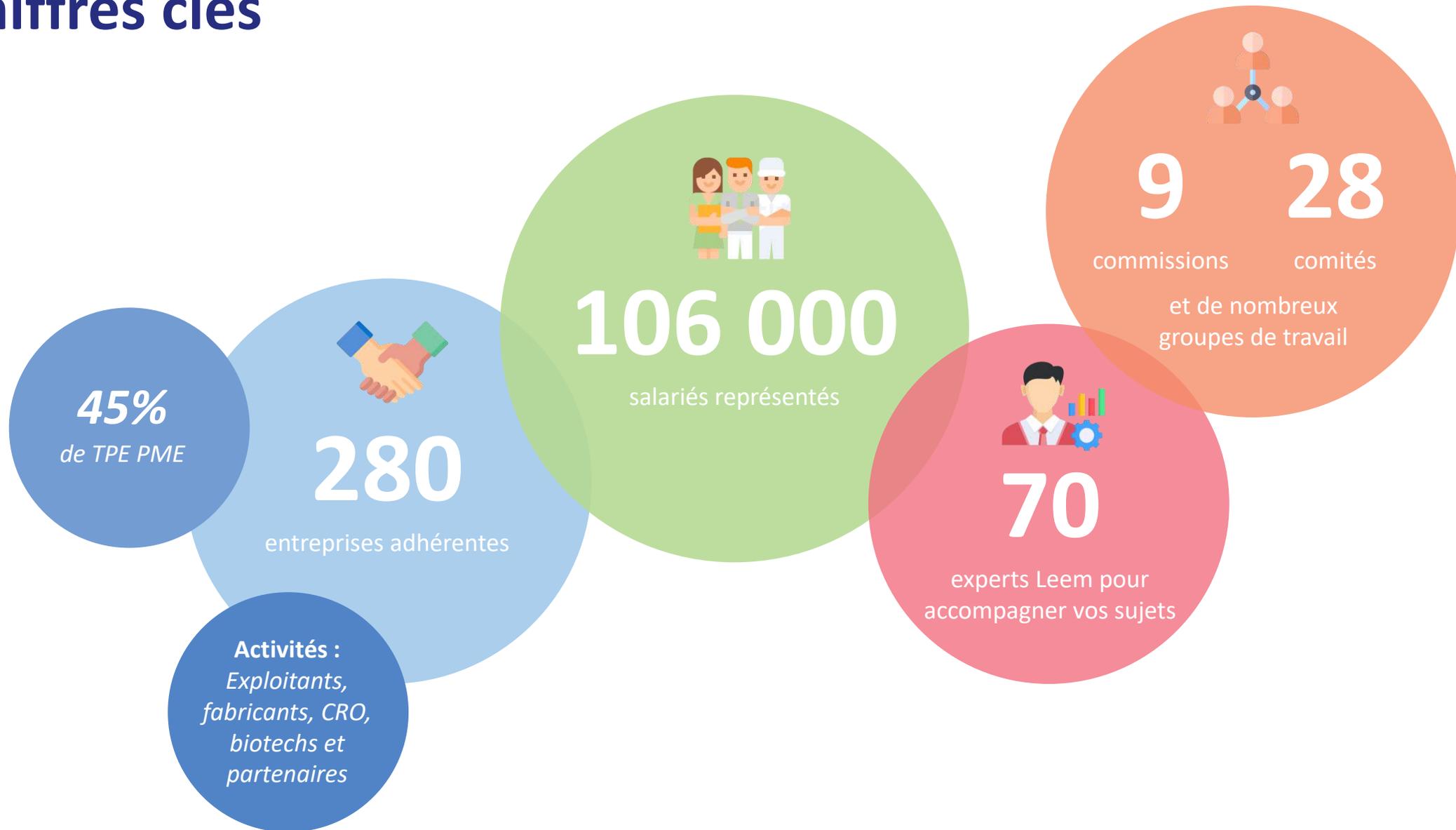
## SOUTENABILITÉ ÉCONOMIQUE

- Disposer de modèles de financement garantissant la soutenabilité économique pour tous et l'acceptabilité des prix
- **Renforcer l'attractivité et la compétitivité de la France**
- Redéfinir « la valeur en santé »

## RESPONSABILITÉ SOCIÉTALE

- **Accélérer les transitions écologique, numérique et industrielle**
- **Reconstruire notre réputation et construire notre contrat social**
- Contribuer aux enjeux de santé publique

# Chiffres clés



# Le numérique | Pour quoi faire ?



**Mieux comprendre les pathologies** (cohortes, modélisation, histoire naturelle de la maladie,..)

Prévalence, déterminants de l'évolution vers d'autres stades, comorbidités et associations, histoire naturelle de la maladie, générer de nouvelles hypothèses, stratifier les patients, ...



**Optimiser et améliorer l'efficacité de la recherche clinique**

Conception : Faisabilité, stratification,  
Méthodologie : Bras virtuel, nouveaux types d'essai, profils de réponse,...  
Réalisation : identification et sélection des centres, faciliter le recrutement, Equité d'accès à l'innovation : essais décentralisés, digitalisation, ...



**Affiner les prévisions : tarification et régulation des produits de santé**

Prévision de vente, gestion des besoins,..  
Efficience du panier de soin



**Accélérer la recherche amont et la recherche préclinique**

Nouvelles hypothèses et stratégies thérapeutiques, modélisations et simulations, Guider la sélection, Prédire et tester l'efficacité et l'innocuité, anticiper les risques, ...



**Mieux apprécier la valeur et les usages en vie réelle** (accès dérogatoires, pharmacovigilance : post inscription,...)

Collecter, enrichir les évaluations et les usages de nouvelles données qui contribuent à améliorer les connaissances (modélisation des pathologies)  
Améliorer les **usages et la sécurité**  
Développer l'accompagnement des usages et du suivi



**Digitaliser les process de production**

## Numérique et santé | Les ingrédients pour y parvenir

- Accès aux données de vie réelle
- Développer et qualifier de nouveaux usages
- Partenariats, compétences et expertises

---

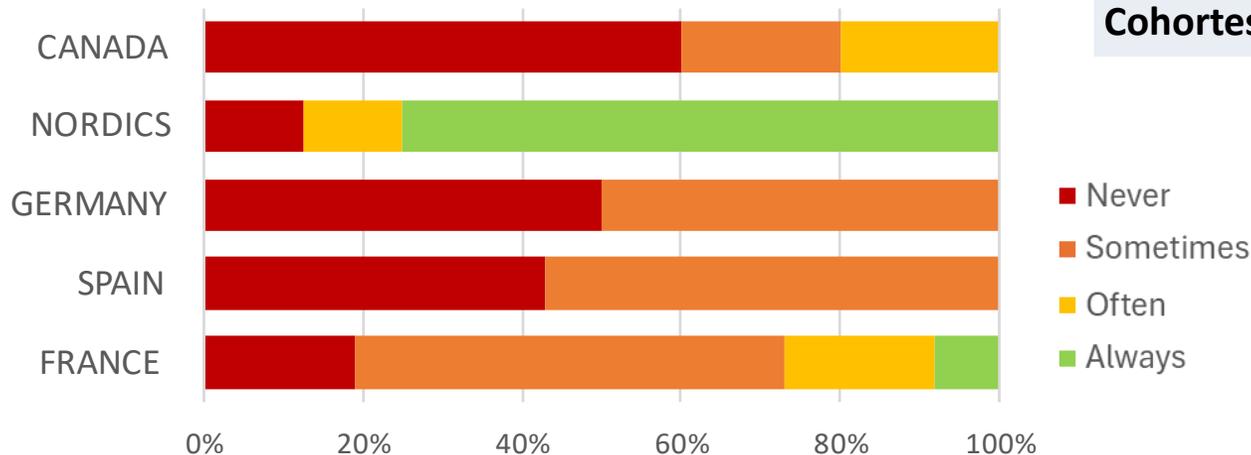
**L'accès aux  
données de vie  
réelle | un enjeu  
d'attractivité pour  
une meilleure  
efficience**

# Attractivité des données de santé | les atouts de la France

- Une base de données unique au monde : le SNDS
- **Une base légale** : Dispositions de la loi informatique et libertés relatives aux traitements de données à caractère personnel dans le domaine de la santé (articles 64 et suivants) => l'utilisation et la réutilisation des données de santé à des fins de recherche sur la base de l'intérêt légitime (article 6(1)(f) du RGPD) et de l'exception « recherche scientifique » (article 9(2)(j) du RGPD).
- **Un cadre de gouvernance et juridique** pour utilisation et la réutilisation des données de santé (CNIL)
  - Des référentiels en santé => recommandations pratiques relatives aux traitements de données de santé les plus usuels.
  - Méthodologies de référence
- Des règles d'accès et un comité d'éthique (CESREES, CSE)
- Une infrastructure d'accès (HDH) : simplification des démarches administratives
- Des expertises

Usages II	Méthodologies de référence & Modalités d'accès
<b>Examens de dossiers médicaux</b>	MR004 / CESREES CNIL (si appariement) Contractualisation avec les centres
<b>PMSI</b>	MR006 + Convention ATIH
<b>SNDS / sniiram</b>	HDH (CESREES + CNIL) + Conventionnement CNAM
<b>Cohortes, registres</b>	MR004 + Conventionnement avec le responsable

Part d'approches de chainage envisagée par pays

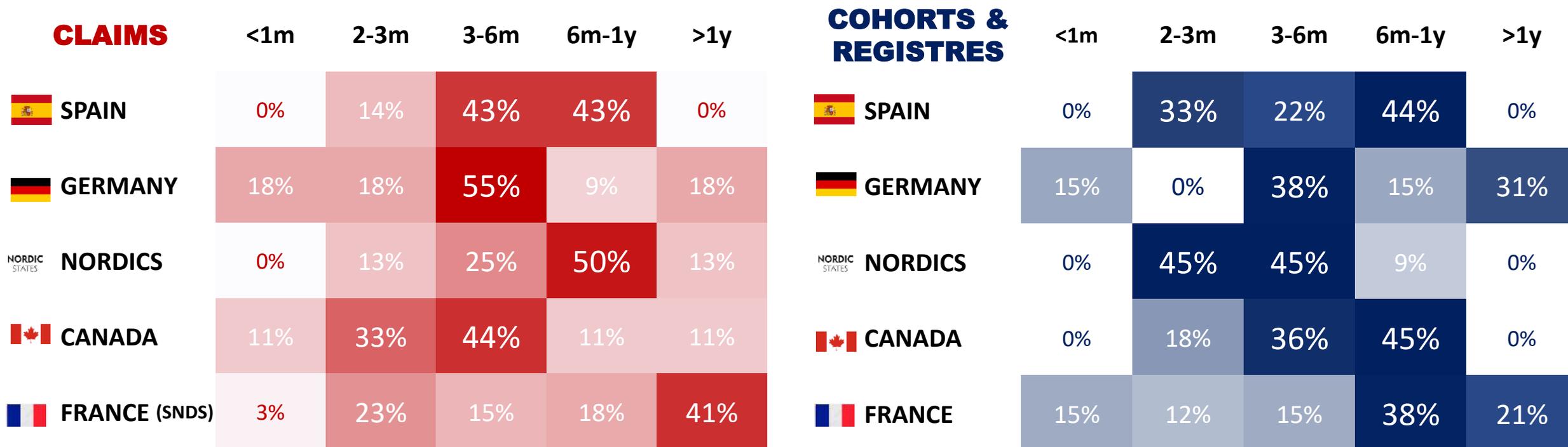


→ Impulsion de la France au niveau européen

# Des délais d'accès qui restent parmi les plus longs

La France est le pays où les délais d'accès aux données remboursées est le plus fréquemment le plus long. Les délais d'accès aux registres et cohortes présentent de grandes disparités.

Délais moyens d'accès aux données par étapes toutes étapes confondues (2021-2023)



59%

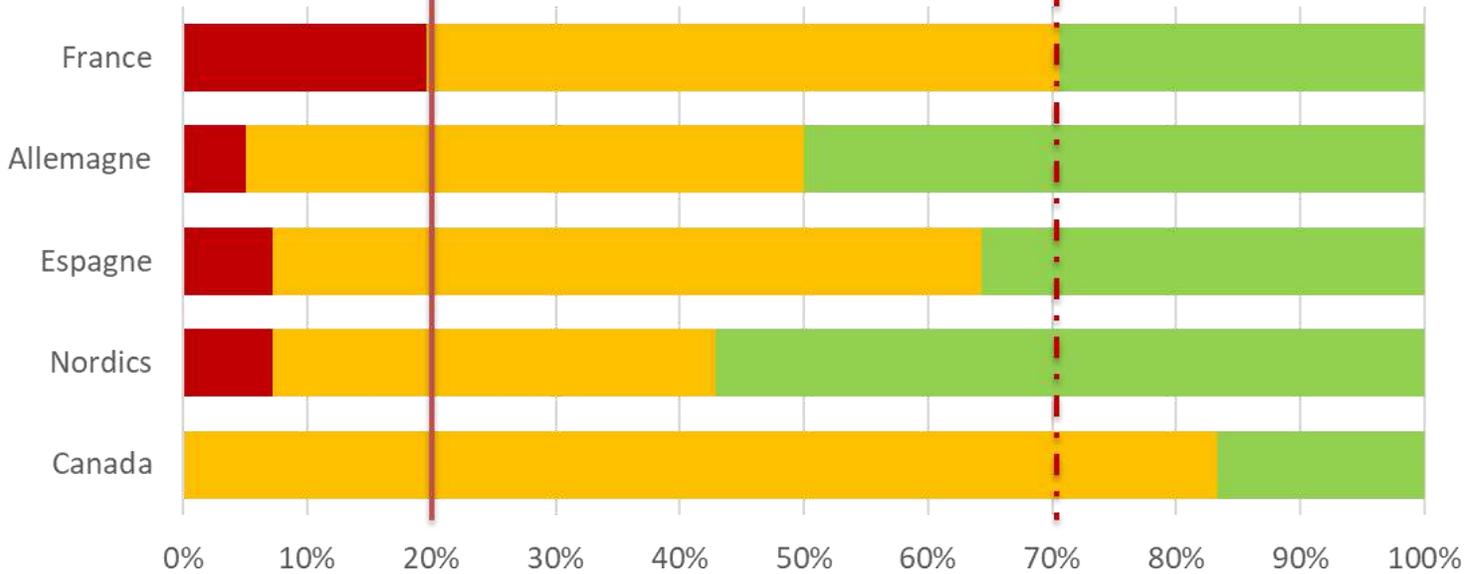
**Notice :** Cet indicateur mesure le délai moyen de chacune des étapes réglementaire, contractuelle ou mise à disposition. Il ne permet pas en l'état d'apprécier laquelle de ces trois étapes est la plus limitante. Ces délais sont pris séparément, chacun de ces délais n'étant pas lié à un projet particulier. Une étape pouvant aller plus vite qu'une autre.

Ainsi par ex pour 41% des industriels l'une des étapes d'accès aux données du SNDS a pris plus d'une année.

# Risque de perte d'attractivité de la France |

L'Espagne qui a déjà pris le lead il y a peu sur les essais cliniques, enregistre le plus grand nombre de projets par industriel en 2021-2023 quelle que soit la typologie de données considérée

Claims, Cohortes & registres waiver



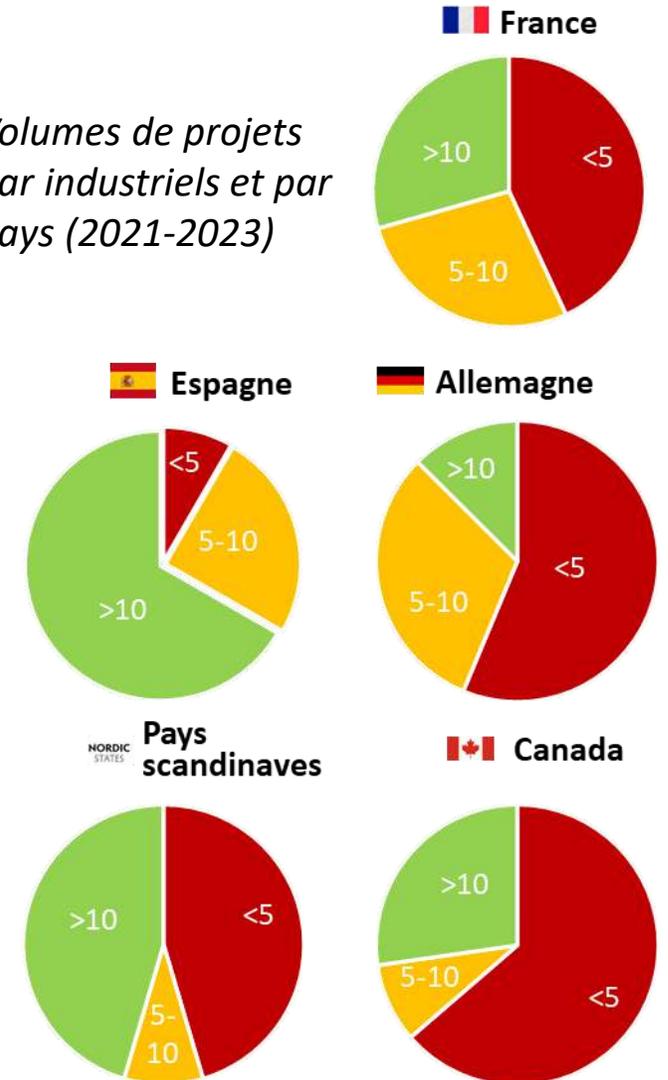
Fréquence de renoncement à tout ou partie des projets

- Often
- Sometimes
- Never



**Délais et Qualité**  
(=capacité des données à répondre la question posée)

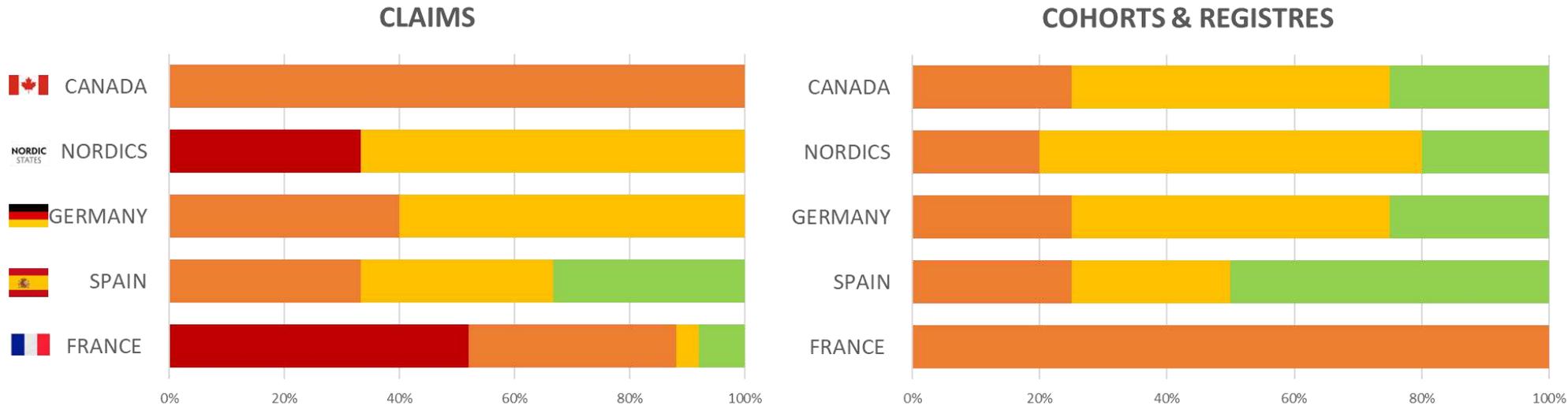
Volumes de projets par industriels et par pays (2021-2023)



**Notice :** chaque industriel interrogé a précisé la fréquence de renonciation à tout ou partie de ces projets d'études en vie réelle, sans que les raisons de ces renoncements n'aient été précisés.

# Comment mieux tirer parti des atouts de la France | Etudes de faisabilité

- Never
- Sometimes
- Often
- Always



Fréquence de mise en œuvre d'études de disponibilité selon les pays

Pourcentage d'études issues de cohortes ou registres publiées (revues à comité de lecture) ou présentées lors de conférences scientifiques

Cohortes	<25%	25-50%	50-75%	>75%
spain	0%	0%	25%	75%
Germany	20%	0%	0%	80%
Nordics	0%	0%	0%	100%
Canada	0%	0%	25%	75%
France	55%	9%	0%	36%

■ <25% ■ 25-50% ■ 50-75% ■ >75%

## Logique partenariale

- Développer des offres de Data-check minimal
- Bac à sable pour consolider des projets
- Accroissement des usages

# Des propositions portées dans la Stratégie nationale sur les données de santé

- **Priorité 1 : Co-construire la stratégie pour un écosystème nationale attractif et compétitif**
  - **Associer les industriels au Costrat** → Lettre adressée aux ministres
  - Et aux travaux visant à l'élaboration de modèles harmonisés d'accès aux données et de grilles tarifaires
- **Priorité 2 : Délais d'accès aux données**
  - Cibler un **délai d'accès aux données de 5 mois pour le SNDS** (une fois la solution transitoire mise en place dans ~1 an)
  - Définir conjointement **les jalons intermédiaires et une révision de ce calendrier**
  - Instruire la faisabilité de **déléguer au porteur de projet la responsabilité de la minimisation des données extraites** (rapport JMA)
  - Calibrer les besoins en **RH pour permettre un usage optimum du SNDS** (ex : appariements à la CNAM, étape la plus impactante sur les délais) et instruire avec les parties prenantes les conditions de la soutenabilité du dispositif dans le respect des prérequis définis
- **Priorité 3 : Stimuler l'usage secondaire des données de santé**
  - Préparer les conditions pour permettre une **faisabilité préalable avec les producteurs de données** (2025) : aménager le cadre réglementaire (2025), réalisation de tests sur quelques cas d'usages (fin 2025-2026), systématisation (2026)
  - Faciliter **l'usage du NIR pour les appariements** ce qui implique la formation de l'écosystème aux circuits NIR

---

**Développer et  
implémenter de  
nouveaux usages**

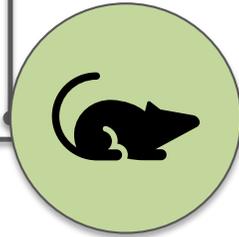
# Usages réels et potentiels de l'IA

## Recherche



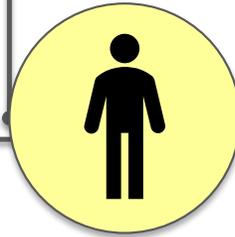
- Modélisation
- Identification de cibles
- Sélection de candidats
- Biomarqueurs digitaux
- Besoins non couverts

## Etudes préclinique

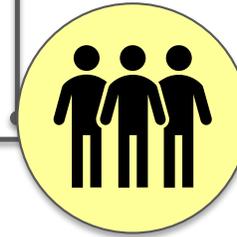


- Anticiper les risques
  - 3R
  - PK/PD,
  - Etudes de toxicité

## Etudes cliniques



- Efficacité et tolérance
- Biomarqueurs digitaux
- Stratification des patients
- Médecine personnalisée



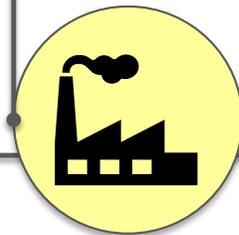
- Suivi et prévision des inclusions
- Optimiser la sélection (patients et centres)
- Simulation efficacité
- Génération de données manquantes
- Bras virtuels, données synthétiques
- Décentralisation et Equité d'accès

## Suivi post AMM

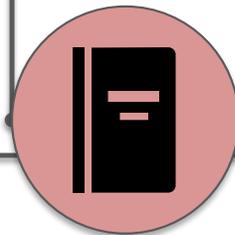


- Suivi des usages
- Pharmacovigilance  
détection de signaux faibles

## Production



## Informations produits



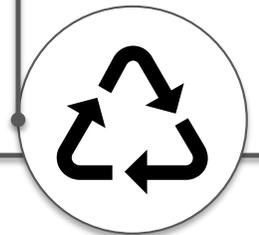
- Aide à la prescription /  
médecine personnalisée

## Approvisionnements



- Prévion de ventes
- Gestion des demandes clients  
et des approvisionnements

## Cycle de vie



# Les innovations numériques et technologiques transforment le processus de développement

## Essais cliniques initiés 2022-mi 2023 :

- **77%** des essais utilisent des biomarqueurs
- **13%** des essais cliniques européens et Français présentent une approche innovante : design, méthodologie, décentralisation

**Essais-basket** : un même traitement dans différents types de cancers avec le même type d'altération moléculaire

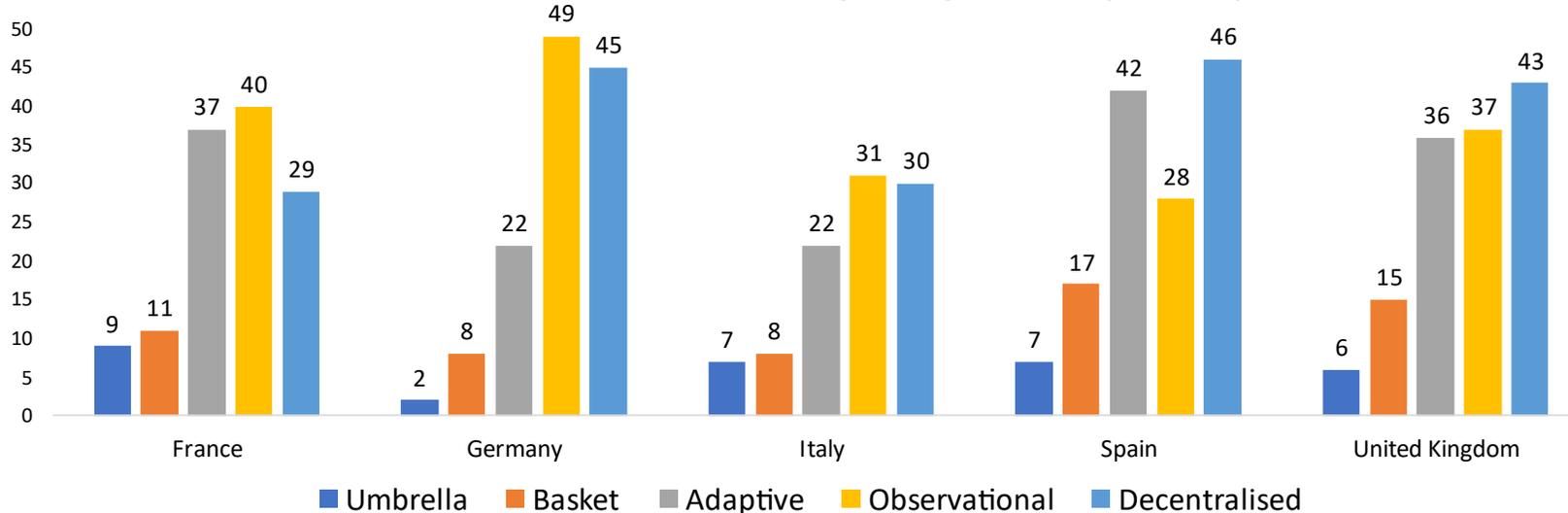
**Essais parapluie** : plusieurs types de traitements ciblant des cibles moléculaires différentes dans un seul type de cancer (en fonction des mutations observées).

**Essais adaptatifs** : évolution des comparateurs en fonction des résultats statistiques intermédiaires

**Essais observationnels** : recueil de données de pratique courante, vie réelle, pour compléter un essai

**Essais décentralisés** : l'essai au patient

Count of Clinical Trials with Innovative Designs, segmented by Country (2022-2023)



## Décentralisation

**97%**  
d'augmentation de l'intérêt des patients avec un essai décentralisé

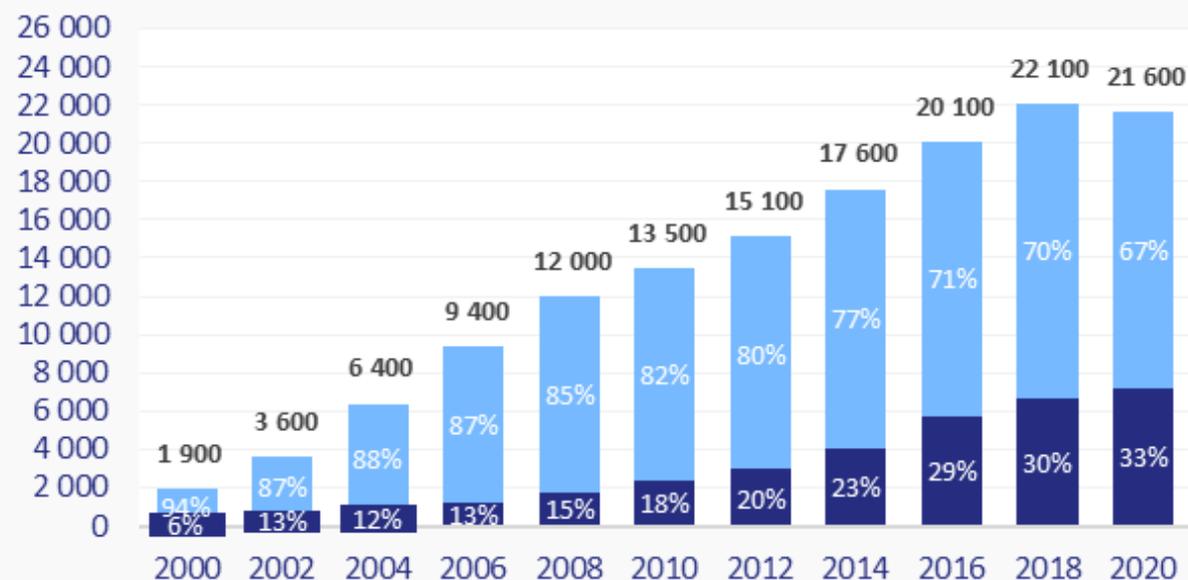
**79%**  
des investigateurs estiment que la qualité des données peut être meilleure

**30-50%**  
de réduction du temps de recrutement

# Les innovations numériques et technologiques transforment le processus de développement

Evolution des essais cliniques dits innovants<sup>1</sup> vs. autres essais, 2000-2020<sup>(1)</sup>

Nombre d'essais cliniques lancés par année



TCAM<sup>2</sup>  
2000-2020

TOTAL	+13%
Autres essais	+11%
Essais cliniques innovants <sup>1</sup>	+23%

## <sup>1</sup> Les essais cliniques dits innovants incluent l'un des types de technologies suivants :

- > Technologies d'analyse (intelligence artificielle, blockchain, biomarqueur<sup>3</sup>, etc.) – 55% des essais cliniques dits innovants<sup>4</sup>
- > Technologies connectées (smartwatches, applications mobiles, etc.) – 39% des essais cliniques dits innovants<sup>4</sup>
- > Technologie de télémédecine (téléconsultations, homecare, surveillance à distance, etc.) – 5% des essais cliniques dits innovants<sup>4</sup>
- > Technologies de pilotage (formulaires électroniques de rapport de cas e-CRF, e-consentement, etc.) – 1% des essais cliniques dits innovants<sup>4</sup>

# Les innovations numériques transforment les modalités de développement | Essais in silico

Annonce façon précise et prospective des résultats d'un essai international de phase III avant leur publication par l'industriel

Sans que celui-ci ait été associé à cette simulation.

Une prédiction qui a nécessité **1 mois de travail vs un essai international de phase III de plus de 3 ans.**

Date  
LYON, FRANCE et NEW YORK, USA  
14 sept. 2023

**nova**  
DISCOVERY



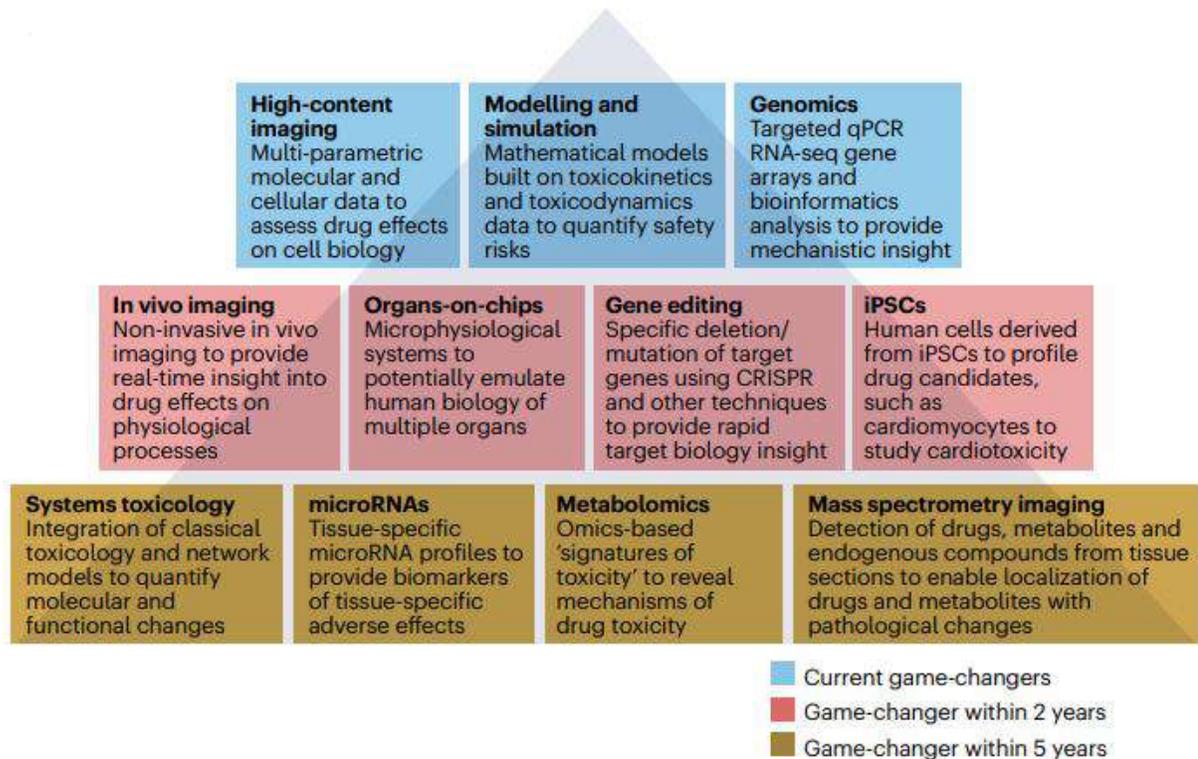
## Novadiscovery et les Hospices Civils de Lyon prédisent les résultats d'un essai clinique de phase III grâce à l'IA

Succès pour la collaboration entre les Hospices Civils de Lyon et Novadiscovery, dont les travaux sur l'intelligence artificielle ouvrent la voie à une nouvelle conception des essais cliniques pharmaceutiques. La modélisation d'un essai clinique de phase 3 a permis, pour la première fois au monde, de prédire ses résultats, avec précision et fiabilité, avant leur communication publique.

Sources : <https://teamhcl.chu-lyon.fr/novadiscovery-hcl-predisent-resultats-essai-clinique>

# Mais des innovations qui doivent cependant être validées

*Assessment of the 'game-changing potential' of novel assays and technologies in investigative toxicology*



- **Recherche en toxicologie expérimentale** => Collecte de données sur la performance de ces types d'essais et leurs impacts afin de justifier le choix de certains tests et leur valeur ajoutée dans le processus de développement.
- **Besoin d'harmonisation et d'analyse de la valeur** => **Projets partenariaux / Initiative européenne pour les médicaments innovants (IHI)** Partenariats public-privé (eTOX, eTRANSafe, TransQST, TransBioLine, SafeSciMet).

*Sources : The evolving role of investigative toxicology in the pharmaceutical industry (Pognan et al., Nature Reviews Drug Discovery, Volume 22, April 2023, 317–335)*

# Enjeux associés l'IA pour les entreprises du médicament



Enjeux techniques et scientifiques

Qualité, disponibilité et captation des données

Démonstration de la plus-value des solutions d'IA

Besoin de personnes qualifiées pour développer les solutions



Enjeux juridiques & réglementaires

Evaluation des solutions numériques comprenant de l'IA

Protection de la donnée



Enjeux socio-culturels & économiques

Appropriation de l'IA par le corps médical et les patients/usagers

Règles éthiques encadrant l'IA

Volonté des entreprises à intégrer l'IA

Développement de l'IA dans le secteur de santé français

---

**Compétences,  
expertises et  
partenariats**

# Compétences et partenariats

- Stimuler et faciliter la recherche partenariale  
Pour accroître l'attractivité de la France
- Notamment en lien avec le numérique
  - Pour développer de nouveaux usages
  - Pour évaluer les nouvelles approches
  - Pour utiliser et appréhender ces nouvelles approches

- Mieux connaître et valoriser les atouts de la France
  - Expertises différenciantes, infrastructures, échantillons, données ...
  - Etre mieux connecté sur la recherche académique (santé + technologique + numérique) et les biotechs
- Stimuler et faciliter la recherche partenariale





# Guide “Première connexion : la *check-list* ultime d’un partenariat réussi”



Responsabilité  
sociale

**Optimiser les collaborations**  
entre les start-ups du  
numérique en santé et les  
entreprises du médicament

**Accélérer la mise sur le  
marché** de solutions  
numériques en santé pour les  
patients, aidants et  
professionnels

Elaboré par  
**leem**

Co-construit avec  
france  
biotech



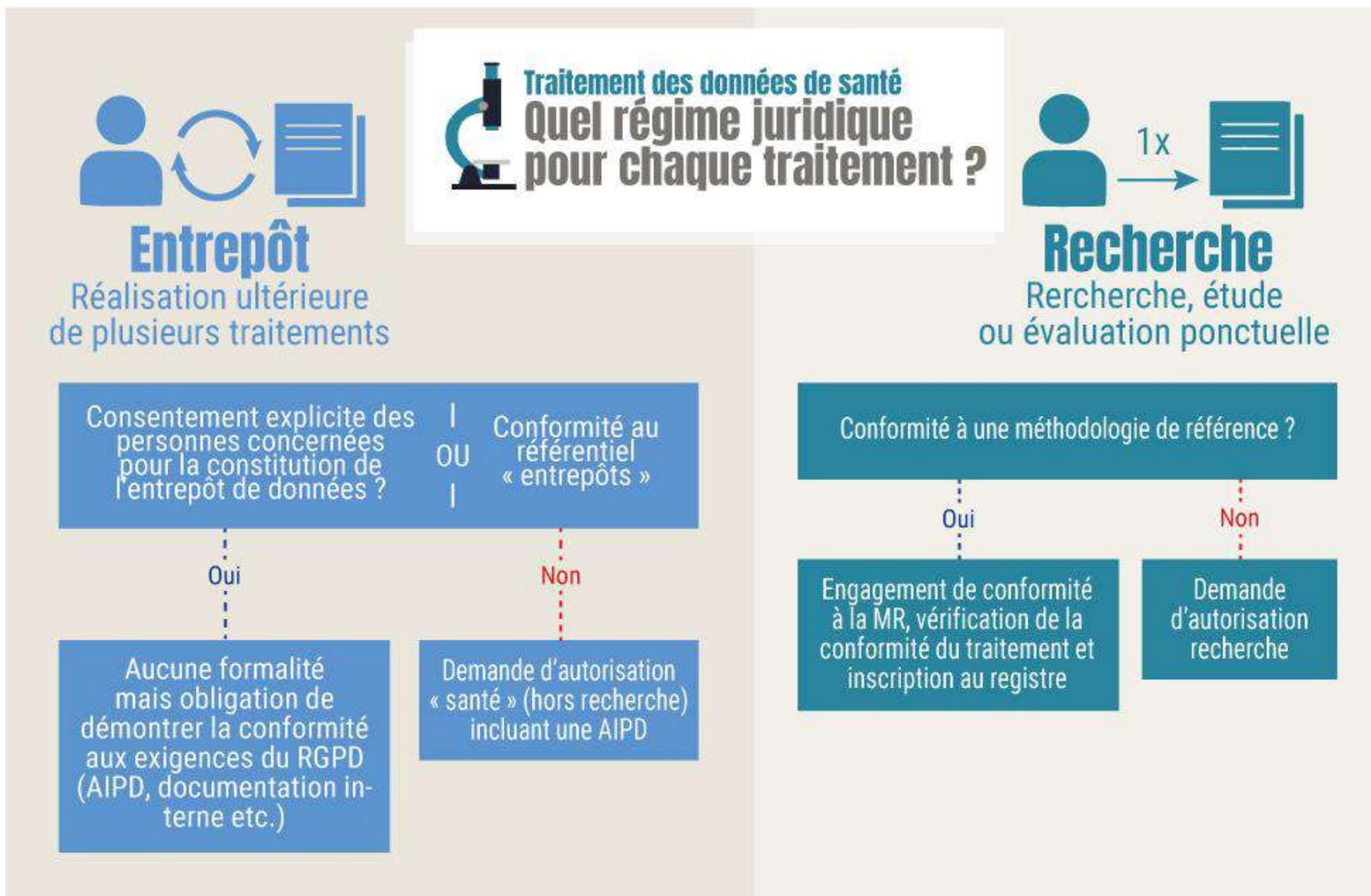
Télécharger le guide



---

**Merci de votre  
attention**

Les entrepôts de données sont créés principalement pour collecter et disposer de données massives (données relatives à la prise en charge médicale du patient, données socio-démographiques, données issues de précédentes recherches, registre de pathologies, etc.)



# Cadre juridique et réglementaire

Une fois la qualification de données de santé retenue, un régime juridique particulier justifié par la sensibilité des données s'applique. La liste, ci-dessous, propose un aperçu des différentes législations susceptibles de s'appliquer (cette liste n'étant pas exhaustive, il est nécessaire de procéder à une analyse au cas par cas) :

- loi Informatique et Libertés (art. 8 et chapitre IX) ;
- dispositions sur le secret (art. L. 1110-4 du CSP) ;
- dispositions relatives aux référentiels de sécurité et d'interopérabilité des données de santé (art. L. 1110-4-1 du CSP) ;
- dispositions sur l'hébergement des données de santé (art. L. 1111-8 et R. 1111-8-8 et s. du CSP) ;
- dispositions sur la mise à disposition des données de santé (art. L. 1460-1 et s. du CSP) ;
- interdiction de procéder à une cession ou à une exploitation commerciale des données de santé (art. L. 1111-8 du CSP, art. L 4113-7 du CSP)...