

# *Dossier de presse*

*UNICANCER et Roche lancent le programme Epidémiologie-Stratégie Médico-Economique (E.S.M.E), avec la constitution d'une base de données de vie réelle dans le cancer du sein métastatique*

Le 7 octobre 2014

## **Contacts presse :**

Gisèle Calvache  
Roche SAS  
Tél. : +33 (0)1 47 61 40 12  
Mobile : + 33 (0)6 14 44 52 39  
gisele.calvache@roche.com

Viviane Tronel  
UNICANCER  
Tél. : +33 (01 76 64 78 00  
Mobile : + 33 (0)6 22 19 92 58  
v-tronel@unicancer.fr

Catherine Gros  
PRPA  
Tél. : +33 (0)1 46 99 69 60  
catherine.gros@prpa.fr

Sophie Matos  
PRPA  
Tél. : +33 (0)1 77 35 60 98  
sophie.matos@prpa.fr

# Sommaire

## **L'essentiel.....3**

- Un premier partenariat entre UNICANCER et Roche pour rassembler les données anonymisées de 40 000 patientes atteintes d'un cancer du sein métastatique
- L'analyse de données de vie réelle : mieux comprendre les pratiques pour mieux prendre en charge les patients

## **ESME : un programme ambitieux de recueil et d'analyse de données de vie réelle ....5**

- Evaluer les différentes stratégies de traitement du cancer du sein métastatique
- Faciliter la prise de décision quant au choix de la meilleure option thérapeutique
- Partager les données de santé : quels enjeux ?

## **L'engagement d'UNICANCER.....8**

- UNICANCER agit pour améliorer la prise en charge des cancers
- Données en vie réelle : UNICANCER s'engage dans un champ de recherche innovant

## **L'engagement de Roche..... 10**

- Roche apporte son soutien financier pour permettre la constitution et la maintenance de la base ESME...
- ... Et obtenir des réponses sur l'utilisation et le bénéfice apporté aux patients par ses médicaments en vie réelle
- Avoir des données robustes sur la valeur apportée par les médicaments de Roche...
- ... Pour, à terme, réfléchir avec les autorités de santé à la mise en place de nouveaux modes de financement adaptés aux défis de la cancérologie

# L'essentiel

## **Un premier partenariat entre UNICANCER et Roche pour rassembler les données anonymisées de 40 000 patientes atteintes d'un cancer du sein métastatique**

UNICANCER et Roche s'engagent dans un partenariat pour permettre la constitution d'une base de données relatives à la maladie et au traitement de 20 000 patientes atteintes d'un cancer du sein métastatique, prises en charge au sein du réseau des 20 centres français de lutte contre le cancer (CLCC) entre 2008 et 2013. Ce partenariat se poursuivra jusqu'en 2019, date à laquelle la base « ESME » (Epidémio-Stratégie Médico-Economique) rassemblera alors les données de 40 000 patientes prises en charge entre 2008 et 2017.

### **Des bénéfices pour tous et pour les patients en premier lieu**

De nombreuses questions se posent quant au choix de la meilleure option pour chaque patient. La collecte et l'analyse de ces données de vie réelle visent à décrire la réalité de la prise en charge dans les CLCC réunis au sein d'UNICANCER, ceci afin d'évaluer l'impact des stratégies thérapeutiques dans le cancer du sein métastatique. Les informations recueillies permettront également de mieux comprendre les pratiques et de les améliorer. Pour les pouvoirs publics, ESME apportera un éclairage sur l'utilisation des traitements contre le cancer.

*« Le programme ESME est, par sa taille et par les résultats qui en découleront, un projet d'ampleur nationale qui devrait largement bénéficier à tous les patients. Il s'inscrit dans la droite ligne de la stratégie d'UNICANCER qui consiste à employer la force du réseau des Centres de lutte contre le cancer pour innover dans la prise en charge du patient. »*

Pr Josy Reiffers, président d'UNICANCER, directeur général de l'Institut Bergonié, CLCC de Bordeaux

*« Un protocole d'étude clinique n'est pas du tout la vraie vie. Avec le programme ESME, on ouvre un champ de recherche immense avec au final la possibilité de mieux connaître et mieux comprendre les pratiques afin d'améliorer encore la prise en charge de nos patients. Le programme a d'ailleurs reçu un accueil très favorable à la fois de la HAS, l'INCa et de l'ANSM. »*

Christian Cailliot, directeur de la recherche d'UNICANCER et à l'initiative du programme ESME.

### **Une adhésion de tous les Centres de lutte contre le cancer**

Les Centres de lutte contre le cancer sont des établissements de santé privés, à but non lucratif, exclusivement consacrés à la prise en charge, à la recherche et à l'enseignement en cancérologie. Ils prennent en charge plus de 100 000 patients par an, dont 30 000 femmes atteintes d'un cancer du sein, soit 30% des femmes ayant un cancer du sein en France. Les 20 Centres de lutte contre le cancer participent au programme ESME. Ce programme leur permettra de disposer de données de vie réelle exhaustives et structurées issues d'informations accessibles notamment dans les dossiers médicaux des patients. Ce sera la première fois en France que la communauté médicale et scientifique disposera des données de vraie vie aussi vastes et solides sur le cancer du sein métastatique.

*« Le programme ESME permet un état des lieux des prescriptions innovant, indépendant, sur l'ensemble des centres de lutte contre le cancer et à visée prospective. »*

Pr Pierre Fumoleau, vice-président d'UNICANCER et directeur général du Centre Georges François Leclerc, centre de lutte contre le cancer (CLCC) de Dijon.

*« Le programme ESME d'UNICANCER est la première approche médico-économique du médicament anti-cancéreux à grande échelle, approche ambitieuse du médicament dans sa vraie vie, en vue d'améliorer les pratiques dans et hors des CLCC et de faire avancer la recherche à partir d'hypothèses nouvelles. »*

Pr François-Régis Bataille, président du comité stratégique recherche d'UNICANCER, directeur général de l'Institut de cancérologie de l'Ouest (CLCC, Angers/ Nantes).

### **Roche, premier laboratoire partenaire**

En s'associant à R&D UNICANCER pour la constitution et la maintenance de la base ESME jusqu'en 2019, Roche est le premier laboratoire pharmaceutique à soutenir cette initiative ambitieuse.

Roche souhaite avoir une vision plus précise de l'utilisation de ses molécules en « vraie vie ».

*« En soutenant le programme ESME, nous pourrions mieux comprendre les bénéfices apportés aux patients par nos médicaments. En clair, nous voulons apporter la preuve que le service médical rendu de nos médicaments est bien là. »*

Corinne Le Goff, Présidente de Roche France.

Roche est une entreprise d'innovation, qui investit fortement dans la R&D y compris en France : recherche préclinique et translationnelle au travers d'une soixantaine de partenariats publics-privés et recherche clinique, avec 29 000 patients inclus dans 327 essais et 90 millions € investis en 2013. N°1 en oncologie et N°1 à l'hôpital en France, Roche a mis et mettra encore prochainement à la disposition des cancérologues et des patients plusieurs thérapies ciblées dans le cancer du sein. Pour toutes ces raisons, il était naturel que Roche soutienne UNICANCER dans cette approche innovante.

### **L'analyse de données de vie réelle : mieux comprendre les pratiques pour mieux prendre en charge les patients**

ESME apporte une réponse à l'objectif 15 du Plan cancer 3 : « appuyer les politiques publiques sur des données robustes et partagées ».

Les données colligées concernent les caractéristiques et le devenir du patient, de sa maladie (nombre de sites métastatiques, localisation, type histologique, grade histopronostique, anomalies moléculaires pertinentes...) et des traitements (type, protocole, modalités d'administration...).

*« Le programme ESME propose un nouveau concept d'évaluation des produits et des pratiques. Grâce à ce programme, les Centres de lutte contre le cancer pourront partager leurs données pour répondre à des questions scientifiques et médicales. Il permettra également aux autorités sanitaires de disposer de données de vie réelle pour les aider dans leur mission d'évaluation et aux industriels de poser des questions sur une base indépendante. »*

Pascale Flamant, déléguée générale d'UNICANCER.

La base ESME appartient intégralement et exclusivement à UNICANCER. Aucune intervention de Roche, ou de tout autre partenaire futur n'est autorisée et ce de façon contractuelle. C'est à la fois le souhait de Roche et d'UNICANCER que de laisser une indépendance totale à R&D UNICANCER dans la collecte et l'utilisation des données. Les 20 CLCC auront accès aux données exhaustives de leur centre.

En tant que partenaire, Roche peut poser des questions (sur ses médicaments uniquement) et obtenir des réponses sous la forme de données agrégées anonymisées, après validation de la recevabilité de la demande par le comité scientifique ESME.

## Une volonté d'élargir ce programme à d'autres cancers, partenaires et établissements

UNICANCER va collaborer avec tout autre partenaire industriel souhaitant participer à la réalisation de cette base de données, sur ce premier projet dans le cancer du sein métastatique, mais aussi à d'autres stades de la maladie ou dans d'autres cancers.

« Il y a déjà un énorme travail d'agrégation des données de tous les CLCC, mais il pourrait être rapidement discuté dans une prochaine étape d'élargir le programme ESME aux CHU/CHG/établissements privés souhaitant y participer », précise Christian Cailliot.

- Le programme ESME pourrait permettre d'homogénéiser les pratiques médicales et d'éclairer les pouvoirs publics sur l'utilisation des traitements contre le cancer.
- Il bénéficiera ainsi aux patients, aux pouvoirs publics et à la communauté scientifique et médicale.

## ESME : un programme ambitieux de recueil et d'analyse de données en vie réelle

Le programme ESME - Epidémiologie-Stratégie Médico-Economique - consiste à créer et exploiter une base de données en vie réelle relative à la maladie et à son traitement pour des patients atteints de cancer et pris en charge dans les 20 centres français de lutte contre le cancer (CLCC). La conception et la maîtrise d'œuvre sont menées exclusivement par R&D UNICANCER, le département scientifique d'UNICANCER. Ce programme a reçu un accueil très favorable des différentes institutions impliquées dans la prise en charge des cancers, notamment l'Institut National du Cancer (INCa), la Haute Autorité de Santé (HAS) et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

Dans un 1<sup>er</sup> temps, à partir d'octobre 2014, R&D UNICANCER rassemblera dans la base ESME les données rétrospectives de l'ensemble des cas de cancers du sein métastatiques traités dans un CLCC entre 2008 et 2013.

Ce travail devrait être finalisé mi 2015 au plus tard.

Par la suite, R&D UNICANCER mettra cette base à jour chaque année en y intégrant les données rétrospectives des patientes traitées dans les CLCC. Ainsi, en 2019, tous les cancers du sein métastatiques traités dans un CLCC entre 2008 et 2017 soit environ 40 000 cas seront centralisés dans une même base de données.

Toutes les analyses effectuées sur la base ESME seront préalablement soumises à un comité scientifique ESME de R&D UNICANCER, composé d'oncologues médicaux et de méthodologistes. Un comité institutionnel ESME, réunissant des représentants des principales institutions publiques impliquées dans la prise en charge du cancer (INCa, HAS, ANSM...) est également en cours de constitution.

### ESME en chiffres

- Les 20 Centres de Lutte Contre le Cancer sont impliqués
- 30% des femmes atteintes d'un cancer du sein sont traitées dans les CLCC
- Dans un 1<sup>er</sup> temps, la base rassemblera les données rétrospectives de 20 000 patients traités entre 2008 et 2013
- A terme, ESME regroupera les données de 40 000 patients atteints d'un cancer du sein métastatique et traités entre 2008 et 2017
- Plus d'une centaine de personnes sont directement impliquées dans ce programme : oncologues, pharmaciens, datas managers, ARC codeurs médicaux, administrateur de base de données, médecin épidémiologiste...

Le programme ESME a reçu l'autorisation de la CNIL le 18 octobre 2013. Au-delà d'être une obligation légale, l'accord de la CNIL permet de s'assurer que les données de santé sont utilisées de façon éthique et garantit la protection de l'anonymat des données des patients (seules des statistiques agrégées pourront être communiquées sous forme de rapports).

A terme, le souhait de R&D UNICANCER est d'étendre le programme ESME à d'autres établissements que les CLCC. Cependant, 30% des patientes françaises traitées pour un cancer du sein sont prises en charge dans les CLCC, ce qui est suffisamment représentatif pour extrapoler à l'ensemble des patientes traitées pour un cancer du sein.

### **Evaluer les différentes stratégies de traitement du cancer du sein métastatique**

La collecte et l'analyse de ces données visent à décrire la réalité de la prise en charge des patients dans les CLCC réunis au sein d'UNICANCER, afin d'évaluer l'impact des stratégies thérapeutiques dans le traitement du cancer du sein métastatique.

Ces données pourront servir de multiples objectifs, tels que :

- L'étude des déterminants de la prise en charge (caractéristiques du cancer, caractéristiques du patient, thérapies disponibles...);
- La description des complications reportées dans les dossiers ayant conduit à une modification de la prise en charge thérapeutique ;
- La description des caractéristiques des patients inclus dans un essai clinique ;
- L'étude de la représentativité des patients traités dans un CLCC pour la réalisation d'un modèle d'extrapolation des données à l'ensemble de la population des patients pris en charge pour un cancer du sein métastatique dans d'autres établissements ;
- L'évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge des patients traités pour un cancer du sein métastatique.

### **Faciliter la prise de décision quant au choix de la meilleure option thérapeutique**

L'hétérogénéité de la maladie métastatique, la meilleure compréhension du rôle d'anomalies moléculaires impliquées dans le processus de cancérogénèse, l'arrivée de nouvelles thérapies ciblées conduisent à des stratégies thérapeutiques diversifiées. De nombreuses questions se posent ainsi quant au choix de la meilleure option pour chaque patient. Disposer de données en vie réelle, et de plus sur une période de plusieurs années, contribuera à mieux évaluer les thérapeutiques, enjeu majeur pour une meilleure prise en charge des patients.

UNICANCER pourra également produire des rapports à destination des institutions de santé qui en feront la demande. Ces institutions pourront ainsi tenir compte de la réalité de la prise en charge thérapeutique pour une prise de décision optimale, en accord avec les objectifs de santé et les contraintes économiques.

## **Données provenant des essais cliniques, registres, cohortes, données en vie réelle : quelles différences ?**

- **Essai clinique** : Observation des effets d'une molécule dans une population sélectionnée en fonction de critères stricts bien définis, avec objectifs exclusivement déterminés à priori (critères d'inclusion, critères de non inclusion). Les paramètres recueillis sont définis spécifiquement selon des standards des essais cliniques. Les données sont extrêmement contrôlées.
- **Registre** : Recueil continu et exhaustif sur une population définie de données nominatives à visée de recherche épidémiologique (ex : Francim, réseau des registres français des cancers). Les paramètres sont limités en nombre et les valeurs sont peu contrôlables à posteriori (nombreuses données manquantes par exemple)
- **Cohorte** : Etude prospective observationnelle au sein d'une population sélectionnée pour répondre le plus souvent à des objectifs définis à priori. Les cohortes permettent de mesurer la survenue d'évènements de santé dans le temps au sein d'une population bien définie (environ 200 cohortes en France).
- **Données en vie réelle** : Recueil des données directement à la source de la donnée (dossier médical et dossier patient) permettant de mesurer dans les conditions réelles d'utilisation (« vraie vie ») l'ensemble des paramètres cliniques et thérapeutique reportés de façon standard. Ces paramètres sont aussi un reflet de la relation médecin patient à travers les éléments de sa prise en charge indiqués dans le dossier patient. Les données de vraie vie n'ont pas les mêmes limitations que les données d'essais cliniques et en sont complémentaires. De façon imagée, nous pourrions dire que les essais cliniques et les cohortes seraient des « zooms » (images très détaillées mais avec une vision rétrécie de la réalité) et les données de vraie vie seraient un « grand angle » (image peu détaillée mais avec une vision beaucoup plus large de la réalité).

## **Partager les données de santé : quels enjeux ?**

Dans son rapport du 9 juillet 2014, la Commission open data en santé indique que l'ouverture des données de santé anonymes vise quatre objectifs stratégiques :

- contribuer à la démocratie sanitaire ;
- permettre l'autonomisation du patient ;
- renforcer l'efficacité de l'action publique ;
- stimuler la croissance et l'innovation.

ESME n'a pas vocation à être accessible à tous (données en vie réelle et non open data) mais pourrait permettre de répondre à ces objectifs stratégiques.

De façon plus prospective, les données de soins anonymisées regroupées dans des bases pourraient générer des connaissances utiles à la santé publique et donc être créatrices de valeur. La fiabilisation de ces données et leur ouverture aux chercheurs sont à ce titre des enjeux stratégiques pour l'attractivité et la compétitivité de la recherche française.

# L'engagement d'UNICANCER

## UNICANCER en chiffres

- Le cancer du sein représente la première pathologie traitée dans les CLCC, qui assurent au total la prise en charge de 100 000 patients atteints d'un cancer par an
- 4 438 patients ont participé aux 61 essais cliniques actifs de R&D UNICANCER en 2013

**UNICANCER réunit les 20 Centres de lutte contre le cancer (CLCC) :** des établissements de santé privés à but non lucratif exclusivement dédiés aux soins, à la recherche et à l'enseignement en cancérologie. Fers de lance de la cancérologie en France, les Centres de lutte contre le cancer participent au service public hospitalier et assurent une prise en charge du patient en conformité avec les tarifs conventionnels, sans aucun dépassement d'honoraires.

La mission d'UNICANCER est de permettre aux Centres de lutte contre le cancer de garder une longueur d'avance et d'innover ensemble et toujours pour leurs patients.

- **UNICANCER agit pour faire avancer la recherche en cancérologie**

**R&D UNICANCER, le département scientifique d'UNICANCER,** est le premier opérateur de recherche clinique académique en cancérologie en France. Il a le statut de délégation à la recherche clinique et à l'innovation (DRCI) et promeut des études cliniques impliquant plus de 160 centres, français et étrangers.

R&D UNICANCER a pour mission la mise en œuvre de la stratégie globale de recherche menée par UNICANCER et est ainsi chargé :

- de promouvoir la recherche clinique en oncologie en France et à l'international ;
- de développer et promouvoir la recherche préclinique et fondamentale réalisée dans les Centres ;
- de concentrer son activité sur des domaines insuffisamment couverts (cancers rares, chirurgie, radiothérapie, sciences humaines et sociales, épidémiologie...), en recherche translationnelle et dans les essais précoces ;
- de développer des partenariats, publics comme privés et de coopérer avec tous les acteurs de la recherche (établissements de santé, sociétés savantes, industries de santé, institutions publiques françaises et internationales, agences de santé...)
- d'accompagner les équipes de recherche des Centres de lutte contre le cancer.

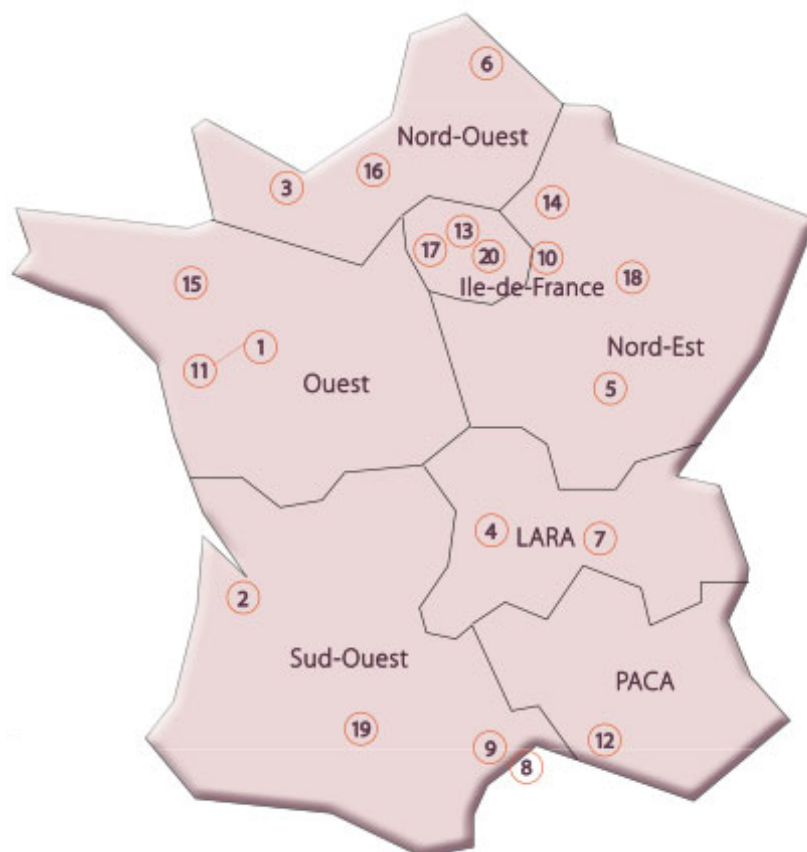
- **Données de vie réelle : UNICANCER s'engage dans un champ de recherche innovant**

Le programme ESME, conçu par R&D UNICANCER, répond à la nécessité de disposer de données de vie réelle afin de permettre une bonne utilisation des médicaments, de mieux comprendre les stratégies thérapeutiques et d'alimenter les modèles économiques.

La constitution d'une base de données de vie réelle, issues de différentes sources telles que les dossiers des patients et la base pharmacie des Centres de lutte contre le cancer, ouvre tout un domaine de recherche, jusqu'alors inexploré. Projet fédérateur et innovant, le programme ESME permettra aux CLCC de partager leurs données pour répondre à des questions scientifiques et médicales, aux industriels de pouvoir interroger une base de données indépendante et aux autorités de santé de disposer de données académiques pour évaluer les traitements. Au final, cette meilleure connaissance des stratégies thérapeutiques en cancérologie contribuera à une amélioration des pratiques et de la prise en charge des patients.



## Les 20 centres de lutte contre le cancer fédérés par UNICANCER



1. Angers - Institut de cancérologie de l'Ouest - Paul Papin
2. Bordeaux - Institut Bergonié
3. Caen - Centre François Baclesse
4. Clermont-Ferrand - Centre Jean Perrin
5. Dijon - Centre Georges-François Leclerc
6. Lille - Centre Oscar Lambret
7. Lyon - Centre Léon Bérard
8. Marseille - Institut Paoli-Calmettes
9. Montpellier - Institut régional du Cancer de Montpellier
10. Nancy - Institut de Cancérologie de Lorraine
11. Nantes - Institut de cancérologie de l'Ouest - René Gauducheau
12. Nice - Centre Antoine Lacassagne
13. Paris - Ensemble hospitalier de l'Institut Curie - Hôpital Paris
14. Reims - Institut Jean Godinot
15. Rennes - Centre Eugène Marquis
16. Rouen - Centre Henri Becquerel
17. Saint-Cloud - Ensemble hospitalier de l'Institut Curie - Hôpital René Huguenin
18. Strasbourg - Centre Paul Strauss
19. Toulouse - Institut Claudius Regaud
20. Villejuif - Gustave Roussy

## *L'engagement de Roche*

### **Roche apporte son soutien financier pour permettre la constitution et la maintenance de la base ESME...**

Les cancers sont des maladies complexes et difficiles à traiter. En tant qu'acteur très engagé dans la lutte contre le cancer, Roche a souhaité s'associer au programme ESME parce que cette approche innovante permettra de mieux appréhender la maladie et ses traitements.

### **... Et obtenir des réponses sur l'utilisation et le bénéfice apporté aux patients par ses médicaments en vie réelle**

Roche souhaite mieux comprendre l'utilisation et connaître le bénéfice apporté aux patients par ses médicaments en « vraie vie ».

*« Aujourd'hui, les autorités de santé nous demandent de compléter les données obtenues avant autorisation de mise sur le marché lors des essais cliniques par des données de vie réelle. Il est de notre responsabilité de les aider à prendre les bonnes décisions pour que chaque patient ait accès aux traitements innovants ».*

Corinne le Goff, Présidente de Roche France.

### **Avoir des données robustes sur la valeur apportée par les médicaments de Roche...**

Dans un environnement aux contraintes budgétaires fortes, financer l'arrivée d'un nombre croissant de médicaments anticancéreux innovants, souvent issus des biotechnologies, et donc plus coûteux à développer et à produire représente un défi. Le recueil de données en vie réelle est indispensable pour connaître la valeur réelle apportée par ces nouveaux médicaments aux patients et à la société.

### **... Pour, à terme, réfléchir avec les autorités de santé à la mise en place de nouveaux modes de financement adaptés aux défis de la cancérologie**

L'objectif 17 du plan Cancer 2014-2019 soulève la question cruciale de l'adaptation des modes de financement aux défis de la cancérologie. En 2012, Roche a lancé le projet PRM (Personalized Reimbursement Model - Modèle de Remboursement Personnalisé), avec une douzaine de services hospitaliers pilotes. PRM consiste à mettre en place une infrastructure de collecte de données en vie réelle relatives au traitement de patients atteints d'une pathologie cancéreuse. L'ambition de ce projet d'entreprise qui a reçu un accueil favorable des pouvoirs publics est de contribuer, en partenariat avec les autorités de santé, à faire évoluer le mode de financement vers une tarification des médicaments modulée en fonction de la valeur apportée au patient en vie réelle.

**Le programme ESME d'UNICANCER et le projet PRM de Roche sont complémentaires et visent tous deux à collecter des données en vie réelle pour, *in fine*, garantir une meilleure prise en charge pour tous les patients.**