

Le point sur la
**RECHERCHE
CLINIQUE**
en Belgique

2024



pharma.be
ASSOCIATION GÉNÉRALE DE L'INDUSTRIE DU MÉDICAMENT



Accorder à un maximum de patients la possibilité de participer à la recherche clinique

L'étude annuelle de Deloitte commandée par pharma.be montre que la Belgique comptait 474 études cliniques nouvellement autorisées en 2022. Notons même que 20 % de toutes les études cliniques européennes portant sur des médicaments anticancéreux ont lieu en Belgique. Les entreprises au sein de notre pays investissent chaque jour près de 15 millions d'euros dans la recherche et le développement, dont les études cliniques constituent une part importante.

Participer à une étude clinique est la première opportunité pour un patient de bénéficier des avantages potentiels d'un nouveau traitement innovant. Pour certains patients, avoir ainsi accès à un traitement pour leur maladie peut prolonger ou améliorer leur qualité de vie. Et ce, alors qu'un tel traitement n'existe pas, ou qu'il n'y a pas d'autre solution. C'est cet impact humain qui importe. C'est la raison pour laquelle pharma.be s'efforce de maintenir la position forte que la Belgique occupe aujourd'hui en Europe.

Évoluer vers un environnement plus inclusif pour les études cliniques en Belgique est une opportunité indéniable mais elle s'accompagne également d'un certain nombre de défis : la mobilité des participants, le manque de confiance dans la recherche médicale en raison d'un manque de connaissances sur les études cliniques, les barrières sociales et économiques, ainsi que les différences linguistiques et culturelles susceptibles d'entraver la communication. La mise en application d'une série de bonnes pratiques par les autorités et les entreprises garantit des progrès à long terme.

Il est important que notre pays reste à la pointe des études cliniques en accordant plus de flexibilité, notamment, par l'introduction d'études cliniques décentralisées. Les autorités devraient également être en mesure de garantir des délais d'approbation prévisibles, cohérents et efficaces pour le lancement d'études cliniques dans notre pays. Le partage des données ainsi qu'un dialogue intensif entre les autorités réglementaires, les hôpitaux et l'industrie pharmaceutique sont également essentiels.

Après tout, nous œuvrons ensemble dans l'intérêt du patient.

Caroline Ven
CEO pharma.be

Les médicaments innovants, les vaccins ou autres traitements qui sont désormais disponibles pour les patients sont le résultat de nombreuses années de recherche clinique et de développement

Les études cliniques sont complexes et strictement réglementées et peuvent facilement durer 10 à 12 ans. Ces études sont très importantes pour tester l'efficacité, la sécurité et la tolérabilité des médicaments innovants potentiels. Elles étudient également les possibles interactions avec d'autres médicaments, ainsi que le mode d'administration le plus efficace pour les patients, et la dose optimale. De plus, les études cliniques peuvent fournir des informations précieuses quant à une population spécifique de patients qui bénéficieraient le plus du traitement.

Avant qu'un seul médicament potentiellement utile puisse être administré aux patients, des milliers de molécules et de combinaisons de molécules différentes sont criblées et quelques centaines d'entre elles font l'objet d'études précliniques. De ce grand nombre, seules les molécules les plus prometteuses, une douzaine environ, sont choisies pour faire partie d'un programme d'études cliniques.

Cependant, il est important de savoir que les chances de réussite de ces études sont assez faibles. En effet, seuls 10 % environ des médicaments testés termineront avec succès la totalité du programme d'études cliniques et seront retenus.

Les différentes phases de la recherche clinique

L'ensemble du programme d'études peut être divisé en plusieurs phases :



LA PHASE PRÉCLINIQUE

- Tester les molécules sur des animaux, déterminer la dose sans danger dans le but d'effectuer une première étude chez l'homme et évaluer le niveau de sécurité et de toxicité de la molécule.



LA PHASE 1 quelques dizaines de volontaires

- La recherche implique quelques dizaines de personnes, généralement des volontaires sains, afin d'analyser graduellement l'absorption par l'organisme de la nouvelle molécule testée et d'identifier d'éventuels effets secondaires. Les objectifs principaux des études de la phase 1 sont l'évaluation de la sécurité et de la tolérabilité.



LA PHASE 2 quelques centaines de patients

- La recherche implique quelques centaines de patients qui répondent à des critères bien précis afin de déterminer l'efficacité et la dose optimale de la molécule à administrer.



LA PHASE 3 quelques milliers de patients

- La recherche à grande échelle implique quelques milliers de patients qui répondent à des critères bien précis afin de confirmer, à grande échelle, le résultat des tests précédents. L'objectif des études de la phase 3 est de valider l'efficacité et la sécurité du candidat-médicament dans un groupe de patients plus conséquent.
- Une comparaison du nouveau médicament à un placebo (une substance inactive) ou, si possible, à un traitement déjà existant (généralement ce qu'on appelle « norme de soins ») est effectuée.
- Après une phase 3 efficace, les résultats sont évalués par l'Agence européenne des médicaments, qui autorise ou non la mise sur le marché du nouveau médicament.



LA PHASE 4 utilisation réelle après l'introduction sur le marché

- Ces études sont réalisées après qu'un médicament ait obtenu une autorisation de mise sur le marché. Certaines études approfondissent les tests sur le nouveau traitement, d'autres observent son utilisation au quotidien chez les patients, conformément à la pratique réelle. Elles visent à en savoir plus sur les effets secondaires (plus rares), les risques et les bénéfices à long terme, les risques et les bénéfices pour les groupes de patients qui n'ont pas participé à l'étude de phase 3 et sur la comparaison du médicament avec d'autres traitements.

Les différentes parties impliquées dans une étude clinique

En plus des patients, plusieurs parties sont impliquées dans la mise en place et le déroulement d'une étude clinique.

- › **l'entreprise** pharmaceutique qui développe le médicament, qui est le promoteur de l'étude ;
- › le médecin participant à l'étude, qui est **le chercheur** ;
- › **les autorités sanitaires** et **le comité d'éthique** dans le ou les pays où l'étude est menée, qui doivent examiner chaque étude clinique. Chaque étude clinique, quelle que soit sa phase, doit être approuvée par les deux instances réglementaires avant de pouvoir commencer^{2 3 4}.

Vidéo de l'Agence européenne des médicaments à propos des études cliniques au sein de l'Union européenne (en anglais) :

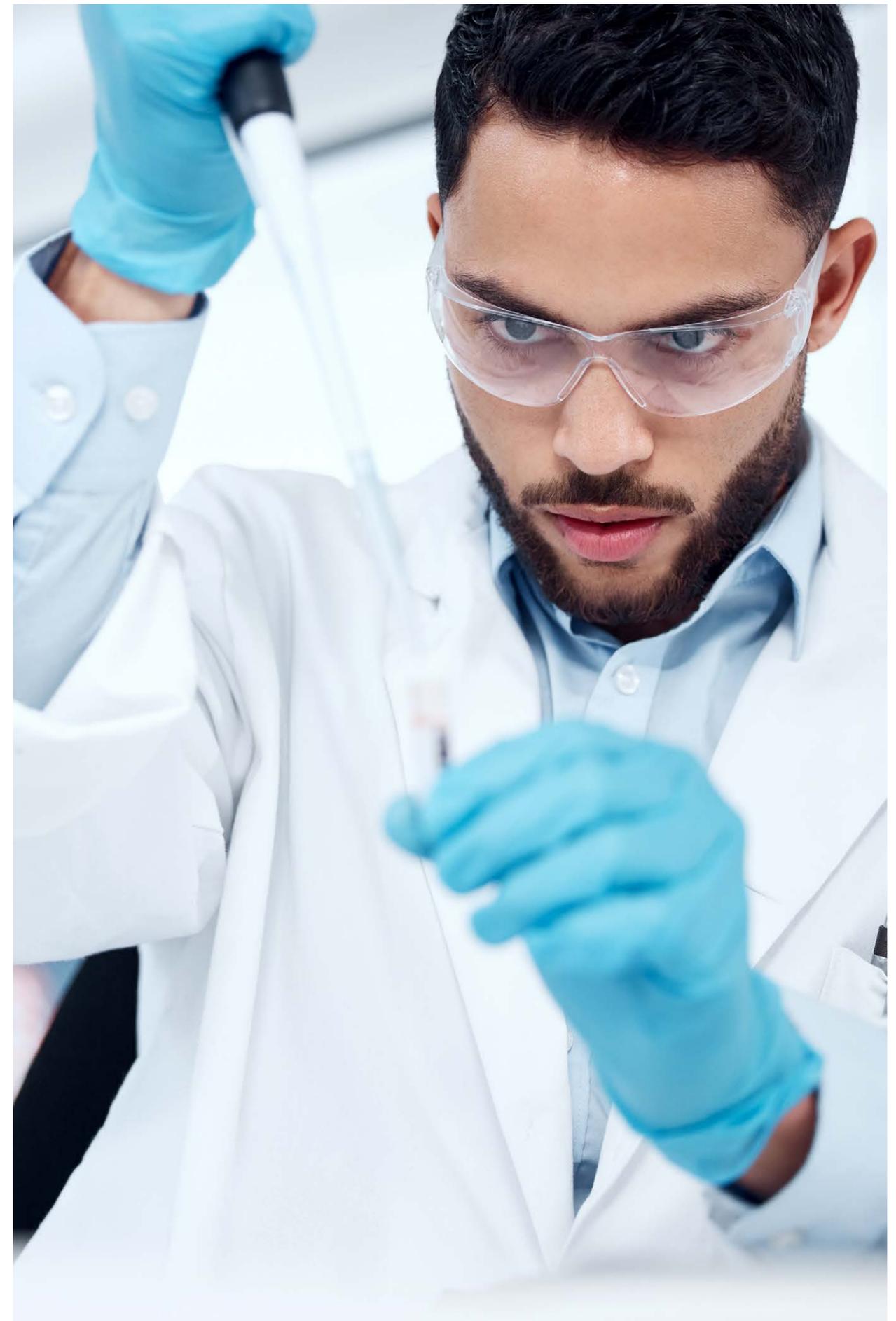


L'émergence de nouvelles méthodes de conception des études cliniques

De nos jours, il existe de plus en plus de méthodes nouvelles et innovantes, bien que plus complexes, pour concevoir des protocoles d'études cliniques. Ces nouvelles approches pour la conception d'étude impliquent une collaboration étroite entre les promoteurs, les chercheurs, les associations de patients, etc. Elles visent à accélérer et à augmenter l'efficacité des études cliniques (dans toutes les phases), tout en préservant la qualité.

L'utilisation de nouvelles technologies pour la collecte des données des patients en temps réel pendant l'étude, ainsi que l'utilisation de données historiques à des fins de comparaison en est un exemple. Cela permet de réduire la nécessité d'un groupe contrôle traité par placebo (substance inactive).

Finalement, ces nouvelles approches bénéficient aux patients qui participent aux études ou ont accès au traitement par la suite.





Dans les études cliniques, la diversité, l'équité et l'inclusion sont d'une importance primordiale

Ces principes garantissent la participation à la recherche d'un large éventail de profils démographiques (nationalité, origine ethnique, sexe, âge, statut socio-économique et autres caractéristiques pertinentes). Il est essentiel que le promoteur d'une étude recrute des participants d'origines diverses afin de refléter fidèlement les utilisateurs potentiels des médicaments au moment de leur approbation. De plus, la diversification des participants aux études améliore l'accès aux traitements innovants, en particulier pour les groupes minoritaires qui auraient historiquement été exclus.

Tant en Belgique qu'en Europe, différentes plateformes sont disponibles pour rechercher toutes les études en cours. Cependant, dans la plupart des cas, les patients apprennent l'existence d'une nouvelle étude par l'intermédiaire de leur médecin ou des associations de patients. Si un patient souhaite participer à une étude clinique, le médecin peut lui expliquer le but de l'étude et les bénéfices potentiels. Le médecin peut également souligner que ces bénéfices ne sont pas garantis et qu'il peut y avoir des effets secondaires en raison du stade expérimental du nouveau médicament. De plus, le médecin vérifiera si le patient correspond à tous les critères d'inclusion et d'exclusion décrits dans le protocole de l'étude pour y participer.

Aperçu des plateformes sur lesquelles vous trouverez de plus amples informations à propos des études cliniques ainsi qu'un aperçu des études cliniques en cours en Belgique et en Europe :

Agence fédérale des médicaments et des produits de santé :



Registre européen des essais cliniques (en anglais) :



Banque de données essais cliniques :



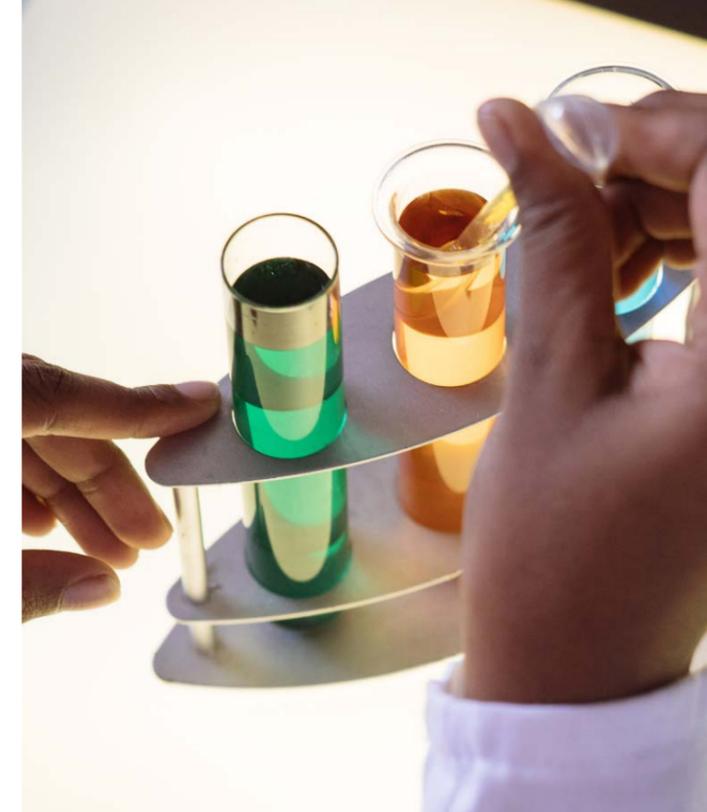
Esperity :



Consultez la brochure :



Pour plus d'informations sur la recherche clinique en général, consultez sur le site web de l'EUPATI :



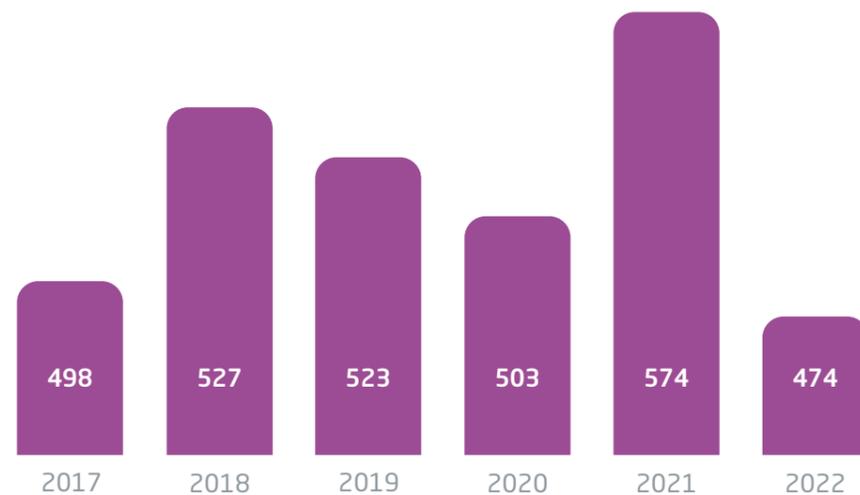
Le Service public fédéral Santé publique, Sécurité de la chaîne alimentaire et Environnement a publié une brochure qui fournit un aperçu des informations générales pour les patients adultes qui souhaitent participer à une étude clinique testant un médicament expérimental.

Une longue histoire de recherche clinique en Belgique

La Belgique dispose d'un écosystème de santé unique dans lequel la recherche clinique peut se développer. Grâce à une vision commune et à une collaboration entre les autorités réglementaires, l'industrie, les chercheurs, les investisseurs et le gouvernement, la Belgique a pu se faire une place particulière pour la conduite des études cliniques. Une telle coopération entre les différents acteurs a fait de la Belgique un pays de référence en termes de bonnes pratiques en Europe. Avec 474 nouvelles études cliniques autorisées en 2022, la Belgique se situe parmi les trois meilleurs pays européens en termes de nombre d'études cliniques autorisées par habitant.

Au fil du temps, ce leadership a permis à la Belgique de jouer un rôle crucial dans le développement de nouveaux médicaments et de thérapies innovantes. Par exemple, la Belgique a accueilli la première étude clinique de CAR-T (une thérapie cellulaire) pour le traitement du cancer en Europe. La Belgique a également joué un rôle essentiel dans la recherche clinique pour les vaccins contre la Covid-19.

Nombre de demande d'études cliniques approuvées



Source : données de l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé

En Belgique, la plupart des études cliniques (environ 80 %) sont lancées par des entreprises pharmaceutiques. Les 20 % restants ont été initiés par des universités ou des centres académiques.

La Belgique doit préserver la compétitivité de son environnement unique pour la recherche clinique

Il est indispensable de préserver l'environnement unique en matière d'études cliniques en Belgique, et de renforcer sa compétitivité pour l'avenir de la recherche médicale du pays. Les atouts de la Belgique en matière de science, de réglementation et de centres d'études sont bien établis. Cependant, avec la mise en place de systèmes réglementaires normalisés pour les études cliniques dans l'Union européenne, il existe un risque que la Belgique devienne moins attrayante en matière d'études cliniques à l'avenir. Pour maintenir sa position, la Belgique doit se démarquer et exploiter ses atouts. La Belgique pourra, alors, continuer à attirer les meilleurs chercheurs et partenaires de l'industrie, restant ainsi à l'avant-garde de la recherche clinique et du développement.



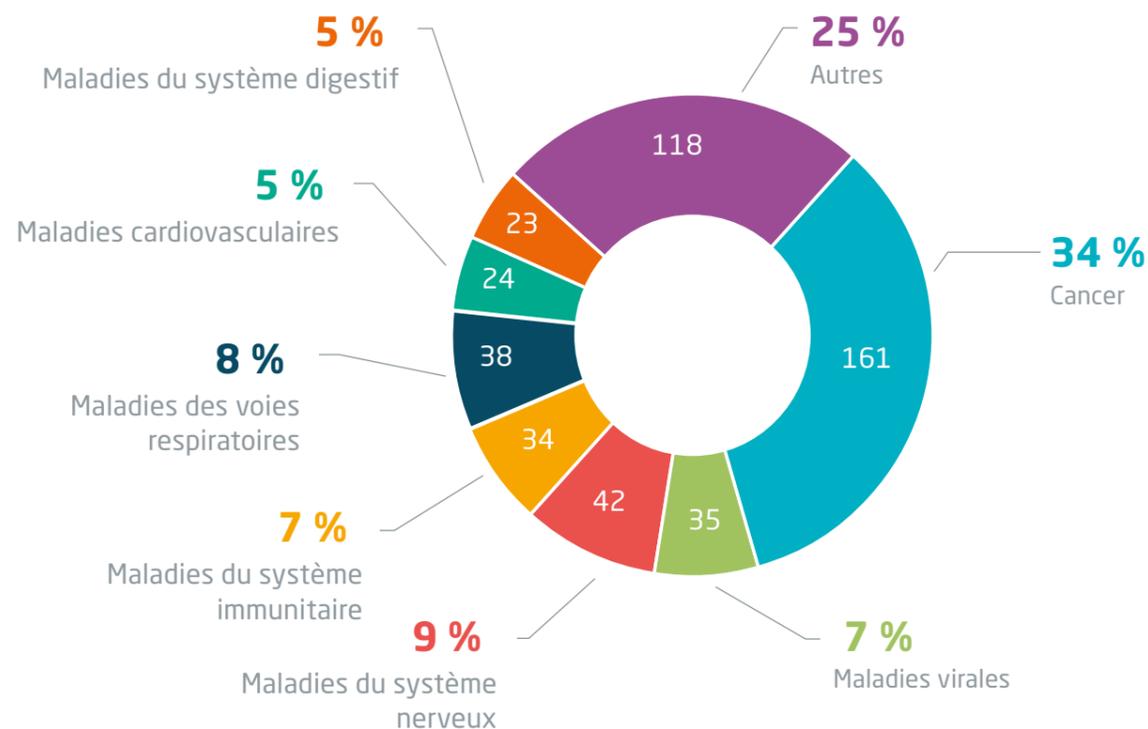
Zoom sur l'expertise dans les études de phase précoce, une spécificité de la Belgique.

La Belgique dispose d'une expertise solide dans le domaine des premières phases de développement des médicaments. Nous devons cette expertise de renommée mondiale à différents facteurs. Tout d'abord, un cadre réglementaire favorable avec des délais spécifiques plus courts pour l'approbation des études de phase 1, menées uniquement en Belgique, par les autorités compétentes et le comité d'éthique. Ensuite, une expertise dédiée au niveau de l'Agence fédérale belge des médicaments et des produits de santé, qui a développé une expertise solide dans les premières phases du développement de médicaments. Ceci lui permet de soutenir les entreprises pharmaceutiques dans leurs premiers programmes de développement clinique. 22,3 % des études autorisées en Belgique, en 2022, étaient des études de phase 1. Une proportion déjà observée les années précédentes et qui s'avère légèrement supérieure à celle observée dans une cohorte comparative de neuf pays européens. Cela s'explique en grande partie par le nombre croissant d'études de première administration chez l'Homme (First-in-Human) approuvées en Belgique. Ces études testent pour la première fois un médicament sur l'Homme. Les études de phase 1 et de première administration chez l'Homme sont menées dans des unités spécialisées. En Belgique, il existe huit unités spécialisées de phase 1 à travers le pays qui mènent des études chez des volontaires sains, mais il y a également de nombreux services hospitaliers capables de mener ce type d'études chez les patients. Une grande partie du contenu des notices d'information des médicaments provient des résultats obtenus lors d'études de phase 1.

Un grand nombre de domaines thérapeutiques couverts par la recherche clinique en Belgique

Les études cliniques menées en Belgique couvrent quasiment tous les domaines thérapeutiques avec une expertise notable en oncologie. Près de 20 % des études européennes sur le cancer sont menées en Belgique. Ce qui montre également l'influence de la Belgique dans la recherche clinique en Europe.

Proportion de demandes d'essais cliniques par domaines thérapeutique en Belgique (2022)



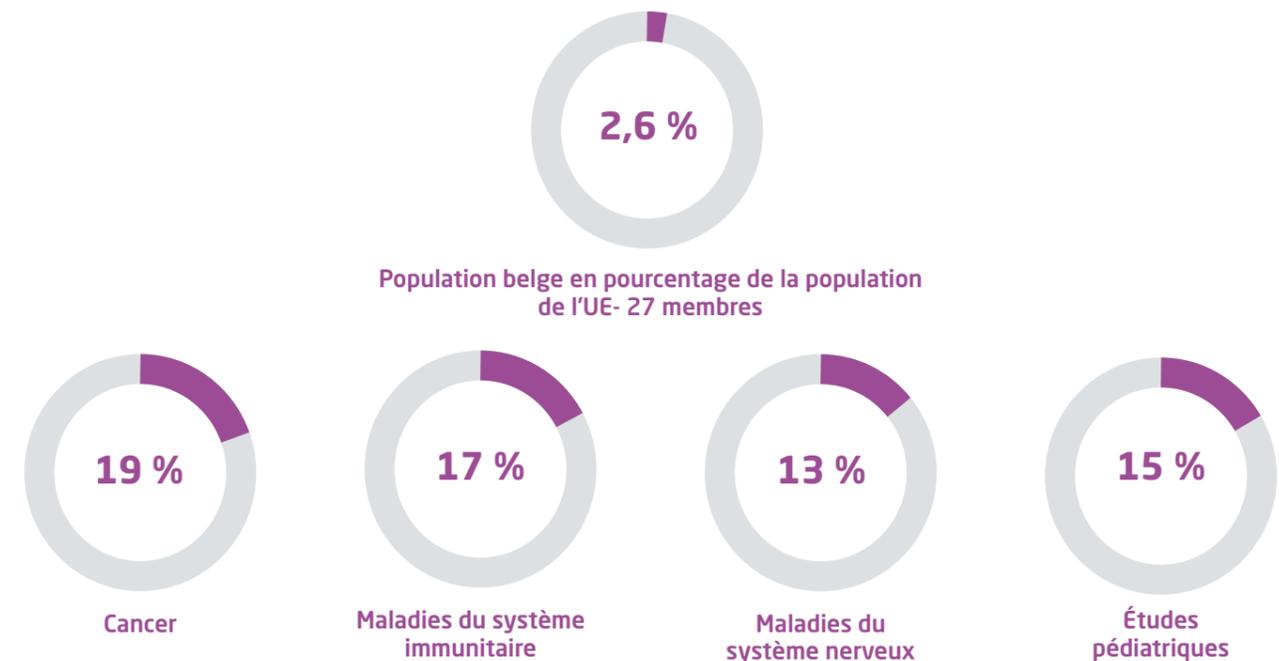
Source : Rapport Deloitte 2023, « Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022 »

Recherche clinique sur le cancer en Belgique

Notre pays joue un rôle essentiel dans l'effort mondial de recherche de nouveaux traitements en oncologie. De nombreux médicaments et thérapies innovantes utilisés dans le traitement du cancer ont été développés ou testés en Belgique. De plus, lorsqu'ils participent à des études cliniques en oncologie, les chercheurs contribuent activement à améliorer le pronostic des patients (par exemple, voir l'étude *CLEOPATRA in Breast Cancer*, Swain S. et al, ESMO 2014). Plus de 34 % des études nouvellement autorisées en 2022 concernaient la recherche contre le cancer, ce qui signifie que près de trois nouvelles études sont approuvées par semaine.

La présence remarquable de la Belgique dans le domaine des essais cliniques en Europe

Proportion d'essais cliniques européens menés en Belgique pour certains types d'études par rapport à la proportion de la population belge en Europe (2022)



Source : Rapport Deloitte 2023, « Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022 »

Focus sur les maladies rares et les études pédiatriques

Une maladie est considérée comme étant rare si moins de cinq personnes sur 10.000 en sont atteintes. Cependant, il y a de nombreuses maladies rares différentes, et près d'une personne sur 17 souffre d'une maladie rare contraignante en Europe. Par conséquent, la recherche et le développement de traitements efficaces pour ces maladies rares est un énorme défi. En 2022, 24 % des études cliniques autorisées en Belgique étaient menées dans le domaine des maladies rares, ce qui représente 122 nouvelles études.

Les enfants constituent une population unique qui présente des différences de développement et de physiologie distinctes de celles des adultes. Aussi, les études cliniques chez les enfants sont primordiales pour développer des thérapies spécifiques selon l'âge et améliorer le meilleur traitement médical disponible. En 2022, 8 % des études cliniques nouvellement approuvées étaient des études pédiatriques. Cela représente une proportion croissante au cours des dernières années.

Vous voulez en savoir plus sur la Belgique en tant que lieu d'étude clinique ? Consultez les dernières éditions du rapport Deloitte « Belgium as a clinical trial location in Europe » sur le site web de pharma.be :



La Belgique est un cluster d'excellence au cœur du système

Avec plus de 70 hôpitaux dont 7 hôpitaux universitaires, 12 universités avec des départements et des équipes de recherches en biosciences de renommée internationale, 14 incubateurs d'entreprises biotechnologiques et plus de 50 entreprises pharmaceutiques actives dans la recherche clinique⁶, la Belgique est un cluster d'excellence au cœur de l'Europe.

L'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé avec une forte expertise

La forte expertise technique de l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé, ainsi que les avis scientifiques qu'elle fournit sont fortement appréciés, car ils permettent aux promoteurs d'études cliniques de répondre à des questions critiques, même à un stade précoce du processus d'évaluation. Cela rend plus prévisible la faisabilité de l'étude pour les promoteurs et plus transparente et claire la manière de procéder dans les étapes suivantes. Les membres de l'Agence fédérale sont également bien représentés dans les différents groupes de travail au sein de l'Agence européenne des médicaments, ce qui est bénéfique pour la Belgique en termes de développement de connaissances, d'orientation des choix stratégiques, et d'opportunités de leadership.

Zoom sur le National Innovation Office de l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé.

Le National Innovation Office a été lancé au sein de l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé dans le but de faciliter et soutenir l'innovation dans la recherche et le développement pharmaceutiques en Belgique ainsi que la communication avec les innovateurs. Le National Innovation Office est destiné à servir de point d'accès central à l'expertise scientifique et réglementaire existante de l'Agence fédérale des médicaments et produits de santé pour les médicaments et les thérapies à usage humain. Il est accessible aux sociétés pharmaceutiques, aux petites et moyennes entreprises, aux centres de recherche académiques, aux sociétés dérivées, aux hôpitaux universitaires et aux particuliers qui participent activement à l'innovation pharmaceutique en général et en particulier dans la recherche et le développement de nouveaux médicaments et de nouvelles thérapies. Les trois principaux piliers d'activité sont : les avis scientifiques, techniques et réglementaires; les activités générales d'innovation; et le soutien aux petites et moyennes entreprises et au secteur académique.

En savoir plus :



La qualité de la recherche en Belgique

Les entreprises pharmaceutiques en Belgique ont accès à un vaste réseau hospitalier offrant des services cliniques de haute qualité et un personnel bien formé. La qualité des centres de recherche, l'expertise des chercheurs « sur le terrain » et une forte volonté de collaboration sont des éléments clés très appréciés par les promoteurs qui choisissent la Belgique pour mener des études cliniques. Grâce à une collaboration intensive, le secteur pharmaceutique, les hôpitaux, les universités et les centres de recherche continuent de bâtir la solide réputation de la Belgique en tant que destination pour la recherche et le développement cliniques.

Quels sont les bénéfices pour le patient, la population et leurs médecins traitants ?

Les études cliniques offrent potentiellement aux personnes la possibilité d'accéder gratuitement aux traitements les plus récents qui ne sont peut-être pas encore disponibles par les moyens traditionnels, et qui sont susceptibles d'améliorer leur santé et leur qualité de vie. C'est un moyen pour les patients de participer activement à la prise en main de leur santé tout en se sentant utile, en aidant les cliniciens et les chercheurs à mieux comprendre leur état et en contribuant ainsi à l'amélioration des options thérapeutiques pour l'avenir.

Quels sont les avantages pour le milieu de la recherche en Belgique ?

Les études cliniques contribuent au développement et à la mise en valeur des connaissances scientifiques et de l'innovation en Belgique. Les chercheurs et centres de recherche belges restent ainsi à l'avant-garde des traitements innovants contre des maladies telles que le cancer, le diabète, et les troubles du système nerveux central.

Quels sont les avantages pour l'économie belge ?

En Belgique, l'industrie pharmaceutique belge figure parmi les secteurs les plus intensifs en matière de recherche et développement. En 2023, notre pays a investi près de 5,7 milliards d'euros dans la recherche et le développement. De plus, les études cliniques créent des emplois dans les centres de recherche, les universités et les hôpitaux. En 2023, un total de 6706 chercheurs étaient actifs dans le secteur pharmaceutique belge.



Il est toujours utile de participer à des études cliniques. Je suis convaincu que si je ne l'avais jamais fait, je n'aurais jamais évolué avec la science clinique. J'ai été l'un des premiers à prendre part aux études avec des anticorps. Il s'est avéré par la suite que ces médicaments étaient une bonne solution. En tant que participant aux études cliniques, j'ai pu profiter des progrès scientifiques bien avant la commercialisation du médicament. J'ai déjà pu profiter d'un médicament qui n'est pas encore disponible pour d'autres personnes. Je ne regrette pas d'avoir participé à des études cliniques, car je suis certain que c'est grâce à cela que je suis encore en vie.

Jean-Pierre Blondeel, Patient et Président de l'ASBL Hodgkin & Non-Hodgkin

Découvrez son témoignage :





Les données sur la santé dans les études cliniques servent de base à l'évaluation de la sécurité et de l'efficacité des nouveaux traitements. Sans pouvoir collecter ni étudier soigneusement ces informations, il serait difficile de savoir si un traitement est utile ou s'il présente des risques. Les données sont non seulement nécessaires pour obtenir l'approbation des autorités réglementaires mais les patients sont assurés de recevoir les meilleurs soins. Ces données permettent également d'en apprendre davantage sur le produit à l'étude. La disponibilité et la collecte des données sont cruciales à chaque étape de l'étude clinique, depuis la conception de l'étude jusqu'au recrutement des participants, en passant par l'analyse des résultats et leur communication aux autorités réglementaires.

L'utilisation primaire des données obtenues lors d'une étude clinique

Lors des études cliniques, les chercheurs collectent des données afin de comprendre comment les patients réagissent aux traitements et d'identifier les éventuels effets secondaires. Il s'agit de l'utilisation primaire des données obtenues dans le cadre d'une étude. En analysant ces données, les chercheurs obtiennent des informations précieuses sur le médicament, ce qui mène à la découverte de nouveaux traitements. L'analyse des données est examinée par un comité indépendant du promoteur de l'étude, qui peut décider d'interrompre prématurément l'étude en cas d'effets indésirables graves ou de résultats intermédiaires très positifs. Le processus de collecte des données se déroule dans un environnement hautement contrôlé, garantissant l'exactitude, la fiabilité et la confidentialité des données. Ces éléments sont essentiels pour la crédibilité du processus de génération de données.

L'utilisation secondaire des données obtenues lors d'une étude clinique

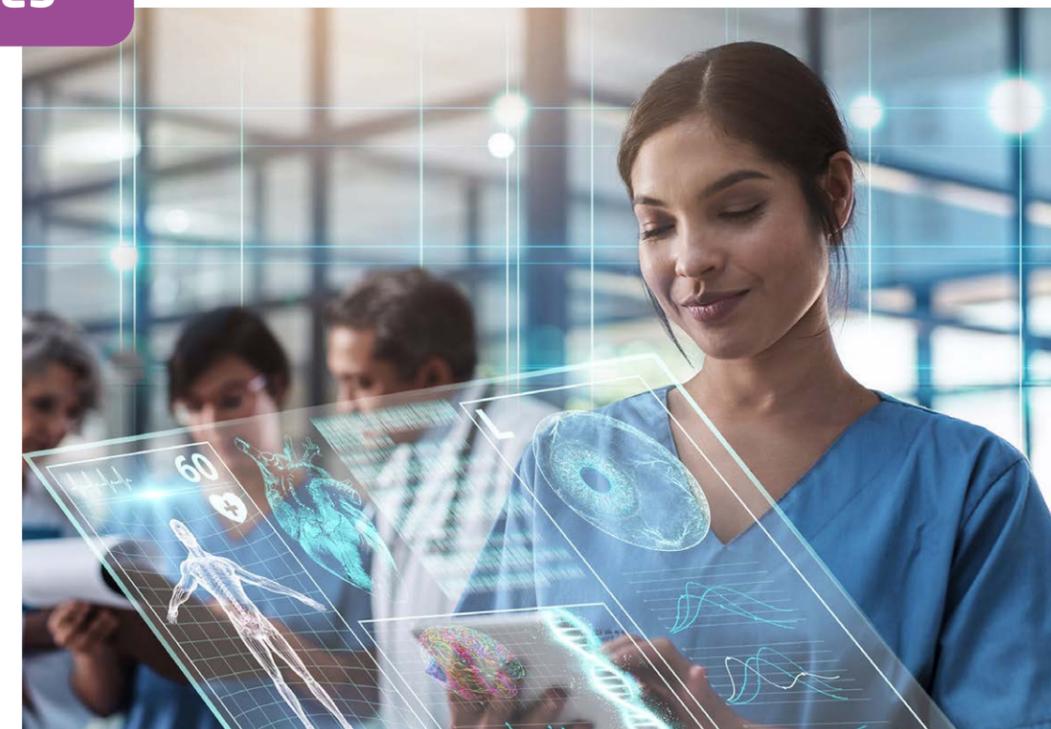
Les données du patient obtenues lors d'une étude peuvent également être utilisées dans le cadre d'autres activités de recherche et de développement scientifiques qui peuvent concerner le même médicament ou des traitements similaires, le même domaine thérapeutique ou d'autres problèmes de santé. Il s'agit de l'utilisation secondaire des données des patients. Cette utilisation se fait à nouveau dans un environnement hautement contrôlé, conformément à la législation sur la protection des données et avec les informations nécessaires fournies au participant.

Vous pouvez consulter la brochure « Prenez soin de vos données » de la Fondation Roi Baudouin pour obtenir plus d'informations sur les données en matière de santé :



De nouvelles technologies pour améliorer la collecte de données dans les études cliniques

Ces dernières années, le secteur des études cliniques a évolué grâce à l'intégration de nouvelles technologies introduisant des méthodes innovantes de collecte de données. L'utilisation d'applications pour smartphones et de dispositifs de santé mobile (mHealth) en est un exemple. Ces outils permettent aux patients de participer activement à leur parcours thérapeutique, en leur donnant la possibilité de suivre divers paramètres, tels la fréquence cardiaque, l'activité physique et le suivi de la médication, tout en restant chez eux. Ces données s'ajoutent aux informations directes sur l'impact du traitement sur la qualité de vie fournies par l'utilisation de questionnaires standardisés ou d'échelles faciles à utiliser (par exemple, données sur la douleur, la fatigue...). Grâce à l'utilisation de ces outils numériques et innovants, les chercheurs peuvent recueillir des informations précieuses sur la manière dont les patients réagissent aux traitements en temps réel, sans que ces derniers ne doivent se rendre fréquemment au centre d'études cliniques. Il est important de noter que des mesures strictes de confidentialité sont en place pour sauvegarder les données des patients, garantissant ainsi la confidentialité et la confiance tout au long du processus. Cette évolution dans la collecte des données améliore non seulement la précision et la fiabilité de la recherche clinique, mais favorise également une approche des soins de santé centrée sur le patient, où ces derniers jouent un rôle actif dans l'avancement de la recherche clinique tout en recevant des soins personnalisés.



Quelle est la différence entre les données collectées lors d'une étude clinique et les données du monde réel (RWD - Real World Data) ?

Les données du monde réel sont un terme désignant les données relatives aux effets des interventions dans le domaine de la santé (comme la sécurité, l'efficacité, l'utilisation des ressources, etc.) qui ne sont pas recueillies dans le cadre d'études cliniques contrôlées randomisées. Contrairement aux données recueillies dans le cadre d'études cliniques, les données du monde réel proviennent de contextes réels et reflètent les diverses expériences des patients dans des environnements de soins de santé quotidiens. Les données du monde réel peuvent être obtenues à partir de nombreuses sources, notamment les registres des patients, les dossiers médicaux électroniques et les bases de données administratives.

Les données du monde réel peuvent générer de nouvelles connaissances, les preuves empiriques ou du monde réel (Real World Evidence), sur un traitement ou une maladie en rassemblant des données anonymes provenant de milliers, voire de millions de patients. Des signaux de sécurité rares peuvent ainsi être détectés, qui échappent au cadre restreint d'une étude clinique. L'efficacité d'un médicament dans certaines sous-populations exclues des études cliniques normales peut être démontrée. Pour les maladies rares, il est possible d'obtenir davantage d'information sur le besoin médical non rencontré, le parcours du patient ou du traitement, et la fréquence de la maladie. Les données du monde réel peuvent, dans certains cas, être utilisées comme contrôle pour évaluer un médicament testé lors des études cliniques afin de limiter le nombre de patients qui ne reçoivent pas le nouveau composé testé ou lorsque le traitement placebo (=traitement inactif) n'est pas éthique. Les données du monde réel peuvent aider à concevoir ou à planifier des études cliniques, ou faciliter l'identification et le recrutement de patients dans le cadre d'études.

Rendre les données du monde réel accessibles, faciles à retrouver dans des systèmes compatibles est essentiel pour leur utilisation.

Le gouvernement belge reconnaît l'importance des preuves empiriques ou Real World Evidence dans le domaine des soins de santé. Une autorité compétente spécifique, l'Agence belge des Données de Santé, a été créée pour faciliter l'utilisation secondaire des données de santé dans la recherche scientifique.

L'initiative #datasaveslives

La collecte et l'utilisation des données des patients constituent un élément clé de la recherche clinique, car elles permettent d'obtenir de nouvelles connaissances sur le traitement testé, de soutenir la conception et la planification de l'étude, et d'aider au recrutement des patients. « Data Saves Lives » est une initiative multipartite dont le but est de sensibiliser les patients et le public sur l'importance des données de santé, et d'améliorer la compréhension de leur utilisation, ainsi que d'établir un environnement de confiance pour un dialogue multipartite à propos d'une utilisation responsable et des bonnes pratiques dans toute l'Europe. Data Saves Lives héberge et gère un portail web qui partage des informations pertinentes et des exemples de bonnes pratiques sur l'utilisation des données, et qui génère des documents faciles à utiliser sur les concepts de base liés au partage de données, au parcours des données et aux mesures de protection mises en place. L'initiative vise à stimuler un discours structuré et significatif au sein de la communauté des données de santé sur l'utilisation responsable des données et à recueillir, partager et discuter des points de vue sur d'autres questions liées aux données.

En savoir plus sur l'initiative #datasaveslives (en anglais) :



Notes et références

- 1 Dans le cas de patients souffrant de maladies graves, les patients continueront leur traitement et le placebo sera ajouté à ce traitement.
- 2 Le règlement européen 536/2014, mis en œuvre en 2022, régit l'évaluation d'une demande d'études cliniques, ainsi que le droit national applicable.
- 3 https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/clinical-trials/clinical-trials-regulation-eu-no-5362014_en
- 4 En Belgique, la loi du 7 mai 2017 sur les études cliniques
- 5 Rapport Deloitte 2023, « *Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022* »
- 6 Les entreprises pharmaceutiques membres de pharma.be



pharma.be
ASSOCIATION GÉNÉRALE DE L'INDUSTRIE DU MÉDICAMENT