

Expériences PPIE à l'étranger

Nicole Scobie

Zoé4life



De parent à représentant des patients

Inspirés et motivés par nos enfants

Expérience vécue + observation + connaissances acquises

Que fait un représentant de patients, expert en recherche ?

- Ecoute et apprend
- Pose des questions
- Travaille en collaboration avec d'autres représentants de patients et toutes les parties prenantes
- Cherche des solutions aux enjeux, aux problèmes et aux obstacles.



Parent vs Représentant des Patients



Mon enfant ➡ Les enfants que je connais ➡ Tous les enfants

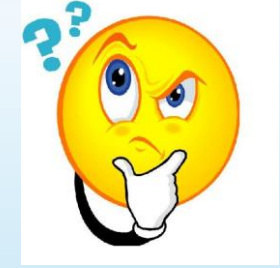
Les cancers pédiatriques

- En moyenne 350 cas enfants et adolescents par année en Suisse
- 35'000 nouveaux cas par année en Europe, 6'000 décès
- Taux de survie à 5 ans 80% MAIS
- 2/3 des enfants qui survivent ont des séquelles qui ont un impact sur leur qualité de vie
- Les traitements sont longs – plusieurs mois voire plusieurs années
- L'enfant passe en moyenne 1 jour sur 4 à l'hôpital
- Première cause de décès par maladie chez l'enfant
- 1 enfant décède chaque semaine en Suisse et en Europe

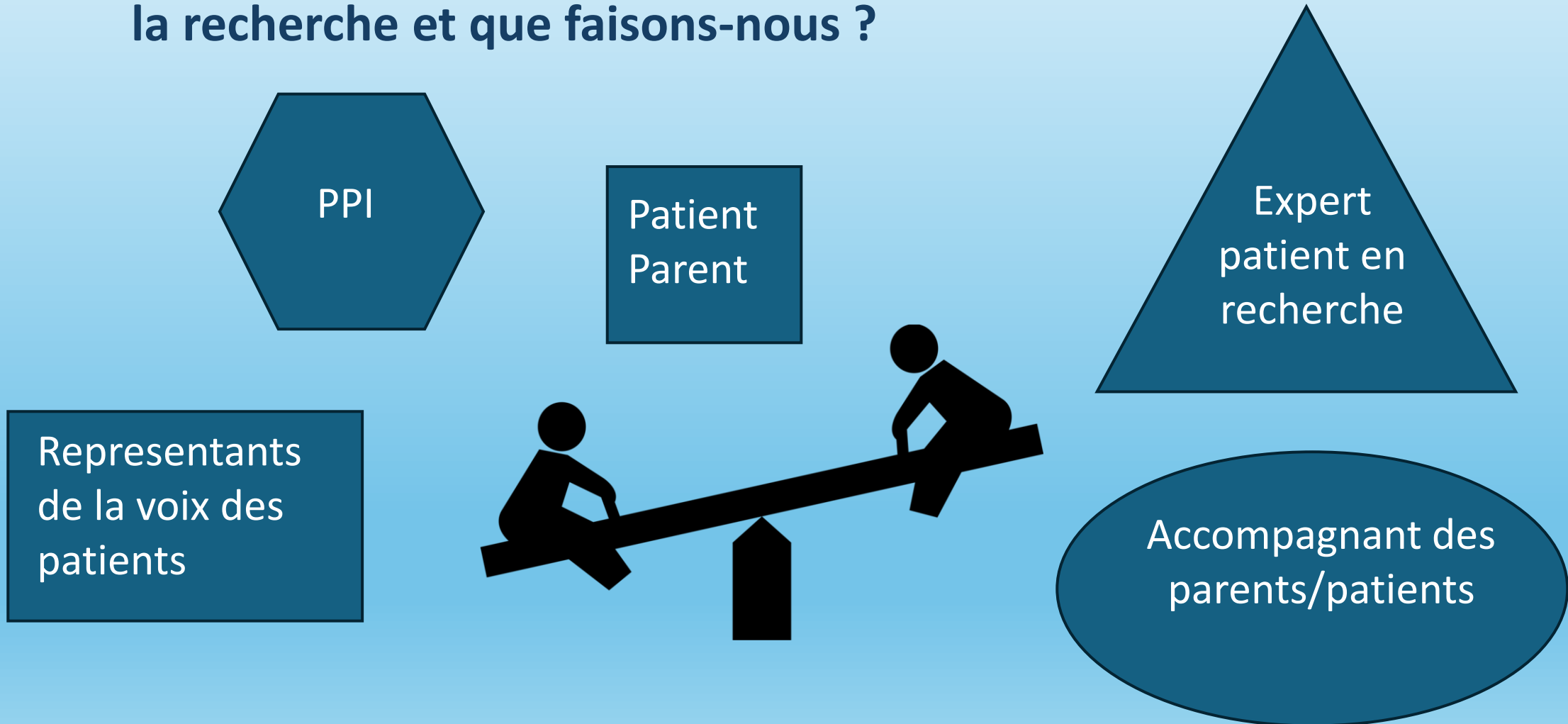
“Il n’y a rien de pire que de savoir que tout ce que l’on a appris du cancer de votre enfant, c’est que les mêmes médicaments utilisés contre le même cancer conduisent aux mêmes résultats.”

-maman de Zoé, décédée à 4 ans d’un cancer

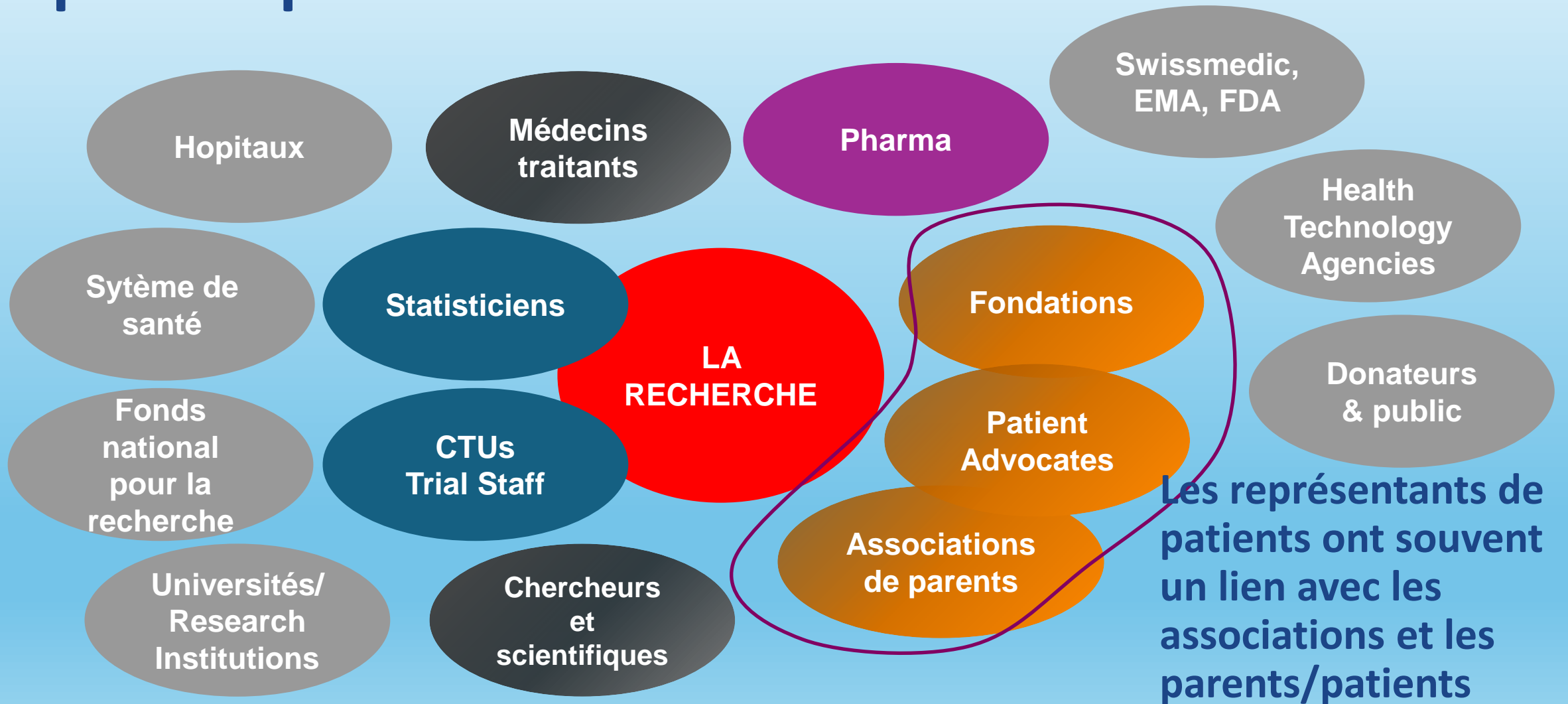
PATIENT ADVOCATE? WHAT'S THAT?



Qu'est-ce qu'un « représentants de patients » dans le domaine de la recherche et que faisons-nous ?



Travailler en partenariat avec toutes les parties prenantes

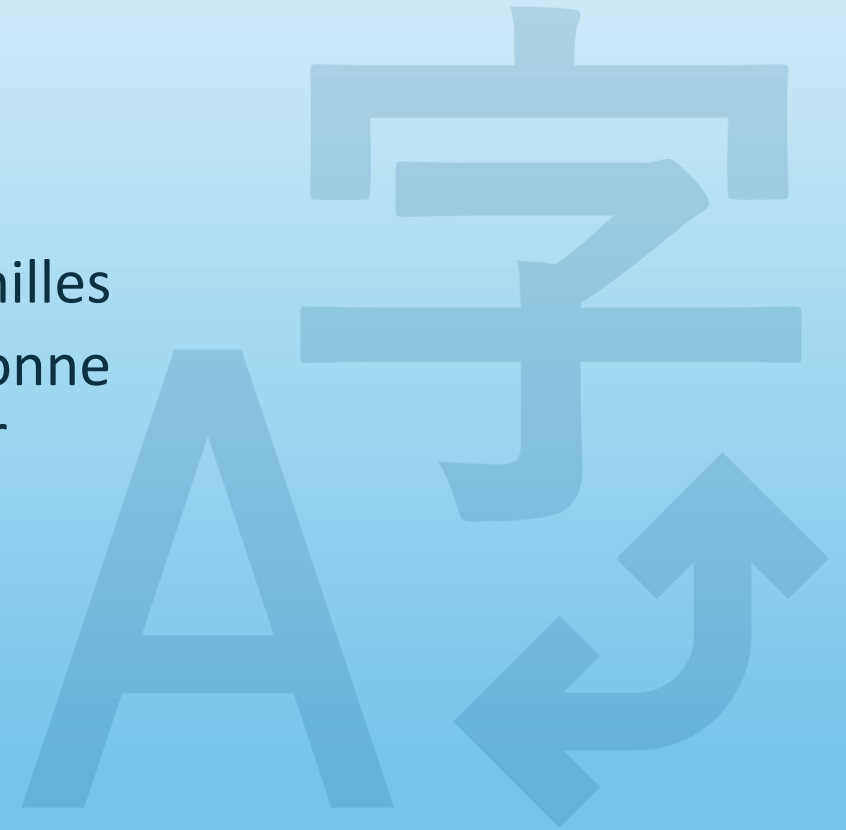


IMPACT des représentants de patients dans la recherche

- Influence sur le financement caritatif
- Rapprocher les groupes, rassembler les parties prenantes, aborder des sujets « difficiles », penser stratégiquement avec un regard « extérieur »
- Lobbying et collaboration afin d'améliorer le système de santé
- Stratégies de communication et sensibilisation de la population
- Considéré comme sans conflit

Les représentants des patients font la TRADUCTION:

- Pour les chercheurs : « expérience réelle » de la maladie, des traitements et des priorités des familles
- Pour les parents : informations, comment fonctionne la recherche, quels sont les défis, comment aider
- Pour le public : apporter un visage à un sujet difficile, le rendre personnel et « vrai »
- Pour le monde politique et les agences réglementaires : faire entendre la voix de la communauté



En Europe et à l'international

ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer (ITCC))

- Projet d'accès des patients à l'innovation (obstacles, solutions)
- Projet de soins décentralisés
- Réseau de représentants de parents dans les pays européens

Childhood Cancer International et **CAC2 (Coalition Against Childhood Cancer)** organisations faitières d'associations caritatives de parents

- Lobbying aux niveaux international
- Renforcer le développement d'initiatives de recherche à l'échelle internationale
- Accès à des traitements innovants pour tous les enfants en Europe

ACCELERATE examine les questions globales liées au développement de médicaments anticancéreux innovants destinés aux enfants et adolescents atteints de cancer.

- Membres égaux de tous les groupes de parties prenantes (oncologues pédiatres, chercheurs académiques, entreprises pharmaceutiques, autorités réglementaires et représentants de patients)



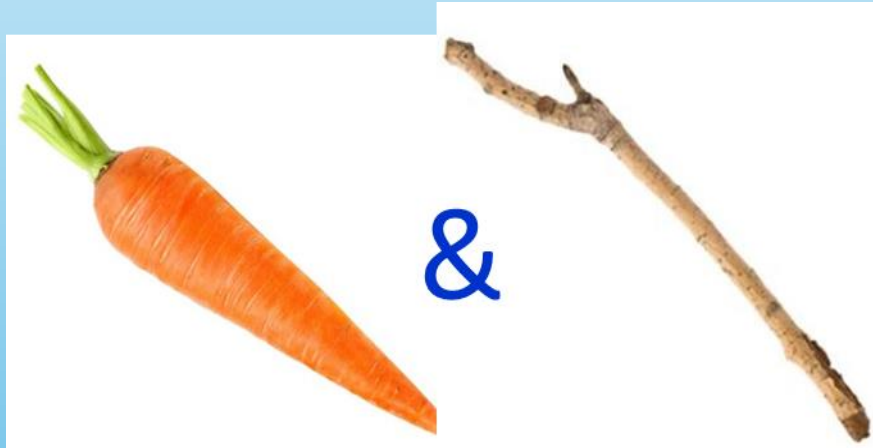
Une organisation internationale multipartite pour

**Améliorer et accélérer le développement de
nouveaux médicaments pour les enfants et les
adolescents atteints de cancer**

Une organisation centrée sur le patient pour résoudre les problèmes

Créée en 2015

Un environnement réglementaire pour de meilleurs médicaments pour les enfants



Obligations, incitations, récompenses

Ne donne pas de bons résultats pour les cancers pédiatriques



2002

BPCA

stands for

Best Pharmaceuticals for Children Act

2003

PREA

stands for

Pediatric Research Equity Act

2017



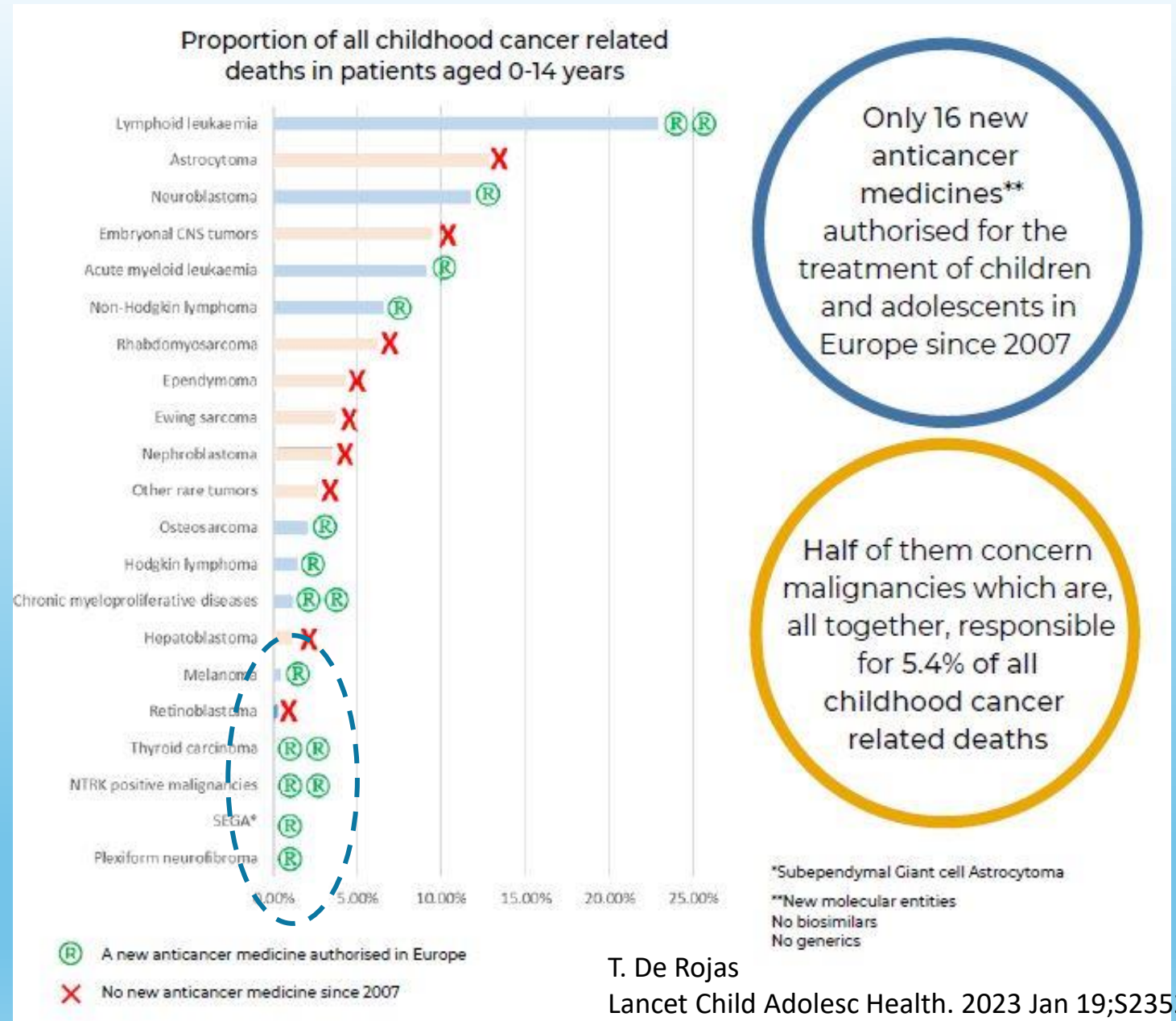
2006

Paediatric Regulation (EC) N°1901/2006

Processus de révision en cours dans le cadre de la Stratégie pharmaceutique de l'UE



Impact de la réglementation pédiatrique de l'UE sur les nouveaux médicaments anticancéreux pour les enfants et les adolescents atteints de cancer



Only 16 new anticancer medicines** authorised for the treatment of children and adolescents in Europe since 2007

Half of them concern malignancies which are, all together, responsible for 5.4% of all childhood cancer related deaths

T. De Rojas
 Lancet Child Adolesc Health. 2023 Jan 19;S2352-4642

Le développement pédiatrique dépend du développement adulte



Loi fédérale sur les médicaments et les dispositifs médicaux^{1*}

- Art. 54a¹²⁹ Plan d'investigation pédiatrique

¹ L'octroi de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament est subordonné à l'obligation d'élaborer un plan d'investigation pédiatrique fixant les exigences à satisfaire pour développer ce médicament à des fins pédiatriques; ce plan doit être soumis à l'approbation de l'institut.

² Le Conseil fédéral règle:

- a. la procédure;
- b. les exigences auxquelles le plan d'investigation pédiatrique doit satisfaire en se fondant sur les dispositions de l'UE.

³ Il peut exempter de l'obligation d'élaborer un plan d'investigation pédiatrique, notamment pour les médicaments destinés à traiter des maladies survenant uniquement chez l'adulte. Il peut prévoir qu'un plan d'investigation pédiatrique évalué par une autorité étrangère est pris en considération.

¹²⁹ Introduit par le ch. I de la LF du 18 mars 2016, en vigueur depuis le 1^{er} janv. 2019 (RO 2017 2745, 2018 3575; FF 2013 1).

Un exemple: l'histoire des inhibiteurs ALK

10 ANNÉES

1994 2011 2012 JAN 14, 2021

Découverte

ALK+

Cancer des poumons

ALCL*

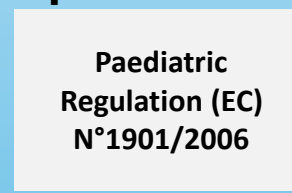
IMT**

Neuroblastome

Autorisation de mise sur le marché



Crizotinib pour les ALK+
cancer des poumons



Obligation de développement pédiatrique
supprimée

(le cancer du poumon
ne se produit pas chez les
enfants)

Développement
pédiatrique en études
académiques

Plus de 200 patients

Autorisation de mise
sur le marché



Crizotinib pour le ALCL

SEPT 15, 2022



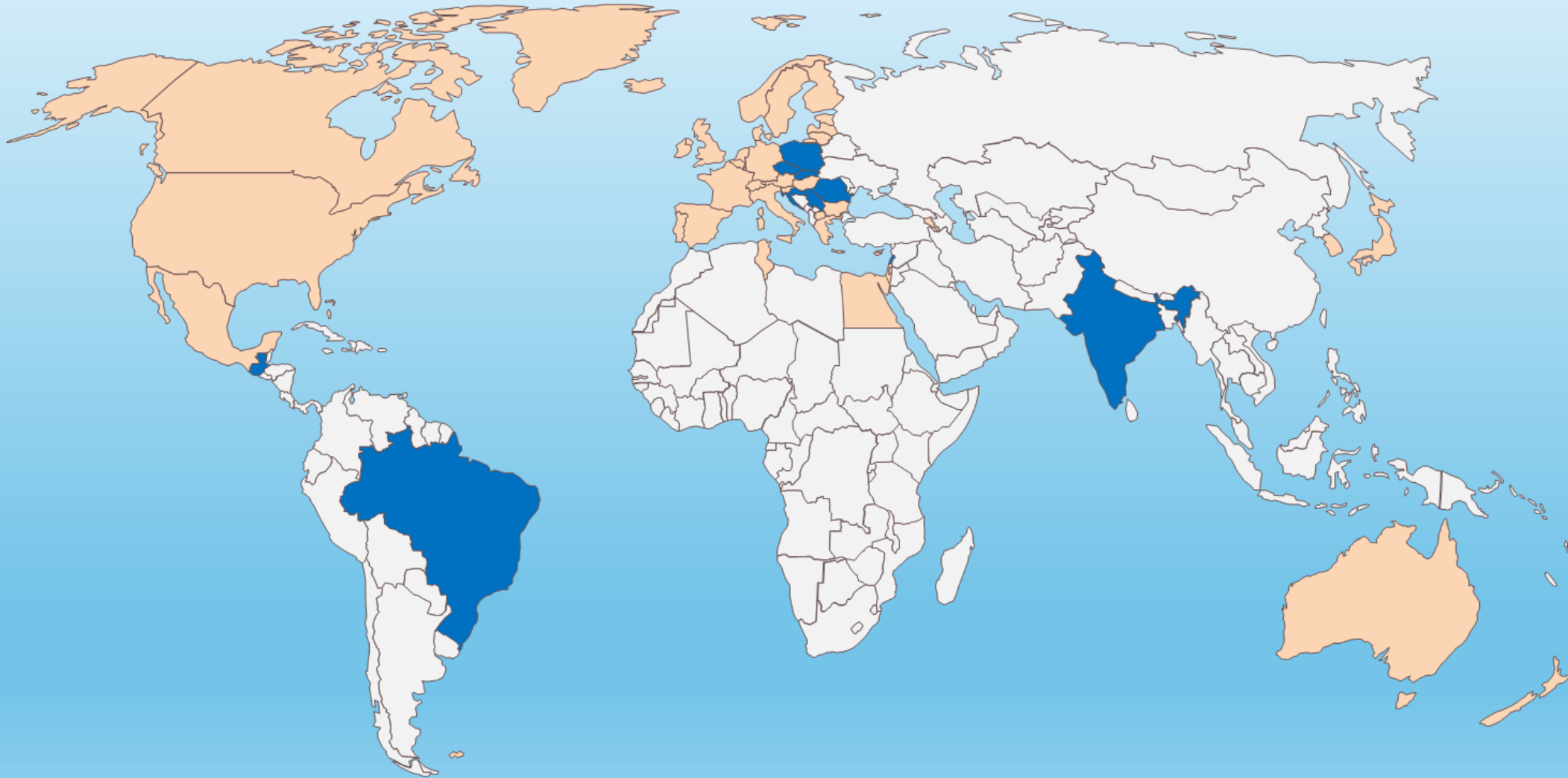
Crizotinib pour le ALCL
et le IMT



Une organisation centrée sur le patient pour résoudre les problèmes

- Identifier ensemble une problématique (conférence annuelle)
- Comprendre le problème dans un dialogue multipartite ouvert
- Générer des données
- Trouver des solutions
- Mettre en œuvre des actions et solutions

Participation internationale



Steering Committee Members

Academia



**Steven
DuBois**



**Pam
Kearns**



**Lynley
Marshall**



**Lia
Gore**

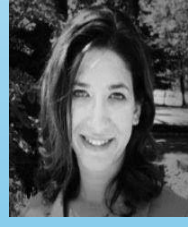
Industry



**Elly
Barry**



**Hubert
Caron**



**Heather
Wasserstrom**



**Darshan
Wariabharaj**

Patients Advocacy



**Leona
Knox**



**Patricia
Blanc**



**Susan
Weiner**



**Nicole
Scobie**

Regulators



**Sara
Galluzzo**



**Dominik
Karres**



**Gregory
Reaman**



**Alberto
Pappo**

In tuitu personae



**Jeffrey
Skolnik**



**Raphael
Rousseau**



**Peter
Adamson**

SIOP Europe CEO



**Samira
Essiaf**

ITCC President / ACCELERATE Chair



**Gilles
Vassal**

PSF Oversight Committee Chair/Senior Advisor



**Andy
Pearson**

L'impact des représentants de patients

- 2017 : 3 représentants de patients au premier Forum stratégique pédiatrique
- 2022 : 56 représentants de patients à la conférence ACCELERATE (Europe, États-Unis, Canada, Australie, Japon)
- A contribué à 28 publications à ce jour, y compris 2 publications entièrement écrites par des représentants de patients dans JCO et PBC



July 1, 2024

The Crucial Role of Patient Advocates in Pediatric Oncology Research—Insights From ACCELERATE

Nicole Scobie¹; Teresa de Rojas, MD, PhD²; Vickie Buenger, PhD³

» Author Affiliations

JAMA Pediatr. 2024;178(9):849-850. doi:10.1001/jamapediatrics.2024.1877

» *Pediatr Blood Cancer.* 2022 Apr 4;e29663. doi: 10.1002/pbc.29663. Online ahead of print.

To transplant, or not to transplant? That is the question. A patient advocate evaluation of autologous stem cell transplant in neuroblastoma

Nicholas Bird¹, Nicole Scobie², Antonia Palmer³, Donna Ludwinski⁴

Journal of Clinical Oncology[®]

An American Society of Clinical Oncology Journal

Enter words / phrases / DOI / ISBN / authors / keywords / etc.

Newest Articles Issues Special Content Authors Subscribers About ASCO Publications

Journal of Clinical Oncology > List of Issues > Volume 40, Issue 2 >

COMMENTS AND CONTROVERSIES

When Innovation and Commercialization Collide: A Patient Advocate View in Neuroblastoma

Check for updates

Nicholas Bird¹, MSc, BSc¹; Leona Knox¹, BSc¹; Antonia Palmer, MSc, BA²; Delphine Heenen³, LL.M³; Patricia Blanc, MBA⁴; Nicole Scobie⁵; and ...



Groupe de travail multipartite sur une nouvelle stratégie de développement pour résoudre le problème de l'ALK



Andy Pearson



Nicole Scobie

European Journal of Cancer 62 (2016) 1–8

Available online at www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.ejcancer.com

ELSEVIER

Current Perspective

Implementation of mechanism of action biology-driven early drug development for children with cancer

Andrew D.J. Pearson ^{a,*}, Ralf Herold ^b, Raphaël Rousseau ^c, Chris Copland ^d, Brigid Bradley-Garelik ^e, Debbie Binner ^f, Renaud Capdeville ^g, Hubert Caron ^{h,i}, Jacqueline Carleer ^j, Louis Chesler ^k, Birgit Geoerger ^l, Pamela Kearns ^m, Lynley Marshall ⁿ, Stefan M. Pfister ^o, Gudrun Schleiermacher ^p, Jeffrey Skolnik ^q, Cesare Spadoni ^r, Jaroslav Sterba ^{s,t}, Hendrick van den Berg ^b, Martina Uttenreuther-Fischer ^u, Olaf Witt ^v, Koen Norga ^w, Gilles Vassal ^x
on behalf of Members of Working Group 1 of the Paediatric Platform of ACCELERATE²

CrossMark

- Mécanisme d'action : développement précoce de médicaments piloté par la biologie ✓
- Forums de stratégie pédiatrique pour faciliter l'établissement des priorités ✓
- Profilage moléculaire des tumeurs pédiatriques au moment du diagnostic et de la rechute ✓
- Nouveaux essais cliniques internationaux pour ces maladies rares, représentants des patients dans le comité dès le début ✓

Recommandations du modèle ACCELERATE

Les représentants de patients en tant que partenaires de la recherche



- Impliqués dès le début du processus de recherche
- Partenaires égaux à la table
- Jouent un rôle dans chaque partie du développement des médicaments (concept, idée, question, design, résultats, analyse, communication)
- Ont besoin de soutien, frais de déplacement, etc
- Le mentorat et les forums de discussion ouverts sont de bons moyens d'acquérir des connaissances et de l'expérience



Quelques exemples

- Consultation avec l'EMA, le FDA, les Comités d'éthique, les pharmas, le monde politique
- Comité Scientifique de Médecine Hautement Spécialisée
- Rôle de PPI dans les projets de recherche (exigence de financement de l'UE et autres)
- Parlement européen 2016 et 2019 afin de demander à la commission européenne de réviser la législation avec SIOPE



Les représentants de patients qui mènent les discussions difficiles

“The scientific and moral dilemma of randomising hope in poor prognosis children’s cancers”

Comment mettre en équilibre la nécessité de la preuve scientifique avec le besoin d’espoir qu’ont les parents et patients?

Participants au niveau international:

- Représentants de patients
- Académiques/chercheurs
- Agence réglementaires (FDA, EMA, HTA, Health Canada...)

Comment avancer ensemble?

- Toutes les parties prenantes, travaillant ensemble
- Collaboration nationale avec représentation mixte/égale
- Communiquer clairement avec une voix et un message cohérent
- Proactif et stratégique



LE PATIENT AU CENTRE DE TOUTES NOS ACTIONS

Et en Suisse ?

- Implication dans les projets de recherche (PPI)
- Mobiliser les acteurs de la recherche à travailler ensemble, de façon stratégique, avec le patient au centre des préoccupations
- Financement de la recherche – mais pas que !
- Lobbying and collaborations afin d'améliorer le "système"
- **Ensemble !**

