



# HEALTHCARE DATA SUMMIT 2018

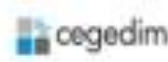
## *Idées partagées*

En réunissant des institutions publiques (Bpifrance), privées (EY, G5 Santé, Cegedim) et plusieurs think tanks (Renaissance Numérique et Healthcare Data Institute), le LIR a pris l'initiative d'organiser, pour la première fois en France, une journée de partage des connaissances entre acteurs des secteurs public et privé.

Des personnalités françaises et internationales spécialistes du big data et de l'intelligence artificielle, experts des systèmes de santé, dirigeants d'entreprises, représentants des patients et professionnels de santé ont été réunis autour de trois tables rondes.

En encourageant l'intelligence collective, le LIR et ses partenaires ont pour ambition d'aligner les acteurs entre eux sur : l'évolution de la qualité des parcours de santé, l'évaluation des innovations en vie réelle, le potentiel des données patients, et la compétitivité de la France en matière d'innovation santé.

Vous trouverez ci-après les idées partagées pendant cette journée d'échanges.





# Idées partagées par :

## Numérique et données au service de la qualité des parcours de santé

- **Alain-Michel CERETTI**, Président - France Assos Santé (France)
- **Grégory EMERY**, Sous-directeur adjoint de la performance - Direction générale de l'offre de soins (France)
- **John FARENDEN**, Senior Programme Director - NHS England (Royaume-Uni)
- **Lawrence GARBER**, Medical Director of Informatics - Reliant Medical Group (Etats-Unis)
- **Etienne MINVIELLE**, Professeur Chaire Management - Université Sorbonne Paris Cité (France)
- **Martin SEVERS**, Directeur médical - NHS Digital (Royaume-Uni)

## Données de santé et évaluation des innovations

- **Pascale FLAMANT**, Déléguée Générale - UNICANCER (France)
- **Bernard HAMELIN**, Responsable Monde du département "Medical Evidence Generation" au sein de la Fonction Médicale - Sanofi (France)
- **Michael SCHRÖTER**, Responsable du projet Modèle de Remboursement Personnalisé - Roche (Suisse)
- **Vahan SIMONYAN**, Directeur R&D en Bioinformatique - Food and Drug Administration (Etats-Unis)
- **Christian THUILLEZ**, Président de la Commission de transparence et membre du Collège - Haute Autorité de Santé (France)
- **Franck VON LENNEP**, Conseiller santé, protection sociale et politiques sociales - Cabinet du Premier Ministre (France)

## Données patients et intelligence artificielle

- **Jean-Marc AUBERT**, Directeur - Direction de la Recherche, des Études, de l'Évaluation et des Statistiques - Ministère des Solidarités et de la Santé (France)
- **Emmanuel BACRY**, Responsable du partenariat avec la Caisse Nationale de l'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés - École polytechnique (France)
- **Yvanie CAILLÉ**, Directrice - Institut National des Données de Santé (France)
- **David DE AMORIM**, Membre du think tank - Renaissance Numérique (et Directeur Général de l'Innovation chez DOCAPOST) (France)
- **Carlos JAIME**, Président de la Commission Digital Health - Medicen Paris (France)
- **Fabrice NAFTALSKI**, Attorney at Law Partner, Global Head of Data Protection Law Practice / IPIT & Digital Law - EY (France)
- **Philippe RAVAUD**, Directeur du Centre de Recherche en Épidémiologie et Statistique - Université Sorbonne Paris Cité (France)



# 1. Numérique et données au service de la qualité des parcours de santé

## 1.1 La transformation du système de santé passera par un recentrage sur le patient et l'utilisation du numérique et des données de santé de manière adaptée afin d'améliorer la qualité et l'efficacité des parcours de santé intégrés

Le premier pilier de transformation du système passe par un **recentrage sur le patient et sa prise en charge optimale tout au long de son parcours de santé**, et non sur la réussite de l'acte médical isolé par un professionnel de santé

► **Passage du soin d'un organe en particulier à la valorisation de l'amélioration de l'état général du malade**

*« La grande transformation du système de santé, c'est la substitution de l'organe par le patient »*

- Système actuel non-soutenable car les fournisseurs de soins, avec la diminution des tarifs des actes, sont obligés de trouver des moyens de contournement (exemple : augmenter la quantité des actes au détriment de leur qualité)

► **Mise en place de parcours de santé intégrés autour du patient, comme le montrent les exemples internationaux : coordination avec l'ensemble des acteurs du parcours de santé**

► **Rôle plus actif du patient dans sa prise en charge**

*« Aujourd'hui, le patient est souvent considéré comme un simple bénéficiaire. Il faut repenser son statut en passant un partenariat avec lui, en le rendant co-créateur de sa prise en charge »*

**La qualité des parcours de santé peut être améliorée au niveau collectif et individuel**

► **Meilleure lisibilité de l'offre de soins et amélioration de l'orientation des patients, notamment sur les pathologies rares ou peu communes**

► **Meilleur accès aux soins via la télémédecine et approche plus populationnelle**

► **Prise en charge personnalisée et différenciée (traitement, suivi, etc.) en fonction des spécificités et de l'historique du patient, de son environnement socioculturel, économique, de ses attentes et préférences, etc.**

- **Médecine prédictive**

- **Choix du traitement le plus adapté (algorithmes liés aux données)**

*« Les données doivent être accessibles en priorité aux médecins pour leur permettre de prendre la meilleure décision thérapeutique »*

- **Suivi en temps réel via le suivi de données spécifiques et des services aux patients (télésurveillance, résultats rapportés par les patients - PRO, etc.)**

*« Aujourd'hui, le suivi à distance du patient devient fondamental et la télémédecine représente un des moyens de le faire »*

*« La donnée va permettre de modifier la prise en charge du patient avec une rétro-information fournie au médecin »*

▶ **Pertinence de l'ensemble du parcours de santé (du diagnostic au choix du traitement)**

*« On ne peut pas empêcher quelqu'un d'aller aux urgences mais on peut s'assurer que le parcours a été cliniquement pertinent »*

▶ **Transparence et responsabilisation des parties prenantes via le partage des données de santé**

*« Le numérique lève ce voile pudique de l'ignorance, autant pour le malade que pour le soignant et les organisations de soins »*

- **Possibilité du patient de demander des comptes** sur sa guérison aux professionnels de santé
- Question de la **prise en charge sous condition du patient**, et par exemple du remboursement des soins si le patient met en œuvre les actions de prévention exigées

▶ **L'efficacité des parcours peut aussi être améliorée**

▶ **Maîtrise des dépenses de santé grâce à une plus grande pertinence du parcours**

*« Le digital est en train de robotiser un processus inefficace et nous permet de faire 38M€ d'économies par an »*

▶ **Gain de temps sur les tâches administratives** pour les professionnels de santé grâce à la digitalisation, leur permettant de se focaliser sur le patient

- Digitalisation de la pratique (prise de rendez-vous, dossiers électroniques, prescriptions)

*« Au Royaume-Uni, il y a 2 fois plus de personnes qui prennent un rendez-vous pour une consultation médicale en ligne que de personnes qui réservent des billets de train en ligne »*

▶ **Programmes déjà engagés pour rendre les parcours patient plus efficaces**

- Le programme **Simphonie** (Simplification du Parcours Hospitalier du patient et de Numérisation des Informations Échangées) en France (400 millions d'euros) permettra de transformer et de simplifier le parcours hospitalier en le digitalisant (messagerie d'échange, prescription dématérialisée)

## 1.2 La prise en compte de bonnes pratiques identifiées permettra d'assurer le succès de cette transformation vers un système de santé plus intégré

▶ **Coordination de l'ensemble des acteurs du parcours de santé vers un même objectif de qualité et d'efficacité du parcours patient afin d'instaurer une confiance entre le patient et l'ensemble des parties prenantes**

▶ **Co-construction des solutions avec l'ensemble des acteurs du parcours de santé pour comprendre leurs comportements et leurs usages : publics et privés, professionnels de santé et patients**

*« Exemple du pilulier intelligent : l'ouverture du couvercle émettant un signal vers le central ne signifie pas que la pilule a été prise. Si on est centré uniquement sur les technologies et pas sur les usages, on va passer à côté de beaucoup de choses »*

*« On n'a plus les moyens de développer des services qui ne vont pas rencontrer des usages bien particuliers »*



■ **Equilibre entre implémentation au niveau national et local** pour prendre en compte les spécificités géographiques locales

■ **Paiement par capitation / au parcours vs. la logique du paiement à l'acte** actuelle favorisant une logique de volume au détriment de la qualité

- ▶ Responsabilisation et transfert du risque vers les fournisseurs de soins
- ▶ Intégration de la prévention dans la rémunération des professionnels de santé

■ **Des outils techniques performants** mis à disposition pour le partage et l'analyse des données entre les professionnels de santé pour une meilleure prise de décision en temps réel

- ▶ Données des dossiers patients traitées grâce à des outils analytiques et des indicateurs pour faire gagner du temps aux professionnels de santé

■ **Analyse des erreurs passées (mémoire des organisations) et évaluation des nouvelles initiatives mises en place (impact, économies, etc.) afin d'en tirer des apprentissages pertinents (et éventuellement les généraliser)**



### 1.3 La mise en place du nouveau système de santé nécessite un véritable engagement de l'Etat, qui devra faire face à des investissements conséquents et des défis stratégiques, organisationnels, culturels, techniques et sociétaux

Plusieurs défis sont à prendre en compte pour réussir la transformation du système de santé.

#### Défi stratégique

- ▶ Attente de l'ensemble des acteurs d'un véritable engagement de l'Etat pour mener à bien cette transformation
- ▶ **Construction d'un schéma directeur national** permettant de donner plus de lisibilité à l'ensemble des acteurs (rôle de chacun des acteurs, place des partenariats public-privés)
- ▶ **Elaboration d'un nouveau cadre réglementaire** permettant des temps d'expérimentation plus courts (absence de pilotes sur 5 ans) permis par le numérique pour une évolutivité plus rapide de la nouvelle organisation des soins  
*« Le numérique va permettre de faire les bons paris »*

#### Défi organisationnel et culturel

- ▶ **Education de l'ensemble des acteurs pour les responsabiliser et réussir à les faire travailler ensemble dans un climat de confiance** : étudier les comportements de chacun - patient et professionnels de santé - face au numérique pour adapter au mieux l'offre de soins
- ▶ **Accompagnement des différents acteurs dans le changement**  
*« La difficulté des expérimentations locales de nouveaux modèles réside dans la gestion de projet, l'accompagnement des acteurs dans le changement de leurs habitudes »*
  - **Promotion d'une meilleure coordination entre les différents acteurs du parcours de santé**, en particulier les différentes hiérarchies du corps médical (exemple : professionnels de santé, infirmières, pharmaciens)
  - **Education du patient pour lui permettre d'être un acteur de sa prise en charge** : compréhension de son rôle dans le parcours, sensibilisation du rôle des données dans sa prise en charge individuelle, mais aussi dans un objectif de santé collective
  - **Formation des acteurs de santé et des patients aux outils numériques et à leurs usages**
    - Les médecins devraient être formés aux nouvelles technologies et aux nouvelles manières d'exercer leur métier  
*« En tant que jeune médecin j'ai été formé aux actes médicaux mais pas à me coordonner avec les autres acteurs du parcours de soins »*
  - **Incitation à la transparence entre acteurs** afin de créer une relation de confiance avec le patient  
*« Il est clé de forger une relation de confiance entre les médecins et les patients »*

## Défi technique et sémantique

- ▶ **Interopérabilité technique des systèmes d'information** (établissements de santé, dossiers médicaux en ville, dossiers pharmaceutiques)  
*« Sans interopérabilité nous générerons des données qui auront moins de valeur secondaire. Si nous ne faisons rien, un jour ou l'autre on nous le reprochera »*
- ▶ **Structuration des données** : texte, image, signaux
- ▶ **Interopérabilité sémantique** : sémantique commune des termes scientifiques pour interpréter les symptômes et soigner les maladies en fonction des spécificités et de l'historique du patient, de son environnement socioculturel et économique

## Défi sociétal et éthique

- ▶ **Assurance de l'accès aux soins et aux nouveaux outils développés pour tous, pour ne pas créer plus d'inégalités**  
*« La recherche de l'efficacité permise par l'utilisation des données de santé ne doit pas aggraver les inégalités d'accès aux soins »*
- ▶ **Bon équilibre entre centralisation et décentralisation** en adaptant le cadre national aux spécificités locales  
*« Nous devons identifier les bonnes pratiques locales et comprendre pourquoi elles ont marché, de manière à pouvoir les adapter en fonction des spécificités locales »*  
*« Il faut combiner le cadre national et la courbe d'expérience locale. La structure géographique et la nature des équipements sont des facteurs à prendre en compte »*
- ▶ **Appropriation des données par le patient** : souhaite-t-on valoriser les données des patients et leur donner le choix de partager ou non leurs données?

## Défi de financement

- ▶ **Besoin conséquent d'équipes SI performantes** au sein des établissements de santé et des réseaux développés  
*« Les hôpitaux manquent de personnel technique »*
  - Exemple : Le Reliant Medical Group dispose d'un département SI de 50 personnes pour une organisation de soins de 2 000 employés et de 500 professionnels de santé
- ▶ **Des outils performants d'interprétation des données** seront nécessaires pour leur donner un sens et sélectionner uniquement les informations pertinentes  
*« La data sans algorithme n'a pas de valeur »*  
*« Un bon système va alerter le médecin sur les informations clés à prendre en compte pour qu'il se focalise sur la valeur ajoutée de son service. Il ne doit pas lui demander plus de temps »*
- ▶ Exemple : Le Reliant Medical Group a investi 23 millions de dollars pour mettre en place sa technologie sur 8 ans (incluant toutes les interfaces avec les autres plateformes de la région : pharmacies, hôpitaux, etc.)

## L'exemple du Reliant Medical Group

Le Reliant Medical Group est un groupe américain intégré et collaboratif de soins regroupant un ensemble de professionnels de santé. La qualité des soins se situe dans le top 10% des indicateurs de qualité mesurés sur le territoire américain, tandis que les coûts de santé ont été réduits de 20%

### ► Grands principes :

- Indicateurs de qualité et d'efficacité des soins
- Coordination étroite entre tous les professionnels de santé du parcours de santé (généralistes, spécialistes, infirmières, aidants)
- Visibilité des données de santé par le patient
- Outils performants mis à disposition des professionnels de santé pour partager et analyser les données de santé des patients : transmission des dossiers patients par les hôpitaux où vont les patients, dossiers patients connectés avec les pharmacies
- Médecine préventive et suivi de l'observance : identification des patients à risque et des patients devant être suivis (observance, effets secondaires, etc.) grâce à des outils analytiques
- Contrat de partage des risques entre les professionnels de santé qui se matérialise par une rémunération par capitation/patient et non par une rémunération à l'acte  
*« Sur 100\$ de rémunération de soins qui sont versés pour un patient, 90\$ sont redistribués entre les différents professionnels de santé qui sont intervenus dans le parcours de soins »*

### ► Informations additionnelles :

- Central and Metrowest Massachusetts
- 500 professionnels de santé, 2 000 employés, 320 000 patients
- 1 million de documents partagés entre les fournisseurs de soins chaque année

### ► Facteurs clés de succès identifiés pour assurer le fonctionnement d'un tel système :

- Reconnaissance de la valeur créée par tous les acteurs impliqués : professionnels et établissements de santé, patients, industriels de la santé, assureurs, etc.
- Instauration d'une confiance entre le patient et les acteurs de santé, basée sur la valeur des soins apportée aux patients et non sur les dollars associés
- Compétences et équipes SI dédiées importantes

### ► Moyens mis en œuvre et principales échéances

- 8 ans pour atteindre une organisation sans papier, qui utilise l'analyse de données et la médecine préventive au quotidien
- Mise en place d'une équipe SI de 50 personnes (pour 2 000 employés / 500 professionnels de santé)
- Autres exemples : mise en place d'une hotline pour orienter les patients ayant besoin de soins en urgence pour désengorger les hôpitaux





## 2. Données de santé et évaluation des innovations

### 2.1 La collecte et l'exploitation de données de vie réelle de qualité sont aujourd'hui essentielles pour répondre aux nouveaux défis des systèmes de santé

**Il existe un véritable consensus de l'ensemble des acteurs autour du rôle de plus en plus fondamental joué par les données en vie réelle dans l'amélioration de notre système de santé**

**Les données en vie réelle servent la recherche, la frontière entre essais cliniques et données de vie réelle s'estompant d'ailleurs progressivement**

*« Les frontières entre données en vie réelle et essais cliniques randomisés s'estompent progressivement »*

- ▶ **Au bénéfice de la recherche en général**, les données massives, avec l'utilisation d'algorithmes, pourraient donner des enseignements plus importants sur les pathologies

*« Le recours aux données massives est essentielle. Les données de la génomique vont permettre de déterminer des populations cibles, de parler de traitements personnalisés et vont modifier le développement du médicament »*

- ▶ **Les données de vie réelle permettent aussi d'améliorer la conduite d'essais cliniques** : identification des investigateurs, recrutement des patients, et nouveaux protocoles dans le cadre de maladies rares, randomisation grâce à des cohortes par exemple dans le diabète pour avoir des comparaisons qui sont plus pertinentes, etc.

- ▶ **Aux Etats-Unis, les essais cliniques pragmatiques, plus proches de la vie réelle**, ont vu le jour et permettent d'étudier les effets des médicaments dans des populations qui sont plus larges, qui ont plus de comorbidités, et qui sont traités dans leur environnement (vs. dans des centres spécifiques où l'on mène les essais cliniques traditionnels)

*« Historiquement les pharmas utilisent les CRO pour conduire les essais cliniques qui sont effectués sur site afin de suivre les patients. Cependant aux Etats-Unis, tous ne peuvent pas se déplacer jusqu'aux centres et c'est très coûteux. Dans un modèle pragmatique, on utilise les conditions de vie réelle de prise des médicaments [...], en plus de montrer les résultats de l'essai clinique randomisé sur un sous-groupe de population »*

## Les données en vie réelle permettent d'améliorer la sécurité sanitaire et la prise en charge des patients

« On a longtemps sous-estimé le potentiel des données en vie réelle. Aujourd'hui il y a une vision partagée entre tous les acteurs : on a besoin des données en vie réelle pour répondre aux nouveaux usages de notre système de santé »

- ▶ **Diminution du risque sanitaire** par le suivi de la prescription du traitement (vérifier qu'il n'y a pas de dérives de prescription dans d'autres indications), l'observation en temps réel de son efficacité et de ses effets secondaires potentiels, son observance par le patient, etc.
- ▶ **Détermination des populations cibles et mise au point de traitements différenciés et personnalisés** en fonction des profils et des besoins des patients

« Plus on a d'informations sur l'environnement des patients, plus on pourra personnaliser les traitements, et cibler le bon traitement au bon moment pour le bon patient »

## Les essais cliniques randomisés en double-aveugle restent la référence pour évaluer les innovations mais les données de vie réelle permettent de répondre aux nouveaux défis du système de santé

- ▶ **Confirmation du bénéfice-risque du médicament et de sa prise en charge par la Solidarité Nationale post-inscription** dans le cas de dossiers moins complets (autorisation de mise sur le marché conditionnelle, fast-track approval) lorsqu'il y a encore une incertitude sur le rapport bénéfice-risque à l'inscription

« Les données en vie réelle permettent de confirmer l'efficacité d'un traitement, d'évaluer le rapport bénéfice-risque et de voir quelles sont les conditions de leur prescription dans le cadre des études post-inscription. Nous demandons 17 études observationnelles par an. Les résultats de ces études ont abouti dans 70% des cas à une évaluation identique. Dans 20% des cas le produit a été légèrement dégradé : le médicament ne donnait pas tous les bénéfices escomptés »

- ▶ **Confirmation en vie réelle et sur une population plus large du bénéfice-risque observé dans les essais cliniques sur un échantillon restreint de patients présélectionnés** : en vie réelle les patients ont des propriétés génétiques différentes, de multiples comorbidités, et des comportements différents

« Il est important de continuer à s'intéresser au médicament et à ses effets après le lancement, et seules les données en vie réelle peuvent aider à le faire »

- ▶ **Evaluation de la conduite sur le long-terme de certains traitements** (ex. PD-1 et hypocholestérolémiants) pour identifier les durées optimales de traitements par rapport au bénéfice-risque
- ▶ **Efficiency de l'organisation des soins par une tarification en fonction de la performance / des résultats et l'identification et le partage de bonnes pratiques entre professionnels de santé**



## 2.2 De nombreuses initiatives prometteuses ont été mises en place mais il existe encore certaines limites relatives à la collecte et à l'exploitation de ces données

### Plusieurs initiatives d'agrégation et d'exploitation des données en vie réelle ont vu le jour en France et à l'étranger

- ▶ Au niveau national, le chaînage et l'ouverture des principales bases de données de santé publique (PMSI / SNIIRAM) est un pas vers une plus large utilisation des données de santé. Cependant, on observe un **manque de données cliniques** dans ces bases qu'il faut coupler avec d'autres sources de données pour faire un grand nombre d'analyses
- ▶ La plateforme de données **ESME** (Épidémiologie-Stratégie Médico-Economique) d'UNICANCER a été initiée pour récolter des données de vie réelle pour les patientes atteintes de cancer du sein métastatique afin de **soutenir la recherche** sur le cancer et **éclairer les autorités de santé dans leur prise de décision** en générant des données complémentaires de celles issues des essais cliniques randomisés (stratégie thérapeutique, suivi des combinaisons, etc.)
  - Méthodologie : Documentation des données en vie réelle des patients traités pour un cancer en France dans les centres de lutttes contre le cancer par les professionnels de santé, puis anonymisation et centralisation sur la plateforme avec une actualisation annuelle / 3 plateformes pour le cancer du sein métastatique (plus de 30 000 patientes dans la base d'ici 2020), le cancer de l'ovaire et le cancer du poumon
  - **Financement du programme sous forme de partenariat public-privé** avec des laboratoires pharmaceutiques
  - **Limite identifiée** : besoin d'ouverture aux autres centres hospitaliers traitant ces pathologies afin d'avoir des données plus représentatives
- ▶ Le programme **PRM** (modèle de remboursement personnalisé) lancé par Roche dans le cancer du sein consiste en une **collecte des données standardisées via des logiciels** préexistants dans les établissements de soins (ex. logiciel Chimio), afin de favoriser l'émergence de **nouvelles modalités de financement** des médicaments anticancéreux basées sur leurs bénéfices « en vie réelle » pour le patient
- ▶ La FDA utilise aujourd'hui utilise des données de différentes sources (recherche clinique et dossier patients électroniques) et a collaboré avec IBM Watson pour créer une plateforme de données pour les patients afin qu'ils soient incités à partager leurs données et donner leur consentement pour une utilisation pour la recherche
- ▶ D'autres exemples mettent en valeur la volonté des autorités de santé, notamment aux Etats-Unis : les payeurs cherchent à réduire l'incertitude sur le rapport bénéfice / risque du médicament grâce à une plus large utilisation des données en vie réelle
  - L'un des exemples cité est celui de Novartis, qui a lancé le premier traitement anticancéreux autorisé sur le marché utilisant les cellules CAR-T. Ce traitement a fait l'objet d'un contrat de performance avec les payeurs américains : le traitement n'est efficace que sur 80% des patients et n'est financé que si le patient est guéri. Un deuxième traitement a été lancé avec un discount de 100k\$ par patient, mais les payeurs ont préféré que le traitement soit aussi financé via un contrat de performance qu'avoir un rabais de 100k\$ par patient sur tous les patients

- Les Centers for Medicare & Medicaid Services cherchent aussi à développer le paiement à la performance sur certaines innovations mais sont confrontés à des problèmes de données pas assez « propres »

**Toutefois, aujourd'hui les difficultés de collecte et d'exploitation, parfois le coût de leur mise en œuvre et le manque de clarté sur la façon dont elles vont être utilisées pour évaluer les innovations, ne permettent pas de déployer la collecte et l'exploitation de données en vie réelle de qualité à grande échelle pour le moment**

- ▶ **Le manque d'interopérabilité des systèmes d'information et de partage des données empêche de croiser les données de différentes sources pour les faire parler entre elles**

*« Les logiciels des centres hospitaliers et de recherche ne sont pas interopérables »*

- Aussi, il est nécessaire de créer un cadre d'échange pour obtenir le consentement du patient, première étape et premier frein potentiel dans la collecte des données

*« La FDA travaille avec IBM pour avoir un cadre d'échange avec le patient pour qu'il puisse s'approprier les données et consentir à leur libération »*

- ▶ **La collecte des données de vie réelle reste la plupart du temps coûteuse et n'est pas encore optimisée**

- Les études post-inscriptions représentent un poids important dans le développement des médicaments

*« Le coût de développement d'un médicament est d'environ 1.6 Md€, le coût pour réaliser tous les essais demandés post-inscription représente 300M€ par molécule, ce n'est pas durable »*

- ▶ **La collecte de données de vie réelle de qualité, représentatives et pouvant donner des informations de morbi-mortalité nécessitent de gros investissements humains pour les acteurs sponsors et les professionnels de santé récoltant ces données (exemple de ESME)**

- L'intervention humaine reste nécessaire pour obtenir des données exploitables en quantité suffisante

*« On a développé un outil avancé automatique de fouille et d'extraction de données mais on ne l'utilise pas encore car il y a encore un décalage de qualité entre ce qu'on ressort de notre outil et ce qui est fait à la main par les attachés de recherche clinique, [...] On se rend compte que l'on a besoin d'avoir des données totalement fiabilisées pour les études menées par la HAS, ce qui n'est rendu possible que par un travail de fourmi »*

- ▶ **L'utilisation qui est faite par les pouvoirs publics des données de vie réelle générées par les différents acteurs n'est aujourd'hui pas transparente et questionne l'intérêt des initiatives mises en place et de leurs investissements**

*« Il nous faut changer ce système d'accès qui n'est pas flexible et qui n'avance pas au rythme de l'évolution de la pratique clinique »*



► **Les méthodologies traditionnelles (utilisées pour évaluer les résultats d'essais cliniques randomisés) restent la norme pour évaluer et décider de la prise en charge d'un médicament par la collectivité mais ces approches pourraient être complétées par des données de vie réelle qui tiendraient compte de la multiplicité des données à considérer dans le cadre de la médecine personnalisée**

- D'importantes quantités de données sont demandées pour évaluer les innovations et donc inclure un grand nombre de patients dans les études. Or, certains traitements concernant des pathologies de niche ou personnalisés ne peuvent plus répondre à ces critères
- La mise sur le marché de certains médicaments est plus rapide (approval fast-track, autorisation de mise sur le marché conditionnelle par l'EMA) et les dossiers associés sont donc moins solides d'un point de vue méthodologique  
*« Il faut aller vers de la vie réelle pour lancer des innovations plus vite. Il faut optimiser ce système de collecte d'information post-inscription »*
- **Une fois collectées, les données de vie réelle, pour être exploitées, doivent être évaluées avec des méthodologies statistiques différentes et adaptées, et celles-ci ne sont pas encore acceptées par les pouvoirs publics**  
*« Il y a une sorte de frilosité en France, concernant les méthodologies pour l'utilisation des données en vie réelle et il faut surmonter ça ! »*
- **De nouvelles méthodologies et algorithmes doivent être développés pour évaluer les traitements personnalisés des patients et doivent prendre en compte la multiplicité des données associées à chaque patient (co-morbidités, génotype, culture, alimentation, lifestyle, etc.)**  
*« Les politiques publiques n'ont pas évolué au rythme des découvertes scientifiques et des évolutions réglementaires, on arrive à la limite des méthodologies actuelles ; il faut mettre en place de nouvelles méthodes statistiques »*  
*« Il faut pouvoir donner accès aux données aux petites entreprises qui pourront construire les méthodologies de demain »*



## 2.3 Les freins pourront être levés si et seulement si une véritable stratégie commune à tous les acteurs sur l'utilisation des données de vie réelle existe et que tous travaillent ensemble au développement de plateformes de données intégrées et de méthodologies adaptées à ces nouveaux types de données

**Une stratégie commune doit être définie afin de clarifier la finalité de l'exploitation des données de vie réelle et le rôle de chacun des acteurs : un changement d'approche, notamment sur l'évaluation des innovations est nécessaire et ne se fera pas sans forte impulsion de l'Etat**

- **L'utilisation qui va être faite des données en vie réelle** dans le cadre du bon usage du médicament, des évaluations des innovations et des autres usages potentiels doit être clarifiée  
*« Il faut avoir des objectifs clairs pour ne pas être perdu dans un océan de données »*
- L'Etat devra mettre en place une coordination stratégique sur la constitution des bases de données cliniques et en vie réelle et leur appareillage avec les systèmes existants  
*« La volonté d'exploiter les données en vie réelle peut fortement varier d'un pays à l'autre. En Belgique il n'aura fallu que 6 mois pour la mettre en place »*

**Les plateformes de données répondant aux exigences de cette stratégie commune pourront être créées via des partenariats entre les différents acteurs publics-privés reposant sur des objectifs communs et de co-construction**

*« Chez Sanofi, nous avons un projet permettant d'intégrer des données de la communauté publique ainsi que des partenariats avec des entreprises et des instituts de recherche pour partager nos référentiels et bases de données »*

*« Les infections ne reconnaissent pas les frontières, et j'espère que l'industrie, les scientifiques et les politiques ne les reconnaîtront plus à l'avenir »*

- ▶ **L'ouverture des données restent un enjeu clé**, elles doivent être accessibles aux acteurs pertinents de l'écosystème afin de répondre à la stratégie et aux objectifs communs identifiés
- ▶ **Il est nécessaire d'améliorer l'interopérabilité des différentes bases de données**, ex. pour faciliter le chaînage des données PMSI / SNIIRAM avec des données cliniques  
*« Il faut davantage appareiller les données médico-administratives qui remontent de l'assurance maladie avec des données cliniques des logiciels médicaux dans les établissements de santé pour éviter de devoir tout remonter manuellement »*
- ▶ **Pour certaines pathologies, la construction de plateformes de données ouvertes, intégrées et les plus larges possibles est indispensable** pour collecter des données de qualité suffisamment représentatives, pouvant être utilisées pour évaluer les produits de santé en continu
  - Besoin d'améliorer la facilité d'utilisation des plateformes pour inciter à la documentation des données
  - **Nécessité d'avoir une force de frappe plus importante en France, par exemple sur le cancer**  
*« Il serait probablement intéressant de mailler les différentes initiatives existantes en France, par exemple sur le cancer pour avoir une force de frappe plus importante »*



**Des nouveaux outils et méthodologies sont nécessaires pour permettre une collecte et une exploitation optimale des données en vie réelle**

- ▶ Capacité des **techniques d'évaluation** potentielles basées sur l'IA et la modélisation à **appréhender l'impact d'un nombre de variables très important sur le résultat du traitement** (comportement du médecin, environnement du patient, stade d'évolution de la maladie, historique du patient, interactions médicamenteuses, etc.)

*« Il faut aller très rapidement vers l'IA et la modélisation »*

*« Il faut des technologies plus agiles et dynamiques pour gérer et traiter ces données toujours plus nombreuses et précises »*

*« Il faudrait faire appel à des méthodologies statistiques innovantes et originales pour mieux analyser les données en vie réelle »*

- ▶ **La modélisation et l'intelligence artificielle** devraient permettre d'évaluer de manière plus pertinente l'efficacité des médicaments à partir de données en vie réelle



## 3. Données patients et intelligence artificielle

### 3.1 Il est nécessaire de prendre en compte les données massives provenant des patients au même titre que les autres données pour améliorer le système de santé

#### ■ **Ecouter et prendre en compte la voix, voire la « vision » du patient est essentiel pour améliorer le système de santé**

- ▶ Plateforme « Moi Patient » : Plateforme digitale qui va permettre notamment aux patients de participer à la recherche qui les concerne (en répondant à des suggestions) et évaluer la qualité des soins qu'ils reçoivent sur leur lieu de soins
  - Initiative qui a vocation à être élargie à d'autres pathologies comme le VIH  
*« Le rôle des patients dans l'apport des données est croissant »*
- ▶ Au Royaume-Uni, le British Medical Journal a lancé l'initiative du « Patient revolution » en s'assurant de la prise en compte de la « voix patient » dans les études publiées

#### ■ **Le patient doit être remis au centre du système de santé et être acteur dans la gestion de sa santé**

*« Pour faire de la médecine participative et préventive, il faut mettre en place des dispositifs pour donner accès aux données de santé au patient et le remettre au centre »*

#### ■ **Lier les données provenant des patients (exemple : résultats rapportés par les patients - PRO) avec les données venant des autres bases publiques (SNDS) peut être d'une richesse considérable**

*« La richesse des données vient de leur diversité »*

- ▶ Consortium Sorbonne Paris Cité / Assistance Publique travaillant sur la mise en place de la cohorte COMPARE (Communauté de patients pour la recherche) en lien avec les communautés et associations de patients, regroupant les données des : résultats rapportés par les patients (PRO), des milieux hospitaliers, de l'Assurance Maladie, etc.

*« Nous voudrions avec COMPARE faire un équivalent d'un 'All of us' américain [All of US est un programme de recherche américain consistant à collecter les données de millions d'américains pour accélérer la recherche et améliorer la santé publique]. Les premiers résultats de cette cohorte sortiront dans les mois à venir »*





**Une meilleure relation patient / professionnel de santé grâce à l'intelligence artificielle bénéficiera à l'ensemble des acteurs et peut améliorer la prévention et répondre aux enjeux de l'ambulatoire en France**

- ▶ **Facilitation des interactions entre les patients et les professionnels de santé grâce au numérique**

*« L'IA c'est l'émergence d'un 3e acteur, à côté du médecin et du patient »*

- ▶ **Education des professionnels de santé sur l'Intelligence Artificielle et nécessité d'avoir des outils qui facilitent l'interprétation de multiples données disponibles pour le professionnel de santé**

*« L'IA ne va pas remplacer le professionnel de santé, mais l'aider à interpréter le nombre de données croissant auquel il va être confronté sur son patient. L'IA va venir augmenter cette relation patient / professionnel de santé »*

**Beaucoup d'usages potentiels sont identifiés : détection d'effets secondaires de certains médicaments, comparaison des prises en charge sur les territoires (ex. dialyse), algorithmes prédictifs d'aggravation des pathologies, réduction de l'errance thérapeutique dans le cadre des maladies rares**

*« A partir des données du SNIIRAM, on peut faire beaucoup de choses. Par exemple il serait possible de réduire de 15 ans à 5 ans l'errance thérapeutique sur certaines maladies rares en appliquant un algorithme sur les données SNIIRAM »*

- ▶ **Exemples d'initiatives Big Data / Intelligence artificielle : Partenariat entre l'X et la CNAMTS pour travailler sur les bases du SNIIRAM afin de faire une preuve de concept sur l'utilisation de l'intelligence artificielle et des algorithmes, par exemple pour faire de la pharmaco-épidémiologie proactive et non réactive**

*« On s'est concentré sur les méthodes de pharmaco-épidémiologie. L'objectif est de pouvoir poser plus de questions à l'aveugle et de mettre un coup de projecteurs sur certains médicaments qui seront ensuite évalués par les méthodologies traditionnelles »*



## 3.2 Le développement d'outils d'intelligence artificielle performants passera par la collaboration entre technologues et professionnels de santé, et par le partage des données de santé nécessaires, et ce malgré les risques identifiés

Le développement de nouveaux outils d'intelligence artificielle ne se fera pas sans la mise à disposition de données de qualité : l'IA est la combinaison d'un algorithme performant et de données riches et de qualité : l'un sans l'autre ne peut exister

*« Les données sont le charbon nécessaire pour que les algorithmes / les moteurs fonctionnent »*

**La compréhension des intérêts de l'IA par les patients et les professionnels de santé est nécessaire pour une meilleure acceptation**

*« L'élément clé c'est la "confiance des patients". On ne va pas aller jusqu'à expliquer l'algorithme, trop compliqué, mais faire en sorte qu'il y ait une acceptation, pas de défiance »*

Le partage des données doit être encadré et le nouveau règlement européen sur la protection des données (RGPD) renforce **ce pacte de confiance entre les patients et les différents acteurs du système, et donc l'innovation**

▶ **Deux principes majeurs** : le principe de finalité et le principe de loyauté de la collecte

▶ **Un RGPD pensé pour renforcer l'innovation**

- Dispositifs d'anonymisation et pseudonymisation
- Pacte de comptabilité : possibilité de qualifier l'utilisation secondaire des données pour les réutiliser sous condition
- Etudes d'impact qui vont permettre de créer un référentiel pour aller plus loin et donneront une base légale


*« Si le patient sait que ses données sont protégées, il sera plus enclin à les partager et à prendre part à la recherche »*

**Le risque de ne pas partager ses données existe tout autant que le risque de les partager**

▶ Les américains évaluent le risque de partager par rapport au risque de ne pas partager (évaluation risque-bénéfice), tandis qu'en France, on est plus enclin à regarder les risques liés au partage des données (vs. au non-partage)

▶ L'anonymisation pose toujours un problème pour les chercheurs, ne pas avoir accès à l'entièreté des données peut-elle être un frein pour le progrès ?

*« Il faut plus de chercheurs avec un accès à l'entièreté des données, dans un environnement sécurisé, car c'est d'une richesse incroyable »*



## Il est essentiel de faire travailler les acteurs de la santé et du numérique ensemble pour digitaliser le monde de la santé et évaluer la pertinence médicale des modèles développés

- ▶ Les professionnels de santé doivent comprendre ce que la **technologie peut leur apporter** et les technologues doivent être sensibles à ce que **les professionnels de santé pourront en faire**
- ▶ Les professionnels de santé doivent être formés **pour s'appropriier ces technologies : les métiers vont se transformer**
- ▶ **La pertinence de ces nouvelles technologies doit être évaluée**
  - Exemple : Réalisation de modèle de réalité 3D pour aider à la préparation de la chirurgie

## Il est nécessaire d'avoir une vraie vision méthodologique et une transparence des algorithmes (capacité d'interprétation) pour s'assurer de leur fiabilité

*« Il faut éviter de développer des algorithmes avec les meilleurs hôpitaux américains et ensuite de penser qu'on va les transposer aux hôpitaux thaïlandais »*

*« Il y a des algorithmes impressionnants comme l'AlphaGo Zero de Google, qui est capable d'apprendre en ne disposant que des règles du jeu, sans avoir d'exemples humains, encore meilleur que la première version d'AlphaGo, qui avait battu les meilleurs champions du jeu « Go »»*

## Des questions subsistent sur la responsabilité de chacun des acteurs dans l'utilisation des données disponibles et des nouveaux outils d'intelligence artificielle

- ▶ **Quelle est la responsabilité des pouvoirs publics vis-à-vis des patients quand ils ne traitent pas les données dont ils disposent ?**
  - Par exemple, en France, pour traiter les patients en insuffisance rénale, deux traitements sont mis à disposition : en moyenne 55% des patients sont dialysés et 45% sont greffés (technique privilégiée). Dans d'autres pays, cette proportion est inversée. L'association Renaloo dénonce des problèmes d'orientation des patients depuis longtemps ; les patients sont orientés vers la dialyse car c'est une solution plus rentable. Or on sait que le fait de rester en dialyse alors qu'on pourrait être greffé est préjudiciable (maintien dans l'emploi, qualité de vie). Par exemple à l'île de la Réunion, une enquête est en cours, car seulement 17% des patients sont greffés. Les pouvoirs publics auraient pu agir grâce à l'analyse des données disponibles. Ainsi, quelle est leur responsabilité vis-à-vis des malades ?
- ▶ Les différents acteurs (laboratoires pharmaceutiques, etc.), en développant de nouveaux outils / services, **sortent de leur zone de responsabilité et doivent accepter de porter ces nouvelles responsabilités**
- ▶ Se pose aussi la question de la **responsabilité des utilisateurs** de ces nouvelles solutions, en particulier les professionnels de santé, qui ont cette donnée à disposition
  - Quelle responsabilité du professionnel de santé si les données qui arrivent en temps réel ne sont pas traitées immédiatement ?
  - Quelle responsabilité en cas de « bug » de l'algorithme ?



### 3.3 Les futurs champions de l'intelligence artificielle dans la santé devront avoir accès aux données pour développer les outils et services à destination des patients, des professionnels de santé et du système de santé en général

**Les futurs champions seront certainement des acteurs qui seront capables de proposer des solutions pertinentes à destination des différents acteurs du système de santé**

- ▶ En particulier, les sujets sont l'amélioration de la recherche clinique, l'accompagnement des patients dans leur parcours, les solutions aux professionnels et établissements de santé et le traitement des données en temps réel pour évaluer les molécules de manière continue
- ▶ Par exemple, aux Etats-Unis, le marché des solutions / outils d'accompagnement patient dans le domaine de la santé représente au moins 5 Milliards de dollars
  - L'industrie pharmaceutique commence à développer un écosystème de services autour du patient pour améliorer l'ensemble du parcours de santé du patient (observance, gestion de sa maladie, etc.)
  - L'hôpital est un hub médical, et l'objectif est d'utiliser des outils pour fluidifier chaque étape du parcours de soins

**Les défis à relever pour les start-ups des données de santé et du numérique sont multiples :**

- ▶ Accès de manière dynamique aux infrastructures des données de santé
- ▶ Etroite collaboration avec le monde médical pour s'assurer de la pertinence des solutions numériques et de leur adoption / passage à l'échelle des solutions
- ▶ **Modèle économique :** certains champions pourront se baser sur des modèles économiques existants (financement par la Solidarité Nationale) et d'autres champions devront repenser complètement leur business model