necessity

Nouveaux critères d'évaluation clinique chez les patients atteints du syndrome de Sjögren primaire: Essai interventionnel basé sur la stratification des patients

This project has received funding from the Innovative Medicines Initiative 2 Joint Undertaking under grant agreement No 806975. This Joint Undertaking receives support from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme and EFPIA

Nouveaux critères d'évaluation clinique chez les patients atteints du syndrome de Sjögren primaire: Essai interventionnel basé sur la stratification des patients

Le syndrome de Sjögren primaire est la deuxième maladie auto-immune systémique chronique la plus répandue après la polyarthrite rhumatoïde.

Il touche généralement **les femmes** de plus de 40 ans, mais les hommes peuvent aussi être touchés. Il est également de plus en plus souvent diagnostiqué chez des personnes plus jeunes.

Presque tous les patients souffrent d'une **sécheresse** importante des yeux, de la bouche, de la peau et des organes génitaux, de **douleurs** articulaires et de **fatigue** extrême. Environ la moitié des patients présentent également des complications impliquant d'autres organes (par exemple, les poumons, les reins). Dans de rares cas, les patients peuvent développer un type de cancer appelé lymphome.

La qualité de vie des patients est **très mauvaise** et, malheureusement, il n'existe **aucun traitement curatif** pour le syndrome de Sjögren primaire.

Certains traitements améliorent la sécheresse et la douleur (comme les larmes artificielles, les anti-inflammatoires, les analgésiques), mais ils sont très contraignants pour les patients, notamment en raison de la fréquence d'application des larmes artificielles.

Il n'existe aucun traitement pour la fatigue extrême qui est source de dépression et d'anxiété. La perte de productivité au travail et l'isolement social sont très fréquents chez les patients souffrant du syndrome de Sjögren primaire.

Développer de nouveaux outils pour accélérer la découverte de nouveaux traitements

Jusqu'à présent, les essais cliniques sur le syndrome de Sjögren primaire n'ont pas réussi à montrer qu'un médicament pouvait améliorer la santé du patient. Les scientifiques et les cliniciens se sont rendu compte que le fait que la **présentation clinique** varie fortement d'un patient à l'autre complique l'interprétation des essais cliniques. Par exemple, certains patients ne présentent que sécheresse, douleur et fatigue et aucune complication impliquant d'autres organes; tandis que d'autres ont des lésions dans les poumons, les reins et développent un lymphome.
Ces deux groupes de patients nécessitent une approche thérapeutique différente.

Parce qu'un médicament peut être efficace pour certains patients mais pas pour les autres, les experts ont compris que les essais cliniques devraient analyser les données en fonction de **sous-groupes** comprenant des patients ayant une présentation clinique similaire (ce qu'on appelle: stratification des patients).
Ces sous-groupes pourraient être basés, par exemple, sur l'activité de la maladie, l'intensité d'un symptôme ou les niveaux d'un biomarqueur particulier dans le sang. En analysant ces sous-groupes séparément, plutôt que l'ensemble de la population de patients, nous pourrions déterminer si le médicament est efficace pour ce sous-ensemble de patients.

Le **projet NECESSITY** a été mis en place pour apporter à la communauté étudiant le syndrome de Sjögren les **outils** nécessaires pour créer des sous-groupes de patients lors des essais cliniques.

- **Développer un nouveau score pour quantifier l'activité de la maladie et les symptômes**
- **Développer de nouveaux dispositifs et tests pour évaluer les symptômes des patients et leur ressenti**
- **Découvrir des biomarqueurs facilement détectables dans le sang**

Le **projet NECESSITY** utilisera une approche **multidisciplinaire** pour atteindre ses objectifs ambitieux.
Nous procéderons à une analyse statistique des données cliniques pour définir un nouveau système d'évaluation de l'activité de la maladie. Les travaux en laboratoire nous permettront de trouver de nouveaux biomarqueurs. Enfin, la recherche clinique sera cruciale pour développer et valider les nouveaux dispositifs et tests permettant d'évaluer les symptômes des patients.

Un **essai clinique** sera organisé dans 8 pays (France, Grèce, Italie, Pays-Bas, Norvège, Espagne, Suède, Royaume-Uni) pour évaluer la faisabilité et l'utilité des nouveaux outils développés par le projet.

Cliniciens, chercheurs, statisticiens, experts en affaires réglementaires et remboursement et représentants d'association de patients se sont **réunis** pour former le **consortium NECESSITY.**
NECESSITY regroupe **25 partenaires de 10 pays, dont 20 partenaires universitaires, 4 entreprises pharmaceutiques et 1 association de patients.**

Le projet, qui a officiellement débuté le **1er janvier 2019**, est financé par l'**"Innovative Medicine Initiative-2 Joint Undertaking".**
Il s'agit d'un partenariat public-privé entre la Commission Européenne et la « European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA) ».

Répondre aux besoins non satisfaits des patients

Tout au long du projet, notre stratégie sera guidée par une **interaction** constante avec les patients et les Autorités Sanitaires. L'opinion des patients est cruciale pour identifier les aspects **sous-estimés** ou ignorés de la maladie. L'avis des patients sera fourni par le Groupe Consultatif de Patients de NECESSITY, qui comprend des patients de plusieurs pays européens. En outre, la discussion avec les Autorités Sanitaires nous permettra d'obtenir leurs **recommandations** sur le développement des nouveaux outils.

Le projet NECESSITY ouvrira de nouvelles perspectives dans le traitement du syndrome de Sjögren primaire. De nouveaux outils et méthodologies seront mis à la disposition de l'**industrie** pharmaceutique pour évaluer de nouveaux médicaments. La **prise en charge clinique** sera améliorée grâce à une meilleure compréhension de la maladie, un diagnostic plus rapide et de nouvelles thérapies pour traiter et gérer la maladie. Les besoins en matière de prestation de soins de santé pour traiter les patients seront identifiés et conduiront à l'évolution des **politiques publiques.** Tous ces aspects contribueront à améliorer la qualité de vie des patients souffrant du syndrome de Sjögren primaire.

LISTE DES PARTENAIRES

Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale (INSERM) - France
www.inserm.fr

The University of Birmingham (UoB) - Royaume-Uni
www.birmingham.ac.uk

Karolinska Institutet (KI) - Suède
https://ki.se

University of Newcastle Upon Tyne (UNEW) - Royaume-Uni
www.ncl.ac.uk

Hopitaux Universitaires de Strasbourg (HUS) - France
www.chru-strasbourg.fr

Universitair Medisch Centrum Utrecht (UMC UTRECHT) - Pays-Bas
www.umcutrecht.nl

Université de Bretagne Occidentale (UBO) - France
www.univ-brest.fr

Fundacion Publica Andaluza Progreso y Salud (FPS) - Espagne
www.juntadeandalucia.es

Ethniko Kai Kapodistriako Panepistimio Athinon (NKUA) - Grèce
www.elke.uoa.gr

Université de Paris (UnivParis) - France
https://u-paris.fr/en/498-2

Assistance Publique - Hopitaux de Paris (AP-HP) - France
www.aphp.fr

Ecrin European Clinical Research Infrastructure Network (ECRIN) - France
www.ecrin.org

Universitetet i Bergen (UIB) - Norvège
www.uib.no

Innovation Acta (INN-ACTA) - Italie
www.innovationacta.eu

Association Francaise Gougerot-Sjogren (AFGS) - France
www.afgs-syndromes-secs.org

Queen Mary University Of London (QMUL) - Royaume-Uni
www.qmul.ac.uk

Università degli Studi di Udine (UNIUD) - Italie
www.uniud.it

Institut Pasteur (IP) - France
www.pasteur.fr

Helse Stavanger HF (SUS) - Norvège
https://helse-stavanger.no

Academisch Ziekenhuis Groningen (UMCG) - Pays-Bas
www.umcg.nl

Fundacio Clinic per la Recerca Biomedica (FCRB) - Espagne
www.clinicbarcelona.org/idibaps

Novartis Pharma Ag (NOVARTIS) - Suisse
www.novartis.com

Glaxosmithkline Research And Development LTD (GSK) - Royaume-Uni
www.gsk.com

Bristol-Myers Squibb Company (BMS) - Etats-Unis
www.bms.com

Institut de Recherches Internationales Servier (Servier) - France
www.servier.fr

Coordinateur du projet: Xavier Mariette - Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale - France
Leader du projet: Peter Gergely - Novartis Pharma Ag - Suisse

www.necessity-h2020.eu

Pour toutes questions, n'hésitez pas à contacter notre équipe via marine.camus-ext@aphp.fr

This project has received funding from the Innovative Medicines Initiative 2 Joint Undertaking under grant agreement No 806975. This Joint Undertaking receives support from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme and EFPIA

Date de début: 01/01/2019 - Durée: 72 mois
Coût total: 15,4 millions d'Euros