

Les économies morales de la promesse en santé

Le cas des nouveaux médicaments contre les cancers
pédiatriques

Émilien Schultz*, Daniela Boaventura, Solenne Carof

*CEPED-SESSTIM

1 septembre 2021

Contexte : des recherches sur la médecine de précision

- ▶ Développement de la **médecine** « **génomique** »¹
 - ▶ **Passage vers la clinique**, en particulier dans le domaine du cancer (Beaudevin, Peerbaye et Bourgain, 2019)
- ▶ **Projets** sur l'innovation dans le domaine du cancer
 - ▶ ACCE (SINCRO) avec Sylvain Besle et Solenne Carof sur l'accès des enfants en rechute à la médecine de précision
 - ▶ Thèse de **Daniela Boaventura** sur le développement de la médecine de précision en France (thérapies ciblées).

The screenshot shows a website for 'leem les entreprises du médicament'. The navigation bar includes 'Le Leem', 'Innovation & Santé', 'Emploi & Formation', and 'Production'. The main header area is blue with the text '100 QUESTIONS' and 'Le médicament et son écosystème d'innovation'. The central content area has a white background with a blue title 'Médicine de précision : en quoi accélère-t-elle le progrès thérapeutique ?'. Below the title, there is a paragraph explaining that precision medicine prescribes the most adapted treatment for each patient, followed by a sentence about biomarkers and a final sentence stating that 70% of molecules developed in oncology are already precision medicines.

leem
les entreprises
du médicament

Le Leem Innovation & Santé Emploi & Formation Production

100 QUESTIONS
Le médicament et son écosystème d'innovation

Médecine de précision : en quoi accélère-t-elle le progrès thérapeutique ?

Au lieu de prescrire le même traitement à tous les patients atteints de la même pathologie, la médecine de précision repose sur la prescription du traitement le plus adapté à chaque patient.

Des biomarqueurs pharmacogénomiques permettent notamment de cibler le traitement optimal pour chacun.

Aujourd'hui, 70 % des molécules développées en oncologie sont déjà des médicaments de précision.

1. Entendue comme le recours aux biomarqueurs issus du séquençages pour guider le soin, aussi appelé médecine de précision dans le domaine du cancer.

Constat : développement différentiel des promesses

- ▶ Une **économie de la promesse générique**² autour de la médecine de précision.
- ▶ Des formulations et développements qui prennent **des formes différentes** suivant les domaines en santé.
 - ▶ Programme en lien avec le soin en oncologie pédiatrique
 - ▶ Essais pilotes qui peinent à se déployer en diabète
- ▶ **Rendre compte de la formulation différencielle de ces promesses**

2. « *The economy of techno-scientific promises is a set of practices (discursive, R&D experiments, infrastructure and material investments, strategic alliances, etc.) that allow the mobilization of necessary resources all along the [techno-scientific transformation]* » (Joly and Renard, 2021), que l'on peut étendre et spécifier en délimitant des acteurs qui en dépendent et dont c'est une partie de leur activité.

Proposition : décrire ces économies morales autour des promesses d'innovation

- ▶ Des économies de la promesse traversant le domaine de la santé
 - ▶ Grandes avancées technologiques (IA, génomique, etc.)
- ▶ Les **réinscrire** dans des économies morales sectorielles
 - ▶ Chercheurs et patients avec leurs trajectoires
 - ▶ Des valeurs et des attentes différenciées

Proposition d'emprunter la notion **d'économie morale**.

La notion d'économie morale⁴

- ▶ Des **acceptions différentes**, de E.P. Thompson et J.C. Scott à L. Daston (pour les STS)
- ▶ Définition par Fassin (2009) comme « *la production, la répartition, la circulation et l'utilisation des sentiments moraux, des émotions et des valeurs, des normes et des obligations dans l'espace social* »³
 - ▶ Indexation à un système de normes et d'obligations imprégnées d'affects conditionnant les jugements sur la valeur de certains biens (ou discours).

3. Avec le risque d'une définition trop large (Siméant, 2015)

4. pas au sens de la Morale, mais des valeurs et émotions

Concrètement : des économies de la promesse contextualisées

Des promesses prises dans des évaluations locales de leur valeur.

- ▶ Des limites aux promesses et leurs critiques (Quet, 2012 ; Dalgarrondo et Hauray, 2020)
- ▶ Au-delà : des entrepreneurs de promesse tenus par :
 - ▶ Des régulations spécifiques
 - ▶ Des dispositions liés à leur socialisation
 - ▶ Des publics différenciés
- ▶ Aller vers une description épaisse de ces économies morales

Étude de cas : l'oncologie pédiatrique

Quelques éléments sur l'oncologie pédiatrique (en France)

- ▶ Maladies rares (1% des cancers, 2500 cas chaque année en France) ; pathologies différentes des adultes
- ▶ Socialement : dimension inadmissible de la mort d'un enfant
- ▶ Système de santé : structuration de l'oncologie pédiatrique autour d'un petit nombre d'unités dédiées
- ▶ Traitements :
 - ▶ Progrès des traitements au cours du XX^e siècle (80% de survie)
 - ▶ Innovation peu intéressante économiquement pour les industriels (hors AMM et essais cliniques)
- ▶ Configuration du soin : centralité des parents comme aidants
- ▶ Société civile : fort engagement associatif

Les promesses de la médecine de précision en oncologie pédiatrique

Déclinaison spécifique et rapide en oncologie pédiatrique dans des essais, en partie financés par des associations.



FAIRE UN DON

ESSAI ACSÉ-ESMART



DONNER ACCÈS À DES TRAITEMENTS INNOVANTS AUX ENFANTS EN RECHUTE OU EN ÉCHEC THÉRAPEUTIQUE, QUEL QUE SOIT LEUR CANCER – UN ESSAI UNIQUE AU MONDE

Cet essai a été cofinancé par les courses Enfants sans Cancer 2015 et 2019.

ESMART – European Proof-of-concept
Therapeutic Stratification Trial of Molecular Anomalies

In Relapsed of Refractory Tumors in children

AcSé-ESMART (ITCC-057) est un essai de phase I et II, **unique au monde en pédiatrie**, qui **porte sur tous les cancers et leucémies des enfants en rechute ou en échec thérapeutique**.

CENTRE DE RECHERCHE

lundi 29 avril 2019

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Médecine de précision pour les cancers pédiatriques au CHU Sainte-Justine

De l'espoir pour les enfants et adolescents ayant un cancer difficile à traiter



MONTREAL, le 29 avril 2019 – Cinq années après sa mise sur pied au service des enfants et adolescents du Québec, l'équipe de TRICEPS du CHU Sainte-Justine a pu faire la démonstration qu'il était possible de mettre en place un programme de recherche en médecine de précision en oncologie pédiatrique, comme le décrit un article fraîchement publié dans la revue *JAMA Network Open*. En moyenne, 300 enfants et adolescents meurent d'un cancer chaque année au Canada, un chiffre d'attente des traitements qui est estimé à 15 000 années de vie.

Une promesse des nouvelles molécules encore en phase de recherche

- ▶ Activité forte d'innovation biomédicale portée par des médecins chercheurs engagés : INCa, association pro.
- ▶ Mise en avant de la recherche clinique comme traitement (Besle et Schultz, 2020)
 - ▶ Importance de proposer quelque chose aux patients et leurs familles demandeuse
 - ▶ Des médecins qui croient à la possibilité de bénéfices
- ▶ Engagement des associations pour accélérer cette innovation et faire advenir ces promesses

Des promesses cependant **indexées** à des règles et des valeurs

Une première régulation formelle des promesses : la séparation entre recherche et soin

- ▶ Un ensemble de dispositifs juridiques (AMM, consentement éclairé)
- ▶ Et professionnel, avec la délibération collective des RCP
- ▶ Toutefois, des frontières se brouillent dans le cas des cancers avancés

Aussi encadrées en pratique par des valeurs spécifiques.

Le souci de l'enfant malade

Valeur centrale à la fois portée par les parents et les médecins fortement marqué d'affect du souci de l'enfant malade

« Qui a fait une « petite biopsie » régulièrement ? C'est comme un fromage de Suisse, hein, avec des trous partout, il [ne se] répare pas. Hein, et comme ça, il y a ces... [s'interrompt] C'est une question de jusqu'où on est agressif, et d'un autre côté avec, éventuellement, un espoir qui est [surdimensionné]. [...] **C'est tout ça où on joue. Parce que tous les... tous les parents ont de l'espoir et, comme ça, il faut trouver cette balance entre... être complètement à côté de la plaque et de, presque, de dire à tout le monde qu'on va les guérir, etc., et d'un autre côté, d'être trop pessimiste, hein, et rien faire.** Comme, on a ça, aussi, et ça, je pense que c'est une question perso. » [Médecin chercheuse]

Le rôle vigilant des parents dans le processus d'innovation

- ▶ Entretiennent cette économie de la promesse en poussant à l'innovation
- ▶ Présents comme observateurs aux différents niveaux (services de soin, colloque, etc.)

« Pourquoi les parents obtiennent et pas les docteurs ? Parce que, un, les politiques, ils écoutent les parents, ils écoutent les citoyens et, l'émotion, la sensibilité, ça marche toujours, **mais quand ils s'aperçoivent qu'il y a la maman qui raconte l'histoire de son enfant qui est décédé, mais qu'en plus, la maman, elle leur dit : « là, ça va pas, là, ça va pas, il faut faire ça », eh ben, c'est efficace.** Et, du coup, le travailler ensemble, au cours des dernières années, a fait que les parents sont... ont été dans une situation où ils ont pu exister, où ils ont pu être influents, ils ont pu avoir des projets. » [Chercheur engagé dans la coordination de programmes d'innovation]

Des déterminants locaux sur les promesses

L'économie de la promesse sur les nouveaux médicaments en oncologie pédiatrique :

- ▶ Vient résoudre un ensemble de **tensions spécifiques sur le besoin de traitements**
- ▶ Engage la **culture professionnelle** d'une communauté de pédiatres oncologues
- ▶ Se structure autour de **valeurs centrales** fortement empruntées d'émotions
- ▶ **Rôle crucial des parents** à la fois dans l'expression des promesses et leur suivi

Aller au-delà de l'oncologie pédiatrique

Particulièrement visible en oncologie pédiatrique. Mais hypothèse d'une pluralité d'économies morales pesant sur l'innovation ?

- ▶ Ensemble de normes et de règles communes au domaine de la santé
- ▶ Entre secteurs de la santé

Nécessité d'aller voir d'autres configurations

Esquisse d'une autre étude de cas : l'IA en radiologie

- ▶ Une économie de la promesse « générique » de l'IA en santé
- ▶ En radiologie, innovations spécifiques autour de nouvelles stratégies de traitement des images
 - ▶ Portées par des industriels historiques et des nouvelles startups
 - ▶ Segment professionnel bien installé avec une habitude des technologies
- ▶ Une régulation professionnelle forte de la part des radiologues dans la définition de ces promesses et de leur régulation (Mignot et Schultz, à venir)

En guise de synthèse

Proposition d'une mise en perspective de ce qui conditionne et contraint ces économies de la promesse en santé

- ▶ Approfondir la réflexion sur les promesses : « *C'est l'ensemble du milieu de la recherche qui est mû par la promesse et les attentes* », **mais** pas de la même manière suivant les secteurs
- ▶ Pose la question de la spécificité des promesses d'innovation en santé
- ▶ Ouvre une ligne de fuite sur l'encastrement de l'innovation dans les autres sphères sociales

Remerciements

Les patient.e.s, familles, médecins, associations et professionnels ayant participé aux enquêtes.

Pour les financements : l'association Imagine for Margo ; SIRIC BRIO (Institut Bergonié, Bordeaux) ; SIRIC Socrate (Gustave Roussy, Villejuif).

Les collègues des projets : Sylvain Besle, **Daniela Boaventura**, **Solenne Carof**, Céline Gabarro, Estelle Vallier.