



GOVERNEMENT

*Liberté
Égalité
Fraternité*



**AGENCE DE
L'INNOVATION
EN SANTÉ**

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Paris, le 15 Mai 2025

FRANCE 2030 : UNE ETAPE IMPORTANTE FRANCHIE AVEC LA PUBLICATION DU RAPPORT SUR LES EVOLUTIONS METHODOLOGIQUES EN RECHERCHE CLINIQUE

Depuis 2023, l'Agence de l'innovation en santé (AIS) et l'infrastructure F-CRIN (French Clinical Research Infrastructure Network) collaborent étroitement pour favoriser l'appropriation, par l'ensemble de l'écosystème de santé et les autorités, des nouvelles approches méthodologiques en recherche clinique. Rendues possibles par la massification des données cliniques et par l'émergence de l'intelligence artificielle (IA), ces approches pourraient profondément transformer la conduite des essais cliniques dans les années à venir. Avant d'entamer la phase opérationnelle de leurs travaux avec l'appel à manifestation d'intérêt sur des cas d'usage lancé en avril dernier, l'AIS et F-CRIN publient un nouveau rapport issu de leur groupe d'experts pluridisciplinaire. Ce document propose une analyse des méthodes et outils innovants, ainsi que de leur niveau d'acceptation, tant dans les milieux académiques que réglementaires.

La recherche clinique a pour objectif d'évaluer l'intérêt thérapeutique ou diagnostique, les conditions d'utilisation, les éventuels effets secondaires et la sécurité des innovations en santé. Avec la disponibilité de données cliniques de plus en plus nombreuses, notamment celles de vie réelle et l'émergence de l'IA permettant l'extrapolation et la création de données artificielles, de nouvelles méthodologies de recherche clinique se développent, différentes et complémentaires de celle des essais cliniques contrôlés randomisés. Ces nouvelles méthodologies peuvent en effet contribuer à accélérer le développement des produits de santé au bénéfice des patients dans des domaines où la preuve d'efficacité est difficile à démontrer (maladies rares ou ultra-rares, maladies d'évolution très lente, antibiorésistance...) et dans le contexte où les produits et technologies de santé sont de plus en plus personnalisés (anomalies génétiques ou moléculaires...). Elles doivent également garantir la même efficacité et la sécurité des produits pour les patients que la méthode standard d'évaluation.

Avec l'infrastructure F-CRIN, co-pilote d'un groupe de réflexion mis en place au printemps 2023, l'Agence de l'innovation en santé (AIS) poursuit l'analyse du potentiel et de l'acceptabilité de ces nouvelles méthodologies. Dans la continuité des premiers livrables publiés par ce groupe de travail (www.f-crin.org), le rapport publié aujourd'hui se focalise sur deux des évolutions les plus prometteuses : **l'utilisation des données de vie réelle ou soins courants et la mobilisation de l'IA** avec par exemple les essais *in silico* et la modélisation de données cliniques,

encore peu évalués par les autorités de régulation. L'analyse est illustrée de cas d'usages précis.

Partant de l'analyse de l'existant, ce rapport formule des recommandations pour garantir la disponibilité et la qualité des données de santé et définir leurs conditions d'exploitation, préalables indispensables pour assurer leur mobilisation et leur reconnaissance, en particulier pour la construction de bras externes intégrés dans les études cliniques.

DES RECOMMANDATIONS SUR L'ÉMULATION D'ESSAI CLINIQUE ET SUR CELUI DE L'IA ET LA SIMULATION POUR SURMONTER LES BIAIS DE DONNÉES

Le rapport formule des recommandations d'utilisation sur deux méthodologies. Tout d'abord, il pose un cadre de l'émulation de l'essai clinique. L'intérêt de cette méthodologie novatrice est de permettre d'utiliser les données de vie réelle pour simuler ce qui aurait été effectué dans un essai randomisé ainsi que de répondre aux « biais » inhérents à la collecte des données, c'est-à-dire des déformations ou des erreurs de résultats liées à la sélection des données et la typologie des populations desquelles elles sont issues, celles-ci ne reflétant pas la population générale (biais de sélection), à la temporalité de recueil des données (données recueillies à des périodes pouvant être éloignées (biais d'immortalité) ou à l'interférence d'un phénomène non pris en compte dans l'essai (biais de confusion). En définissant rigoureusement des critères d'éligibilité, des interventions comparées et des stratégies de suivi, l'émulation permet de mieux estimer l'effet causal des traitements dans des conditions réelles, notamment lorsque les essais traditionnels sont difficiles à mettre en œuvre ou éthiquement complexes, comme dans le cas des maladies rares ou des traitements ciblés.

Ensuite, le rapport met en avant plusieurs cas d'usage concrets de l'intelligence artificielle et des simulations *in silico*, qui ont le potentiel de transformer la manière dont les essais cliniques sont conçus et exécutés. Par exemple, l'IA permet d'enrichir les essais cliniques en optimisant la sélection des patients, en prédisant les réponses aux traitements et en ajustant les critères d'inclusion en fonction de données complexes non capturées par les approches classiques. Les modèles de simulation *in silico*, quant à eux, permettent de simuler l'évolution des maladies et de tester différents scénarios de traitement avant de lancer les essais réels.

Pour autant, pour que ces outils soient acceptés par les autorités, le rapport formule des recommandations d'usage :

- **Validation préalable** : avant d'être utilisés dans les décisions réglementaires, les modèles d'IA et les simulations doivent être validés dans un cadre clinique rigoureux, en particulier pour ce qui concerne l'analyse des biais (biais de sélection, biais d'immortalité, biais de confusion).
- **Limites d'utilisation** : bien que prometteurs, ces outils ne peuvent pas remplacer les essais cliniques traditionnels, mais doivent être vus comme des compléments pour renforcer la puissance statistique et répondre à des questions spécifiques.
- **Engagement avec les régulateurs** : le dialogue précoce avec les autorités (European Medicines Agency, Food and Drug Administration, Haute Autorité de Santé - HAS) doit permettre de garantir que les méthodologies hybrides (telles que les essais augmentés par IA ou les essais *in silico*) soient adaptées aux exigences réglementaires spécifiques. Par exemple, certaines approches d'IA peuvent être utilisées en complément des essais cliniques pour ajuster les populations cibles ou modéliser la durée des essais, mais doivent être accompagnées de données réelles pour valider leur efficacité.

Pour que ces nouvelles méthodologies soient plus largement utilisées, il est essentiel que des études de validation soient menées dans les domaines où les données sont limitées (ex. : maladies rares), afin de renforcer la fiabilité des modèles IA. Le rapport appelle également à l'organisation de démonstrations concrètes et d'une collaboration étroite avec les autorités de régulation (Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé; HAS) pour établir un cadre d'évaluation solide et transparent qui permette une adoption généralisée et sécurisée de ces outils.

UNE VALIDATION CLINIQUE DE CES METHODES POUR UNE MÉDECINE PLUS RAPIDE ET PERSONNALISÉE

Les pouvoirs publics, notamment à travers le plan Innovation santé 2030, volé santé de France 2030,, soutiennent l'évaluation de ces méthodologies innovantes pour leur intégration dans les pratiques afin d'accélérer le développement de traitements plus personnalisés et plus efficaces.

Le rapport, livrable du Groupe de travail AIS/F-CRIN, confirme leur intérêt pour aller vers une médecine de précision et leur potentiel d'accélération de l'innovation, avec des outils plus adaptés aux besoins des patients. L'étape suivante de cette démarche d'ensemble portée par l' AIS et F-CRIN est de sélectionner des cas pratiques en vue de la qualification de ces méthodes et outils pour leur utilisation plus répandue.

L'appel à manifestation d'intérêt pour la sélection et le suivi de cas pilotes lancé mi-avril vise à avancer sur la validation clinique de ces approches et contribuer à assurer, par la définition de règles d'usage, leur acceptation par les régulateurs. ([France 2030 NMRC - Evaluation des nouveaux outils, nouveaux usages et nouvelles approches méthodologiques de recherche clinique – Appel à manifestation d'intérêt | ANR](#))

Pour consulter le rapport dans son intégralité, rendez-vous sur le [site de F-CRIN](#) :

<https://www.fcrin.org/nouvelles-methodologies-en-recherche-clinique/la-mission-en-quelques-lignes>

Contacts presse

Secrétariat général pour l'investissement : Agence de l'innovation en santé – florence.gaudin@pm.gouv.fr, 06.61.99.62.63

F-CRIN - EVE'VOTREDIRCOM – servicepresse@votredircom.fr - 06 62 46 84 82

A propos du plan d'investissement France 2030

- **Traduit une double ambition** : transformer durablement des secteurs clefs de notre économie (santé, énergie, automobile, aéronautique ou encore espace) par l'innovation technologique, et positionner la France non pas seulement en acteur, mais bien en leader du monde de demain. De la recherche fondamentale, à l'émergence d'une idée jusqu'à la production d'un produit ou service nouveau, France 2030 soutient tout le cycle de vie de l'innovation jusqu'à son industrialisation.
- **Est inédit par son ampleur** : 54 Md€ seront investis pour que nos entreprises, nos universités, nos organismes de recherche, réussissent pleinement leurs transitions dans ces filières stratégiques. L'enjeu : leur permettre de répondre de manière compétitive aux défis écologiques et d'attractivité du monde qui vient, et faire émerger les futurs leaders de nos filières d'excellence. France 2030 est défini par deux objectifs transversaux consistant à consacrer 50 % de ses dépenses à la décarbonation de l'économie, et 50% à des acteurs émergents, porteurs d'innovation, sans dépenses défavorables à l'environnement (au sens du principe Do No Significant Harm).
- **Est mis en œuvre collectivement** : pensé et déployé en concertation avec les acteurs économiques, académiques, locaux et européens pour en déterminer les orientations stratégiques et les actions phares. Les porteurs de projets sont invités à déposer leur dossier via des procédures ouvertes, exigeantes et sélectives pour bénéficier de l'accompagnement de l'Etat.
- **Est piloté par le Secrétariat général pour l'investissement** pour le compte du Premier ministre et mis en œuvre par l'Agence de la transition écologique (ADEME), l'Agence nationale de la recherche (ANR), Bpifrance et la Banque des Territoires

Plus d'informations sur : france2030.gouv.fr | [@SGPI_avenir](https://twitter.com/SGPI_avenir)

A propos de F-CRIN

Mise en place en 2012, portée par l'INSERM avec le soutien financier de l'ANR, du ministère de la Santé, de CHU, d'Universités, de fondations et d'acteurs privés, F-CRIN (French Clinical Research Infrastructure Network) est une organisation d'excellence au service de la recherche clinique française. Elle a pour but de renforcer la compétitivité de la recherche clinique française à l'international, d'identifier et labelliser les réseaux de recherche, faciliter la mise en place d'essais cliniques académiques ou industriels, et développer l'expertise des acteurs de la recherche clinique, en mutualisant les savoir-faire, les objectifs et les moyens.

L'organisation, qui dispose d'une unité de coordination nationale localisée à Toulouse, a déjà labellisé et fédère actuellement 19 réseaux d'investigation clinique ciblant des maladies d'intérêt général international (Parkinson, Sepsis, Asthme Sévère, Thrombose, Obésité, Cardio-néphrologie, Sclérose en Plaques, Maladies de la rétine, Maladies auto-immunes, Vaccinologie, Cardiologie, AVC, Troubles psychotiques, Dermatite atopique, Maladie de l'enfant, Maladie de Charcot ; Soins primaires), 2 réseaux d'expertise et de méthodologie (Maladies Rares, Dispositifs Médicaux) et une plateforme de supports sur mesure offrant l'ensemble des services nécessaires à la conduite des essais cliniques. Au total, F-CRIN représente une force de frappe de plus de 1500 professionnels en recherche clinique.

Pour plus d'informations : <https://www.fcrin.org/>