



Essais cliniques - questions et réponses

Introduction

Les patients souffrant de maladies chroniques sont nombreux à vouloir se porter volontaires aux essais cliniques. Ils espèrent ainsi que leur contribution favorisera la recherche de nouveaux traitements qui pourront, dans un futur proche, les aider à combattre leurs maladies ou les guérir. Faire parti d'un essai clinique suscite bien entendu de nombreuses questions de la part des patients, de leurs proches et des médecins traitant.

Cette brochure a pour objectif de répondre à quelques unes des questions qui sont fréquemment posées par ceux qui s'intéressent à participer à un essai clinique. Elle a pour but de donner des informations claires de façon à ce que les patients ainsi que leurs proches puissent prendre des décisions informées quant à la participation aux essais cliniques lorsque l'opportunité se présente.

Ce livret est le résultat de la collaboration entre l'European Genetic Alliances Network (EGAN) et le laboratoire pharmaceutique Roche. Le contenu a été élaboré avec la participation d'experts parmi des patients ainsi que par des spécialistes qui conduisent des essais cliniques. Nous espérons qu'il soit aussi clair que précis et nous restons ouverts à tout commentaire quant au contenu et à toutes suggestions pour des sujets supplémentaires ou d'autres améliorations qui pourraient être incorporées dans de futures éditions.

Veillez faire parvenir vos commentaires, questions et suggestions à Alastair Kent (alastair@geneticalliance.org.uk).

Cette brochure est téléchargeable gratuitement et peut être reproduite librement à condition de dûment indiquer la source.

Alastair Kent

Président de EGAN

alastair@geneticalliance.org.uk

Table des questions

1.	Qu'est ce qu'un « essai clinique » ?	Page 4
2.	Qu'est que la Phase I dans un essai clinique ?	Page 4
3.	Qu'est que la Phase II dans un essai clinique ?	Page 4
4.	Qu'est que la Phase III dans un essai clinique ?	Page 4
5.	Que signifie « la surveillance après autorisation », aussi appelé essais Phase IV ?	Page 6
6.	Qu'est ce qu'un placebo ?	Page 6
7.	Qui est autorisé à mener un essai clinique ?	Page 6
8.	Qui réglemente les essais cliniques ?	Page 6
9.	Quand et comment les essais sont-ils approuvés ?	Page 7
10.	Qu'est qu'un consentement éclairé ?	Page 7
11.	Que trouve-t-on dans un consentement éclairé ?	Page 7
12.	Quels sont les « critères d'admissibilité » ?	Page 10
13.	Quels sont les « critères d'inclusion » ?	Page 10
14.	Quels sont les « critères d'exclusion » ?	Page 12
15.	Qu'est ce qu'un essai « à l'insu » ?	Page 12
16.	Quand parle-t-on de « biais » ?	Page 12
17.	Qu'est ce qu'un essai « randomisé » ?	Page 12
18.	Qu'est ce qu'un essai « en ouvert » ?	Page 14
19.	Quels sont les différents types d'essais auxquels une personne peut participer ?	Page 14
20.	Comment savoir quels sont les essais cliniques en cours ?	Page 14
21.	Comment se porter volontaire et pouvoir participer à un essai clinique ?	Page 15
22.	Est-il possible contacter une firme directement pour participer à un essai clinique ?	Page 15
23.	Peut-on être indemnisé ou payé pour avoir participé à un essai clinique ?	Page 15
24.	Pourquoi participer à un essai clinique ?	Page 15
25.	Quelles seraient les questions à poser avant de se porter volontaire ?	Page 16
26.	Qu'est ce qui arrive au patient lors d'un essai clinique ?	Page 18
27.	Que peut-on faire si le médecin traitant n'annonce pas le patient comme participant ?	Page 18
28.	La participation à un essai clinique aura-t-elle un effet sur le traitement actuellement en cours ?	Page 20
29.	Qui décide si des personnes âgées, des handicapés, ou des enfants peuvent participer à un essai clinique ?	Page 20
30.	Le patient devrait-il interrompre ses traitements actuels ? Quels sont les risques et les avantages dans la participation à un essai clinique ?	Page 20
31.	Peut-on se retirer d'un essai ?	Page 21
32.	La participation à un essai clinique aura-t-elle un effet sur le traitement que le patient reçoit de son médecin ?	Page 21
33.	Peut-on connaître les résultats des essais ?	Page 21
34.	Que deviendront les échantillons et les informations sur le patient pendant et après l'essai ? Des tiers pourraient-ils voir les informations et en faire usage pour d'autres recherches ?	Page 21
35.	Y a-t-il quelqu'un à qui le patient peut s'adresser s'il a des questions ou s'il a des problèmes pendant la durée de l'essai ?	Page 22
36.	Si le traitement s'avère efficace, serait-il possible de le poursuivre une fois l'essai terminé ?	Page 22

FAQ – Essais Cliniques

1. Qu'est ce qu'un « essai clinique » ?

Un essai clinique est la recherche sur des êtres humains. Son but est de répondre à des questions spécifiques sur un nouveau traitement médical (vaccins, nouvelles thérapies, ou de nouvelles façons d'utiliser les traitements connus). Un tel essai sert à déterminer si le nouveau médicament ou le nouveau traitement sont à la fois sûrs et efficaces. Les essais cliniques sont réalisés en plusieurs phases. Chaque phase est destinée à répondre à des questions différentes, dans des domaines différents (toxicité, dosage, etc.).

2. Qu'est que la Phase I dans un essai clinique ?

La Phase I des essais (on parle aussi du début des essais de traitements) vérifie la sûreté des différentes doses d'un nouveau médicament. Ceci comprend l'observation des effets secondaires du médicament – par exemple, est-ce que les sujets se sentent mal après avoir commencé le traitement ? Ou est-ce que le traitement augmente leur tension artérielle ? La Phase I est effectuée avec un petit nombre de personnes qui sont en général des volontaires en bonne santé. Dans certains cas exceptionnels, comme pour les personnes atteintes d'un cancer ou du VIH, les patients dans un état avancé de la maladie sont choisis .

3. Qu'est que la Phase II dans un essai clinique ?

Pendant la Phase II, le nouveau médicament est testé sur un groupe plus grand de patients pour voir s'il a un effet bénéfique. Comme pour la phase I, le nombre de participants est limité. La Phase II a également pour but d'observer la sûreté et le meilleur dosage possible.

4. Qu'est que la Phase III dans un essai clinique ?

La Phase III ne peut débuter que si les Phases I et II laissent à croire que la substance pourrait être très bénéfique pour les patients. Pendant la Phase III le médicament est vérifié sur un plus grand groupe de personnes malades. Le nouveau médicament est comparé avec le(s) traitement(s) déjà connu(s), ou occasionnellement avec un placebo. Ces essais vérifient l'efficacité du nouveau traitement, et les effets secondaires. Ils durent en général plus longtemps que ceux en phase II – habituellement un an ou plus. Souvent, plusieurs milliers de patients dans différents pays sont impliqués dans la phase III des essais. Il est préférable d'avoir un nombre important de patients puisque les investigateurs (c'est-à-dire les personnes responsables de la réalisation de l'essai), doivent être capables de détecter les différences même modérées mais cruciales entre les traitements.



« vous pouvez aller sur l'internet pour avoir plus d'informations sur votre santé »

5. Que signifie « la surveillance après autorisation », aussi appelé essais Phase IV ?

La Phase « surveillance après autorisation » est la quatrième et la dernière phase des essais cliniques. Même après l'autorisation du médicament, les autorités de la santé exigent régulièrement que les compagnies établissent des données supplémentaires collectées sur des milliers de patients pour l'utilisation du médicament. La Phase IV a pour but de bénéficier de l'expérience plus étendue dans l'évaluation de la sûreté et de l'efficacité du nouveau médicament, grâce à un nombre de patients très important et de comparer les données et/ou de les associer avec d'autres traitements déjà existants. Ces études sont faites pour évaluer les effets à long termes du médicament. Ainsi, il devient possible de détecter des effets secondaires moins récurrents.

Malgré la façon vigilante avec laquelle les tests sont conduits pendant la période des essais cliniques dans les trois premières phases, une surveillance active des effets secondaires après la mise sur le marché des médicaments est essentielle. Il est possible que pas tous les effets secondaires potentiels d'un médicament apparaissent déjà dans des essais menés avec seulement quelques centaines ou bien même plusieurs milliers de patients. Par conséquent, les entreprises ayant conduit ces essais établissent un système d'évaluation des risques pour identifier les effets secondaires qui n'ont pas été découverts dans les essais précédents. Les autorités d'approbation sont informées sur des effets secondaires ainsi constatés, et ces informations sont rassemblées et conservées. On appelle ceci aussi « Pharmacovigilance » (c'est-à-dire, sûreté des médicaments).

6. Qu'est ce qu'un placebo ?

Un Placebo est un traitement ne contenant pas de substance active. Il permet aux coordinateurs d'analyser « l'effet placebo ». Il s'agit d'un phénomène psychologique : les patients se sentent mieux même si ils n'ont pas pris de médicament avec un ingrédient actif. On peut ainsi décrire l'efficacité d'un médicament en comparant la réaction des patients au placebo et au nouveau traitement utilisé.

7. Qui est autorisé à mener un essai clinique ?

Les essais cliniques sont conçus par des groupes d'experts médicaux ainsi que d'autres spécialistes. Le concept de l'essai est basé sur des analyses très approfondies des recherches existantes. En plus, il est évident que certaines questions sur les traitements ou le contrôle de symptômes demandent toujours des réponses. L'élaboration du meilleur concept s'effectue à travers des discussions entre médecins, infirmières, patients, experts en statistiques, ainsi que des représentants de sociétés pharmaceutiques. Le concept de l'étude est défini dans un document que l'on appelle le « protocole ».

8. Qui réglemente les essais cliniques ?

Afin d'obtenir l'approbation d'un essai clinique, une compagnie doit soumettre aux autorités nationales de la santé, un « protocole d'étude » dans lequel tous les détails de l'étude sont décrits. Ce protocole est contrôlé par les autorités de la santé ainsi qu'un comité d'éthique qui ont pour rôle de vérifier si l'exécution de la recherche se réalise dans le respect de la dignité, des droits, de la sûreté et du bien être des personnes qui participent à la recherche médicale. L'étude ne peut pas avoir lieu si les autorités de la santé et le comité d'éthique n'approuvent pas un protocole. Tout changement du protocole doit être signalé au comité d'éthique.

Le comité d'éthique doit avoir au minimum cinq membres et doit être composé de professionnels de la santé et des coordinateurs des essais, ainsi que des personnes représentant le « grand public ».

L'Association Médicale Mondiale a adopté la « Déclaration de Helsinki ». Celle-ci met en place des principes éthiques applicables aux recherches médicales sur des êtres humains, sur des échantillons biologiques humains ou des données identifiables. En général, les coordinateurs diront que leur protocoles d'essais cliniques ont été conçus dans l'esprit de ces principes éthiques.

En outre, L'administration des denrées alimentaires et des médicaments (FDA) aux Etats-Unis, l'agence européenne des médicaments (EMA), ainsi que de nombreux textes législatifs au niveau européen connaissent des règles très précises, destinées à protéger les patients participant à un essai clinique.

9. Quand et comment les essais sont ils-ils approuvés ?

Les investigateurs sont supervisés de très près par les autorités compétentes: Au début d'une étude, le médecin ou l'investigateur doit demander l'approbation d'un comité d'éthiques. Le comité d'éthique est un comité constitué de médecins, et d'autres membres du personnel médical, ainsi que des personnes du public n'ayant aucun lien avec l'étude. Leur rôle est de vérifier que les études sont aussi sûres que possible et que les consentements éclairés donnent toutes les informations importantes au patient.

10. Qu'est qu'un consentement éclairé ?

Sauf dans des circonstances exceptionnelles, il est impossible d'entrer dans un essai sans signer un formulaire indiquant consentement éclairé du participant. Avec sa signature, il confirme qu'il a été dûment informé sur tous les faits importants relatifs à l'essai, qu'il a tout compris et que sa décision de prendre part à cet essai est l'expression de sa libre volonté. Un consentement éclairé n'est pas un contrat et il est possible de se retirer de l'étude à n'importe quel moment.

11. Que trouve-t-on dans un consentement éclairé ?

Bien que les documents de consentement éclairé varient d'un essai à l'autre, ils devraient comprendre au moins toutes les informations suivantes dans un langage compréhensible :

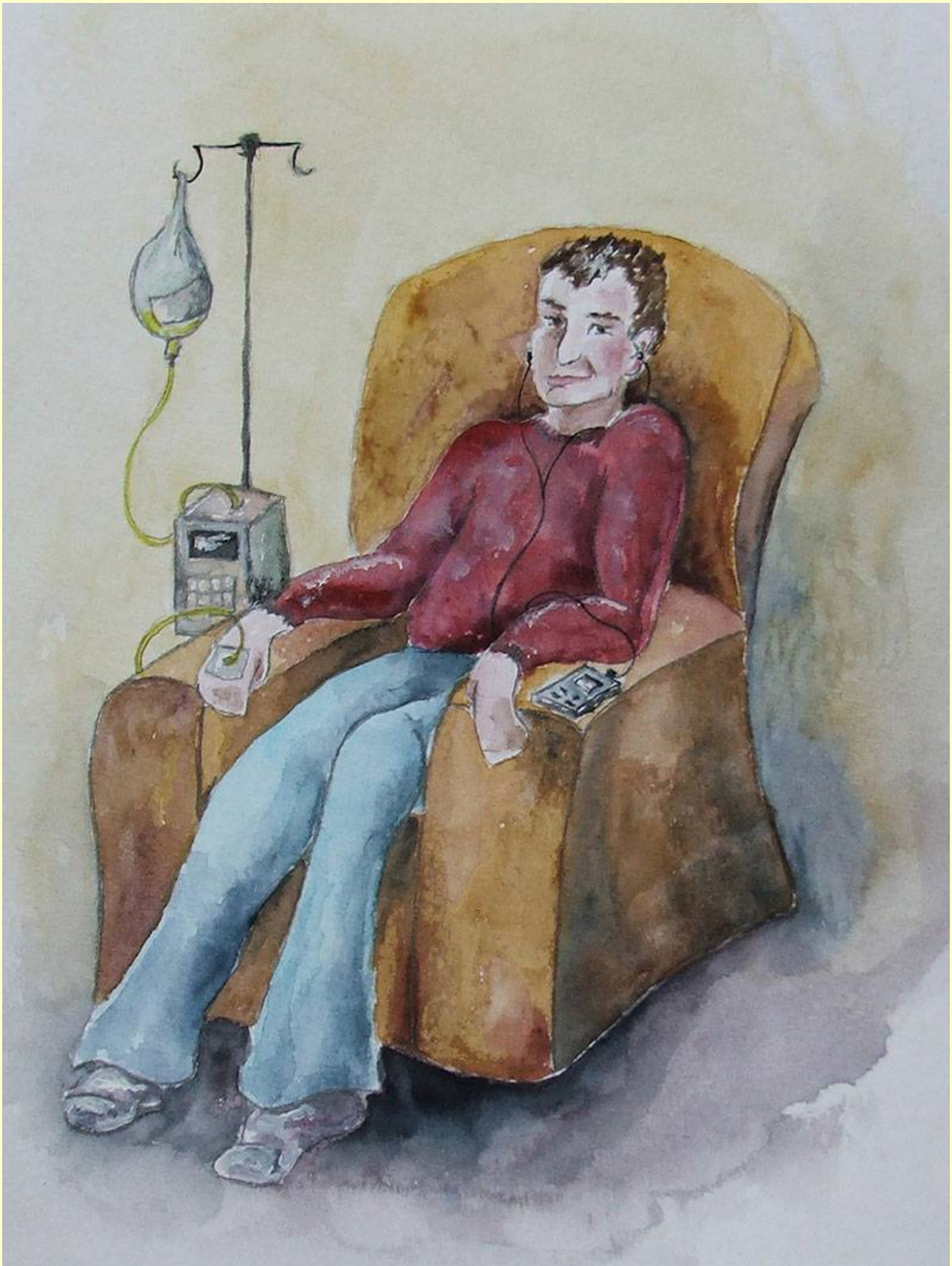
a) Le but de l'essai clinique

Ce sont les raisons pour lesquelles l'essai est mené. Elles vont dépendre du type de maladie et du type d'essai.

b) La description des procédures

Cette partie décrit toutes les procédures que devra suivre le participant, leur fréquence, et les endroits où elles auront lieu (à la maison, dans un hôpital ou une clinique, ou même dans un centre de consultation externe). Quant aux essais interventionnels (voir les détails question 19), cette partie devrait aussi comprendre les procédures qui font partie d'un traitement habituel qui peut être effectué même si le patient ne rejoint pas l'essai ; la procédure standard réalisée parce que le patient participe à l'essais ; et les procédures qui sont en train d'être testées ou évaluées.

Si c'est un essai « aléatoire » (voir les détails question 17) le document de consentement doit mentionner clairement ce qui se passe pour chaque groupe. Il doit également indiquer les chances de pouvoir changer de groupe.



« emmener avec vous des choses à faire pendant que vous participez / suivez le traitement, par exemple, un baladeur »

c) La durée de l'essai

Cette partie indique combien de temps durera l'essai, s'il y aura une suite et, si c'est le cas, la durée de cette suite. Elle comprend également des informations sur toutes les circonstances dans lesquelles le chercheur pourrait retirer un patient de l'essai (si sa condition de santé s'aggrave ou si des informations supplémentaires indiquent le besoin de discontinuer les essais). Le document doit clairement indiquer que le patient a le droit de se retirer à n'importe quel moment de l'essai, et il doit décrire les conséquences médicales possibles aboutissant à une telle décision.

d) Le risque potentiel des essais

Cette section indique les risques physiques et non-physiques prévisibles dus à la participation à l'essai. Un risque non-physique peut être l'absence au travail, alors que les risques physiques incluent les effets secondaires tels que la nausée, des vomissements, des douleurs ou le risque accru d'avoir une infection. Le document doit indiquer la probabilité de la survenue de ces risques - à quel point sont-ils sérieux, et s'ils ont plutôt des effets à court-terme (qui se présentent pendant la période de l'essai et quelque temps après) ou à long-terme (qui durent des semaines, des mois ou des années après la durée de l'essai). Le document doit explicitement indiquer les risques qui sont liés aux différents aspects de l'essai. Il doit aussi donner des informations relatives aux risques concernant la reproduction (possible infertilité, etc.).

e) Les bénéfices

Le document doit décrire les bénéfices potentiels pour les patients ou pour des tiers. Un essai peut avoir ou peut ne pas impliquer des avantages médicaux directs pour le participant. Il peut aussi entraîner de nouvelles connaissances qui peuvent être bénéfiques pour des tiers à l'avenir.

f) Les alternatives à la participation

Pour des essais d'investigation, cette partie décrit les options que le patient a en dehors de la participation dans l'essai, comme d'autres thérapies généralement connues, ou aucun traitement du tout.

g) Confidentialité

Cette partie informe le participant sur le degré de confidentialité quant aux informations sur sa personne. Elle devrait aussi indiquer si d'autres groupes ou organisations auront un accès aux informations sur le patient, p.ex. pour l'examen de la qualité ou pour l'analyse des données (p.ex. par la compagnie sponsor).

h) Coûts / dépenses supplémentaires

Cette section indique si participer à l'essai impliquera des coûts supplémentaires pour le participant ou sa compagnie d'assurance. Elle couvre également d'autres questions de frais, par exemple qui payera pour les urgences dans le cas de blessure ou de maladie, si le patient devra payer pour les médicaments qui deviendront disponibles sur le marché pendant la période de l'essai, et s'il sera payé pour sa participation.

i) Droits du participant

Le document devra spécifier que la participation est volontaire, le patient peut choisir de ne pas prendre part ou de partir n'importe quand sans pénalités ou sans perte d'avantages. En plus, toute nouvelle information pouvant influencer sa décision de participer sera partagée avec lui.

j) Information sur qui contacter s'il y a des questions ou des soucis

Un nom et un numéro de téléphone de contact (généralement d'un membre de l'équipe de recherche) pour avoir des réponses à des questions relatives à l'étude ou à une lésion liée à la recherche seront indiqués. Il devrait aussi y avoir un numéro de téléphone du comité d'éthique ou d'un représentant d'une organisation de patients pour le cas où le patient aurait des questions sur ses droits en tant que participant à l'essai.

k) Information supplémentaires

Cette section listera d'autres sources qui peuvent être utiles, tels que des brochures pour plus d'information, des communautés (de patients), des sources internet.

l) Signature

La signature datée du participant représente son consentement légal pour participer à l'essai. Dans le cas où un participant est illettré, les investigateurs feront particulièrement attention à ce que le participant comprenne l'information qui lui est donnée. Une personne lettrée et désintéressée devra témoigner du consentement oral du participant et signer le document au nom du participant. Si une des sections paraît incomplète ou semble manquer dans le consentement éclairé, le participant ne devra pas hésiter à se renseigner sur l'information en question.

Si la langue maternelle n'est pas l'anglais, il devrait pouvoir obtenir les documents de consentement dans d'autres langues. Puisque rejoindre un essai clinique est une décision très importante, le participant devra poser à l'investigateur toute question qu'il pourrait avoir sur l'étude avant de pouvoir prendre sa décision.

Il est aussi judicieux de ramener le document de consentement à la maison et d'en discuter avec la famille ou des amis. En discuter avec d'autres peut aider à se sentir plus à l'aise quant à sa décision. Si on décide de participer à un essai clinique, il faut s'assurer de demander une copie du document de consentement éclairé pour qu'on puisse le relire et faire des vérifications à tout moment.

12 Quels sont les « critères d'admissibilité » ?

Pour tous les essais des instructions précises indiquent qui pourra participer. Elles sont appelées « critères d'admissibilité » (qui peut remplir les conditions pour participer) et « critères d'exclusion ». Toutes les personnes souffrant d'une maladie particulière ne peuvent pas nécessairement prendre part à un essai qui étudie une maladie : Le critère de participation pour des essais sur le cancer du poumon peut par exemple stipuler que seulement des personnes étant à un stade avancé de la maladie peuvent participer, ou bien qu'elles doivent avoir plus de 18 ans mais moins de 80 ans, ou bien que seulement des patients n'ayant pas d'autres maladie que ce cancer du poumon peuvent participer..

13 Quels sont les « critères d'inclusion » ?

Les critères d'inclusion aident les investigateurs à décider qui peut participer aux essais. Par exemple, certains essais incluent seulement des personnes d'un certain âge, ou bien des patients étant à un stade particulier du développement de leur maladie. Un examen médical pourrait être obligatoire au préalable d'un essai (une prise de sang par exemple) pour évaluer si la personne répond aux critères de participation.



« parler avec votre famille peut vous aider à prendre une décision qui rend tout le monde content »

14 Quels sont les « critères d'exclusion » ?

Les critères d'exclusion déterminent qui ne pourra pas participer à un essai - par exemple, beaucoup d'essais excluent les femmes enceintes pour éviter tout type de problèmes pour le fœtus. Les essais peuvent également exclure les personnes qui suivent déjà un traitement pouvant provoquer des réactions avec le traitement étudié.

15 Qu'est ce qu'un essai « à l'insu » ?

Les essais « à l'insu », ou bien en aveugle, signifient que quiconque évaluant les effets du traitement ne saura pas s'il est en train d'examiner quelqu'un qui reçoit le traitement ou quelqu'un qui reçoit un placebo. Ceci permet d'éviter le « biais ». Quelque fois des patients vont évaluer les effets du traitement, parfois les médecins, et parfois des tiers. Quelques unes ou toutes ces personnes peuvent ne pas être informées quel traitement ils ont eu. Dans un essai « à double insu » aussi appelé « double aveugle », ni le participant ni le médecin ne sauront de quel traitement il s'agit.

Si un patient se trouve dans un essai « à double insu » aucune des parties impliquées ne sait si le traitement est réel ou s'il s'agit d'un placebo. Le but est d'être sûr que les attentes n'influencent pas le résultat final de l'essai.

16 Quand parle-t-on de « biais » ?

On parle de « biais » quand des préjugés mènent à de fausses conclusions sur les effets du traitement. Il est très important d'éviter le biais dans la recherche médicale puisqu'il peut fausser le résultat ce qui pourrait aboutir à un traitement ni sûr, ni efficace ou bien à une utilisation d'un médicament dans une thérapie non approuvée. Les investigateurs essayent d'éviter les biais en rendant l'essai aléatoire et en faisant des essais à l'insu pour ceux qui administrent les médicaments et qui évaluent les effets des résultats.

17 Qu'est ce qu'un essai « randomisé » ?

La plupart des essais cliniques sont « randomisés ». Si une personne participe à un essai randomisé, c'est l'ordinateur et non pas un médecin qui décide du traitement qui sera donné aux participants. La décision est complètement aléatoire. Elle est basée uniquement sur le hasard, les décisions des médecins n'y sont pour rien.

La randomisation est la meilleure manière de procéder car elle assure que les patients inclus dans les différentes parties de l'essai aient des profils à peu près similaires. En comparant les groupes de patients ayant des similitudes, les investigateurs peuvent être sûrs que leurs essais démontrent la différence entre chaque traitement étudié, et pas les différences entre les personnes incluses.

La randomisation est importante parce que les investigateurs doivent s'assurer que les essais ne sont pas tendancieux. Sinon, le risque est grand que les médecins et les participants aient des idées préconçues sans s'en rendre compte.



« l'équipe de l'hôpital est là pour s'occuper de vous. N'hésitez pas de demander si vous avez besoin de quelque chose »

18 Que 'est ce qu'un essai « en ouvert » ?

Dans un essai en ouvert, le participant et le médecin savent tous les deux lequel des traitements est utilisé.

En d'autres termes, c'est l'inverse d'un essai « à double insu ».

19 Quels sont les différents types d'essais auxquels une personne peut participer ?

Les **essais interventionnels** (aussi appelés **essais de traitements**) déterminent si de nouveaux traitements, de nouvelles combinaisons de médicaments, de nouvelles façons d'utiliser des thérapies ou de nouvelles approches sur la chirurgie ou sur la radiothérapie sont sûrs et efficaces. Ces essais devront peut-être exiger qu'un participant prenne un nouveau médicament expérimental ou avoir recours à une opération chirurgicale.

Les **essais de prévention** explorent une meilleure façon de prévenir une maladie chez les personnes n'ayant jamais souffert de ce genre de maladie ou d'empêcher qu'elle revienne. Ces approches peuvent comprendre des médicaments, des vitamines et des vaccins, des sels minéraux ou des changements de mode de vie.

Les **essais observationnels** concernent des problèmes de santé touchant de grands groupes d'individus. On peut demander aux participants de répondre à des questions concernant leur historique familial ou donner des échantillons de leur sang, mais ils ne reçoivent aucun traitement pour leur maladie.

Les **essais de dépistage** étudient la meilleure façon de détecter certaines maladies ou certains problèmes de santé.

Les **essais de qualité de vie** (ou de soutien médical) explorent des façons d'améliorer le confort et la qualité de vie des individus souffrant de maladies chroniques.

Les **essais de diagnostiques** ont pour but de trouver de meilleurs tests ou de procédures pour détecter une maladie particulière ou un problème de santé. Les essais diagnostiques généralement incluent des personnes qui ont des symptômes d'une maladie particulière ou problème de santé qui sont étudiés.

20 Comment savoir quels sont les essais cliniques en cours ?

Malheureusement, il n'y a pour le moment aucun moyen facile de trouver des essais cliniques qui peuvent être intéressants pour un patient. La meilleure chose à faire est d'en discuter avec son propre médecin afin de voir si on peut être recommandé.

La Fédération Internationale de l'Industrie du Médicament (FIIM ou IFPMA en anglais) a lancé un moteur de recherche sur Internet facile à utiliser permettant aux gens de trouver des informations sur les essais en cours, en particulier ceux menés par l'industrie pharmaceutique.

Ce portail augmente la transparence et l'accès aux informations concernant les essais cliniques pour les patients et les médecins. Il peut être visité sur <http://www.ifpma.org/clinicaltrials/fr/>

Les informations peuvent être trouvées en entrant le nom d'une maladie ou le nom d'un produit dans le champ de recherche.

En plus, IFPMA donne des liens aux informations postées sur des sites de sociétés et d'autres entités commerciales ou des sites sponsorisés par les gouvernements, contenant l'information fournie par les sociétés pharmaceutiques. En France, les autorités ont créé un site web (essaiscliniques.fr) où les essais menés dans le pays peuvent être trouvés.

21 Comment se porter volontaire et pouvoir participer à un essai clinique?

Si le patient est intéressé, il devrait en parler avec son médecin traitant afin de comprendre les implications personnelles pour participer à un essai clinique. Le médecin contactera la société qui sponsorise les essais et annoncera la participation d'un patient. En général, les sociétés ont une relation avec un coordinateur proche au groupe de médecins sélectionnés et crédités qui vont réaliser l'étude. Avec la coopération du médecin de famille, ils vont examiner les cas et décider sur votre participation. Comme le processus de sélection et l'évaluation des critères d'admissibilité doivent être faits exclusivement sur des bases médicales que seul un médecin est capable de faire, c'est le médecin et non pas le patient qui doit soumettre l'application.

22 Est-il possible de contacter une firme directement pour pouvoir participer à un essai clinique ?

Non, ceci doit être fait par le médecin. En général, il est seulement possible de contacter une entreprise pharmaceutique pour obtenir des informations sur les contacts d'essais cliniques spécifiques. Elle indiquera le médecin responsable de l'étude qui décide de la participation des patients.

23 Peut-on être indemnisé ou payé pour avoir participé à un essai clinique ?

Pour des raisons fondamentalement éthiques, la participation à des essais cliniques n'est généralement pas rémunérée ou indemnisée. Par contre, les compagnies responsables d'un essai normalement s'engagent à fournir le produit de l'étude gratuitement pendant la durée de l'étude et les participants auront en même temps une excellente prise en charge par les médecins qui sera également gratuite.

24 Pourquoi participer à un essai clinique ?

Il y a différentes raisons qui pourraient justifier la participation à un essai, tel que la souffrance due à une maladie ou l'intérêt pour le progrès scientifique.

En tous les cas, il faut consulter des personnes dignes de confiance dans la famille, dans son entourage, ou son médecin traitant.

Se reporter à la question 30 qui est liée à ce sujet.

25 Quelles seraient les questions à poser avant de se porter volontaire ?

Il est utile de poser des questions sur les essais cliniques avant de décider d'y participer. Il faudra consulter son médecin, des infirmières ou des investigateurs qui mènent les essais. Voici des exemples de questions à poser :

- Quel est le but de l'essai ? Comment peut-il être utile pour moi, pour la société ?
- Qu'est ce qui est déjà connu de par la recherche précédemment menée ?
- Qui a examiné et approuvé l'essai ?
- Qui en fait parti ? Pourquoi voulez vous que j'en fasse parti ?
- Comment le traitement sera-t-il différent de ce que je reçois déjà actuellement et quels sont mes possibilités pour le traitement ?
- Si l'essai est l'étude d'un médicament, combien de fois par jour/mois dois-je le prendre et pendant combien de temps ?
- Savez-vous quelque chose sur les effets secondaires possibles, les risques et bénéfices ?
- Comment l'essai influencera-t-il ma vie quotidienne ?
- Combien de fois dois-je visiter la clinique ?
- Quelle est la distance à parcourir et dois-je faire tous les arrangements de voyage moi-même ?
- Me donnerez vous à manger et à boire si le voyage est long ?
- Que se passera-t-il lors de ces visites ? Aurais-je des tests supplémentaires ?
- Quel(s) autre(s) médicament(s) pourrais-je prendre si je fais parti de cet essai ?
- Aurais-je des examens médicaux réguliers ? Que se passera-t-il si mon état de santé s'aggrave ?
- Que se passera-t-il si quelque chose se passe mal ?
- Combien de temps durera l'essai ?
- Qui mène l'essai ?
- Serai-je informé sur le progrès de l'essai pendant son déroulement ?
- Serai-je informé des résultats de l'essai quand il sera terminé ?
- Qui finance l'essai ?
- Mes dépenses seront-elles couvertes, comme par exemple pour le voyage ou les coûts de garde des enfants ?
- Y a-t-il des choses que je n'ai pas le droit de faire pendant l'essai ?
- Qui dira à mon médecin traitant que je suis dans un essai clinique ?
- Comment la confidentialité de mes informations personnelles va-t-elle être garantie ?
- Pourrai-je parler à d'autres personnes qui prennent part à l'essai ?
- A qui puis-je parler si j'ai des questions supplémentaires ? (Il devrait y avoir quelqu'un de disponible pendant la période d'essai qui pourra répondre à toute sorte de questions)
- Que se passera-t-il si je vais bien avec le traitement de l'essai, et que le traitement se termine ? Pourrai-je continuer le traitement ?



« Vous vous sentirez peut-être nerveux quand vous arriverez à l'hôpital/centre de traitement. Une équipe sympathique sera là pour vous accueillir »

26 Qu'est ce qui arrive au patient lors d'un essai clinique ?

Si le participant accepte de participer à un essai, il est possible qu'il ait besoin de passer plus de tests médicaux avant qu'il ne reçoive un traitement. Ainsi, les investigateurs savent dans quel état le participant est au départ, et ils peuvent voir à la fin s'il y a eu progrès ou pas. On parle ici de mesures de base.

Pendant les essais il est possible que le patient ait besoin de tests supplémentaires pour vérifier si le traitement fait effet ou pas. On les appelle les mesures de résultats. Ceci peut inclure plus de visites à la clinique ou plus de tests que d'habitude – par exemple, des prises de sang supplémentaires devront peut-être être faites. Parfois, les tests sont réalisés comme une procédure régulière dans le cadre du traitement.

Il est possible que le patient ait besoin de changer sa vie quotidienne. Parfois, il devrait par exemple éviter certains médicaments en vente libre (OTC) comme des anti-histamines. Il est aussi possible que le participant ait besoin d'écrire un journal. Il peut ainsi décrire comment il se sent après son traitement, s'il souffre d'effets secondaires, et combien de temps ils durent.

En plus de mesurer les effets purement physiques du traitement, beaucoup d'essais veulent en plus évaluer l'influence du médicament sur la qualité de vie des personnes. Par exemple une étude de « qualité de vie » peut poser des questions sur :

- L'humeur et les sentiments de bien-être du participant
- S'il se sent plus fatigué que d'habitude
- S'il arrive à mener la vie qu'il souhaite – aller au travail, s'occuper de sa famille, ou tout ce qu'il a l'habitude de faire.

Le participant et son médecin peuvent décider d'arrêter les essais si l'état du patient s'aggrave et si le traitement n'aide pas. Le participant peut choisir de sortir des essais à n'importe quel moment sans donner de justification et sans influencer le niveau de soins à disposition.

Une personne ne devrait pas se sentir coupable lorsqu'elle prend la décision de ne plus participer à un essai clinique parce qu'elle souffre d'effets secondaires. L'information obtenue va toujours être utile pour d'autres patients. Les investigateurs peuvent vouloir suivre les progrès du patient après l'essai, même s'il quitte l'essai plus tôt. Ils peuvent ainsi interpréter les résultats de l'essai de façon précise.

27 Que peut-on faire si le médecin traitant n'annonce pas le patient comme participant ?

Généralement tous les portails de recherche (comme l'IFPMA) indiquent des personnes à contacter. Si un patient fait une demande, les responsables du portail donneront des informations concernant une étude particulière et s'efforceront de mettre le patient en contact avec les médecins qui mènent l'étude. Les patients volontaires qui ne reçoivent pas l'aide de leur médecin traitant peuvent donc contacter ces médecins-là.

Si nécessaire, ils contacteront le médecin traitant pour obtenir plus d'informations sur l'historique médical du patient.



« Généralement, votre famille peut venir et vous rendre visite pendant la durée de votre traitement »

28 La participation à un essai clinique aura-t-elle un effet sur le traitement actuellement en cours?

Non. Le participant devra venir régulièrement pour une vérification et pour des tests. Son médecin devra indiquer qu'il souhaite participer à un essai. Le patient aura donc la possibilité de parler à son médecin s'il a des questions.

29 Qui décide si des personnes âgées, des handicapés, ou des enfants peuvent participer à un essai clinique ?

Il est essentiel d'assurer que les patients âgés, handicapés ainsi que les enfants soient protégés. Ces patients ne peuvent être choisis pour un essai que si un consentement éclairé d'un responsable légal a été obtenu. Si aucun représentant légal n'est joignable, le patient ne pourra pas faire parti de l'essai.

30 Le patient devrait-il interrompre ses traitements en cours ? Quels sont les risques et les avantages d'une participation à un essai clinique ?

Un patient sera généralement invité pour participer à un essai clinique parce qu'il a besoin de traitement. Il aura le choix entre rejoindre un essai ou de continuer la thérapie qu'il a l'habitude de suivre. La décision n'est pas facile. Il va devoir peser les arguments pour et contre pour chaque option. Il est important de considérer ce qui est le mieux pour soi et quelle option apporte le plus de bénéfices.

Il y a beaucoup de choses auxquelles il faut penser préalablement. Voici une liste de risques et de bénéfices auxquels un patient doit songer avant de participer à un essai clinique :

Bénéfices possibles d'une participation à un essai clinique :

- Possibilité de recevoir un nouveau traitement bien avant qu'il ne soit sur le marché
- Possibilité de générer des informations utiles au patient ainsi que pour des tiers ayant les mêmes problèmes de santé
- Possibilité pour le patient de jouer un rôle plus actif pour sa santé
- Les traitements et leurs progrès seront surveillés plus étroitement
- Il est possible que le traitement de l'essai soit plus efficace que le traitement standard

Risques possibles d'une participation à un essai clinique

- Possibilité de souffrir d'effets secondaires inattendus
- Visites à la clinique ou à l'hôpital plus régulières à cause de la surveillance étroite
- Besoin de subir plus de tests (prises de sang, etc.) au lieu de recevoir des soins de routine seulement
- Possibilité que le nouveau traitement aide uniquement les autres participants
- Possibilité que le traitement de l'essai ne soit pas aussi efficace que les thérapies précédemment et habituellement utilisées
- Possibilité qu'il n'y ait pas d'accès au nouveau traitement à la fin de l'essai même s'il est plus efficace

31 Peut-on se retirer d'un essai ?

Le participant peut changer d'avis et partir de l'essai clinique à n'importe quel moment - avant le début de l'étude, pendant l'étude, ou durant la période de suivi à la fin de l'étude. Participer à un essai clinique est toujours volontaire. La relation d'un patient avec son médecin traitant ne sera pas influencée si ce patient décide de participer à un essai clinique et souhaite se rétracter par la suite.

32 La participation à un essai clinique aura-t-elle un effet sur le traitement que le patient reçoit de son médecin ?

Absolument pas, c'est en fait le contraire qui va se produire. Comme il est décrit ci-dessus, il est possible que le participant ait besoin d'avoir des consultations plus régulières chez son médecin, ce qui va, par conséquent, donner plus d'opportunités pour lui de poser des questions sur sa santé, le(s) traitement(s) qu'il reçoit et son bien être en général.

33 Peut-on connaître les résultats des essais ?

Cela peut durer un certain temps avant que les résultats d'un essai soient disponibles. Les essais à très grande échelle impliquant des milliers de participants peuvent durer cinq ans, voire même plus. Il faut que les résultats de tous les participants soient évalués. Il est possible que la période entre la participation du patient et la disponibilité des résultats soit de plusieurs années.

A la fin de l'essai, le sponsor de l'étude (par exemple une compagnie) devrait faire connaître les résultats à quiconque ayant fait parti. Si ce n'est pas le cas, il faut demander à l'investigateur ou au médecin traitant de fournir les conclusions. Les résultats devraient donner plus d'informations sur les risques et bénéfices possibles des différents traitements testés. Ils devraient donc aider le patient ainsi que des tiers à prendre des décisions plus éclairés en rapport avec la santé.

Certains investigateurs vont aussi travailler avec des organisations de patients afin que les résultats soient connus par d'autres patients. Les investigateurs ont la responsabilité de publier les résultats même si ces derniers montrent que le traitement testé est un échec. Ils pourront faire ceci en présentant les résultats lors d'une conférence, ou bien en publiant un article dans un journal médical ou dans d'autres publications.

34 Que deviendront les échantillons et les informations sur le patient pendant et après l'essai ? Des tiers pourraient-ils voir les informations et en faire usage pour d'autres recherches ?

Si quelqu'un accepte de participer à un essai clinique, les personnes suivantes devraient le savoir :

- Le médecin traitant du participant qui est responsable des soins quotidiens
- Le médecin et l'équipe de recherche qui surveille le participant pendant l'essai

Le fait que le patient fasse partie d'un essai clinique va être inscrit dans son dossier médical. Les investigateurs ne peuvent pas en informer d'autres personnes à moins que le patient leur ait donné sa permission.

Pendant la période de l'essai, toute information concernant le participant va rester confidentielle, comme pour toute autre information médicale. Les investigateurs peuvent publier les résultats de l'essai dans des revues médicales, mais il est interdit d'ajouter toute information qui pourrait permettre d'identifier des personnes. Le nom d'un participant ne sera jamais mentionné dans un rapport ou une publication.

Le protocole de l'essai clinique va déterminer ce qui va se produire avec les échantillons et les informations du patient. Une section spécifique dans ce document devrait décrire pendant combien de temps ces échantillons et informations pourront être gardés avant d'être détruits. Si les échantillons ou informations vont encore être utilisés ils vont être soit :

- Inclus dans le protocole de l'essai original
- Faire partie d'un consentement éclairé que le participant aura signé
- Être mentionnés dans un consentement éclairé spécifique que le participant signera.

35 Y a-t-il quelqu'un à qui le patient peut s'adresser s'il a des questions ou s'il a des problèmes pendant la durée de l'essai ?

Si le patient a des questions ou des problèmes il doit toujours demander à un des investigateurs de l'essai en premier. Ils peuvent l'aider.

36 Si traitement s'avère efficace, serait-il possible de le poursuivre une fois l'essai terminé ?

Il faut savoir que dans la plupart des essais les différents traitements sont répartis de façon aléatoire aux participants et ni le médecin ni patient n'ont le choix du traitement. Puisque la plupart des essais sont effectués à l'insu, ils ne sauront pas quel traitement est le vrai jusqu'à la fin de l'essai. Ceci dit, si à la fin de l'étude un traitement s'avère meilleur que l'autre, la possibilité de changer au traitement le plus efficace peut être discutée, si ce n'était pas déjà le médicament reçu pendant l'essai.

Pour plus d'information

IFPMA:

<http://clinicaltrials.ifpma.org/clinicaltrials/fr/>

<http://clinicaltrials.ifpma.org/clinicaltrials/fr/comment-chercher/glossaire/index.htm>

Pour trouver des essais cliniques :

En France:

essaiscliniques.fr

A l'étranger:

essaiscliniques.com

Site américain:

<http://www.clinicaltrial.gov/ct/info/glossary>

<http://www.library.nhs.uk/knowledgemanagement/page.aspx?pagename=CCTGLOSS>