

– Recherche –

ÉTUDES

CLINIQUES

DES RÉPONSES  
À VOS QUESTIONS



# Les études cliniques



**Quoi ?**

## Qu'est-ce qu'une étude (ou un essai) clinique ?

C'est une étude menée chez des personnes volontaires pour démontrer l'efficacité et la sécurité d'un nouveau traitement ou améliorer la prise en charge des patients. C'est un processus long et très encadré par la loi, ce qui garantit la protection du patient.



**Pourquoi ?**

## Pourquoi fait-on une étude clinique ?

C'est un passage obligatoire pour la commercialisation d'un médicament ou la mise en place d'une nouvelle méthode de soin. Son but est notamment d'étudier le devenir du médicament chez l'être humain, d'évaluer l'efficacité et la sécurité d'un médicament ou d'une méthode de prise en charge.



**Qui ?**

## Étude clinique institutionnelle ou industrielle : quelles différences ?

Une étude institutionnelle (ou académique) est menée par un laboratoire de recherche public ou un hôpital. Elle a pour objectif d'améliorer la prise en charge du patient (comparaison de stratégies de soins ou de techniques de diagnostic...). Une étude industrielle est menée par un laboratoire pharmaceutique généralement dans le but de commercialiser un médicament.



**Comment ?**

## Quelles sont les différentes étapes pour commercialiser un médicament ?

La première étape est la découverte d'une molécule par des chercheurs qui la testent tout d'abord en laboratoire sur des cellules et des animaux. Ensuite, il y a plusieurs phases d'études cliniques menées chez des personnes volontaires. L'ensemble de ce processus peut durer de 10 à 20 ans avant que le médicament ne soit disponible en pharmacie. [Cf. page « Les différentes phases d'études cliniques »].

# Exemple du déroulement d'une étude clinique pour un nouveau médicament



## 1 On me propose de participer à une étude clinique

Lors de ma visite au CRCM, au vu de mon état physique et des critères requis pour pouvoir entrer dans l'étude (par exemple l'âge, le VEMS, les mutations...), le médecin me propose d'y participer. Il m'explique les bénéfices que je pourrais en tirer. Il m'expose également les risques éventuels et les contraintes, ainsi que les détails de l'étude. Enfin, il me remet ces informations par écrit au moyen de deux documents : la note d'information et le consentement.

2

## 2 Je réfléchis à la proposition de participer à une étude

Je prends le temps de lire les documents, d'en comprendre la teneur et de poser au médecin toutes les questions qui sont importantes pour moi. Je prends conscience de toutes les contraintes que cela implique : fréquence plus importante des visites et des examens. À tout moment, je sais que je peux décider d'arrêter l'étude, pour quelle que raison que ce soit, sans avoir à me justifier et sans conséquence sur mon suivi habituel. Le promoteur prend en charge tous les frais liés à l'étude et il est parfois prévu une indemnisation financière.

## 3 Ma première visite pour l'étude (visite de sélection)

L'équipe de recherche vérifie que je corresponds aux critères définis par l'étude. Pour cela, des examens sont réalisés. Un numéro de patient m'est attribué afin de garantir mon anonymat auprès du promoteur. Tout au long de l'étude, l'équipe de recherche va se référer à un document appelé « protocole de l'étude » qui liste tous les examens et visites à réaliser et fournit des informations sur le traitement étudié.



## 3 Je signe le consentement

En signant ce document, je prouve que je suis volontaire et je m'engage à respecter les visites et les règles de l'étude.

### Participer à une étude clinique, pourquoi pas ?

Pour plus d'informations rendez-vous au dos de cette brochure dans la rubrique contact.

-18 Pour un mineur, les parents signent le consentement et sont impliqués dans le déroulé de l'étude.

4

5

## 5 Ma visite d'inclusion et randomisation

Si je réponds aux critères requis pour l'étude, je suis inclus dans l'étude. Un tirage au sort informatique (randomisation) détermine si je reçois le traitement à l'étude ou un placebo (traitement non actif). Ni le médecin ni moi n'avons connaissance du résultat de la randomisation (on appelle cela « étude en double aveugle »).

## 6 Ma première administration du traitement à l'étude ou du placebo

Elle se fait le jour de la randomisation et nécessite une surveillance plus ou moins longue par l'équipe de recherche, selon les exigences de l'étude.



## 7 Mon suivi médical selon l'étude clinique

Les visites sont planifiées selon un calendrier bien précis par l'équipe de recherche. Plus longues que mes visites habituelles de suivi, elles ont lieu, si possible, en même temps que celles-ci pour m'éviter trop de déplacements.

### + À noter

Il est très important de rapporter au médecin tout événement médical survenu. Je peux l'appeler à tout moment et il peut décider d'interrompre ma participation à l'étude si mon état de santé le nécessite.



## 9 La publication des résultats

Elle peut survenir plusieurs mois après la visite de fin d'étude (communiqué de presse, congrès scientifique...). Les conclusions de l'étude sont transmises aux CRCM et mon médecin peut me les communiquer, mais il n'est pas toujours possible de savoir si je prenais le placebo ou la molécule étudiée.

8

## 8 Ma visite de fin d'étude et l'analyse des résultats

À ma dernière visite, je rapporte tous les matériels utilisés et les éventuels produits restants. Je continue mon suivi habituel au CRCM. Une fois l'étude terminée par tous les participants, la phase d'analyse des résultats peut débuter. Si l'étude clinique à laquelle je viens de participer est une phase 3, il est possible que l'on me propose la poursuite ou l'initiation du traitement (si j'étais sous placebo). Ainsi, je peux bénéficier de façon précoce d'un nouveau traitement qui sera mis sur le marché dans plusieurs mois.

# Les acteurs de la recherche clinique

Pour lancer une étude clinique, le promoteur choisit les CRCM au sein desquels il souhaite réaliser l'étude. Chaque CRCM est libre d'accepter d'y participer ou non (pour des raisons organisationnelles, en fonction de la lourdeur de l'étude, selon le nombre de patients à inclure, etc...). Après obtention des autorisations réglementaires obligatoires (dont le but est de protéger les patients), le promoteur met en place l'étude clinique au sein des CRCM qu'il a sélectionnés. Votre médecin peut alors vous proposer d'entrer dans l'étude. Après avoir obtenu votre accord, et celui de vos parents si vous êtes mineur, l'équipe de recherche est chargée de vous accompagner tout au long de votre participation.

**Vous êtes un adulte**

**Vous êtes un enfant**



## Promoteur

C'est le responsable de l'étude clinique (hôpital, laboratoire pharmaceutique, fondation...). Il en assume la responsabilité, le financement et l'organisation.



## Équipe de recherche

Composée de médecins, infirmiers, attachés et techniciens de recherche clinique, kinésithérapeutes, psychologues... Elle est chargée de réaliser l'étude clinique dans chaque CRCM.



## Aspects réglementaires

Une étude clinique est soumise à une réglementation stricte régie par des lois afin de protéger les patients et d'assurer la qualité de la recherche. Les autorités de santé françaises qui assurent cette réglementation sont l'ANSM<sup>1</sup>, les CPP<sup>2</sup>, et la CNIL<sup>3</sup>.

## Le patient

Au cœur du processus



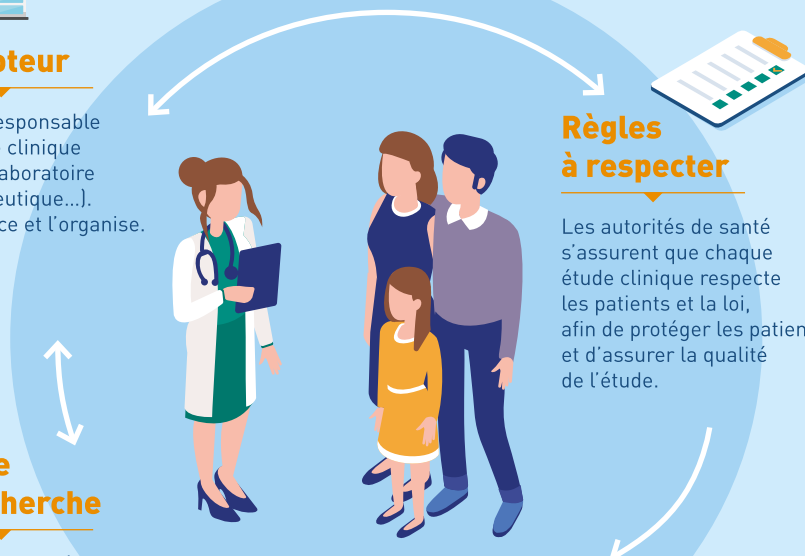
## Promoteur

C'est le responsable de l'étude clinique (hôpital, laboratoire pharmaceutique...). Il la finance et l'organise.



## Équipe de recherche

Composée de médecins, infirmières, attachés de recherche clinique, kinésithérapeutes, psychologues... Elle est chargée de réaliser l'étude clinique dans chaque CRCM.



## Règles à respecter

Les autorités de santé s'assurent que chaque étude clinique respecte les patients et la loi, afin de protéger les patients et d'assurer la qualité de l'étude.

## Le patient et ses parents

Au cœur du processus

Une étude clinique peut s'arrêter pour différentes raisons sur décision du promoteur ou des autorités de santé.

<sup>1</sup> ANSM : Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé, dont la mission principale est d'évaluer les risques sanitaires présentés par les médicaments et les produits de santé destinés à l'être humain. Elle est aussi l'autorité unique en matière de contrôle des études cliniques.

<sup>2</sup> CPP : Comité de Protection des Personnes, dont le rôle est de s'assurer que tout projet d'étude clinique respecte les aspects médicaux, éthiques et juridiques visant à assurer la protection des personnes qui participeront à cette étude.

<sup>3</sup> CNIL : Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés, est chargée de veiller à ce que l'informatique soit au service du citoyen et qu'elle ne porte atteinte ni à l'identité humaine, ni aux droits de l'Homme, ni à la vie privée, ni aux libertés individuelles ou publiques.

# Les différentes phases d'études cliniques

De la découverte d'une molécule à sa mise sur le marché

## Au laboratoire



Recherche et développement de la/des molécule(s)

## Tests



Tests en laboratoire sur l'animal

## Phase 1 : Tolérance



1<sup>re</sup> administration à l'Homme sur 10 à 20 volontaires sains

### Objectif

Étudier la tolérance d'un produit et son devenir dans l'organisme

### Questions

Quels sont les effets indésirables ?  
Quelle est la dose maximale tolérée ?

**Temps de participation par patient**  
Quelques semaines

## Phase 2 : Tolérance et efficacité

30 à 75 patients

### Objectifs

Analyser la tolérance et l'efficacité d'un produit  
Déterminer la meilleure dose à administrer

### Questions

Le produit est-il efficace ?  
La balance bénéfice-risque est-elle favorable ?

**Temps de participation par patient**  
Quelques mois

## Phase 3 : Efficacité

100 à 1000 patients

### Objectif

Démontrer l'efficacité d'un produit

### Questions

Le produit est-il efficace sur une population plus grande ?  
Les bénéfices sont-ils plus importants que les risques ?

**Temps de participation par patient**  
De 6 mois à 2 ans

## AMM

### Obtention de l'AMM

Autorisation de mise sur le marché

De 1 à 2 ans



### Commercialisation du traitement

De quelques mois à quelques années

## Phase 4 : La vraie vie



### Médicament sur le marché

Plusieurs centaines, voire milliers de patients

### Questions

La balance bénéfice-risque reste-t-elle favorable ?  
Des effets indésirables supplémentaires sont-ils observés ?

de 10 à 20 ans

Développement pré-clinique

Développement clinique

AMM et étapes post-AMM

# Paroles de patients



La première raison pour laquelle j'ai participé à une étude clinique était de faire avancer le combat contre la mucoviscidose, même si ce n'est peut-être pas moi qui en bénéficierai. J'ai également participé pour avoir accès au plus tôt à un traitement efficace.

Mon expérience globale est que cela nous apprend qu'on ne nous laisse pas tomber. À terme, ça laisse entrevoir un éventail de possibilités de traitement pour une meilleure qualité de vie.

Je conseillerais de participer à une étude car j'ai appris sur moi-même, j'ai pu vivre et gérer différemment ma maladie.

J'ai l'impression d'avoir aidé la médecine, ainsi que les autres patients.



Cette étude clinique m'a apporté la satisfaction personnelle d'aider à faire avancer les choses à mon niveau. Les contraintes auxquelles j'ai été confronté ont été de faire accepter à ma famille que je fasse une étude clinique. Dans la tête des gens, il y a, je pense, beaucoup d'inquiétudes, d'incertitudes et la peur qu'il y ait de nouveaux symptômes qui apparaissent et que notre état de santé empire. J'ai dû leur faire accepter ma décision et leur faire comprendre que j'étais totalement confiant.

Je recommanderais à mes proches ou à qui le souhaite, de participer à une étude clinique car le bénéfice de voir s'améliorer le quotidien des patients est énorme par rapport au risque encouru.



Aujourd'hui, je peux tester à l'avance, sous contrôle médical très encadré, de nouveaux médicaments pouvant potentiellement améliorer mon quotidien, ou bien profiter de l'avancée médicale pour tester un nouveau mode d'administration thérapeutique. Quoiqu'il en soit, décider de participer à une étude clinique, c'est aussi accepter d'être plus suivi par exemple, mais aussi de consacrer plus de temps à ses soins.

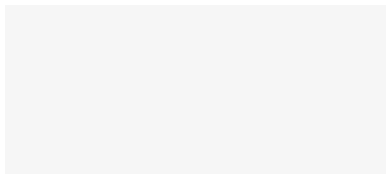
## + D'INFOS

L'objectif de cette brochure est de vous donner des informations sur la recherche clinique. Elle n'est pas exhaustive, si vous souhaitez de plus amples renseignements sur les études cliniques en cours dans votre CRCM (ou en France), ou encore si vous voulez participer à une étude clinique, parlez-en à :

- Votre médecin
- À l'infirmière coordinatrice
- À l'équipe de recherche clinique

Vous trouverez les coordonnées ci-après :

### **Contact :**



### **Liens utiles**

Vous pouvez retrouver plus d'informations sur les études cliniques en France et dans le monde sur :

[www.essaiscliniques.vaincrelamuco.org](http://www.essaiscliniques.vaincrelamuco.org)

[www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

### **Remerciements :**

Au Groupe ressource patients/proches pour la recherche de Vaincre la Mucoviscidose pour sa contribution.



#### **VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE**

Association reconnue d'utilité publique et habilitée  
à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie  
181, rue de Tolbiac - 75013 Paris  
Tél. : 01 40 78 91 91 - Fax : 01 45 80 86 44

**Avec le soutien institutionnel du laboratoire Vertex Pharmaceuticals France.**