

OÙ S'INFORMER SUR LES ESSAIS EN COURS OU À VENIR DANS LA SLA

Votre neurologue référent du Centre SLA peut vous informer sur l'avancement de la recherche et les essais en préparations.

Différentes bases de données répertorient les essais déjà autorisées :

- **Orphanet** : http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/ResearchTrials_ClinicalTrials_Simple.php?lng=FR
- **ANSM** : <http://ansm.sante.fr>, rubrique "essais cliniques". Le registre des essais cliniques de l'Agence européenne du médicament, Eudract, peut être consulté via ce lien.
- **National Institutes of Health (NIH)** - c'est le site le plus exhaustif : <https://clinicaltrials.gov/>. (en anglais).
- **Le portail de la Filière SLA** : www.portail-SLA-fr
- **Le site de l'ARSLA** : www.arsla.org



ESSAI CLINIQUE

Comment ça marche ?



Chaque malade souhaite s'engager dans un essai clinique dans l'espoir d'une amélioration voire de guérison. Participer à un essai clinique n'est pas anodin : nous vous expliquons ici les enjeux, les modalités afin d'y voir plus clair.

VOUS AVEZ DIT ESSAI CLINIQUE ?



Un essai clinique chez l'homme est précédé d'études précliniques chez l'animal. Ils sont indispensables au développement de nouveaux traitements chez l'homme. Ils sont très encadrés afin de garantir la qualité méthodologique et assurer la sécurité des personnes qui y participent. Un essai ne peut démarrer qu'après l'obtention d'une autorisation des autorités de santé et un avis favorable du comité éthique. Chaque essai est encadré par des professionnels qualifiés (médecins investigateurs*, infirmiers...) à l'hôpital. L'entrée dans un essai est basée sur des critères d'inclusion destinés à créer des groupes homogènes de personnes.

UN ESSAI DANS QUEL BUT ?



Pour pouvoir prescrire un nouveau traitement chez l'homme, il faut s'assurer, chez un nombre significatif de personnes, qu'il est bien toléré et efficace dans la maladie à traiter. C'est l'objectif des essais cliniques.

Il existe plusieurs types d'études cliniques :

- Celles qui s'assurent, chez un nombre significatif de personnes, que le futur traitement est bien toléré et efficace.
- Celles qui servent à évaluer une nouvelle méthode diagnostique ou de dépistage, un nouveau dispositif technique.
- Celles qui permettent de suivre une maladie et son évolution chez des malades pour mieux les catégoriser. Elles sont dites « non interventionnelles » car elles n'ont aucune incidence sur la prise en charge médicale des personnes concernées.

POURQUOI UN PROCESSUS LONG ?



Les autorités réglementaires doivent approuver chaque essai clinique pour en garantir la sécurité et la qualité. Le promoteur* de l'essai clinique, qui en est l'organisateur, constitue un dossier qui rassemble : le protocole d'essai, les instructions aux investigateurs responsables sur le terrain, la note d'information aux patients, le formulaire de consentement éclairé*, l'assurance, ainsi que les données scientifiques justifiant l'essai clinique.

Il le soumet au Comité de protection des personnes (CPP)* qui donne un avis, ainsi qu'à l'autorité administrative compétente en France, l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM)* qui décide d'autoriser l'essai ou non. Ce processus prends du temps, d'autant que des modifications peuvent être demandées avant que le dossier soit accepté.

*Voir le glossaire à la fin du document.

COMMENT PARTICIPER À UN ESSAI CLINIQUE ?



Dès l'autorisation obtenue, l'essai se met en place dans les centres investigateurs concernés : le recrutement des patients peut commencer. Le médecin investigateur propose alors aux patients qui semblent rentrer dans les critères d'inclusions requis (âge, sexe, degré d'atteinte de la maladie, caractéristiques physiologiques...) d'y participer. Lors d'une consultation spécifique, il informera le patient sur l'essai (objectif, déroulement, conséquences au quotidien, précautions...) ; informations généralement reprises dans la note d'information qu'il est impératif de bien lire afin de poser toutes les questions en amont de l'acceptation. Si le patient souhaite s'engager, l'accord sera formalisé en signant un formulaire de consentement éclairé. Des examens médicaux complémentaires seront effectués pour confirmer que le patient répond bien aux critères d'inclusions.

Une personne présélectionnée pour un essai clinique peut finalement ne pas y être incluse. Le plus souvent parce qu'elle ne répond plus à l'un des critères d'inclusion de l'essai. Enfin, lorsque le nombre de patients à recruter pour l'essai est atteint, les recrutements s'arrêtent, même s'il y a encore des personnes qui auraient pu répondre aux critères d'inclusion.

Si l'on n'est pas inclus dans un essai clinique donné, on pourra éventuellement être inclus dans un autre dont les critères seront différents.

UNE PARTICIPATION FINANCIÈRE PEUT-ELLE ÊTRE DEMANDÉE POUR PARTICIPER À UN ESSAI ?



En France, aucune participation financière n'est demandée. Méfiance dans le cas contraire, il peut s'agir d'essais sauvages ou étrangers pouvant mettre en danger le participant, ou tout simplement d'une arnaque financière !

Les frais liés aux déplacements entre le domicile et le centre investigateur, les examens médicaux et l'hébergement sont, en principe, pris en charge par le promoteur ; si la distance entre le domicile et le centre investigateur le justifie. Leur montant peut être plafonné par le promoteur, ce dont vous devez être informé. Pour certains essais, l'avance de certains frais est demandée ; ils vous seront remboursés ensuite par le promoteur.

CADRE LÉGAL DES ESSAIS CLINIQUES

Plusieurs textes encadrent les recherches médicales :

- La loi de santé publique fixant les conditions des recherches biomédicales pratiquées et organisées en vue du développement des connaissances biologiques ou médicales ;
- La loi de bioéthique du 7 juillet 2011 qui s'intéresse aux activités médicales et de recherche qui utilisent des éléments du corps humain.

Phase I, II ou III, pourquoi ?

Pour étudier un traitement, on évalue sa tolérance, son efficacité, le rapport effet /dose... en réalisant des essais cliniques successifs de phase I, II, III et IV.

Chaque essai est indépendant des autres, s'appuie sur les résultats des précédents et fait l'objet d'une autorisation propre. Ces essais nécessitent des effectifs croissants de participants. On parle de cohortes*.

Essai de phase I : Tolérance



Objectif : savoir si le produit est bien toléré ; mesurer les paramètres physico-chimiques du produit.

Essai de phase II : Effet / Dose



Objectif : définir la dose active et la relation entre la dose et les effets thérapeutiques du produits.

Essai de phase III : Efficacité



Objectif : prouver l'effet thérapeutique du produit par rapport à un traitement de référence ou un placebo ; confirmer la tolérance.

Autorisation de mise sur le marché (AMM)

Essai de phase IV : Pharmacovigilance



Objectif : évaluer les effets indésirables (attendus ou encore inconnus) du médicament sur la population traitée.

*Voir le glossaire à la fin du document.

EST-CE QUE CELA VA CHANGER L'ORGANISATION DE MON QUOTIDIEN ?



Les contraintes organisationnelles de l'essai clinique auquel vous allez participer doivent être discutées avec le médecin investigateur.

Certains essais sont peu contraignants (le produit testé se prend à domicile, il y a peu de déplacements, les examens sont ponctuels), tandis que d'autres nécessitent des visites au centre investigateur, des examens réguliers, parfois invasifs... Le bon déroulement de l'essai, sans trop de fatigue ni de stress, dépend d'une organisation suffisamment anticipée. En règle générale, l'équipe du centre investigateur vous aide à organiser votre venue pour les visites.

Le suivi médical de l'essai est effectué par l'équipe médicale du centre investigateur lors des visites prévues au protocole. Il comprend un bilan clinique effectué par le médecin investigateur et le recueil des données fonctionnelles et biologiques, par l'équipe (infirmiers, kinésithérapeutes...). Il faut donc se prêter à des examens réguliers, noter les symptômes ressentis, les désagréments, les améliorations... selon les indications du protocole. Celui-ci doit être rigoureusement respecté notamment si la prise de médicament se fait à domicile.

L'ESSAI PEUT-IL GUÉRIR ?



Un essai clinique n'est pas un traitement de la maladie, mais une étape dans la recherche d'un traitement efficace. L'efficacité du produit testé et ses effets secondaires sont inconnus puisque l'essai clinique sert à les évaluer. Dans une maladie où il n'y a pas encore de traitement, il est normal que l'inclusion dans un essai clinique représente un espoir de voir son état de santé s'améliorer ; mais le candidat médicament peut aussi n'avoir aucune efficacité. S'il s'agit d'un essai en double aveugle contre placebo*, c'est un tirage au sort qui détermine si l'on est inclus dans le groupe "molécule active" ou le groupe "placebo" : on peut donc recevoir le placebo.

L'ESSAI PEUT-IL AGGRAVER LA MALADIE ?



Toutes les précautions sont prises pour que les personnes qui s'engagent dans un essai clinique ne courent pas de risques prévisibles. Si l'essai en cours s'avère être un danger pour les participants (effets indésirables constatés trop nombreux, voir même un taux de mortalité important parmi les participants...), il sera suspendu par l'ANSM.

QUE SE PASSE T-IL UNE FOIS L'ESSAI TERMINÉ ?

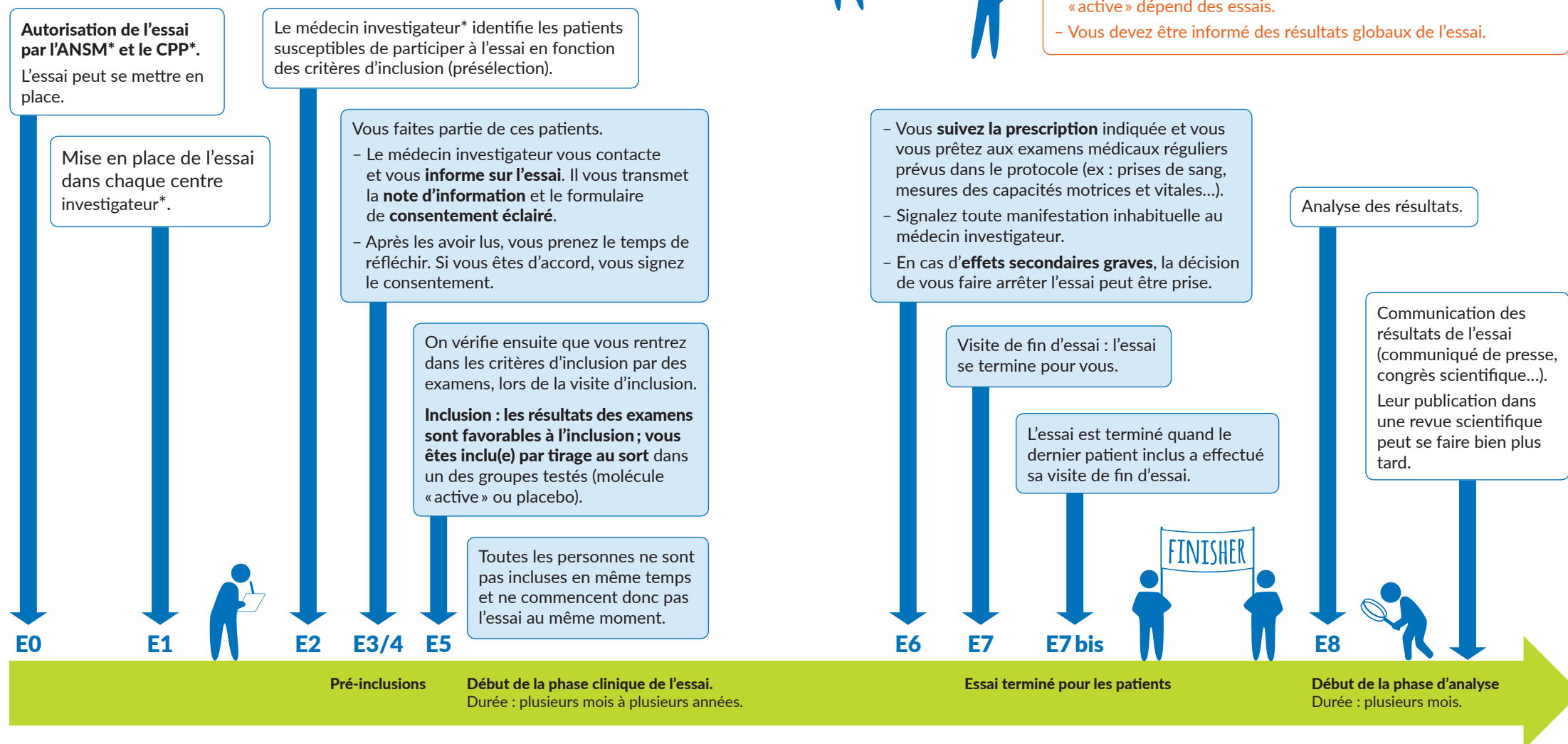


L'essai est terminé quand tous les patients inclus ont effectué la dernière visite de l'essai. Celle-ci peut avoir lieu quelques semaines après la dernière prise de produit. Les matériels et produits utilisés restant sont remis au centre investigateur. Les patients qui ont participé à l'essai sont en droit d'être informés de ses résultats globaux, publiés généralement plus tard après une analyse approfondie. En revanche, selon les essais, il n'est pas toujours possible de savoir si l'on prenait le placebo ou la molécule "active".

*Voir le glossaire à la fin du document.



L'ESSAI CLINIQUE *étape par étape pour vous*



À savoir !

- Vous pouvez contacter le médecin investigateur pour toute question concernant l'essai, après celui-ci.
- La possibilité de savoir si vous avez pris le placebo ou la molécule « active » dépend des essais.
- Vous devez être informé des résultats globaux de l'essai.

À savoir !

- Le diagnostic clinique et le diagnostic moléculaire de la maladie doivent être connus pour participer à un essai.
- Vous êtes libre d'accepter ou non d'y participer.
- Avant de vous engager, informez-vous sur l'essai, interrogez le médecin investigateur, réfléchissez à l'organisation à mettre en place pendant l'essai.
- Si vous ne souhaitez pas participer à l'essai, cela ne change pas votre prise en charge.

À savoir !

- Vous pouvez demander à sortir de l'essai à tout moment (mais vous ne pouvez alors plus y revenir).
- Si les contraintes sont ressenties comme pesantes, il peut être utile d'en parler au médecin investigateur.
- Le suivi médical habituel dans sa consultation pluridisciplinaire doit être poursuivi pendant la durée de l'essai.

*Voir le glossaire à la fin du document.

GLOSSAIRE

POUR MIEUX COMPRENDRE

Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM)

Autorité sanitaire qui autorise chaque essai clinique en France et assure la vigilance durant leur déroulement. Elle peut suspendre un essai si la sécurité des participants est menacée.

Autorisation de mise sur le marché (AMM)

Agrément national (délivré par l'ANSM) attribué à un fabricant de médicament, pour commercialiser un médicament qui a montré qu'il était efficace et sans danger dans une indication thérapeutique précise.

Autorisation temporaire d'utilisation (ATU)

Dispositif qui autorise en France l'utilisation d'un candidat médicament avant l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché, si les résultats préliminaires des essais cliniques sont probants.

Cohorte

Groupe de personnes sélectionnées en fonction d'une ou plusieurs caractéristiques et suivi dans le temps.

Consentement éclairé

Accord donné librement par une personne qui participe à un essai clinique et qui atteste qu'elle a bien reçu les informations nécessaires avant de prendre sa décision et qui sont reprises dans la note d'information.

Comité de protection des personnes (CPP)

Comités d'éthique composés de professionnels de la santé et de représentants de la société civile (dont les associations de malades), les CPP se prononcent sur l'intérêt et les risques des essais cliniques, qui ne peuvent démarrer qu'avec leur avis favorable.

Critères d'inclusion et de non inclusion

Âge, sexe, degré d'atteinte de la maladie, caractéristiques physiologiques, diagnostic, anomalie génétique... : ces critères sont décrits dans le protocole et conditionnent la participation à tout essai clinique.

Essai en double aveugle

Essai clinique dans lequel ni le médecin investigateur ni les participants de l'essai ne connaissent le produit pris par les participants (molécule "active" ou placebo). La répartition des participants dans chaque cohorte est faite au hasard (randomisée) par tirage au sort.

Essai en ouvert

Essai dans lequel chaque participant sait quel traitement il reçoit.

Essai multicentrique

Essai clinique qui se déroule dans plusieurs centres investigateurs géographiquement distincts (en France et à l'étranger) selon un protocole identique.

Étude préclinique

Étude qui précède les essais cliniques chez l'homme et réalisée sur des modèles animaux sains ou reproduisant les caractéristiques de la maladie que l'on veut soigner.

Médecin Investigateur

Médecin responsable de la conduite d'un essai clinique dans le centre investigateur. Il conduit l'équipe médicale du centre (médecins, infirmiers, kinésithérapeutes...).

Observance

Respect du rythme de prise des traitements et examens.

Placebo

Produit qui ressemble en tout point à la molécule active étudiée dans l'essai clinique mais qui ne contient pas de substance active. Le placebo sert de comparateur par rapport au candidat médicament étudié.

Promoteur

Personne physique ou morale (entreprise, laboratoire, institut, organisme...) qui prend l'initiative de l'essai, qui en a la responsabilité, en assure la gestion et trouve les financements nécessaires à sa réalisation.

Protocole

Il décrit l'essai clinique : l'objectif, la conception, la méthode, les aspects statistiques, le type de population qui y participe (critères d'inclusion), son organisation, les traitements, les dosages, la durée...

Randomisé (Essai)

C'est une manière de répartir des participants dans les groupes testés : chacun est attribué par tirage au sort à l'un ou l'autre des groupes de l'essai (groupe molécule "active", groupe placebo), au fur et à mesure des inclusions. Cette attribution, faite par un procédé informatique, est tenue secrète pour les essais en aveugle.