

# Participation des patients à la recherche médicale

# Qu'est ce qu'un Essai clinique ?

**La loi Jardé n° 2012-300 du 5 mars 2012**

**les recherches sur l'être humain en vue du développement des connaissances biologiques ou médicales, désignées ci-après par les termes**

**«recherche impliquant la personne humaine (RIPH)»**

# Pourquoi un essai clinique est-il important ?

- Mieux comprendre une maladie
- Mieux comprendre le fonctionnement normal
- Mieux évaluer une maladie / un traitement
- Savoir si un traitement est sans risque
- Savoir si un traitement est efficace
- Trouver la bonne dose d'un médicament

LES BENEFICES NE SONT PAS DIRECTS POUR LE PATIENT AU MOMENT DE L'ETUDE  
(pas si vrai que ça)

## Pourquoi une réglementation ?

- Étude de Tuskegee sur la syphilis
- Etudes Nazis (procès Nuremberg)

## Réglementation (loi Jardé)

### ▶ **cadre juridique plus harmonisé aux RIPH**

Un socle réglementaire commun pour toutes les catégories de recherche : • Promoteur (les 3 catégories) • Avis CPP ( les 3 catégories) et • une autorisation ANSM

### ▶ **approche pragmatique**

Basée sur le risque et la contrainte apportée par la recherche

### ▶ **Révision des règles du consentement**

Une information écrite doit être dispensée et suivie de l'obtention d'un consentement libre, éclairé et écrit

### ▶ **Clarification des démarches**

Constitution de collection et informatisation de données (CNIL)

1er type de recherche impliquant la personne humaine

**Les recherches interventionnelles comportant une intervention sur la personne humaine non justifiée par la prise en charge habituelle**

- ❑ Cette intervention est non dénuée de risque pour la personne s'y prêtant
- ❑ Pour les recherches sur médicament et volontaire sain, tout effet indésirable grave doit être déclaré par l'investigateur au promoteur sans délai et en conformité avec le protocole

2e type de recherche impliquant la personne humaine

## Les recherches interventionnelles à risques et contraintes minimales

- Utilisation de produits de santé y compris de médicaments (mais dans leur conditions habituelles d'utilisation et d'AMM)
- Actes peu invasifs (prise de sang, imagerie standard...)
- Arrêté du 2 décembre 2016 : définit les gestes techniques et prélèvements considérés comme de risque et contrainte à caractère minime

3e type de recherche impliquant la personne humaine

**Les recherches non interventionnelles où tous les actes sont pratiqués et les produits utilisés de manière habituelle**

□ sans procédure supplémentaire ou inhabituelle de diagnostic, de traitement ou de surveillance (anciennement soin courant)

# Methodologie des essais cliniques

- Critère de jugement ?
  - Critère d'inclusion ?
  - Critère d'exclusion ?
  - Analyse statistique: montrer que l'effet n'est pas lié au hasard (p)

# Methodologie des essais cliniques

- Etude ouverte (DYRID, PRESEV, DREPAGLOBE)
- Essai contrôlé non-randomisé (évaluation de groupes ≠: DREPA-RIC)
- Essai contrôlé randomisé
  - En groupe parallèle (AGIOS, LUSPATERCEPT, EXDRE)
  - De type cross-over
- En simple ou en double insu (simple ou double aveugle)
- Essai de supériorité ou de non-infériorité

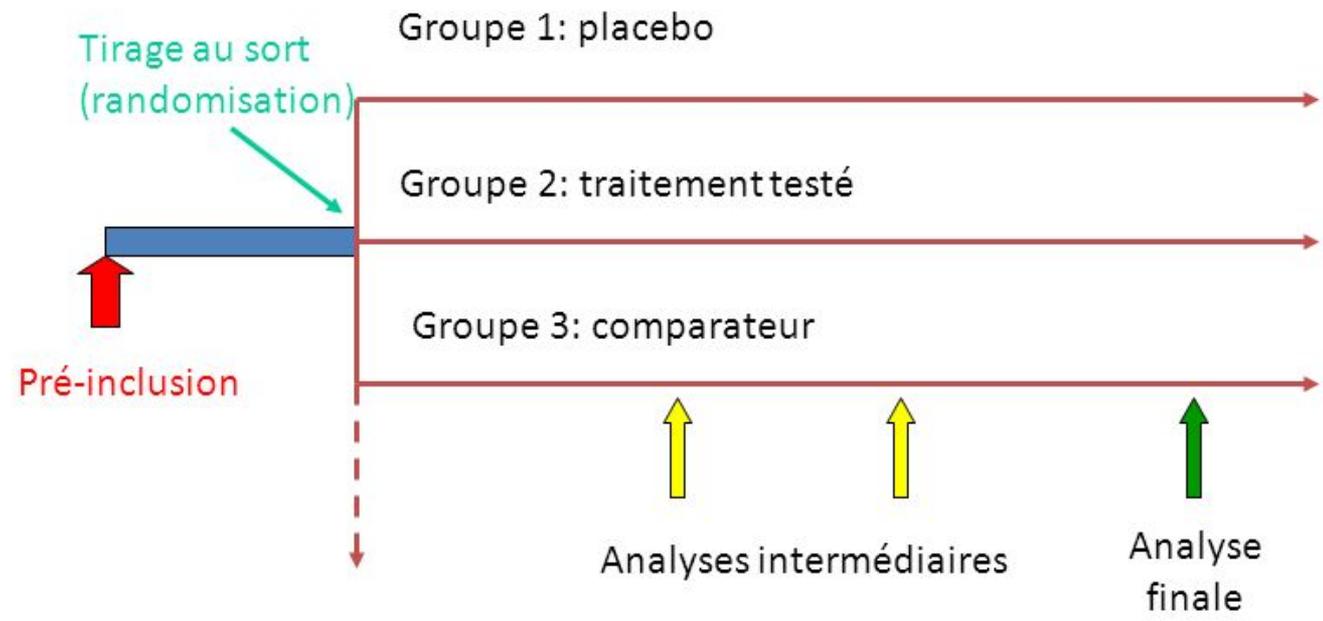
# Methodologie des essais cliniques

- Avant d'arriver sur le marché, une molécule thérapeutique doit franchir plusieurs étapes visant à évaluer tant son efficacité (est-ce qu'elle soigne bien?) que sa sécurité (effets indésirables),
- Pour cela, après une longue phase de recherche en laboratoire et sur l'animal, l'industrie pharmaceutique a recours à des tests sur l'homme, appelés essais cliniques. Ils se font en trois étapes:
  - la phase 1: permet d'évaluer les possibles effets indésirables sur un petit groupe de volontaires sains rémunérés;
  - la phase 2: statue sur l'efficacité de la molécule et sa dose optimale;
  - la phase 3: compare le traitement à un placebo ou à un traitement de référence.
  - La phase 4: évaluation en post AMM (escort HU)

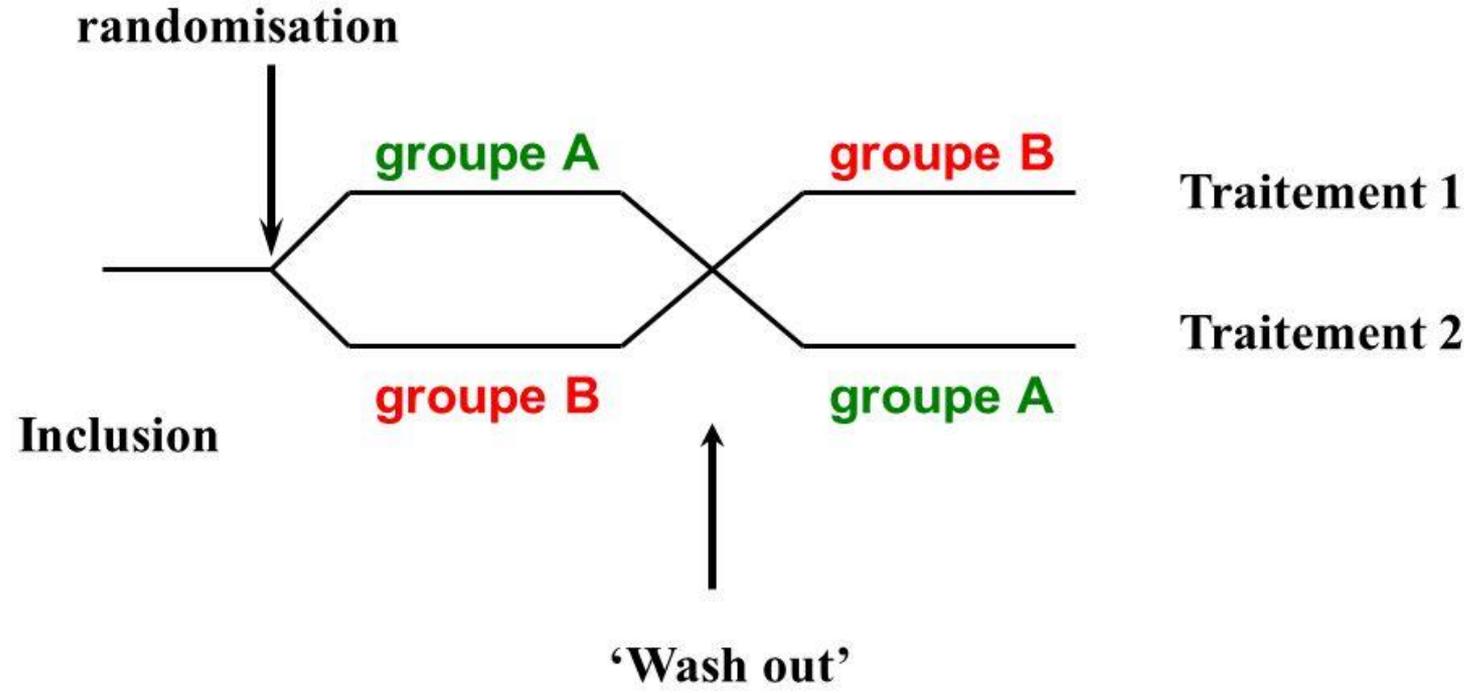
# Methodologie des essais cliniques

- **Les essais comparatifs de supériorité** démontrent que le médicament expérimental est meilleur que le contrôle.
- **Les essais comparatifs d'équivalence** démontrent que la mesure du critère d'évaluation est similaire (ni pire, ni meilleure) que le contrôle.
- **Les essais comparatifs de non-infériorité** démontrent que le médicament expérimental n'est pas moins bon que le contrôle.
- **Les essais sur la relation dose-réponse** définissent les divers paramètres posologiques, dont la dose de départ et la dose maximale.

# Groupes parallèles



# 'Cross over'



## ASPECT PRATIQUES

- Pas de dédommagement sauf volontaires sains et frais occasionnés à cause de l'étude (transport, repas etc)
- Arrêt de travail (analyses, surveillance, complications)
- Prise en charge sociale (Secu, AME, CMU) nécessaire
- Capacité à donner son consentement (adultes/parents-enfants/tuteurs)
- Assurance par le promoteur
- Circuit privilégié dans le cadre de l'étude
- Comité de surveillance et de suivi des données (indépendant)
- Souvent possibilité de poursuivre le traitement (même ceux du bras contrôle)

Merçi pour votre attention...

La recherche est faite  
pour vous avec vous.