

## Phase 4

### Suivi après mise sur le marché

Elle a lieu après la mise sur le marché du médicament. Le traitement est alors utilisé dans les conditions habituelles de soins, auprès d'un grand nombre de patients. Cette phase permet de détecter des effets indésirables rares ou à long terme et de continuer à évaluer son efficacité dans la vraie vie. Elle contribue à améliorer les connaissances sur le traitement et à adapter si besoin les recommandations d'utilisation.

## QUELS SONT LES BÉNÉFICES ET LES RISQUES ?

### Bénéfices possibles

- accès à une prise en charge innovante,
- suivi médical renforcé,
- contribution au progrès de la recherche et des soins.



### Risques possibles

- effets indésirables connus ou inconnus,
- efficacité du traitement non garantie,
- contraintes liées aux visites, examens ou questionnaires.

Tous les risques connus vous seront expliqués avant toute participation.

## EST-CE QUE C'EST SÉCURISÉ ?

Les essais cliniques sont strictement encadrés par la loi française :

- autorisés par les autorités de santé : l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), si nécessaire.

- validés par un comité d'éthique : le Comité de Protection des Personnes (CPP)
- déclarés et enregistrés auprès des autorités compétentes, garantissant la transparence et la traçabilité de l'étude
- surveillés pendant toute leur durée.

Vos données personnelles et médicales sont protégées :

- conformément à la réglementation en vigueur (RGPD et loi Informatique et Libertés)
- les données sont traitées de manière confidentielle.
- votre identité n'apparaîtra jamais dans les résultats publiés.

Votre sécurité est une priorité permanente.

## EST-CE OBLIGATOIRE ?

NON. Participer à un essai clinique est :

- volontaire
- basé sur votre accord écrit (*consentement éclairé\**)
- révoquant à tout moment.

Vous pouvez refuser ou arrêter votre participation à tout moment, sans justification et sans conséquence sur la qualité de vos soins.

*\*Avant de participer :*

*vous recevrez une information orale et écrite complète, vous pourrez poser toutes vos questions, vous signerez un formulaire de consentement éclairé si vous acceptez de participer.*

En cas de questions, votre médecin investigateur et votre pharmacien hospitalier restent à votre disposition pour vous accompagner tout au long de l'essai clinique.



- ✓ Participer à un essai clinique est **un choix personnel**
- ✓ Vous êtes **libre d'accepter ou de refuser**
- ✓ Votre décision sera **toujours respectée**
- ✓ Votre décision n'impactera en aucun cas **la qualité de votre prise en charge médicale**

## Les essais cliniques expliqués aux patients



Scannez pour lire en ligne

GTOT - 05/06/2026

**FilRouge**  
FILIÈRE SANTÉ MALADIES RARES  
MCGRE

## QU'EST-CE QU'UN ESSAI CLINIQUE ?

Un essai clinique est une étude médicale réalisée auprès de patients volontaires afin d'évaluer un traitement, un médicament, ou une nouvelle façon de l'utiliser. Dans les maladies rares, les essais cliniques sont essentiels, car ils sont souvent le principal moyen de développer de nouveaux traitements.



## POURQUOI UN ESSAI CLINIQUE PEUT-IL VOUS ÊTRE PROPOSÉ ?

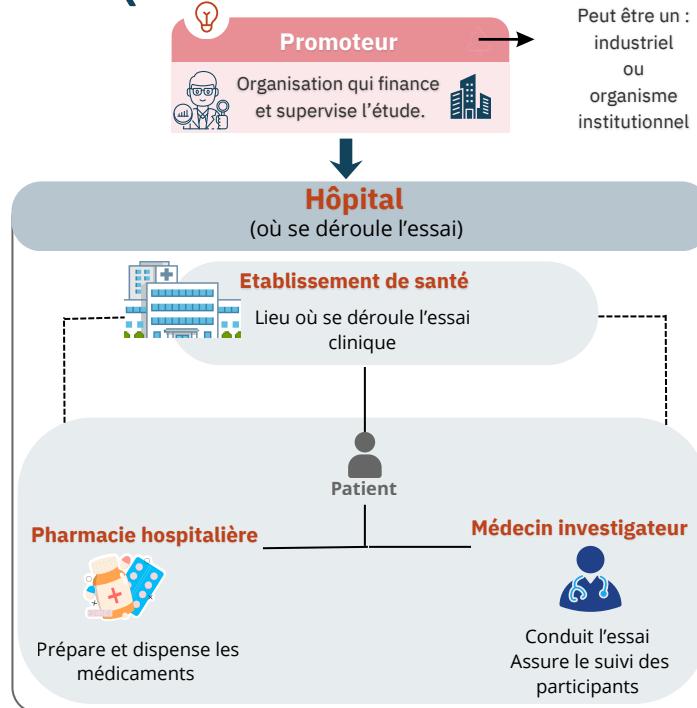
Un essai clinique peut être proposé pour :

- évaluer l'efficacité et la sécurité d'un nouveau traitement,
- comparer différentes stratégies thérapeutiques,
- mieux comprendre une maladie ou ses effets,
- lorsque les traitements habituels ne sont pas adaptés ou suffisants.

Les essais cliniques permettent de s'assurer que le traitement apporte un bénéfice et que les risques sont connus et surveillés.

Votre participation dépend de critères médicaux précis, définis dans le protocole de l'étude.

## QUI ORGANISE L'ESSAI CLINIQUE ?



## COMMENT SE DÉROULE UN ESSAI CLINIQUE ETAPE PAR ETAPE ?

Chaque essai clinique suit un protocole, c'est-à-dire un plan précis décrivant :

- les examens et consultations prévus,
- les traitements et le suivi proposés,
- la durée de votre participation.

Vous bénéficierez d'un **suivi médical régulier** tout au long de l'étude.

L'essai auquel vous participez correspond à une étape précise du développement du traitement : on parle de phase 1, 2, 3 ou 4. Chaque phase a un objectif spécifique : évaluer progressivement la sécurité et l'efficacité du traitement avant sa mise à disposition plus large.

### Phase 1

#### Vérifier la sécurité et la tolérance

La phase 1 correspond à la 1ère étape d'évaluation du médicament chez l'être humain. Elle concerne un petit nombre de participants. L'objectif principal est de vérifier que le traitement est bien toléré, identifier les effets indésirables et déterminer la dose la plus adaptée. On cherche surtout à s'assurer que le traitement ne présente pas de risque majeur.

### Phase 2

#### Vérifier l'efficacité

Le traitement est administré à un plus grand nombre de patients. L'objectif est d'évaluer son efficacité tout en continuant à surveiller sa tolérance et ses effets indésirables. Cette étape permet de mieux comprendre comment le traitement agit et de préciser la meilleure dose à utiliser. On cherche à savoir si le traitement apporte un réel bénéfice aux patients.

### Phase 3

#### Confirmation des résultats

Cette phase inclut un nombre beaucoup plus important de patients (parfois plusieurs milliers), dans plusieurs hôpitaux ou pays. Le nouveau traitement est comparé au traitement de référence déjà existant ou à un *placebo*\*. Cette phase permet de confirmer son efficacité, de mieux connaître ses effets indésirables et de vérifier s'il apporte un avantage par rapport aux traitements disponibles. Si les résultats sont positifs, le médicament peut obtenir une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) et être prescrit aux patients.

\*Dans un essai clinique, un placebo est un traitement sans effet thérapeutique, utilisé pour comparer de façon fiable l'efficacité réelle d'un nouveau médicament.