



TROUSSE DE RENSEIGNEMENTS SUR LES ÉTUDES CLINIQUES

TABLE DES MATIÈRES

- 03. Qu'est-ce qu'une étude clinique?
- 04. Phases et taux de réussite d'une étude clinique
- 05. Avantages, obstacles et risques
- 06. Consentement
Enfants, études cliniques et consentement
- 07. Foire aux questions
- 09. Questions que vous devez vous poser
- 10. FK ÉCLAIR
- 11. Glossaire
- 12. Références



QU'EST-CE QU'UNE ÉTUDE CLINIQUE?

Les études cliniques visent à mettre à l'essai d'éventuels nouveaux médicaments, traitements et dispositifs afin d'assurer leur sécurité, d'évaluer leur fonctionnement et de déterminer s'ils offrent des avantages par rapport aux médicaments, traitements et thérapies actuels. Les médicaments et les dispositifs sont d'abord évalués dans des laboratoires de recherche, où des épreuves sont effectuées sur des animaux et des cellules humaines.

Les recherches sont effectuées pour :

- ✓ améliorer les propriétés médicamenteuses;
- ✓ tester les avantages, la sécurité et la voie d'administration privilégiée d'un médicament ou d'une thérapie;
- ✓ évaluer les interactions avec d'autres médicaments;
- ✓ déterminer la posologie et les effets secondaires possibles;
- ✓ déterminer l'efficacité d'un produit par rapport à d'autres médicaments ou thérapies semblables.

Si la recherche réussit et que le médicament ou la thérapie est considéré sécuritaire, il passera à la première phase d'une étude clinique.

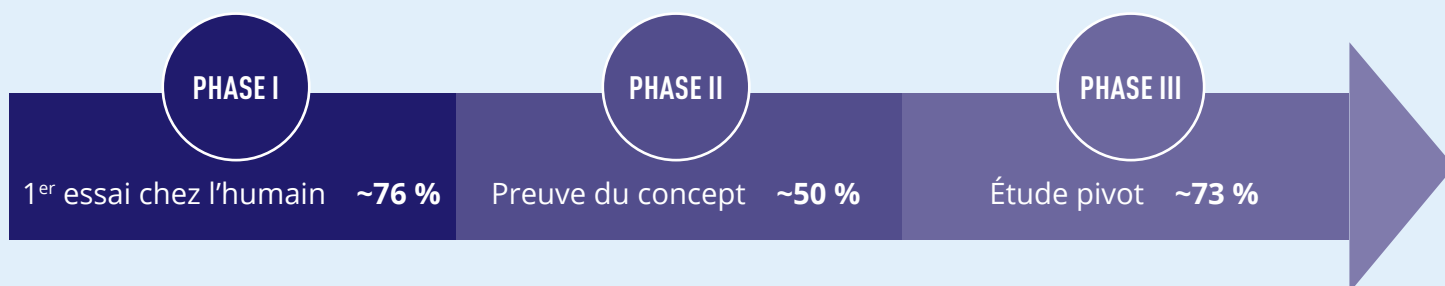
Phase I (ou premier essai chez l'humain) – Cette phase consiste à évaluer la sécurité du médicament ou de la thérapie chez les humains. Le produit est administré à un petit échantillon de personnes en bonne santé pour déterminer en premier lieu la réaction du corps et les échelles posologiques sécuritaires. Le produit peut ensuite être évalué auprès de la population de patients cible (Phase Ib). Cette phase, qui dure de plusieurs jours à plusieurs semaines, a un taux de réussite d'environ 76 % pour les maladies rares.

Phase II Cette phase consiste à poursuivre l'évaluation de la sécurité et à déterminer l'efficacité du médicament ou de la thérapie. Le produit est évalué auprès d'un groupe plus vaste de patients atteints de la maladie que le médicament ou traitement a le potentiel de traiter. Cette phase dure de plusieurs semaines à plusieurs mois. Pour les maladies rares, le taux de réussite de cette phase est d'environ 50 %.

Phase III Cette phase consiste à valider l'efficacité, les avantages et les effets secondaires possibles du médicament ou de la thérapie auprès d'un groupe encore plus important de patients atteints de la maladie. Elle peut durer plusieurs années et a un taux de réussite d'environ 73 % pour les maladies rares.ⁱ Une fois l'étude terminée, les participants peuvent ou non continuer à recevoir le médicament, selon l'étude. Il est important de parler à l'équipe de recherche avant le début d'une étude, pour être bien renseigné sur ce qui va se passer avant, pendant et après l'étude. L'équipe de recherche aura également des renseignements sur l'accès au traitement après l'étude et sur son remboursement.

Une fois l'étude clinique terminée, les chercheurs détermineront si les résultats ont une importance sur le plan médical et si les avantages l'emportent sur les risques possibles. Pour que le médicament soit mis à la disposition du public, une demande de mise en marché doit être présentée auprès de Santé Canada. La demande présente la sécurité du médicament, sa qualité, son efficacité et est examinée par les experts de Santé Canada. Si on détermine que les avantages du médicament l'emportent sur ses risques, avec la possibilité la plus faible d'effets secondaires, la vente du médicament sera approuvée au Canada. Une fois homologué, le médicament obtient un avis de conformité et un numéro d'identification de médicament (DIN) et il peut devenir disponible par les régimes d'assurance privés peu de temps après. Il faut toutefois beaucoup plus de temps, parfois des années, avant que les régimes d'assurance des provinces et du fédéral ne couvrent un nouveau médicament.

TAUX DE RÉUSSITE POUR LES MALADIES RARES OU ORPHELINES



En Phase I, 76 % des études cliniques réussissent. Sur ces 76 %, seuls 50 % réussissent en Phase II, ce qui signifie que seulement 38 % des études atteignent la Phase III. Sur ces 38 % qui parviennent à la Phase III, 73 % réussissent. Cela signifie que seulement 25 % de tous les nouveaux traitements éventuels pour lesquels on entreprend une étude clinique passent avec succès de la Phase I à la fin de la Phase III.ⁱⁱ

AVANTAGES, OBSTACLES ET RISQUES

AVANTAGES

- ✓ Jouer un rôle actif dans vos soins de santé
- ✓ Mieux comprendre votre diagnostic
- ✓ Aider d'autres personnes qui vivent avec la même maladie
- ✓ Avoir accès à de nouveaux traitements qui ne sont pas encore offerts au public
- ✓ Recevoir un traitement qui pourrait être plus efficace que vos traitements actuels
- ✓ Recevoir des soins attentifs et des soins de suivi supplémentaires
- ✓ Plusieurs études ont montré que les participants à des études cliniques ont de meilleurs résultats de santé généraux que ceux qui ne participent à des étudesⁱⁱⁱ



OBSTACLES

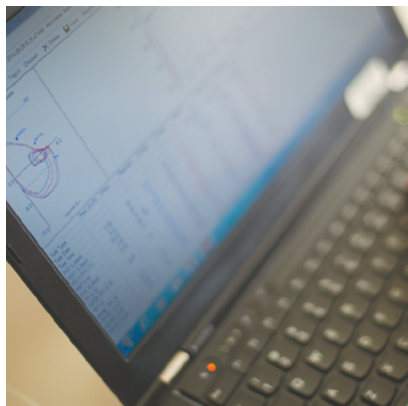
- ✓ Nécessité de se rendre au site de l'étude
- ✓ Temps requis pour les visites dans le cadre de l'étude (surtout pendant les Phases I et II) et durée des études
- ✓ Coût éventuel des journées de travail manquées
- ✓ Besoin éventuel de garde d'enfants en raison de la participation à l'étude
- ✓ Journées d'école éventuellement manquées pour participer à l'étude



RISQUES

- ✓ Subir les effets secondaires ou réactions indésirables possibles des médicaments ou traitements
- ✓ Recevoir un traitement qui ne fonctionne pas pour vous
- ✓ Ne pas faire partie du groupe de traitement (recevoir un placebo)





Lorsque le responsable de l'équipe de recherche aura discuté avec vous d'une étude clinique possible, et si vous souhaitez en savoir davantage, l'équipe vous remettra un formulaire de consentement éclairé qui présente l'étude plus en détail. Le formulaire de consentement contient les renseignements de base sur l'étude, explique qui en est le commanditaire, précise le nombre de participants à l'étude, la durée de l'étude, son déroulement, les avantages et les risques possibles, les responsabilités du participant, le processus de retrait de l'étude, la confidentialité, les coûts et les rémunérations (le cas échéant), ainsi que tout autre détail concernant cette étude en particulier.

Si des changements sont apportés à l'étude clinique, le participant a le droit d'être averti et devrait recevoir et signer un nouveau formulaire de consentement. Lorsque toutes les nouvelles informations et les modifications auront été discutées, le participant aura le choix de poursuivre sa participation à l'étude; si le patient souhaite continuer l'étude, le nouveau formulaire de consentement doit être signé.

ENFANTS, ÉTUDES CLINIQUES ET CONSENTEMENT

Avant que des études cliniques puissent être offertes à des enfants, des données sur la sécurité doivent être recueillies auprès d'adultes et d'adolescents. Si ces données démontrent que le médicament ou traitement est sécuritaire et efficace, il pourra être évalué auprès d'une population plus jeune. Les enfants sont surveillés très attentivement pendant les études cliniques et toutes les mesures de précaution sont prises, comme dans les études pour les adultes.

Les enfants qui prennent part à des études cliniques devront avoir un formulaire de consentement signé par leurs parents ou par un tuteur légal s'ils n'ont pas atteint l'âge de la majorité dans leur province ou territoire. Les enfants qui ne sont pas majeurs peuvent malgré tout donner leur consentement à participer ou ne pas participer à une étude s'ils ont la capacité de comprendre l'étude et ses détails. Un professionnel de la santé doit évaluer la capacité de l'enfant et déterminer s'il comprend l'objectif de l'étude, ses risques et avantages potentiels, ainsi que les responsabilités du participant.^{iv} La participation des enfants au processus décisionnel est importante pour qu'ils se sentent à l'aise et engagés dans leurs soins de santé.

Tous les médicaments qui conviennent aux adultes ne conviendront pas aux enfants; les doses, l'efficacité et la sécurité peuvent varier entre les adultes et les enfants. Il faudra peut-être créer les médicaments sous une forme qui convient à l'âge de l'enfant, par exemple un sirop plutôt qu'un comprimé qui peut être difficile à avaler pour un enfant.





1. Qui peut participer?

Avant prendre part à une étude clinique, un participant doit être admissible à l'étude. Des critères d'inclusion et d'exclusion sont utilisés par les cliniciens pour déterminer qui est admissible à participer à une étude précise. Ces critères assurent la sécurité des participants, ainsi que l'exactitude et l'utilité des résultats de l'étude.

Au début de l'étude, un formulaire de consentement doit être signé pour permettre à l'équipe de recherche de recueillir vos renseignements de santé personnels et d'évaluer les critères d'inclusion et d'exclusion. Une fois le consentement accordé, les chercheurs vous donneront des détails sur l'étude et répondront à toutes vos questions. Les chercheurs examineront vos renseignements médicaux personnels pour s'assurer que vous répondez aux critères d'inclusion particuliers de l'étude. L'âge de participation variera selon l'étude.

2. Les études cliniques sont-elles sécuritaires?

Les codes déontologiques et juridiques qui régissent la pratique médicale au Canada s'appliquent également aux études cliniques. L'évaluation constante par une commission d'éthique de la recherche et un comité de contrôle de la sécurité contribue à protéger les personnes qui choisissent de participer à des études.

3. Quelles mesures de prévention des infections sont prises dans le cadre des études cliniques?

La prévention des infections est prise très au sérieux dans les études cliniques et votre équipe de recherche, qui est composée de professionnels de la santé, adoptera les mêmes mesures de prévention que votre clinique de fibrose kystique. Votre coordonnateur de la recherche, ainsi que votre médecin, porteront une chemise d'hôpital et des gants pour vous rencontrer. Pour toutes les épreuves de laboratoire, les mesures de prévention des infections seront les mêmes que celles de votre clinique de fibrose kystique. Pour obtenir plus de renseignements à ce sujet, veuillez consulter le site Web de Fibrose kystique Canada et prendre connaissance des lignes directrices, conseils et vidéos sur la prévention des infections : www.fibrosekystique.ca/about-cf/vivre-avec-la-fibrose-kystique/politique-de-prevention-des-infections.

4. Est-il possible de quitter l'étude clinique une fois le traitement commencé?

Oui. Vous pouvez vous retirer de l'étude clinique en tout temps et pour n'importe quelle raison, même si vous avez signé un formulaire de consentement. Le fait de vous retirer d'une étude clinique n'affectera nullement vos soins de santé actuels et futurs. Si vous décidez de vous retirer d'une étude, vous devez en informer votre équipe de recherche, qui pourrait vous demander de vous présenter pour une visite finale. Vous devez également avertir votre médecin et votre équipe de soins.

5. Le fait de quitter une étude affectera-t-il mes occasions de participer à d'autres études cliniques?

Non. Quitter une étude clinique une fois le traitement commencé ne nuira pas à vos occasions de prendre part à des études cliniques futures. Toutefois, l'équipe de recherche vous demandera de lire attentivement le formulaire de consentement et de réfléchir à ce que veut dire la participation à une étude clinique avant de donner votre consentement, pour réduire les risques d'abandon de l'étude.

FOIRE AUX QUESTIONS (SUITE)

6. Qui parraine les études cliniques?

Les études cliniques sont commanditées par des entreprises, par exemple des sociétés pharmaceutiques, ou par des chercheurs d'une clinique de fibrose kystique (études parrainées par des investisseurs).

7. Comment obtenir des renseignements concernant les études sur la fibrose kystique qui se déroulent dans ma région?

Visitez la section de recherche d'études cliniques sur notre site Web, www.fibrosekystique.ca/essaiscliniques, pour connaître les études cliniques qui recrutent des participants au Canada. Si vous souhaitez en savoir plus sur la participation à une étude clinique, veuillez discuter de votre admissibilité avec votre équipe de soins de la fibrose kystique.

8. Comment Fibrose kystique Canada appuie-t-il les études cliniques?

En plus de ses programmes de recherche réguliers et de l'aide financière accordée aux soins cliniques et aux centres de transplantation, Fibrose kystique Canada tient le Registre canadien sur la fibrose kystique (RCFK) et assure le fonctionnement du réseau Fibrose kystique Canada : études cliniques accélérées inter-régionales (FK ÉCLAIR). L'établissement de FK ÉCLAIR permettra de faciliter la mise au point de nouveaux traitements contre la fibrose kystique, d'augmenter la capacité des études cliniques et d'accroître la participation de patients aux études.

9. Quels sont les plus grands obstacles à la découverte d'un moyen de guérir la fibrose kystique?

En plus de l'obtention de fonds pour la recherche, l'un des plus grands obstacles est le recrutement de participants aux études cliniques. Beaucoup de traitements éventuels montrent de bons résultats en laboratoire, mais doivent être évalués à fond dans le cadre d'études cliniques pour prouver leur efficacité et leur sécurité. Votre participation pourrait permettre d'offrir plus rapidement des traitements efficaces à la communauté fibro-kystique.



QUESTIONS QUE VOUS DEVEZ VOUS POSER



Si vous envisagez de participer à une étude clinique, posez-vous les questions suivantes avec votre équipe de soins de la fibrose kystique :

Quel est l'objectif de l'étude?

En quoi l'étude affectera-t-elle ma vie quotidienne?

Qui sera responsable de mes soins si je participe à l'étude?

Pourquoi les chercheurs croient-ils que le ou les traitements expérimentaux pourraient fonctionner?

Comment les risques, effets secondaires et avantages possibles se comparent-ils à mon traitement actuel?

L'étude exigera-t-elle une hospitalisation ou des visites supplémentaires à la clinique?

Vais-je être remboursé pour certaines dépenses associées à l'étude?

Vais-je recevoir les résultats de l'étude?

Une fois l'étude terminée, est-ce que je pourrai continuer à recevoir le même traitement s'il a été efficace pour moi?

Qui parraine l'étude?

Quel sera mon rôle dans l'étude?

À qui cette étude profitera-t-elle, moi et/ou d'autres personnes?

Quels genres de tests et traitements expérimentaux seront effectués?

Combien de temps durera l'étude?

Qui paiera pour ma participation à l'étude?

Comment vais-je savoir si le traitement expérimental est efficace?

Quels types de soins de suivi à long terme seront nécessaires?

Comment la protection de mes renseignements et ma confidentialité seront-elles assurées?

RÉSEAU FIBROSE KYSTIQUE CANADA : ÉTUDES CLINIQUES ACCÉLÉRÉES INTER-RÉGIONALES



Cystic Fibrosis
Fibrose kystique
Canada

**CF CanACT
FK ÉCLAIR**

Conformément à sa vision d'un monde sans fibrose kystique, Fibrose kystique Canada a établi un réseau canadien d'études cliniques appelé Fibrose kystique Canada : études cliniques accélérées inter-régionales (FK ÉCLAIR). Des études cliniques de calibre mondial font partie intégrante du processus qui permet de proposer de nouveaux traitements et de meilleurs soins aux Canadiens atteints de fibrose kystique. L'établissement du réseau FK ÉCLAIR permettra de faciliter la mise au point de ces nouveaux traitements, d'améliorera la capacité de ces études et d'accroître la participation des personnes fibro-kystiques aux études cliniques.

En 2018, le réseau FK ÉCLAIR comptait six emplacements à travers le Canada (un à Montréal, deux à Toronto, un à Calgary et deux à Vancouver). Avec le temps, le réseau prendra de l'expansion et inclura d'autres sites. En attendant, toute personne atteinte de fibrose kystique vivant au Canada peut être adressée à l'un de ces endroits pour prendre part à une étude clinique et peut participer si elle répond aux critères d'inclusion de l'étude.

L'ensemble des investigateurs et coordonnateurs de la recherche des six emplacements, avec un patient représentant adulte et un parent d'enfant FK, collaborent pour revoir les protocoles de recherche, uniformiser les mesures de résultats et veiller à ce que les études cliniques soient réalisables et pertinentes pour leurs patients.



VOUS AVEZ DES QUESTIONS AU SUJET DES ÉTUDES CLINIQUES OU DU RÉSEAU FK ÉCLAIR?

Envoyez-nous un courriel pour obtenir plus d'information à clinicaltrials@cysticfibrosis.ca.

GLOSSAIRE

Assentiment : Lorsqu'un enfant accepte de participer à une étude clinique.

Consentement éclairé : Lorsqu'un participant ou un parent (mandataire) reçoit des renseignements détaillés concernant une étude clinique et prend la décision d'y participer ou non. Un participant ou un parent signera le formulaire de consentement s'il comprend et accepte l'objectif, les avantages et les risques de l'étude en question.

Critère d'exclusion : Caractéristique qui fait en sorte qu'une personne n'est pas admissible à une étude.

Critère d'inclusion : Caractéristique qui fait en sorte qu'une personne est admissible à une étude.

Dissentiment : Lorsqu'un enfant n'accepte pas de participer à une étude clinique.

Efficacité : Capacité de produire l'effet ou les résultats souhaités.

Étude aléatoire : Les participants à l'étude sont placés au hasard dans un des groupes de traitement. Chaque participant a des chances égales de recevoir le médicament à l'étude ou un placebo. Après la randomisation, les deux groupes de l'étude (parfois plus de deux) sont suivis exactement de la même manière. Ce modèle d'étude permet d'éviter que les résultats ne soient biaisés.

Étude contrôlée : Étude dans le cadre desquelles un groupe de participants reçoit un traitement expérimental et l'autre un traitement standard ou un placebo. Certaines études contrôlées évaluent les trois options : le traitement expérimental, le traitement standard et le placebo.

Étude à double insu : Lorsque ni l'équipe de recherche ni le patient ne sait quels participants reçoivent le médicament et quels participants reçoivent un placebo. Ce modèle d'étude permet d'éviter que les résultats ne soient biaisés.

Maladie orpheline (rare) : Maladie qui affecte un petit pourcentage de la population.

Phase : Les diverses étapes du développement de nouveaux médicaments ou traitements.

Placebo : Un comprimé, une solution pour inhalation ou un traitement qui est conçu pour n'avoir aucun effet sur la personne qui le prend. Dans les études cliniques, les personnes qui reçoivent les médicaments expérimentaux sont souvent comparées aux personnes qui reçoivent un placebo, afin d'observer l'efficacité réelle d'un médicament. Il arrive souvent qu'un comprimé placebo soit un comprimé de sucre.

Protocole : Plan soigneusement élaboré avant le début d'une étude. Le protocole précise les objectifs de la recherche, les participants, l'échéancier des épreuves et la durée de l'étude.

Taille de l'échantillon : Le nombre de participants à une étude clinique.✓

RÉFÉRENCES

ⁱ ClinicalTrials.gov, www.clinicaltrials.gov

ⁱⁱ Thomas, D. W., Burns, J., Audette, J., Carrol, A., Dow-Hygelund, C., & Hay, M. (2016). *Clinical development success rates 2006-2015*. San Diego: Biomedtracker/Washington, DC: BIO/Bend: Amplion. San Diego: Biomedtracker/

ⁱⁱⁱ M. K. Krzyzanowska, R. Kaplan, R. Sullivan; How may clinical research improve healthcare outcomes?, *Annals of Oncology*, Volume 22, Issue Suppl_7, 1 November 2011, Pages vii10–vii15, <https://doi.org/10.1093/annonc/mdr420>

^{iv} Association Canadienne de protection médicale, <https://www.cmpa-acpm.ca/en/advice-publications/browse-articles/2014/can-a-child-provide-consent>

^v U.S. National Library of Medicine, <https://www.nlm.nih.gov/>