



PARTICIPATION
À UN ESSAI CLINIQUE
SUR UN MÉDICAMENT

CE QU'IL FAUT
SAVOIR

SOMMAIRE

COMMENT SE FAIT LA RECHERCHE SUR UN NOUVEAU MÉDICAMENT ?	p. 3
À QUOI SERT LA RECHERCHE ?	p. 4
QUELLES SONT LES GARANTIES ?	p. 5
QU'EST-CE QU'UN CONSENTEMENT LIBRE ET ÉCLAIRÉ ?	p. 6
AUREZ-VOUS ACCÈS AU MEILLEUR TRAITEMENT ?	p. 7
POURQUOI COMPARE-T-ON PLUSIEURS TRAITEMENTS DANS UN ESSAI ?	p. 8
COMMENT SONT CONSTITUÉS LES GROUPES DE TRAITEMENT ? (RANDOMISATION) ..	p. 9
QU'EST-CE QU'UN ESSAI OUVERT ?	p. 10
QU'EST-CE QU'UN ESSAI EN DOUBLE AVEUGLE ?	p. 10
QU'EST-CE QU'UN ESSAI CONTRE PLACEBO ?	p. 11
COMMENT VOUS DÉCIDER ?	p. 12
PEUT-ON REFUSER DE PARTICIPER À UN ESSAI ?	p. 12
PEUT-ON SORTIR D'UN ESSAI CLINIQUE ?	p. 13
QUELQUES QUESTIONS À POSER SUR LE DÉROULEMENT DE LA RECHERCHE ..	p. 14
QUE SE PASSE-T-IL APRÈS L'ESSAI ?	p. 15
LES RÉSULTATS DE L'ESSAI	p. 15
POUR EN SAVOIR PLUS	p. 16



COMMENT SE FAIT LA RECHERCHE SUR UN NOUVEAU MÉDICAMENT ?

■ La mise au point d'un nouveau médicament est longue (douze ans en moyenne). Sur environ 10 000 médicaments potentiels subissant tous les tests nécessaires, un seul sera disponible au final pour traiter des patients.

■ Les premières phases de test sont effectuées pour bien connaître les propriétés du produit. On réalise ensuite des tests de toxicologie, qui sont imposés pour tous les candidats médicaments. Ces tests sont effectués, en général, sur l'animal et permettent de connaître l'effet du produit sur un organisme vivant afin de pouvoir éliminer les substances qui seraient trop toxiques.

■ Lorsque les résultats obtenus à la suite de ces différents tests le permettent, le produit peut être testé chez l'homme.



À QUOI SERT LA RECHERCHE ?

■ La recherche est indispensable au progrès des soins.

■ La médecine ne sait pas guérir certaines maladies. Les chercheurs doivent trouver de nouvelles stratégies thérapeutiques (nouveau médicament, nouvelle association de médicaments) pour mieux soigner ces maladies.

■ Avant de proposer ces nouveaux traitements à toutes les personnes concernées, il faut s'assurer qu'ils sont efficaces et bien tolérés. Ils doivent donc être testés par des essais cliniques. Tous les médicaments commercialisés ont fait l'objet d'essais cliniques.

■ D'autres types de recherche peuvent aussi être concernés par des essais : une méthode de diagnostic, une technique chirurgicale, du matériel médico-chirurgical...

■ Un essai clinique, lorsqu'il concerne un médicament, est une recherche pour évaluer ou préciser l'effet d'un traitement.

■ Un essai clinique peut être proposé à toutes les personnes souffrant de la maladie concernée et répondant aux critères définis par la recherche.

■ La participation volontaire à un essai clinique est utile à tous. Elle est aussi utile à la personne qui y participe, en particulier quand les traitements disponibles et commercialisés n'ont pas permis d'obtenir l'effet attendu ou ont été mal tolérés. Elle peut aussi permettre d'accéder à un nouveau traitement prometteur dans de bonnes conditions de sécurité.

■ La participation volontaire à un essai est aussi utile à toutes les personnes qui sont atteintes de la même maladie. Les traitements d'aujourd'hui ont été mis au point grâce aux recherches antérieures, et les traitements de demain sont mis au point grâce aux recherches d'aujourd'hui. On ne peut cependant pas garantir qu'elle apporte un réel bénéfice au participant, car si on le savait, il n'y aurait pas besoin de faire cette recherche : c'est le principe « d'authentique incertitude ».



QUELLES SONT LES GARANTIES ?

■ Avant de commencer une recherche, le promoteur* rassemble et étudie tout ce qui est connu de la maladie et de ses traitements existants.

■ Des comités de protection des personnes (CPP) sont chargés de revoir, de façon totalement indépendante, l'ensemble du protocole* et du déroulement de l'essai. La recherche ne débutera qu'en cas d'avis favorable du CPP.

■ En plus de l'avis du Comité de protection des personnes, l'Agence nationale de sécurité des médicaments et des produits de santé (ANSM)* regarde également tous les éléments de la recherche et peut, si toutes les conditions de sécurité ne sont pas remplies, s'opposer à une étude. C'est une étape supplémentaire de validation.

■ La recherche se fait sous la conduite d'équipes de médecins (appelés investigateurs*). Compétentes, formées et expérimentées, elles connaissent avec précision la maladie, les traitements existants et les conditions requises pour conduire une recherche.

■ Avant le début d'un essai clinique, le promoteur doit avoir contracté une assurance en responsabilité civile couvrant les éventuels dommages subis par les patients ou sujets sains participant à l'essai.

* Voir p.16 *Pour en savoir plus.*

QU'EST-CE QU'UN CONSENTEMENT LIBRE ET ÉCLAIRÉ ?



■ Le médecin investigateur* doit vous expliquer l'essai auquel il vous propose de participer, ses modalités pratiques de déroulement ainsi que les éventuelles contraintes et effets indésirables attendus. Ses explications seront complétées par un document écrit : le formulaire d'information.

■ Ce document regroupe tous les éléments d'information nécessaires à la compréhension de l'essai afin de vous permettre d'exprimer votre intérêt ou non à y participer. Il vous sera demandé de le lire, de poser toutes vos questions au médecin en charge de l'étude et de prendre éventuellement un temps de réflexion avant de vous décider. Vous êtes libre de participer ou non à l'essai.

■ Si vous acceptez de participer, votre consentement* libre et éclairé devra ensuite être recueilli par le médecin investigateur* en charge de l'étude. Vous devez signer le formulaire de consentement éclairé, il est la preuve écrite que vous avez compris ce que l'on vous propose et que vous acceptez de participer à la recherche.

■ La signature du consentement atteste de la compréhension de l'engagement et de votre accord à participer à l'essai. Il est impérativement signé avant le début de l'essai.

■ L'absence de votre consentement interdit votre participation à l'essai.

■ Votre signature ne décharge pas le médecin investigateur* de son devoir de vous apporter les meilleurs soins possibles.

■ Ce consentement est une obligation légale et, si le médecin investigateur* ne le recueille pas, il s'expose à de sévères sanctions.

■ La signature du consentement éclairé permet votre entrée dans l'essai. Il vous est toujours possible, à tout moment, d'arrêter votre participation à un essai clinique sans avoir à vous justifier. Cet arrêt n'aura pas de conséquences sur votre prise en charge par l'équipe médicale.

*Voir p.16 *Pour en savoir plus.*

AUREZ-VOUS ACCÈS AU MEILLEUR TRAITEMENT ?

■ Si on vous propose un essai clinique, c'est pour améliorer le traitement de votre maladie dans le futur.

■ La participation aux essais peut permettre d'accéder rapidement à un nouveau traitement prometteur.

■ Que vous soyez traité dans le cadre d'un essai clinique ou non, votre état de santé peut à tout moment nécessiter une adaptation ou un changement de traitement. Ce changement ou cette adaptation peut être justifié par l'apparition d'un autre problème de santé ou par l'apparition d'effets secondaires indésirables dus au traitement testé dans le cadre de l'essai.

■ Dans tous les cas, le médecin investigateur* s'engage à poser le meilleur diagnostic pour le meilleur traitement adapté à chaque cas. Il doit vous délivrer les meilleurs soins possibles. L'essai clinique ne le décharge pas de ses responsabilités.

*Voir p.16 *Pour en savoir plus.*

POURQUOI COMPARE-T-ON PLUSIEURS TRAITEMENTS DANS UN ESSAI ?

■ Afin de savoir si un nouveau médicament va être aussi bon ou même meilleur qu'un traitement déjà existant (efficacité, tolérance), il est indispensable de faire des comparaisons entre ces différents traitements par un essai clinique.

■ Plusieurs groupes de personnes sont ainsi traités en parallèle par les médicaments que l'on souhaite comparer.





COMMENT SONT CONSTITUÉS LES GROUPES DE TRAITEMENT ? (RANDOMISATION)

■ Dans un essai comparatif entre un nouveau médicament et un médicament déjà connu, les personnes participant à l'essai sont traitées simultanément dans des groupes de traitement différents. Chacun des groupes prend un des médicaments que l'on souhaite comparer.

■ Pour pouvoir participer à l'essai, vous devez répondre à des critères précis qui ont été définis dans le protocole* de l'étude.

■ Après avoir vérifié que vous répondez à ces critères dits d'éligibilité, et après avoir recueilli votre consentement éclairé, le médecin investigateur* peut vous inclure dans l'essai.

■ Pour garantir l'objectivité du médecin, ce n'est pas lui qui choisit le groupe dans lequel vous êtes inclus.

■ Des listes ont été préalablement établies par le promoteur de l'essai pour constituer des groupes de traitement (nouveau médicament que l'on teste ou médicament déjà existant)

■ Le type de traitement que vous recevrez est déterminé par tirage au sort informatique. C'est ce qu'on appelle la randomisation, mot qui vient de *random*, hasard en anglais.

■ Le tirage au sort n'est pas une procédure arbitraire, c'est le seul moyen de garantir une comparaison scientifiquement acceptable entre deux groupes de patients.

■ Le traitement que vous recevrez à la suite de ce tirage au sort informatique sera appliqué et contrôlé par le médecin investigateur* qui vous suit.

*Voir p.16 *Pour en savoir plus.*

QU'EST-CE QU'UN ESSAI OUVERT ?

■ Dans un essai ouvert, le médecin et vous connaissez l'ensemble des médicaments que vous prenez.



QU'EST-CE QU'UN ESSAI EN DOUBLE AVEUGLE* ?

■ Dans certains cas, l'essai est conduit en double aveugle. À la différence d'un essai ouvert, ni le médecin ni le personnel soignant ni vous ne savez si vous recevez le nouveau médicament que l'on teste, un médicament qui existe déjà et qui est commercialisé ou un placebo.

■ La technique de l'essai en double aveugle est utilisée pour éviter que la personne malade, le médecin et le personnel soignant ne soient influencés par une opinion a priori qu'ils pourraient avoir vis-à-vis de tel ou tel médicament.

*Voir p.16 *Pour en savoir plus.*



QU'EST-CE QU'UN ESSAI CONTRE PLACEBO ?

Il y a deux sortes d'essais :

■ Lorsqu'il existe déjà un traitement de votre maladie (dit traitement de référence), l'essai va comparer un nouveau médicament à ce traitement de référence.

■ Lorsqu'il n'existe pas de traitement de référence, l'essai va comparer le nouveau médicament à un produit qui a la même apparence mais qui ne contient pas la molécule testée, le placebo.

Rien n'empêche qu'une personne prenant le placebo ou le nouveau médicament n'ait accès à d'autres traitements si son état de santé l'exige.

■ S'il y a des raisons de craindre un désavantage réel pour les personnes participant à l'essai — quel que soit le groupe de traitement (placebo ou médicament testé) — des procédures précises de sortie de l'étude doivent être prévues dans le protocole.

■ Dans ce cas, vous pouvez recevoir un nouveau traitement, dit traitement de recours. Il est donné, selon les termes prévus dans le protocole de l'essai, du fait de l'efficacité jugée insuffisante du traitement reçu dans l'essai ou d'effets indésirables auxquels il faudrait mettre fin.



COMMENT VOUS DÉCIDER ?

Avant de prendre votre décision, il est important de :

- lire attentivement les documents remis ;
- ne pas hésiter à prendre plus de renseignements (associations de patients, médecin traitant...) ;
- questionner le médecin qui vous propose l'essai. Il doit répondre à toutes vos questions ;
- demander l'avis de votre médecin habituel, si l'essai vous est proposé par un autre médecin ;
- prendre le temps de réfléchir lorsqu'il n'y a pas d'urgence ;
- dans les situations d'urgence, le temps de la réflexion doit être adapté à la situation.

PEUT-ON REFUSER DE PARTICIPER À UN ESSAI ?

- Oui, vous pouvez refuser de participer à un essai.
- Cela ne changera en rien l'engagement de l'équipe médicale impliquée dans votre traitement.

PEUT-ON SORTIR D'UN ESSAI CLINIQUE ?

■ Oui, il vous est possible d'arrêter à tout moment votre participation à un essai, sans avoir à le justifier, si les conditions de soin le permettent. Néanmoins, pour votre état de santé, il est indispensable que vous informiez le médecin investigateur de votre décision. Celui-ci décidera de la meilleure prise en charge médicale.

■ De même, le médecin investigateur, s'il le juge nécessaire, peut lui aussi décider d'arrêter votre participation à l'essai à tout moment après vous en avoir informé. Des procédures précises de sortie de l'essai sont prévues dans le protocole. Cet arrêt n'aura pas de conséquences sur votre prise en charge par l'équipe médicale.

■ Un nouveau traitement, dit traitement de recours, peut être donné selon les termes prévus dans le protocole de l'essai.

QUELQUES QUESTIONS À POSER SUR LE DÉROULEMENT DE LA RECHERCHE

- Quel traitement me propose-t-on ?
- Est-ce une recherche faite contre un traitement de référence ou avec un placebo ?
- À la fin de l'essai, pourrai-je continuer le traitement que je vais recevoir dans l'essai ?
- Quels sont la fréquence, le lieu et la durée des consultations et des hospitalisations ?
- Quels types d'examens seront pratiqués ?
- Quels sont les inconvénients et les risques ?
- Que faire si un problème survient ?
- Quelle est la durée de l'essai et comment en connaître les résultats ?



QUE SE PASSE-T-IL APRÈS L'ESSAI ?

- À l'issue d'un essai clinique, les patients qui ont été impliqués continuent à être suivis par une équipe médicale.
- Toutes les informations concernant les participants à l'essai resteront confidentielles, car elles sont couvertes par le secret médical.

LES RÉSULTATS DE L'ESSAI

- Toute personne ayant participé à un essai clinique bénéficie d'un droit d'accès aux conclusions de l'essai auquel elle a participé, tel que le stipule le droit français. Pour cela, elle peut s'adresser au médecin investigateur qui l'a suivie pendant l'étude.
- Il est possible également de consulter les registres des essais cliniques qui publient les résultats globaux des essais (répertoire des essais cliniques de l'ANSM).

Pour en savoir plus

Agence nationale de sécurité du médicament (ANSM)

Sa mission essentielle est de garantir l'indépendance et la rigueur scientifique de l'évaluation et des contrôles relatifs à l'ensemble des produits de santé. Elle est chargée de donner l'autorisation des essais et elle est responsable de la sécurité des essais. L'ANSM peut suspendre ou interdire un essai.

Bonnes pratiques cliniques (BPC)

Il s'agit d'un ensemble de dispositions à mettre en place et de procédures à respecter pour la planification, la mise en œuvre et la constitution du dossier d'un essai clinique. Elles garantissent que les informations obtenues sont crédibles, que les droits et la sécurité des personnes participantes ainsi que la confidentialité des informations qui les concernent sont protégés.

Comités de protection des personnes (CPP)

Ces comités ont comme objectif de protéger les participants à la recherche. Ils examinent chaque projet de recherche pour vérifier si les médecins sont bien qualifiés pour cette recherche, et si le projet est utile. Ils vérifient si l'évaluation des bénéfices et des risques attendus est satisfaisante, si la protection et l'information des personnes, notamment des enfants et des adolescents sont bien assurées. Ils valident le formulaire d'information et de consentement des patients. Ces comités sont composés de médecins, de pharmaciens, de personnes ayant des compétences dans les domaines éthique, social, psychologique et juridique, ainsi que de représentants des usagers du système de santé. Ils exercent leur mission en toute indépendance. En revanche, leur rôle n'est pas de répondre directement aux questions des personnes qui participent à un essai.

Comité indépendant de suivi

Il s'agit d'un groupe d'experts indépendants de l'investigateur et du promoteur. Il est chargé de suivre le déroulement d'un essai clinique et de proposer, au besoin, les mesures nécessaires à la protection des personnes qui y participent.

Consentement éclairé

C'est l'accord écrit que la personne (les parents et/ou l'enfant) qui va participer à un essai clinique doit donner avant le démarrage de l'essai. Il signifie que toutes les informations utiles lui ont été données dans un document qui doit lui être remis et expliqué, et qu'il accepte de participer à la recherche.

Ce n'est qu'après avoir donné son accord écrit qu'une personne pourra recevoir le traitement à l'étude dans l'essai.

Confidentialité (CNIL : Commission nationale informatique et libertés)

La loi informatique et libertés et celle relative au secret professionnel garantissent à la personne qui participe à l'essai, que toutes les informations qui la concernent seront traitées de manière confidentielle.

Conseil national de l'Ordre des médecins (CNOM)

Cette institution est chargée de veiller au maintien des principes de moralité, de probité et de dévouement indispensables à l'exercice de la médecine et à l'observation, par tous ses membres, des devoirs professionnels et des règles édictées par le code de déontologie et qui régissent cette profession. Dans ce cadre, le CNOM donne son avis sur le montant des honoraires versés à l'investigateur pour la réalisation de la recherche.

Effet indésirable

On appelle effet indésirable toute réaction nocive et non désirée survenant chez une personne qui prend un traitement, quelle que soit la dose administrée.

Essai en double aveugle

Dans certains essais, il peut être nécessaire pour ne pas influencer l'interprétation des résultats de ne pas révéler à la personne et au médecin la nature du traitement. On parle alors de traitement en double aveugle.

Investigateur

C'est le médecin qui dirige et surveille la réalisation de l'essai clinique. L'investigateur est responsable de la protection, de la santé et du bien-être des personnes qui participent à l'essai.

Observance

Suivi et régularité de la prise du traitement. Une bonne observance du traitement est indispensable au bon déroulement d'un essai clinique.

Placebo

C'est un produit qui a la même apparence que celle du produit que l'on teste, mais qui ne contient pas de substance active. La comparaison de son effet sur le corps avec celui du produit étudié permet d'être sûr de l'effet véritable de ce dernier.

Promoteur

Il s'agit de la personne physique, société ou institution, qui prend l'initiative d'un essai clinique et en assume les responsabilités et le financement. Il prend en charge tous les frais supplémentaires liés à l'essai, les examens complémentaires, prélèvements, par exemple.

Protocole

Le protocole est le document, approuvé par le promoteur et l'investigateur. Il décrit la justification, les objectifs, le déroulement et les méthodes d'analyse des résultats de l'essai clinique. Les conditions dans lesquelles l'essai est réalisé et géré y sont précisés.

Pour plus d'informations :
www.notre-recherche-clinique.fr





Pour toute question concernant vos droits en tant que participant à un essai clinique, les écoutants juristes du Collectif interassociatif sur la santé (CISS) vous informent et vous orientent.