



PARTICIPATION
D'UN ENFANT
OU D'UN ADOLESCENT
À UN ESSAI CLINIQUE
SUR UN MÉDICAMENT

CE QUE LES PARENTS
DOIVENT SAVOIR

SOMMAIRE

COMMENT SE FAIT LA RECHERCHE SUR UN NOUVEAU MÉDICAMENT ?	p. 3
À QUOI SERT LA RECHERCHE ?	p. 4
POURQUOI TESTER LES MÉDICAMENTS CHEZ L'ENFANT ET L'ADOLESCENT ?	p. 5
VOTRE ENFANT EST-IL PROTÉGÉ LORSQU'IL PARTICIPE À UN ESSAI ?	p. 6
QUELLES SONT LES GARANTIES ?	p. 7
QU'EST-CE QU'UN CONSENTEMENT LIBRE ET ÉCLAIRÉ ?	p. 8
POURQUOI COMPARE-T-ON PLUSIEURS TRAITEMENTS DANS UN ESSAI ?	p. 9
VOTRE ENFANT AURA-T-IL ACCÈS AU MEILLEUR TRAITEMENT ?	p. 9
COMMENT SONT CONSTITUÉS LES GROUPES DE TRAITEMENT ? (RANDOMISATION)	p. 10
QU'EST-CE QU'UN ESSAI OUVERT ?	p. 11
QU'EST-CE QU'UN ESSAI EN DOUBLE AVEUGLE ?	p. 11
QU'EST-CE QU'UN ESSAI CONTRE PLACEBO ?	p. 12
COMMENT VOUS DÉCIDER ?	p. 13
PEUT-ON REFUSER DE PARTICIPER À UN ESSAI ?	p. 13
PEUT-ON SORTIR D'UN ESSAI CLINIQUE ?	p. 14
QUELQUES QUESTIONS À POSER SUR LE DÉROULEMENT DE LA RECHERCHE	p. 15
QUE SE PASSE-T-IL APRÈS L'ESSAI ?	p. 16
LES RÉSULTATS DE L'ESSAI	p. 16
POUR EN SAVOIR PLUS	p. 17



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 tous les enfants ou adolescents souffrant de la maladie concernée et répondant aux critères définis par la recherche.

■ Les enfants et les adolescents qui participent à un essai bénéficient de mesures de surveillance médicale spécifiques liées à cet essai.

■ La participation volontaire à un essai clinique est utile à tous. Elle est aussi utile à l'enfant ou à l'adolescent 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 ».



POURQUOI TESTER LES MÉDICAMENTS CHEZ L'ENFANT ET L'ADOLESCENT ?

■ Les médicaments, lorsqu'ils sont destinés à l'enfant ou l'adolescent, ne peuvent être testés uniquement chez l'adulte. Il faut donc faire des essais chez l'enfant ou l'adolescent car :

▶ Ses organes (foie, estomac, reins...) ne réagissent pas aux médicaments de la même façon que ceux de l'adulte. Un enfant n'élimine pas un médicament comme un adulte. Il faut donc s'assurer que ces médicaments n'ont pas d'incidence sur sa croissance et son développement.

▶ Certaines maladies ne concernent que l'enfant.

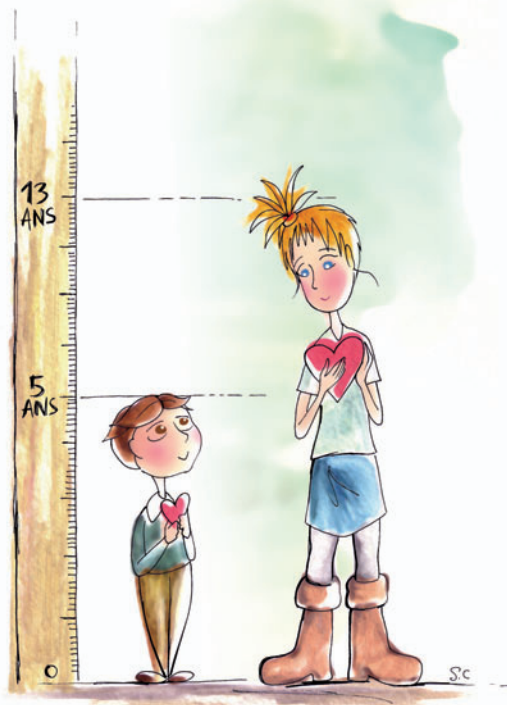
▶ Il faut adapter les doses à son âge et à son poids.

▶ Il est nécessaire d'avoir des présentations adaptées à l'enfant qui, avant 6 ans, a des difficultés pour avaler des comprimés ou des gélules. Des formes liquides ou en granules sont nécessaires.

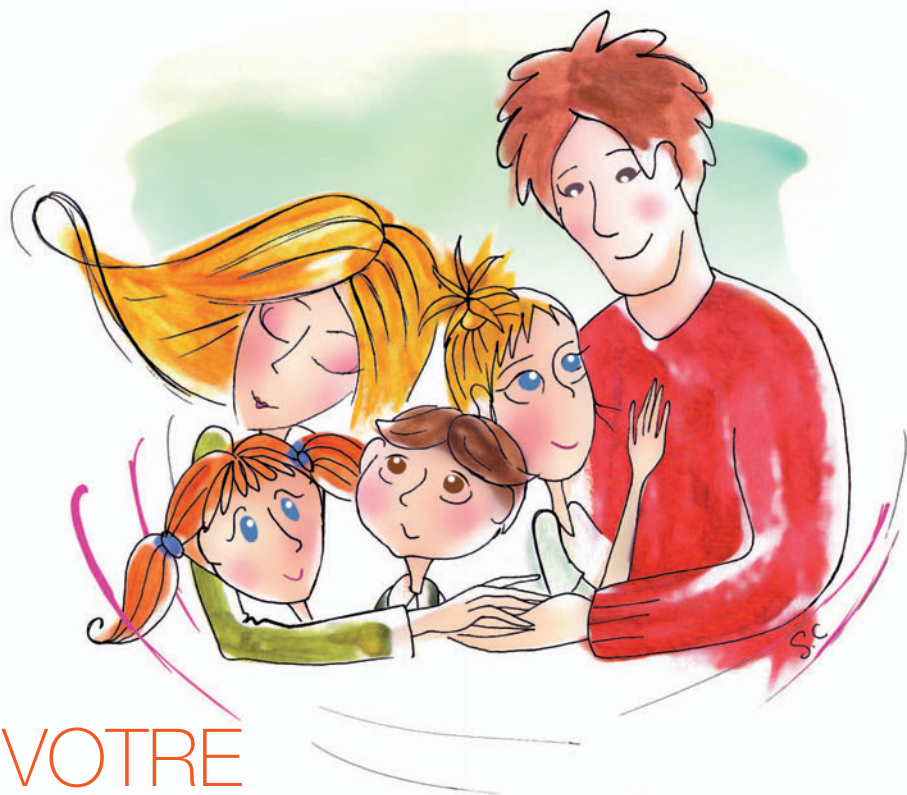
▶ Il faut, autant que de possible, trouver des goûts, des saveurs, des présentations qui lui conviennent.

■ Pour toutes ces raisons, on ne peut se contenter des résultats obtenus dans les essais chez l'adulte.

■ Il est donc nécessaire, pour une meilleure efficacité et sécurité, de tester sur les enfants et les adolescents, les médicaments qui leur sont destinés avant la généralisation de leur usage.



■ Lorsqu'il n'existe pas de forme adaptée, des médicaments pour adultes seront probablement administrés aux enfants qui en auront besoin, mais sans avoir été bien évalués, au risque de survenue d'effets indésirables éventuels.



VOTRE ENFANT EST-IL **PROTÉGÉ** LORSQU'IL PARTICIPE À UN ESSAI ?

- Les enfants et les adolescents sont particulièrement protégés par la loi.
- Les comités de protection des personnes* (CPP) vérifient que les conditions de protection sont respectées.
- Chez l'enfant, les études ne seront pratiquées que si un bénéfice potentiel, pour votre enfant ou pour tous les enfants atteints de la maladie, est espéré, et que les risques prévisibles pour les participants sont raisonnables au regard du bénéfice escompté pour tous. De plus, les enfants ne pourront participer à une étude sans le consentement signé de leurs parents ni sans leur avis, s'ils sont en âge de le donner. Un avis négatif de l'enfant vaut refus de consentement et donc interdit sa participation à l'étude

* Voir p.17 *Pour en savoir plus.*

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.17 *Pour en savoir plus.*

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



■ Le médecin investigateur doit expliquer aux parents et à l'enfant ou à l'adolescent l'essai, ses modalités pratiques de déroulement ainsi que les éventuelles contraintes et effets indésirables attendus. Ses explications seront complétées par un document écrit.

■ Ce document regroupe tous les éléments d'information nécessaires à la compréhension de l'essai. Il vous sera demandé de le lire, de poser toutes vos questions au médecin en charge de l'essai et de prendre éventuellement un temps de réflexion avant de décider.

■ En cas d'acceptation, le consentement* libre et éclairé des parents ou du tuteur légal de l'enfant devra ensuite être recueilli par le médecin en charge de l'étude. Les deux parents doivent signer le consentement éclairé, sauf en cas de parent unique à disposer de l'autorité parentale. Lorsqu'il est en âge de le donner, le consentement de l'enfant doit être recueilli.

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

■ L'absence de votre consentement ou le refus de consentement de votre enfant interdit sa participation à l'essai.

■ Votre signature ne décharge pas le médecin investigateur* de son devoir de délivrer à l'enfant ou à l'adolescent les meilleurs soins possibles.

■ Ce consentement des parents ou du tuteur légal est une obligation légale et si le médecin investigateur ne le recueille pas, il s'expose à de sévères sanctions.

■ Une fois le consentement donné et recueilli, il est toujours possible d'arrêter la participation de votre enfant à un essai clinique. Cet arrêt n'aura pas de conséquences sur la prise en charge de votre enfant par l'équipe médicale.

*Voir p.17 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 chez des enfants ou des adolescents (efficacité, tolérance), il est indispensable de faire des comparaisons entre ces différents traitements par un essai clinique.

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

VOTRE ENFANT AURA-T-IL ACCÈS AU MEILLEUR TRAITEMENT ?

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

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

■ Cependant, l'état de santé de votre enfant, qu'il soit traité dans le cadre d'un essai clinique ou non, 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 à l'essai.

■ 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.

*Voir p.17 *Pour en savoir plus.*



COMMENT SONT CONSTITUÉS LES GROUPES DE TRAITEMENT ? (RANDOMISATION)

■ Dans un essai comparatif entre un nouveau médicament et un médicament déjà connu, les enfants ou les adolescents sont traités 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, votre enfant doit répondre à des critères précis qui ont été définis dans le protocole* de l'étude.

■ Après avoir vérifié ces critères dits d'éligibilité chez votre enfant, et une fois recueilli le consentement éclairé des parents et l'avis de l'enfant, s'il est en âge de comprendre, ce dernier peut être inclus dans l'essai.

■ L'entrée de votre enfant dans un essai se déroule alors de la façon suivante :

▶ Pour garantir l'objectivité du médecin, ce n'est pas lui qui choisit le groupe dans lequel est inclus votre enfant.

▶ 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 recevra votre enfant 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 recevra votre enfant à la suite de ce tirage au sort informatique sera appliqué et contrôlé par le médecin investigateur qui le suit.

*Voir p.17 *Pour en savoir plus.*

QU'EST-CE QU'UN ESSAI OUVERT ?

■ Dans un essai ouvert, le médecin, les parents et l'enfant ou l'adolescent connaissent l'ensemble des médicaments pris par ce dernier.



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 les parents et l'enfant ne savent si ce dernier reçoit 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 sur tel ou tel médicament.

*Voir p.17 *Pour en savoir plus.*



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

Il y a deux sortes d'essais chez l'enfant et l'adolescent :

■ Lorsqu'il existe déjà un traitement de la maladie de votre enfant (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.

Les enfants ou les adolescents sous placebo ont-ils les mêmes chances que ceux des autres groupes ?

■ Oui, car si on espère un bénéfice potentiel, l'efficacité du nouveau médicament que l'on teste n'est pas encore connue. De plus, on ignore encore s'il peut entraîner des effets secondaires.

■ Oui car il existe dans tous les protocoles la possibilité de recevoir en supplément les traitements nécessaires (dits traitements de recours) à la meilleure prise en charge de l'enfant ou de l'adolescent.

■ Dans les maladies ou les situations mettant en jeu la vie de l'enfant (cancer, sida, réanimation...) il n'y a pas d'essais contre placebo.





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 les questions ;
- demander l'avis du médecin habituel de votre enfant, si l'essai 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 ?

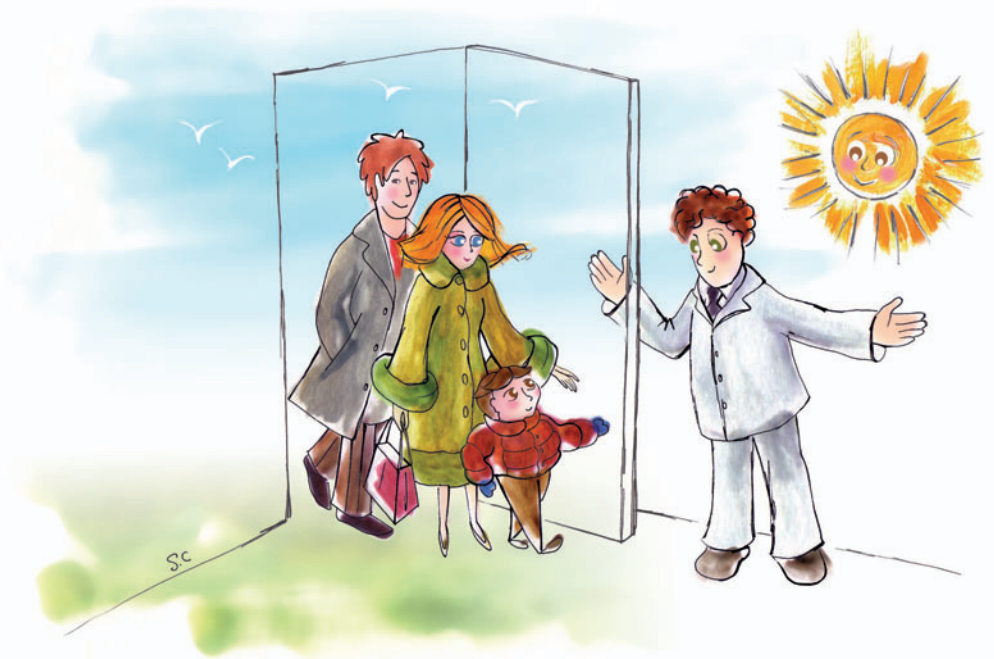
- Oui, vous pouvez refuser de participer à un essai, ainsi que votre enfant, s'il est en âge de donner son avis.
- Cela ne changera en rien l'engagement de l'équipe médicale impliquée dans le traitement de votre enfant.

PEUT-ON SORTIR D'UN ESSAI CLINIQUE ?

- Oui, il vous est possible d'arrêter la participation de votre enfant à un essai, sans avoir à le justifier, si les conditions de soin le permettent. Néanmoins, pour l'état de santé de votre enfant, 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 la participation de votre enfant 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 la prise en charge de votre enfant par l'équipe médicale.
- Un nouveau traitement, dit traitement de recours, peut être donné selon les termes prévus dans le protocole de l'essai.
- Votre enfant, s'il est en âge d'exprimer son avis, peut lui aussi décider d'arrêter sa participation à l'essai. Dans ce cas aussi, l'équipe médicale mettra en œuvre une prise en charge thérapeutique et les soins adaptés.

QUELQUES QUESTIONS À POSER SUR LE DÉROULEMENT DE LA RECHERCHE

- Quel traitement propose-t-on à mon enfant ?
- Est-ce une recherche faite contre un traitement de référence ou avec un placebo ?
- À la fin de l'essai, mon enfant pourra-t-il continuer le traitement qu'il va 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.