



**FMH**

FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE  
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA  
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA

# Essais cliniques pour l'hémophilie



Publié par la **Fédération mondiale de l'hémophilie** (FMH)  
© Fédération mondiale de l'hémophilie, 2022

La FMH encourage la traduction et la diffusion de ses publications à des fins pédagogiques par des organisations à but non lucratif qui se consacrent à l'hémophilie et aux troubles de la coagulation.

Pour obtenir l'autorisation de réimprimer, diffuser ou traduire la présente publication, veuillez contacter le service Recherche et Éducation.

La présente publication est disponible en format PDF sur le site Internet de la FMH : [www.wfh.org](http://www.wfh.org). Pour commander des exemplaires papier, rendez-vous sur le site Internet de la FMH ou contactez-nous à l'adresse ci-dessous.

#### Fédération mondiale de l'hémophilie

1425, boulevard René-Lévesque Ouest, bureau 1200  
Montréal (Québec) H3G 1T7, CANADA  
Tél. : 514 875-7944 Téléc. : 514 875-8916  
Courriel : [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)  
[www.wfh.org](http://www.wfh.org)

La Fédération mondiale de l'hémophilie n'est engagée dans aucune pratique médicale et ne recommande en aucun cas un traitement spécifique. La FMH ne se prononce ni explicitement, ni implicitement sur la valeur des doses ou des traitements indiqués dans la présente publication. Avant toute administration d'un des traitements mentionnés dans la présente publication, il est donc fortement conseillé de demander l'avis d'un médecin et/ou de consulter les instructions écrites fournies par le laboratoire pharmaceutique. La FMH ne favorise pas de traitement ou de fabricant particulier et la mention du nom d'un produit ne signifie pas que la FMH en fait la promotion.

## Qu'est-ce qu'un essai clinique?

Les études cliniques font généralement appel à des personnes volontaires, à des participants ou à des échantillons (sang ou autres tissus) prélevés sur des êtres humains, dans le but de faire progresser les connaissances médicales. Il existe deux grands types d'études cliniques : les **essais cliniques** (également appelés **études interventionnelles**) et les **études observationnelles**.

Un **essai clinique** est un type d'étude dans lequel les chercheurs testent de nouvelles méthodes de prévention, de détection ou de traitement des maladies. Les participants à un essai clinique font l'objet d'**interventions** spécifiques conformément à un protocole détaillé pour l'essai clinique en question. De telles interventions peuvent prendre la forme de produits médicaux, comme des médicaments ou des dispositifs, des procédures chirurgicales ou des changements de comportement, comme le régime alimentaire d'un participant.

Les essais cliniques peuvent comparer une nouvelle méthode de traitement à une méthode standard déjà disponible, à un placebo ou à une approche sans intervention. Les essais cliniques sont la principale méthode utilisée par les chercheurs pour déterminer si un nouveau traitement est sûr et efficace. Pour qu'un médicament puisse être prescrit par les médecins,



il doit d'abord être testé dans une série d'essais cliniques, appelés phase 1, phase 2 et phase 3. Après les essais cliniques de phase 3, les données des essais cliniques sont soumises à un organisme de réglementation qui détermine alors si l'utilisation de ce médicament peut être approuvée.

# Table des matières

Qu'est-ce qu'un essai clinique?.....	1	Questions à poser avant de participer à un essai clinique .....	11
Qu'est-ce qu'une étude observationnelle? .....	2	Rôles des patients et des professionnels de santé dans les essais cliniques .....	13
Pourquoi a-t-on besoin d'essais cliniques? .....	4	<b>Appendice</b>	
Comment les essais cliniques sont-ils menés? .....	4	Exemple de critères d'inclusion dans un essai clinique de clinique de thérapie génique (fictif) .....	15
Comment les nouvelles thérapies sont-elles testées dans le cadre d'essais cliniques.....	5	Glossaire .....	16
Participer à un essai clinique .....	7		
Assurer le suivi de la sécurité des patients dans les essais cliniques.....	8		

## IL EXISTE DIFFÉRENTS TYPES D'ESSAIS CLINIQUES :

- **Essais de prévention** : Pour trouver de meilleurs moyens de prévenir une maladie chez les personnes qui n'ont jamais eu la maladie ou d'empêcher une maladie de survenir à nouveau chez les personnes déjà affectées. Les interventions dans les essais de prévention peuvent consister à administrer des médicaments, des vitamines, des vaccins ou à modifier le mode de vie.
- **Essais de dépistage** : Pour tester de nouvelles façons de dépister des maladies ou des troubles dans une population.
- **Essais de diagnostic** : Pour comparer des tests ou des procédures de diagnostic pour une maladie ou un trouble spécifique.
- **Essais de traitement** : Pour tester de nouveaux traitements, notamment des médicaments, des dispositifs et des procédures chirurgicales ou de radiothérapie.
- **Essais de qualité de vie** : Pour explorer de nouveaux moyens d'évaluer ou d'améliorer la qualité de vie des personnes atteintes d'une maladie ou d'un trouble.
- **Essai clinique contrôlé par placebo** : Essai clinique dans lequel le traitement d'intérêt est comparé à un groupe témoin qui reçoit un placebo (un traitement qui ressemble au traitement expérimental, mais qui ne contient aucun ingrédient actif).
- **Essai clinique ouvert** : Essai clinique dans lequel les participants et les chercheurs savent quel traitement est administré aux participants.
- **Essai clinique en simple aveugle** : Essai clinique dans lequel l'équipe de recherche est au courant du traitement reçu par le participant, mais où les participants à l'étude ignorent le médicament ou le traitement qui leur est administré.
- **Essai clinique en double aveugle** : Essai clinique dans lequel ni les participants à l'étude ni les chercheurs ne savent quel traitement les participants reçoivent avant la fin de l'étude. Seul le pharmacien sait quel traitement les participants reçoivent. Ce type d'essai à l'aveugle est conçu pour empêcher les membres de l'équipe de recherche et les participants à l'étude d'influencer les résultats.
- **Critères d'évaluation de l'étude** : Dans un protocole d'essai clinique, le critère d'évaluation principal est la mesure de résultat escomptée la plus importante pour évaluer l'effet d'une intervention ou d'un traitement.

## LES TERMES SUIVANTS SONT SOUVENT UTILISÉS DANS LE CADRE D'ESSAIS CLINIQUES :

- **Randomisation** : Processus par lequel les traitements sont attribués aux participants à un essai clinique de façon aléatoire. Ni le chercheur ni le participant ne choisissent le traitement qu'un participant donné recevra.

# Qu'est-ce qu'une étude observationnelle?

Une **étude observationnelle** est un type d'étude dans lequel les chercheurs **observent** les effets d'une intervention sur un groupe de participants, sans intervenir. Contrairement à un essai clinique, les participants ne font pas l'objet d'interventions spécifiques par l'investigateur, mais peuvent recevoir un traitement qui fait déjà partie de leurs protocoles de soins habituels. Les chercheurs peuvent alors évaluer les associations entre les interventions et les résultats de santé, chez les personnes qui les prennent dans le cadre d'un protocole de soins standard. De tels résultats peuvent conduire à une étude plus approfondie dans le cadre d'un essai clinique. Il existe plusieurs types d'études observationnelles. Un **registre de patients** est un type d'étude observationnelle.

Un registre de patients est un système organisé qui utilise des méthodes d'étude observationnelle pour collecter des données sur les traitements, les résultats cliniques et le bien-être d'une population définie par une maladie, une condition ou une exposition particulière.

Dans le domaine de l'hémophilie, il existe deux registres de patients importants :

## REGISTRE MONDIAL DES TROUBLES DE LA COAGULATION



Le Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC) est un système de saisie de données en ligne qui fournit une plateforme à des centres de traitement de l'hémophilie du monde entier visant à recueillir des données uniformes et normalisées sur les patients et à orienter la pratique clinique. Avec le consentement éclairé du patient, le RMTC stocke des données pseudonymisées sur la maladie de l'individu, comme le type et la sévérité de l'hémophilie, les symptômes, le traitement et les résultats en matière de santé.

Les professionnels de santé qui participent au RMTC peuvent l'utiliser pour suivre et surveiller les progrès de leurs patients et orienter leurs soins cliniques. Ces données pseudonymisées et confidentielles peuvent également être utilisées pour aider les chercheurs à répondre à des questions importantes sur les disparités dans l'offre de soins dans le monde et contribuer à faire avancer les initiatives en matière de plaidoyer et de politique de santé.

## REGISTRE DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE DE LA FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE



Dans le cadre d'une collaboration internationale, la FMH a établi un registre mondial des patients traités par thérapie génique, le Registre de la thérapie génique (RTG) de la FMH. L'objectif du RTG est de fournir une base de données solide et scientifiquement valide, accessible à tous les professionnels de santé qui prennent en charge des personnes atteintes d'hémophilie recevant une thérapie génique, partout dans le monde. Les données recueillies par le RTG de la FMH seront utilisées pour évaluer la sécurité et l'efficacité à long terme de la thérapie génique chez les personnes atteintes d'hémophilie.

Le tableau suivant peut vous aider à comprendre en quoi la recherche clinique est différente d'un traitement médical.



## RECHERCHE CLINIQUE



## TRAITEMENT MÉDICAL

VS

Répond à des questions spécifiques par le biais de recherches impliquant de nombreux bénévoles de recherche	<b>INTENTION</b>	Répond aux besoins de chaque patient
Généralement conçue et destinée aux futurs patients	<b>BÉNÉFICE ATTENDU</b>	Destiné à bénéficier au patient individuel
Financée par les développeurs de médicaments et les agences gouvernementales	<b>FINANCEMENT</b>	Financé par les patients à titre individuel et leurs régimes de santé
Dépend du protocole de recherche	<b>CALENDRIER</b>	Nécessite des décisions en temps réel
Nécessite un consentement éclairé écrit	<b>CONSENTEMENT</b>	Peut ou non nécessiter un consentement éclairé
Implique une évaluation périodique et systématique des données relatives aux patients	<b>ÉVALUATION</b>	Basé sur une évaluation du patient en fonction des besoins
Protégée par les agences gouvernementales, les comités d'examen institutionnels, les normes professionnelles, le consentement éclairé et les normes juridiques	<b>PROTECTIONS</b>	Guidé par les conseils nationaux chargés de définir la pratique médicale, les normes professionnelles, l'examen collégial, le consentement éclairé et les normes juridiques
Teste des produits et des procédures dont le bénéfice pour le patient n'est pas prouvé	<b>CERTITUDE</b>	Utilise des produits et des procédures reconnus par la communauté médicale comme sûrs et efficaces
Considérée comme une propriété intellectuelle confidentielle	<b>ACCÈS AUX INFORMATIONS</b>	Disponible pour le grand public grâce à l'étiquetage des produits
Publiée dans des revues médicales, une fois la recherche clinique terminée	<b>PUBLICATION DES RÉSULTATS</b>	Dossiers médicaux individuels non divulgués au grand public

# Pourquoi a-t-on besoin d'essais cliniques?

Les essais cliniques sont conçus et menés pour trouver de meilleurs moyens de diagnostiquer, de traiter et de prévenir les maladies ou les affections. Avant qu'une intervention ou un traitement médical ne soit approuvé par un organisme de réglementation (tel que l'Agence européenne des médicaments (EMA) ou la Food and Drug Administration (FDA) américaine) pour être administré aux patients, il doit être testé dans le cadre d'un essai clinique pour s'assurer qu'il est sûr et efficace. Voici quelques raisons courantes de mener des essais cliniques :

Pour évaluer le traitement d'une maladie, d'un syndrome ou d'un trouble :

- Le nouveau traitement est-il sûr et efficace?
- Comment qualifier la nouvelle formulation d'un médicament par rapport à un traitement existant?
- Le traitement existant est-il sûr et efficace dans une nouvelle population de patients (comme les enfants)?

Par exemple, de nombreux essais cliniques en cours, à différents stades de développement, évaluent l'innocuité et l'efficacité de la thérapie génique pour les personnes atteintes d'hémophilie.

# Comment les essais cliniques sont-ils menés?

## PROCESSUS D'UN ESSAI CLINIQUE

Pour qu'un médicament puisse être prescrit par les médecins, il doit d'abord être testé au cours d'une série de phases d'essais cliniques, puis évalué et approuvé par un organisme de réglementation. Chacune des phases d'un essai clinique a un objectif bien spécifique et suit une chronologie de la phase 1 à la phase 4.

### PHASE 1

C'est la première fois qu'un nouveau traitement expérimental est testé sur des personnes. L'objectif de la phase 1 est d'évaluer la sécurité et les effets secondaires associés au traitement. Cette phase est souvent menée sur un petit groupe de volontaires en santé. Cependant, dans le cas de maladies rares, comme l'hémophilie, la phase 1 fait appel à des personnes atteintes d'hémophilie. Cette phase dure généralement plusieurs mois et environ 70 % des traitements testés passent à la phase suivante. Le développement clinique ne va pas au-delà de la phase 1 pour les 30 % restants, les résultats n'ayant pas été satisfaisants s'agissant de la sécurité.

**Pour la thérapie génique dans le domaine de l'hémophilie, la phase 1 fait intervenir entre 10 et 30 personnes atteintes d'hémophilie.**

### PHASE 2

L'objectif de la phase 2 est de continuer à évaluer la sécurité et les effets secondaires associés au traitement, mais aussi de tester l'efficacité et de déterminer les dosages les plus efficaces. La phase 2 est généralement menée sur un plus grand nombre de participants que lors de la phase 1 et inclut des personnes atteintes de la maladie. Dans certaines situations, les deux premières phases de l'essai clinique sont combinées et qualifiées de phase 1-2. En règle générale, la phase 2 dure entre quelques mois et deux ans. On estime que 33 % des traitements testés lors de la phase 2 sont stoppés par manque d'efficacité ou problèmes de sécurité.

**Pour la thérapie génique dans le domaine de l'hémophilie, la phase 2 d'un essai clinique fait intervenir entre 10 et 50 personnes atteintes d'hémophilie. Ce nombre est plus faible que pour d'autres maladies car l'hémophilie est une maladie rare. Pour les maladies, rares comme l'hémophilie, les phases 1 et 2 sont souvent combinées. L'industrie pharmaceutique espère ainsi accélérer les délais de développement des nouveaux médicaments.**

### PHASE 3

L'objectif de la phase 3 est de confirmer l'efficacité du traitement, de surveiller les effets secondaires et de comparer le nouveau traitement aux traitements standard ou similaires. La phase 3, parfois appelée « phase pivot », est menée avec un grand nombre de personnes atteintes de la maladie et dans de nombreux sites différents (nationaux et internationaux, selon l'étude). La phase 3 est parfois randomisée et souvent en double aveugle. Elle dure généralement de 1 à 4 ans et constitue la dernière étape avant la soumission d'une demande d'autorisation de mise sur le marché auprès d'un organisme de réglementation. On estime que 25 % des essais de phase 3 passent à la phase 4.

Les données de l'étude pivot de phase 3, et parfois les données des phases 1 et 2, sont ensuite soumises à un organisme de réglementation pour examen. Il effectue des analyses indépendantes sur la sécurité et l'efficacité du traitement et prend la décision d'approuver ou non l'utilisation de celui-ci par les patients.

**Pour la thérapie génique dans le domaine de l'hémophilie, la phase 3 fait intervenir entre 50 et 150 personnes atteintes d'hémophilie et est conduite dans plusieurs sites d'étude dans le monde entier.**

### PHASE 4

La phase 4, parfois appelée « phase de pharmacovigilance », est menée une fois que le nouveau traitement a reçu l'approbation réglementaire et est disponible pour les patients. Ces études permettent aux chercheurs de recueillir des informations supplémentaires sur les risques à long terme (y compris les effets secondaires rares) et les avantages du traitement, ainsi que sur son utilisation optimale dans des situations « réelles ».

# Comment les nouvelles thérapies sont-elles testées dans le cadre d'essais cliniques

				
DIFFÉRENTES PHASES DES ESSAIS CLINIQUES	DURÉE DE L'ÉTUDE	NOMBRE DE PERSONNES RECRUTÉES*	OBJECTIF DE L'ÉTUDE	POURCENTAGE DE TRAITEMENTS PASSANT À LA PHASE SUIVANTE
 <b>PHASE 1</b>	PLUSIEURS MOIS	<b>~ 10 à 30</b> PETIT NOMBRE de personnes atteintes d'hémophilie	SÉCURITÉ DOSAGE	<b>± 70 %</b> DES ÉTUDES DONNENT DES RÉSULTATS SATISFAISANTS et passent à la phase 2
 <b>PHASE 2</b>	DE PLUSIEURS MOIS À 2 ANS	<b>~ 10 à 50</b> NOMBRE LÉGÈREMENT PLUS IMPORTANT de personnes atteintes d'hémophilie	SÉCURITÉ EFFICACITÉ DOSAGE SÉLECTION	<b>± 30 %</b> DES ÉTUDES DONNENT DES RÉSULTATS SATISFAISANTS et passent à la phase 3
 <b>PHASE 3</b>	1 À 4 ANS	<b>~ 50 à 150</b> NOMBRE PLUS IMPORTANT de personnes atteintes d'hémophilie	SÉCURITÉ EFFICACITÉ	<b>± 25 %</b> DES ÉTUDES DONNENT DES RÉSULTATS SATISFAISANTS et passent à la phase 4
SI RÉSULTATS SATISFAISANTS	DONNÉES ISSUES DE L'ESSAI CLINIQUE SOUIMISES À L'ORGANISME DE RÉGLEMENTATION (p. ex. : FDA, EMA)		AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ DE L'ORGANISME DE RÉGLEMENTATION	
 <b>PHASE 4</b>	PLUSIEURS ANNÉES	<b>PLUS DE 100</b> personnes atteintes d'hémophilie	SUIVI À LONG TERME	<b>NOUVELLE THÉRAPIE</b> disponible pour les personnes atteintes d'hémophilie

\*Le nombre de personnes atteintes d'hémophilie participant à des essais cliniques est plus faible que pour d'autres maladies, car l'hémophilie est une maladie rare.

## PROTOCOLE D'UN ESSAI CLINIQUE

Chaque essai clinique comporte un plan détaillé et complet pour la réalisation de l'essai, appelé **protocole**. Le protocole de l'essai clinique est développé pour répondre à des questions de recherche spécifiques et pour protéger la santé des participants à l'étude. Avant le démarrage de tout essai clinique, le protocole est examiné et approuvé par un organisme de réglementation. Les informations contenues dans un protocole d'essai clinique comprennent :

- La raison pour laquelle l'étude est menée
- La population étudiée : les **critères d'éligibilité** déterminent qui peut participer
  - Rappel : l'éligibilité fait référence aux principales exigences qui doivent être satisfaites pour que les personnes puissent participer à un essai clinique. L'éligibilité comprend les **critères d'inclusion** (qui sont requis pour la participation) et les **critères d'exclusion** (qui empêchent une personne de participer). Voir les exemples en page 15.
- Le nombre de participants à recruter
- Les informations sur les médicaments/traitements qui seront utilisés, notamment le nom du produit et le(s) dosage(s)
- Les critères d'évaluation de l'étude
- Les consultations, les tests et les procédures à respecter par les participants au cours de l'étude, ainsi que leur fréquence
- La durée de l'étude
- Les informations à recueillir auprès des participants
- Les mesures de protection prévues dans le cadre de l'étude pour éviter tout risque pour les participants

## CRITÈRES D'ÉVALUATION DE L'ÉTUDE

Le programme de développement clinique d'une nouvelle thérapie ou intervention permet de déterminer si le nouveau traitement est efficace et sûr. Dans un protocole d'essai clinique, le principal critère d'évaluation primaire est la mesure des résultats prévus. Selon la phase de l'essai clinique, le principal critère d'évaluation peut être axé sur la sécurité, comme les événements indésirables liés au traitement et/ou les changements par rapport aux valeurs de départ dans les évaluations de laboratoire clinique, ou sur l'efficacité, comme le taux de saignement annualisé ou le taux de facteur.

Exemples de critères d'évaluation de la sécurité et de l'efficacité dans les essais cliniques en hémophilie (y compris les essais de thérapie génique) :

### CRITÈRES DE SÉCURITÉ

Effets indésirables, effets indésirables apparus au cours du traitement, effets indésirables graves

Changements par rapport à la base de référence dans les évaluations de laboratoire clinique

Événements thromboemboliques

Réactions de type hypersensibilité

Développement d'inhibiteurs

Réponse immunitaire/développement d'anticorps

Génomes des vecteurs dans le sang, l'urine, la salive, les selles et le sperme

### CRITÈRES D'EFFICACITÉ

Taux de saignement annualisé

Taux d'hémorragie articulaire annualisé

Épisodes de saignement spontanés et traumatiques

Taux d'activité d'un facteur

Utilisation des facteurs

Qualité de vie (questionnaire)

# Participer à un essai clinique

La décision de participer à un essai clinique doit être prise de façon réfléchie. Il convient donc de discuter avec le médecin et les membres de la famille. Avec l'aide du médecin, il faut évaluer les avantages et les risques de la participation, ainsi que le temps qu'il faudra y consacrer.

## BÉNÉFICES ET RISQUES

Il est indispensable de comprendre les bénéfices et les risques potentiels qu'implique toute participation à un essai clinique.

### BÉNÉFICES POTENTIELS

Avoir accès à un nouveau traitement avant sa commercialisation et être parmi les premiers à en bénéficier

Bénéficier du soutien d'une équipe médicale spécialisée en hémophilie assurant un suivi étroit de votre état de santé

Jouer un rôle actif dans la prise en charge de sa propre santé et améliorer la prise en charge de son hémophilie

Aider les personnes diagnostiquées dans le futur en contribuant au développement d'un traitement potentiel de l'hémophilie

### RISQUES POTENTIELS

Effets indésirables possibles dus au nouveau traitement

Nouveau traitement inefficace ou administration d'un placebo dans le cas d'une étude contrôlée par placebo

Aucun bénéfice particulier du nouveau traitement par rapport au traitement standard

Essai plus chronophage que le traitement habituel avec davantage d'examen et de consultations

## IMPORTANTES ATTENTES

Les participants potentiels à un essai clinique doivent se rappeler que le but de l'essai clinique est d'étudier un nouveau traitement ou une nouvelle intervention.

- Cela signifie que **l'on ne sait pas à l'avance** si un participant individuel tirera ou non un bénéfice de sa participation à l'essai
- Le traitement reçu au cours d'un essai clinique peut être très différent des pratiques habituelles de traitement de l'hémophilie d'une personne
- Il peut y avoir des risques inconnus associés à la participation à l'étude

## QUI PEUT PARTICIPER À UN ESSAI CLINIQUE?

En fonction des critères d'éligibilité de l'étude, c'est l'équipe soignante qui invite le patient à participer à un essai clinique. Par **éligibilité**, on entend les principales exigences à satisfaire pour que les personnes puissent participer à un essai clinique. Ces critères permettent de garantir la sécurité des participants et de s'assurer que les questions de recherche spécifiques étudiées dans l'essai clinique puissent trouver une réponse précise.

Chaque étude comporte des critères d'inclusion et des critères d'exclusion.

- **Critères d'inclusion** : ce sont les conditions qui doivent être remplies et qui permettent à une personne de participer à un essai clinique
- **Critères d'exclusion** : ce sont les raisons pour lesquelles une personne n'est pas autorisée à participer à un essai clinique

Pour les essais cliniques dans le domaine de l'hémophilie, la sévérité et le type d'hémophilie, l'âge, la présence ou non d'inhibiteurs et les antécédents en matière de prophylaxie sont des critères habituels permettant de déterminer l'éligibilité. Chaque essai clinique est unique et les critères d'éligibilité varient d'une étude à l'autre. De nombreux essais cliniques commencent chez les adultes, après quoi le nouveau traitement est étudié chez les enfants. C'est pourquoi il est très fréquent de voir l'âge figurer parmi les critères d'inclusion.

## VOUS VOULEZ EN SAVOIR PLUS SUR LES CRITÈRES D'ÉLIGIBILITÉ?

Les personnes atteintes d'hémophilie souhaitant participer à un essai clinique seront soumises à un « processus de sélection » au cours duquel l'équipe de recherche déterminera si l'individu remplit les critères d'éligibilité de l'étude. Le processus de sélection comprendra un examen des antécédents médicaux et de l'état de santé actuel de la personne atteinte d'hémophilie, ainsi que des discussions sur les rôles et responsabilités des participants, et sur les risques et bénéfices potentiels d'une éventuelle participation.

Il est important de comprendre que toutes les personnes intéressées par un essai clinique n'auront pas la possibilité d'y participer, par exemple, parce que leurs antécédents médicaux ne répondent pas aux critères d'inclusion de l'essai (une étude peut ainsi ne recruter que des individus d'un certain âge). En outre, pour chaque essai clinique, un nombre précis de participants devront être recrutés; une fois ce nombre obtenu, aucun nouveau participant à l'étude ne sera accepté.

Découvrez un exemple (fictif) de critères d'inclusion pour des essais cliniques dans le domaine de l'hémophilie à la page 15.

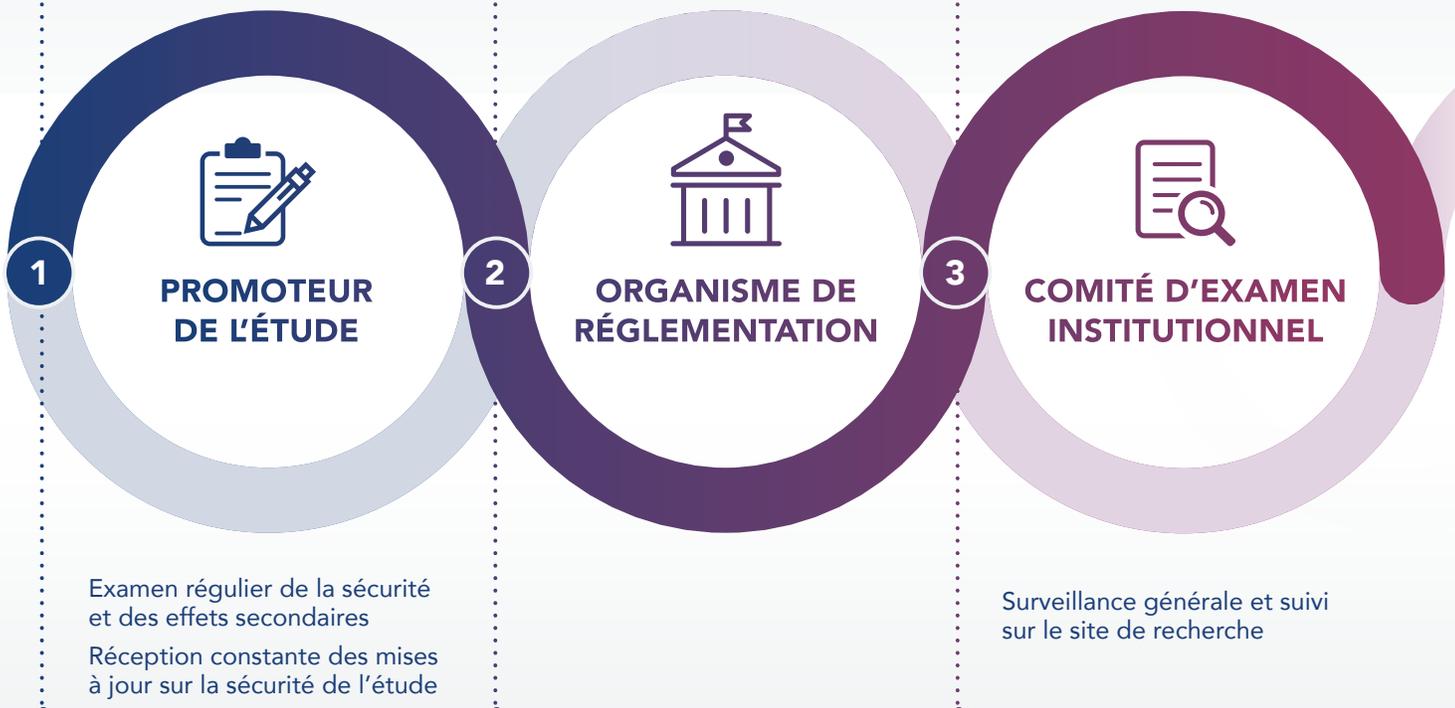
# Assurer le suivi de la sécurité des patients dans les essais cliniques\*

## \*AVANT L'ESSAI

Élaboration d'un plan de suivi de la sécurité pendant l'étude

Approbation de l'étude avant qu'elle ne débute, sur la base du protocole de l'étude  
Conseils sur les rapports de sécurité

Examen de l'étude pour évaluer les avantages et les risques éventuels  
Approbation de l'étude à mener dans un hôpital particulier



## \*AU COURS DE L'ESSAI

## PROTECTION DES PATIENTS LORS D'UN ESSAI CLINIQUE

Assurer la sécurité des patients est d'une importance capitale au cours du processus d'essai clinique. Il existe de nombreux niveaux d'approbation et de contrôle des études qui visent à protéger la sécurité des participants dans le cadre des essais cliniques, ainsi qu'un système de collecte et de communication des résultats en matière de sécurité au cours d'une étude.

Quelle que soit la phase d'un essai clinique, chaque étude doit être examinée et approuvée par un organisme de réglementation avant tout recrutement de patients. Le promoteur de l'étude, souvent le fabricant du traitement à l'étude, élabore un protocole d'étude qui comprend une section sur la manière dont la sécurité du traitement sera contrôlée tout au long de l'étude. Le protocole de l'étude doit ensuite être approuvé par un organisme de réglementation, tel que la Food and Drug Administration (FDA) ou l'Agence européenne des médicaments (EMA). Une fois l'étude approuvée et les sites d'étude identifiés, les sites participants doivent soumettre et faire approuver le protocole de l'étude par le conseil d'examen institutionnel utilisé par l'hôpital ou le centre de traitement de l'hémophilie où l'étude sera menée.

Une fois l'étude approuvée, la sécurité des patients participants fait l'objet d'un suivi tout au long de l'étude par un comité de surveillance de la sécurité des données, par le promoteur ou la société qui fabrique le traitement à l'étude, et par les professionnels de santé impliqués. Les personnes atteintes d'hémophilie recrutées pour une étude ont également un rôle à jouer. Elles doivent informer l'équipe de l'étude dans leur centre de traitement si elles ressentent des effets secondaires ou des événements liés à la sécurité.

Élaboration d'un plan afin d'assurer le suivi des données liées à la sécurité au cours de l'étude

Évaluation de l'éligibilité du patient pour confirmer que l'étude est sûre

Connaissance aussi approfondie que possible du protocole de l'étude, notamment des risques et des avantages potentiels

4

**COMITÉ CHARGÉ DE LA SÉCURITÉ DES DONNÉES**

Surveillance de toutes les données de l'étude; prise de mesures en cas de découverte d'un risque pour la sécurité

5

**PROFESSIONNELS DE SANTÉ**

Suivi étroit de la santé des participants  
Signalement des événements indésirables au promoteur et à l'organisme de réglementation

6

**PERSONNES ATTEINTES D'HÉMOPHILIE**

Suivi du plan de l'étude et signalement de tout effet secondaire éventuel ou de toute préoccupation lors de chaque consultation

## CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

Chaque personne se portant volontaire pour participer à un essai clinique doit signer un formulaire de consentement éclairé avant d'être recrutée (pour les enfants mineurs, un parent doit signer). Un consentement éclairé fournit aux participants potentiels des informations sur l'essai clinique et présente les risques et les avantages potentiels associés à la participation avant qu'une personne ne décide de participer. Le processus d'obtention du consentement éclairé implique une discussion avec l'équipe de l'étude avant la signature du formulaire.

En règle générale, le processus de **consentement éclairé** inclut les étapes suivantes :

- Fournir au participant potentiel à l'étude suffisamment d'informations pour lui permettre de prendre une décision éclairée quant à sa participation à la recherche clinique
- S'assurer que le participant potentiel comprend parfaitement les informations qui lui sont fournies
- S'assurer qu'il dispose de suffisamment de temps (peut-être de plusieurs consultations) pour poser des questions et discuter du protocole de recherche avec sa famille et ses amis afin de décider de sa participation
- Obtenir l'accord volontaire du participant potentiel
- Fournir en permanence des informations, au fur et à mesure de l'avancement de l'étude clinique ou si le sujet ou la situation l'exige

La liste suivante est celle fournie par un organisme de réglementation, en l'occurrence la FDA américaine. Dans le cadre du processus de consentement éclairé, ces informations doivent être fournies à chaque participant potentiel avant tout recrutement à un essai clinique :

- Une déclaration expliquant que l'étude implique une recherche
- Une explication des objectifs de la recherche
- La durée prévue de la participation
- Une description de toutes les procédures qui seront effectuées pendant la participation à l'essai clinique
- Des informations sur toutes les procédures expérimentales qui seront réalisées au cours de l'essai clinique
- Une description de tous les risques prévisibles
- Tout désagrément éventuel (par exemple, injections, fréquence des prises de sang, etc.) qui pourrait résulter de la recherche
- Tout bénéfice éventuel que l'on peut attendre de la recherche
- Des informations sur toute procédure ou alternative thérapeutique (le cas échéant) dont pourrait bénéficier le participant
- Une déclaration décrivant :
  - La confidentialité des informations recueillies au cours de l'essai clinique
  - La manière dont les dossiers permettant d'identifier le sujet seront conservés
  - La possibilité pour la FDA d'inspecter les dossiers
- Pour les recherches impliquant un risque plus que minimal, des informations comprenant une explication sur l'existence éventuelle d'une indemnisation ou d'un traitement médical en cas de blessure, sur sa nature ou sur l'endroit où l'on peut trouver plus d'informations
- La participation d'un individu est volontaire
- Tout participant a le droit de refuser un traitement et ne perdra pas les bénéfices auxquels il a droit
- Tout individu peut, à tout moment, décider d'arrêter de participer à l'essai clinique sans perdre les bénéfices auxquels il a droit



# Questions à poser avant de participer à un essai clinique

Pour les personnes qui envisagent de participer à un essai clinique, il est extrêmement important d'en apprendre le plus possible sur l'essai clinique, les soins escomptés, le coût et l'équipe qui conduira l'essai. Il est tout à fait normal d'avoir des questions et il est essentiel d'obtenir des réponses. Il peut être utile de rédiger une liste de questions à poser avant de rencontrer l'équipe de recherche chargée de l'essai clinique.

## QUELQUES EXEMPLES :

### Objectif et procédures

- Quel est le but de l'essai clinique?
- Si les chercheurs étudient un médicament ou un traitement expérimental, pourquoi pensent-ils qu'il sera efficace pour moi?
- Qui a examiné et approuvé l'étude?
- Combien de personnes seront incluses dans l'étude?
- Puis-je parler à d'autres personnes qui participent à l'étude?
- Quels types de tests et de procédures médicales seront effectués?
- Les tests et procédures seront-ils les mêmes à chaque consultation ou changeront-ils au fil du temps?
- À quelle fréquence devrai-je me rendre à l'hôpital ou à la clinique? Certaines de ces visites nécessiteront-elles une nuitée à l'hôpital?
- Y a-t-il une possibilité que je reçoive un placebo?
- Si l'essai est concluant, quels en seront les résultats?

### Risques et avantages potentiels

- Quels sont les risques et les avantages possibles de la participation?
- Quels sont les effets secondaires potentiels à court et à long terme de ce traitement?
- Quelles mesures seront prises pour assurer ma sécurité?
- Qui supervisera mes soins de santé pendant ma participation?
- Mes dossiers médicaux et les résultats de l'étude seront-ils confidentiels?
- Si le traitement est efficace, puis-je continuer à l'utiliser après la fin de l'essai?

### Préoccupations d'ordre pratique

- Où recevrai-je mes soins médicaux?
- Pourrai-je voir mon équipe soignante?
- Qui dois-je contacter si j'ai des questions pendant l'essai?
- Mon traitement et mes soins changeront-ils si je participe à cette étude? Si oui, comment?
- Les participants auront-ils accès aux résultats de l'essai clinique?
- Qui paie et soutient l'étude?
- Y a-t-il des coûts associés à la participation?
- Si je participe à cet essai clinique, cela m'empêchera-t-il de prendre part à un autre essai clinique dans l'avenir?

Les membres de l'équipe soignante ont un rôle essentiel à jouer pour s'assurer que les participants potentiels à l'étude comprennent parfaitement ce qu'implique leur participation à un essai clinique.

### COMPOSANTES DU PROCESSUS DE CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

Fournir au participant potentiel à l'étude suffisamment d'**informations** pour lui permettre de prendre une décision éclairée quant à sa participation à l'étude clinique

S'assurer que le participant potentiel **comprend parfaitement** les informations qui lui sont fournies

S'assurer qu'il dispose de suffisamment de temps pour poser des **questions** et discuter du protocole de recherche avec sa famille et ses amis afin de décider de sa participation

Obtenir l'accord **volontaire** du participant potentiel

Fournir **en permanence** des informations, au fur et à mesure de l'avancement de l'étude clinique ou si le sujet ou la situation l'exige

### RÉPONDRE AUX BESOINS DES PARTICIPANTS POTENTIELS À UN ESSAI CLINIQUE

Des informations complètes sur l'essai clinique ont-elles été fournies dans un **format**, à un **niveau approprié** et dans la **langue** qui conviennent le mieux à la personne?

Un processus a-t-il été mis en place (par exemple, le « retour d'expérience ») pour **confirmer la compréhension** de l'essai clinique, notamment : le rôle du patient, le fonctionnement de l'essai, la fréquence des consultations, ce qui se passera lors des consultations, la durée totale de l'engagement, les risques et les bénéfices potentiels d'une éventuelle participation?

A-t-on consacré suffisamment de **temps** à encourager les questions et à y répondre?

Des coordonnées ont-elles été fournies pour des discussions ou des questions de suivi?

Les participants potentiels ont-ils été encouragés à discuter de l'essai clinique avec leurs proches à obtenir des avis supplémentaires avant de décider de leur participation?

Est-il clairement communiqué et compris que la participation à un essai clinique relève d'un **choix personnel** et qu'il n'y a aucune obligation, ni à l'endroit de l'équipe de soins que de toute autre personne, d'y prendre part?

Existe-t-il un **plan** pour communiquer des mises à jour et des informations supplémentaires aux participants pendant l'essai clinique?

Ce plan et le nom de la **personne à contacter** pour les mises à jour ont-ils été communiqués aux participants?

### NOTE SUR LA CONFIDENTIALITÉ

Toute personne envisageant de participer à un essai clinique peut tout naturellement s'interroger sur la confidentialité des informations qui concernent son état de santé. Par **confidentialité**, on entend la protection du caractère privé des informations relatives à la santé permettant d'identifier les personnes qui participent à un essai clinique. Cela comprend les ressources liées à l'identité (comme le nom), au diagnostic, au pronostic, au traitement ou à toute autre information en lien avec un participant. Lorsque les résultats d'un essai clinique sont publiés dans une revue évaluée collégalement, les informations relatives aux patients sont anonymisées et la confidentialité est préservée.

### QUI EST IMPLIQUÉ DANS LES ESSAIS CLINIQUES?

De nombreux groupes de personnes sont impliqués dans le processus d'essai clinique, et ils ont tous des responsabilités et des rôles différents. Les participants aux essais cliniques et les professionnels de santé ont des rôles différents tout au long du processus d'essai clinique. Il est important que les uns et les autres soient informés et comprennent parfaitement leurs rôles.

# Rôles des patients et des professionnels de santé dans les essais cliniques



## PARTICIPANT/ PATIENT



## PROCESSUS D'ESSAI CLINIQUE



## PROFESSIONNEL DE SANTÉ

Découvrir le processus d'essai clinique  
Interroger l'équipe soignante sur les possibilités d'essais cliniques  
Regarder les sites dédiés aux essais cliniques pour trouver des opportunités ([clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov))



### ACCÈS AUX ESSAIS CLINIQUES

Former les participants et leur proposer des ressources sur les essais cliniques en général  
Partager des informations sur les possibilités d'essais cliniques

Bien s'informer sur les détails d'une étude



### RECRUTEMENT

Se tenir bien informé du plan et des objectifs de l'étude  
Répondre aux questions au sujet du protocole de l'étude

Participer au processus de sélection, notamment aux tests et aux évaluations, et aux échanges avec les membres de l'équipe de recherche



### PROTOCOLE DE L'ESSAI CLINIQUE

Identifier des participants potentiels en fonction des critères d'éligibilité  
Examiner les antécédents médicaux, effectuer des tests et des évaluations dans le cadre du processus de sélection  
Participer aux discussions avec les participants potentiels

Passer en revue toutes les informations relatives à l'essai clinique, y compris le fonctionnement de l'essai, le lieu et la fréquence des consultations de l'étude, la durée totale de l'engagement, les risques et les bénéfices potentiels de la participation  
Préparer une liste de questions et s'assurer qu'elles obtiennent toutes une réponse  
Discuter de la possibilité de participer à un essai clinique avec un proche ou une personne de confiance



### PROCESSUS DE CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

Fournir des informations complètes sur l'essai clinique dans le format, le niveau et la langue appropriés du participant  
S'assurer que le participant comprend tous les aspects du processus d'essai clinique  
Consacrer suffisamment de temps à encourager les questions et à y répondre  
Identifier une personne à contacter pour les questions de suivi  
Utiliser un outil de prise de décision partagée pour guider les discussions entre le participant et l'équipe soignante, si possible

Se rendre à toutes les consultations de l'étude  
Se soumettre aux tests et aux évaluations prévus par le protocole  
Communiquer avec l'équipe de recherche au sujet des effets secondaires potentiels ou des préoccupations  
Poser des questions



### CONSULTATIONS

Effectuer toutes les évaluations/mesures de l'étude pour évaluer la sécurité et l'efficacité conformément au protocole de l'étude  
Permettre aux participants la possibilité de signaler les effets secondaires potentiels, de faire part de leurs préoccupations et de poser des questions

S'informer des résultats de l'étude et de leur impact sur les études futures ou sur le traitement de l'hémophilie



### RÉSULTATS DE L'ÉTUDE

Fournir aux participants une synthèse des résultats de l'étude  
Résumer les résultats de l'étude dans le format et la langue privilégiés par les participants

Participer à un suivi à long terme et/ou à un registre de patients, le cas échéant



### SUIVI À LONG TERME

Souligner l'importance du suivi à long terme et/ou de la participation à un registre de patients, le cas échéant

Veillez consulter les rôles et responsabilités de chacun des groupes ci-dessous.

**AUTORITÉS DE RÉGLEMENTATION** : Chaque pays dispose de son propre organisme de réglementation avec ses propres réglementations ou lois régissant la conduite des essais cliniques. L'organisme de réglementation examine et approuve les protocoles d'essais cliniques avant le début des études et s'assure que tous les essais cliniques respectent la réglementation nationale. Il échange avec les chercheurs tout au long du processus d'essai clinique et examine en dernier ressort toutes les données relatives à la sécurité et à l'efficacité d'un programme de développement clinique afin de déterminer si le nouveau traitement peut obtenir une autorisation de mise sur le marché.

**PROMOTEUR/SPONSOR** : Personne, entreprise, institution, groupe ou organisation responsable du lancement, de la gestion et/ou du financement d'un essai clinique.

**COMITÉ D'EXAMEN INSTITUTIONNEL** : Groupe de scientifiques, de médecins, de non-scientifiques et de défenseurs des patients qui examine et approuve le plan détaillé d'un essai clinique. Le Comité d'examen institutionnel a pour but de protéger les personnes qui participent à un essai clinique. Dans les pays autres que les États-Unis, ce groupe est appelé « comité d'éthique » .

**COMITÉ CHARGÉ DE LA SÉCURITÉ DES DONNÉES** : Groupe de scientifiques indépendants qui surveille la sécurité et l'intégrité d'un essai clinique.

**INVESTIGATEUR PRINCIPAL** : Personne chargée d'un essai clinique. L'investigateur principal est souvent un médecin.

**COORDONNATEUR DE RECHERCHE** : Personne chargée de mener des essais cliniques conformément aux principes des bonnes pratiques de laboratoire et sous la direction de l'investigateur principal.

**ÉQUIPE DE RECHERCHE CLINIQUE** : Membres de l'équipe soignante participant à la réalisation d'un essai clinique. Il s'agit de médecins, d'infirmiers, d'assistants médicaux, de pharmaciens, de scientifiques et d'autres personnes qui soutiennent les participants tout au long du processus, effectuent des tests, des évaluations/bilans lors des consultations, collectent des données et mettent en œuvre tous les aspects du protocole de l'essai clinique.

**PATIENTS** : Individus qui répondent aux critères d'éligibilité et participent à un essai clinique.

## Répertoire des essais cliniques en thérapie génique pour l'hémophilie de la FMH

Suivez l'évolution des essais cliniques en thérapie génique pour l'hémophilie et les recherches en cours grâce au **Répertoire des essais cliniques en thérapie génique pour l'hémophilie de la FMH**.



# Appendice

## Exemple 1

Exemple de critères d'inclusion dans un essai clinique de clinique de thérapie génique (fictif)

### ESSAI OUVERT À DOSE UNIQUE CROISSANTE EN THÉRAPIE GÉNIQUE XYZ CHEZ LES ADULTES ATTEINTS D'HÉMOPHILIE B

#### CRITÈRES D'INCLUSION

Sujets de sexe masculin entre 18 et 75 ans inclusivement

Hémophilie B établie avec  $\geq 3$  hémorragies par an nécessitant un traitement par FIX exogène OU utilisation d'une prophylaxie par FIX en raison d'antécédents d'épisodes hémorragiques fréquents

Activité FIX plasmatique  $\leq 2\%$  ( $< 1\%$  pour la première cohorte; ensuite selon le protocole)

Négatif au virus de l'hépatite C (VHC) actif, défini comme un anticorps du virus de l'hépatite C négatif et un test PCR négatif (indétectable) pour l'acide ribonucléique (ARN) du virus de l'hépatite C plasmatique, OU si anticorps du virus de l'hépatite C positif,  $\geq 2$  tests PCR consécutifs négatifs (indétectables) pour l'ARN du VHC plasmatique à au moins 3 mois d'intervalle, et négatifs lors du dépistage

#### CRITÈRES D'EXCLUSION

Antécédents familiaux d'inhibiteurs de la protéine FIX ou preuve personnelle en laboratoire de présence d'inhibiteurs de la protéine FIX à un moment quelconque ( $> 0,6$  unité Bethesda sur un seul test)

Réaction allergique antérieure documentée à tout produit comprenant du FIX

Anticorps neutralisants de la thérapie génique XYZ détectables

Marqueurs d'inflammation hépatique ou de cirrhose manifeste ou occulte, mis en évidence par un ou plusieurs des éléments suivants :

- Numération plaquettaire  $< 175\ 000/\mu\text{l}$
- Albumine  $\leq 3,5$  g/dl
- Bilirubine totale  $> 1,5$  x ULN et bilirubine directe  $\geq 0,5$  mg/dl
- Phosphatase alcaline  $> 2,0$  x ULN
- ALAT ou ASAT  $> 2,0$  x ULN (sauf pour les sujets infectés par le VIH)
- Biopsie du foie dans le passé indiquant une fibrose modérée ou sévère (stade METAVIR de 2 ou plus)
- Antécédents d'ascite, de varices, d'hémorragie variqueuse ou d'encéphalopathie hépatique

# Glossaire

**ADMINISTRATION** : Dans les essais cliniques, acte d'administrer un traitement (tel qu'un médicament) à un patient. Il peut également s'agir de la manière dont un traitement est administré (par exemple, par voie orale, intraveineuse, par inhalation, intramusculaire, etc.), de la dose ou de la fréquence d'administration du traitement.

**ANALYSE INTERMÉDIAIRE** : Analyse des données recueillies dans le cadre d'un essai clinique avant l'achèvement officiel de l'étude.

**BONNES PRATIQUES CLINIQUES** : Ensemble de directives internationales régissant la manière dont un essai clinique doit être conçu, mené, réalisé, surveillé, audité, enregistré, analysé et rapporté, dans le but de garantir la protection des participants et la fiabilité des résultats.

**BRAS (BRAS D'ÉTUDE)** : Dans les essais cliniques, les participants sont souvent divisés en groupes. Par « bras », on entend chaque groupe ou sous-groupe de participants à un essai clinique qui reçoit des interventions spécifiques (ou aucune intervention) conformément au protocole de l'étude.

**BRAS EXPÉRIMENTAL** : Groupe de participants qui reçoit une intervention ou un traitement sur lequel porte l'essai clinique (par opposition au bras placebo ou au groupe témoin).

**COMITÉ D'EXAMEN INSTITUTIONNEL** : Groupe de scientifiques, de médecins, de non-scientifiques et de défenseurs des patients qui examine et approuve le plan détaillé d'un essai clinique. Le Comité d'examen institutionnel a pour but de protéger les personnes qui participent à un essai clinique. Dans les pays autres que les États-Unis, ce groupe est appelé « comité d'éthique ».

**COMITÉ CHARGÉ DE LA SÉCURITÉ DES DONNÉES** : Groupe de scientifiques indépendants qui surveille la sécurité et l'intégrité d'un essai clinique.

**CONFIDENTIALITÉ** : Protection du caractère privé des informations relatives à la santé des personnes identifiables individuellement qui participent à des essais cliniques. Cela comprend les ressources liées à l'identité (comme le nom), au diagnostic, au pronostic, au traitement ou à toute autre information en lien avec un participant.

**CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ** : Processus utilisé par les chercheurs pour fournir des informations complètes et expliquer les risques et les bénéfices potentiels d'un essai clinique avant toute participation d'un sujet.

**COORDONNATEUR DE LA RECHERCHE CLINIQUE (COORDONNATEUR DE L'ÉTUDE)** : Personne chargée de mener des essais cliniques selon les principes des bonnes pratiques de laboratoire et sous la direction d'un investigateur principal.

**CRITÈRE D'ÉVALUATION PRINCIPAL** : Dans un protocole d'étude clinique, mesure de résultat escomptée la plus importante pour évaluer l'effet d'une intervention ou d'un traitement.

**CRITÈRE D'ÉVALUATION SECONDAIRE** : Dans un protocole d'étude clinique, mesure(s) de résultat planifiée(s) qui n'est (ne sont) pas aussi importante(s) que la mesure de résultat principale pour évaluer l'effet d'une intervention ou d'un traitement, mais qui présente(nt) néanmoins un intérêt.

**CRITÈRES D'EXCLUSION** : Type de critères d'éligibilité. Il s'agit des raisons pour lesquelles une personne n'est pas autorisée à participer à une étude clinique.

**CRITÈRES D'INCLUSION** : Type de critères d'éligibilité pour un essai clinique. Ce sont les conditions qui doivent être remplies et qui permettent à une personne de participer à un essai clinique.

**EFFET INDÉSIRABLE** : Problème médical, notamment les résultats de laboratoire anormaux, qui survient pendant le traitement avec un médicament ou une autre thérapie. Les effets indésirables peuvent être légers, modérés ou graves. Dans un essai clinique, un événement indésirable peut être causé par quelque chose d'autre que le traitement à l'étude.

**EFFET INDÉSIRABLE GRAVE** : Effet indésirable ou effet indésirable suspecté considéré comme « grave » si, de l'avis de l'investigateur, il entraîne l'un des résultats suivants : décès, effet indésirable mettant en danger la vie du patient, hospitalisation ou prolongation d'une hospitalisation existante, incapacité significative à mener une vie normale, ou anomalie congénitale/défaut de naissance.

**EFFICACITÉ** : Capacité d'un traitement ou d'une intervention à produire l'effet bénéfique souhaité.

**ÉLÉMENTS DE RÉFÉRENCE** : Données démographiques, cliniques et autres recueillies au début d'un essai clinique avant l'intervention et qui peuvent être utilisées pour une comparaison dans le temps afin de rechercher des changements.

**ÉLIGIBILITÉ** : Principales exigences à satisfaire pour que les personnes puissent participer à un essai clinique. L'éligibilité comprend les critères d'inclusion (requis pour la participation) et les critères d'exclusion (interdisant la participation d'une personne).

**ESCALADE DE DOSE** : Augmentation progressive de la dose ou de la puissance d'un traitement pour en maximiser l'effet tout en améliorant ou en maintenant son caractère tolérable et en évitant les effets secondaires indésirables.

**ESSAI CLINIQUE** : Type d'étude dans lequel les chercheurs testent de nouvelles façons de prévenir, de détecter ou de traiter une maladie. Les participants à un essai clinique peuvent recevoir des interventions spécifiques conformément à un protocole détaillé pour cet essai clinique. Ces interventions peuvent être des produits médicaux, comme des médicaments ou des dispositifs, des procédures chirurgicales ou des changements de comportement, comme le régime alimentaire d'un participant. Les essais cliniques peuvent comparer une nouvelle approche médicale à une approche standard déjà disponible, à un placebo ou à aucune intervention. Les essais cliniques sont la principale méthode utilisée par les chercheurs pour déterminer si un nouveau traitement est sûr et efficace chez l'humain.

**ESSAI CLINIQUE CONTRÔLÉ** : Essai clinique qui comprend un groupe de comparaison. Ce groupe de comparaison peut recevoir un placebo, un autre traitement ou aucun traitement du tout.

**ESSAI CLINIQUE EN DOUBLE AVEUGLE** : Essai clinique dans lequel ni les participants à l'étude ni les chercheurs ne savent quel traitement les participants reçoivent avant la fin de l'étude.

**ESSAI CLINIQUE EN SIMPLE AVEUGLE** : Essai clinique dans lequel les participants à l'étude ignorent le médicament ou le traitement qui leur est administré.

**ESSAI CLINIQUE OUVERT** : Type d'essai clinique dans lequel participants et chercheurs savent quel traitement leur est administré.

**ESSAI CONTRÔLÉ PAR PLACEBO** : Étude clinique dans laquelle le traitement étudié est comparé à un groupe témoin qui reçoit un placebo (un traitement qui ressemble au traitement expérimental, mais qui ne contient aucun principe actif).

**ESSAI MULTICENTRIQUE** : Essai clinique mené dans plus d'un établissement médical.

**ÉTAT DU RECRUTEMENT** : Nombre de participants à un essai clinique à un moment donné. Chaque essai clinique aura un nombre escompté de participants à recruter au début de l'étude. Divers termes sont utilisés pour décrire l'état du recrutement, tels que « recrutement pas encore ouvert » (l'étude n'a pas encore commencé à recruter des participants), « en cours de recrutement » (l'étude est en train de recruter des participants), « recrutement sur invitation » (l'étude sélectionne ses participants dans une population, ou un groupe de personnes, déterminés à l'avance par les chercheurs), « actif, pas en cours de recrutement » (l'étude est en cours, intervention et examen des participants en cours, mais les participants potentiels ne sont pas actuellement recrutés ou inscrits), etc.

**ÉTUDE D'EXTENSION** : Souvent appelée « étude d'extension » ouverte ou « étude d'extension à long terme », il s'agit d'un type d'essai clinique qui recrute des participants à un essai clinique antérieur et qui est conçu pour recueillir des données supplémentaires sur la sécurité et la tolérance d'un nouveau traitement ou d'une nouvelle intervention potentiel sur une période plus longue que l'essai clinique original/principal.

**ÉTUDE DE L'ESCALADE DE DOSE** : Type d'étude qui permet de déterminer la meilleure dose d'un nouveau médicament ou traitement. Ce type d'étude concerne généralement un petit nombre de personnes, et la dose du nouveau traitement est augmentée progressivement dans différents groupes de participants, en surveillant attentivement les effets secondaires indésirables.

**ÉTUDE EN SIMPLE OU EN DOUBLE AVEUGLE** : Type d'étude dans lequel les participants ne savent pas quel traitement ils reçoivent. Dans une étude en simple aveugle, les patients/volontaires ne savent pas quel traitement ils reçoivent, mais l'équipe de recherche est au courant de leur traitement. Dans une étude en double aveugle, ni les patients ni les investigateurs ne sont au courant de l'affectation des traitements (seul le pharmacien le sait). Une telle approche permet de réduire tout biais dans les résultats de l'étude.

**ÉTUDE OBSERVATIONNELLE** : Dans une étude observationnelle, les chercheurs mesurent certains résultats de santé chez des groupes de participants selon un plan ou un protocole de recherche. Les participants ne sont pas affectés à des interventions spécifiques par l'investigateur (comme dans un essai clinique), mais peuvent recevoir un traitement qui fait déjà partie de leurs soins médicaux de routine.

**GROUPE TÉMOIN** : Groupe d'un essai clinique qui ne reçoit pas le nouveau traitement à l'étude.

**INTERVENTION** : Traitement, procédure ou autre action visant à prévenir ou à traiter une maladie ou à améliorer l'état de santé, qui fait l'objet d'une étude clinique.

**INVESTIGATEUR** : Personne impliquée dans la conduite d'un essai clinique ou d'une étude de recherche. Les investigateurs peuvent être des médecins, des scientifiques, des infirmiers, des travailleurs sociaux et d'autres professionnels de santé.

**INVESTIGATEUR PRINCIPAL** : Personne chargée d'un essai clinique. L'investigateur principal est souvent un médecin.

**MASQUAGE** : Identique au terme « mise en aveugle » dans un essai clinique. Les études masquées sont conçues pour empêcher les participants et les membres de l'équipe de recherche d'influencer les résultats de l'étude.

**MÉCANISME D'ACTION** : Terme utilisé pour décrire comment un médicament ou un autre traitement produit un effet dans le corps.

**MESURE DES RÉSULTATS** : Mesure choisie pour évaluer l'impact d'un traitement ou d'une intervention dans un essai clinique.

**PHASE** : Les essais cliniques sont menés par phase ou selon un processus par étape. Chaque phase a un objectif spécifique et permet aux chercheurs de répondre à différentes questions.

**PLACEBO** : Traitement qui ressemble à un nouveau traitement testé dans un essai clinique, mais qui ne contient aucun principe actif.

**PLAN DE SURVEILLANCE DE LA SÉCURITÉ DES DONNÉES** : Plan écrit qui identifie prospectivement et documente les activités de surveillance conçues pour protéger la sécurité des participants à un essai clinique, la validité des données recueillies et l'intégrité de l'étude de recherche.

**PROMOTEUR** : Personne, entreprise, institution, groupe ou organisation qui assume la responsabilité du lancement, de la gestion et/ou du financement d'un essai clinique.

**PROTOCOLE** : Plan détaillé que suit un essai clinique, comprenant l'objectif de l'étude, les critères d'inclusion et d'exclusion, le nombre de participants, les protections contre les risques pour les participants, les détails des tests, des procédures, des traitements, la durée prévue de l'essai et les informations qui seront recueillies.

**RANDOMISATION** : Processus par lequel les traitements sont attribués aux participants à un essai clinique de façon aléatoire. Ni le chercheur ni le participant ne choisissent le traitement qu'un participant donné recevra.

**RECHERCHE CLINIQUE** : Recherche médicale dans laquelle des volontaires (y compris des personnes souffrant de certains problèmes de santé), des données ou des échantillons de tissus provenant de personnes sont étudiés afin de mieux comprendre la santé et les maladies. Il existe deux grands types de recherche ou d'études cliniques : les essais cliniques et les études observationnelles.

**RECRUTEMENT** : Nombre de participants à une étude clinique.

**REGISTRE** : Système organisé qui utilise des méthodes d'étude observationnelle pour recueillir des données sur le traitement, les résultats et le bien-être d'une population définie par une maladie, une condition ou une exposition particulière.

**SUIVI À LONG TERME** : Évaluations approfondies qui poursuivent certaines des observations prévues d'un essai clinique au-delà de la période de suivi actif. Dans le cas des essais de thérapie génique humaine, cela peut durer de 5 à 15 ans.

**SUJET HUMAIN** : Participant à une étude clinique.

**TITRAGE** : Processus d'ajustement de la dose d'un traitement médical pour obtenir un bénéfice maximal (efficacité) sans effets indésirables.

**TOLÉRANCE** : Degré auquel un effet secondaire du traitement peut être toléré ou supporté par un participant à l'étude. Cette notion est différente de la « sécurité » du traitement, qui fait référence au risque médical encouru par une personne qui reçoit un tel traitement.

**VOLONTAIRE EN SANTÉ** : Personne ne présentant aucun problème de santé important connu et participant à une recherche clinique.

## Partenaires

La FMH remercie ses partenaires pour leur généreux soutien financier qui nous permet de développer des ressources éducatives pour les patients et les professionnels de santé du monde entier.

BIOMARIN



### Fédération mondiale de l'hémophilie

1425, boulevard René-Lévesque Ouest,  
Bureau 1200, Montréal,  
Québec H3G 1T7

CANADA

Tél. : 514 875-7944

Télec. : 514 875-8916

wfh@wfh.org

[www.wfh.org](http://www.wfh.org)