

Comprendre les Essais Cliniques

MitoCanada croit au pouvoir de la recherche. Les essais cliniques sont des études menées pour acquérir des données importantes. Elles sont essentielles à la découverte et à l'avancement de la médecine et des connaissances médicales.

Lorsque vous partagez vos expériences de vie réelle en participant à un essai clinique, vous appuyez le processus de développement de médicaments qui ont le potentiel d'avoir un impact sur les soins aux patients et la qualité de vie. La participation à un essai clinique est volontaire et peut offrir de nombreux avantages, mais il peut aussi y avoir des risques. Lorsque vous décidez de rejoindre un essai clinique, il est important d'être informé afin que vous puissiez prendre la meilleure décision possible pour vous.

Que Sont les Essais Cliniques?

Un essai clinique est une forme de recherche qui étudie la sécurité et l'efficacité de nouveaux traitements médicaux, dispositifs et procédures. L'efficacité désigne la performance d'une intervention dans des circonstances contrôlées. Les essais cliniques se produisent souvent dans les hôpitaux, les cliniques médicales, les universités et les cabinets médicaux. Divers types d'études de recherche peuvent être utilisés pour acquérir les données scientifiques nécessaires pour approuver un médicament ou une intervention. Ceux-ci incluent:

Essai contrôlé randomisé (ECR) Dans ces études, les participants sont arbitrairement assignés à un groupe expérimental ou témoin. Ceci est fait pour obtenir des données sur la ou les variables étudiées.

- **Étude de cohorte:** Dans les études de cohorte, deux groupes qui partagent des caractéristiques communes sont exposés à différentes variables sur une longue période de temps.
- **Étude de cas-contrôle:** Ces études comparent deux groupes de personnes où les participants d'un groupe ont une maladie ou une condition que ceux de l'autre groupe n'ont pas.
- **Étude de série de cas :** Ces études compilent des données décrivant les caractéristiques et/ou les résultats d'un groupe de personnes au fil du temps.
- **Étude d'avis d'experts:** Ce type d'étude rassemble les avis émis par un groupe désigné d'experts sur la base de données scientifiques et/ou d'avis d'experts

Chaque essai est composé d'un groupe solide travaillant ensemble. Ceux-ci incluent:

- **Participants :** Personnes bénévoles pour participer à un essai clinique. Il peut s'agir de patients atteints d'une maladie ou de personnes en bonne santé qui font du bénévolat.
- **Enquêteur(s)** Les personnes qui dirigent l'essai clinique ou l'étude de recherche. Ces personnes qualifiées préparent et exécutent l'étude, surveillent la sécurité, collectent et analysent les données et publient les résultats.
- **Coordonnateur de l'étude:** La personne qui travaille avec et supervise les chercheurs, les participants et l'équipe de recherche.
- **Les commanditaires des sociétés de médicaments/d'appareils et/ou des organismes de recherche (hôpitaux, universités, fondations)** qui fournissent des fonds pour l'essai.
- **Commission d'examen institutionnel (CISR) :** Groupe de personnes qui approuvent, surveillent et révisent l'essai clinique pour s'assurer que les participants sont protégés et traités de manière appropriée.



Essai clinique – Détails de l'étude

Avant qu'un médicament ou un dispositif ne parvienne à l'étape de l'essai clinique, il doit faire l'objet d'une recherche approfondie en laboratoire. Cela peut impliquer des années d'expériences sur des animaux, des échantillons de tissus ou des cellules humaines. Lorsque ce niveau de recherche est couronné de succès, les données peuvent être envoyées à Santé Canada pour approbation afin de poursuivre la recherche chez l'homme. Une fois qu'un médicament ou un dispositif a été approuvé pour essai sur des humains, les tests sont effectués en phases.

mito^{lingo}

Conception de l'étude - méthodes et procédures utilisées pour recueillir et analyser les données sur les variables spécifiées dans l'étude.

Mesures de résultat primaire - le plus important de tous les résultats examinés dans l'étude d'essai.

Critères d'inclusion - les caractéristiques spécifiques d'un participant éventuel doivent être associées à l'étude.

Critères d'exclusion - les caractéristiques qui disqualifient les participants potentiels de participer à une étude.

Essais cliniques – Protéger les Participants

Des règles strictes doivent être respectées lors de la réalisation d'essais cliniques au Canada. Ces règles protègent les participants. Toutes les informations doivent être scientifiquement utiles, les effets secondaires doivent être surveillés et signalés, et les dossiers doivent être soigneusement conservés et inspectés régulièrement. En tout temps, les droits, la sécurité et le bien-être des participants doivent être protégés.

Les promoteurs doivent soumettre des demandes à Santé Canada pour examen afin de s'assurer que l'intérêt supérieur des participants à l'essai est pris en considération et que les risques sont aussi faibles que possible. Santé Canada examine les demandes d'essais cliniques pour voir si les objectifs de l'essai sont réalisables, pour s'assurer qu'un médicament ou un dispositif expérimental sera administré correctement et pour affirmer que le médicament ou l'instrument présente des avantages potentiels qui ne sont pas présents dans les traitements actuels.

Phases des Essais Cliniques

- Phase 1** - Pour la première fois, le médicament ou l'appareil expérimental est testé sur un petit groupe de personnes. Cette phase détermine la sécurité du médicament/de l'appareil, la plage posologique sûre et tous les effets secondaires.
- Phase 2** - Le médicament/dispositif est administré à un groupe défini, généralement 100+. L'étude recueille maintenant des informations sur l'efficacité d'un médicament dans le traitement d'une maladie ou d'une condition, la meilleure dose et la meilleure sécurité dans un groupe plus large.
- Phase 3** - Le médicament/dispositif est testé sur un groupe de 1000+, pour tester son efficacité et surveiller les effets secondaires dans une population beaucoup plus grande. Ils recueillent des informations pour s'assurer qu'il est sûr pour le marché et comment il se compare aux traitements existants sur le marché.
- Phase 4** - Cette phase se produit après l'approbation d'un nouveau médicament/dispositif et la collecte de données pendant sa mise sur le marché. Il étudie la meilleure utilisation à long terme, les avantages et les risques.

Développement des Avantages de Participation des Patients

La participation du patient est vitale car elle apporte des perspectives et des expériences réelles à un essai et recueille des données essentielles pour comprendre et évaluer si un nouveau médicament ou un nouveau dispositif fonctionne. La participation des patients aide les chercheurs, les cliniciens, les organismes de réglementation et les fournisseurs d'assurance à comprendre les avantages et les besoins du développement de nouveaux médicaments ou de nouveaux appareils. L'apport des patients fait de meilleures études en améliorant l'objectif des essais, les protocoles, les résultats rapportés par le patient (PRO), les données probantes réelles (RWE) et les mesures de qualité de vie (QOL)

mito^{lingo}

Résultats rapportés par les patients (PRO): mesures de la façon dont les patients se sentent ou ce qu'ils peuvent faire dans le contexte de leur état de santé

Preuves réelles (RWE): est la preuve clinique de l'utilisation et les avantages potentiels ou les risques d'un produit médical dérivé de l'analyse de RWD

Données du monde réel (RWD): données relatives à l'état de santé du patient et/ou à la prestation de soins de santé régulièrement recueillies de diverses sources, y compris les dossiers médicaux électroniques, les données sur les allégations médicales et les données provenant des registres des produits et des maladies.

Mesures de la qualité de vie (QOL) : évaluer les domaines essentiels tels que l'état de la maladie et les symptômes physiques, l'état fonctionnel (par exemple, l'exercice d'activités quotidiennes), le fonctionnement psychologique et émotionnel et le fonctionnement social.

* Terminologie des National Institutes de la Santé

Participation à des Essais Cliniques

Les essais cliniques apportent de nouveaux espoirs et de nouvelles opportunités aux patients atteints de maladie mitochondriale. S'assurer que les patients sont directement impliqués dans la recherche des meilleurs soins de santé possible. Avec les personnes participant aux essais cliniques, des traitements novateurs le feront dans les mains de ceux qui en ont besoin.

Lorsque vous participez à un essai clinique:

- Vous avez la chance de participer davantage à la recherche et à la création d'une meilleure qualité de vie pour vous-même et pour les autres atteints de maladie mitochondriale.
- Un essai peut potentiellement créer un meilleur accès à de nouvelles options de traitement qui pourraient améliorer votre santé et votre qualité de vie actuelles.
- Un essai peut potentiellement offrir des médicaments sans frais.
- Un essai peut offrir une occasion de meilleurs soins de santé grâce à de nouvelles recherches/traitements.

Pour trouver des essais cliniques sur les maladies mitochondriales, visitez la page d'essai clinique dédiée de MitoCanada : <https://mitocanada.org/news-research/current-clinical-trials-listing/>

Préoccupations Concernant la Participation

Les patients peuvent hésiter à participer à des essais cliniques parce qu'ils craignent qu'un nouveau médicament ou dispositif ne soit pas sûr, aggrave leur maladie ou symptômes actuels, ils peuvent être affectés à un groupe placebo (ingrédient non actif) ou seront affectés à un groupe qui recevra un médicament existant déjà sur le marché. Les patients peuvent penser que la participation à l'essai clinique n'est pas une option en raison d'un déclin de leur santé actuelle ou de la peur qu'ils pourraient développer des effets secondaires à court et / ou à long terme causés par le médicament / dispositif expérimental. Les parents peuvent craindre qu'un médicament ou un dispositif d'essai ne puisse avoir un impact différent de celui d'un adulte. Les patients et les parents peuvent avoir des inquiétudes quant au stress des déplacements et de nombreux tests, hospitalisations, dépenses et engagement de temps potentiellement long associé à la participation à l'essai.

Ce sont des préoccupations réelles et communes que les patients et les familles ont. Pour répondre à ces hésitations, nous avons organisé des informations pour fournir de la clarté et même dissiper les mythes couramment tenus au sujet des essais cliniques:

1. Les essais cliniques sont dangereux car ils utilisent des médicaments non testés.

Vous garder en sécurité lorsque vous participez à un essai clinique est une priorité absolue pour toutes les personnes impliquées dans l'essai. Tous les essais cliniques sont examinés avant leur début par un comité d'examen institutionnel (CISR), un comité de médecins, de scientifiques et de membres de la communauté chargés de protéger les participants aux essais cliniques. L'examen de la CISR a pour but de s'assurer que des mesures appropriées sont prises pour protéger vos droits et votre sécurité avant et pendant l'essai.

Les participants à l'essai clinique reçoivent un médicament / dispositif expérimental SEULEMENT après avoir subi des tests approfondis. Ce test indique que le médicament/dispositif est susceptible d'être sûr et efficace chez l'homme. Les chercheurs évaluent et surveillent fréquemment et rigoureusement la sécurité des participants pendant l'essai clinique. Ce n'est pas là que quelques-unes des façons dont votre sécurité et votre bien-être sont prioritaires avant le début d'un essai clinique et tout au long du processus d'essai.

2. Vous devez renoncer à vos traitements réguliers pour participer à un essai clinique. Certains chercheurs veulent que les patients restent sur leur traitement médical actuel, espérant que la combinaison d'un traitement existant et d'un nouveau traitement potentiel donnera aux participants les meilleurs résultats. Si un participant n'a pas vu d'avantages de son traitement actuel, rejoindre un essai clinique enquêtant sur un nouveau traitement pourrait être un moyen de combattre sa maladie.

Vous pouvez toujours revenir à votre traitement initial si l'étude ne fonctionne pas pour vous ou si vous avez une réaction négative au médicament de l'étude.

3. Une fois que je suis entré dans un essai clinique, je ne peux pas changer d'avis et partir. En tant que patient, vous êtes toujours en contrôle total. Si vous ne souhaitez plus participer à un essai, vous pouvez vous retirer à tout moment, même après avoir signé un formulaire de consentement éclairé et reçu le médicament expérimental (ou le placebo). Cependant, il serait préférable de toujours informer l'équipe d'essai clinique avant de quitter l'essai, car certains médicaments doivent être arrêtés en toute sécurité avec l'aide de l'équipe de recherche.

4. Les essais cliniques ne sont pas confidentiels.

Lorsque vous vous inscrivez à un essai, certains renseignements personnels devront être recueillis et communiqués à l'équipe d'étude d'essai, au promoteur de l'étude et à Santé Canada. Cela comprend généralement la date de naissance, les antécédents médicaux, tous les résultats recueillis tout au long de l'essai, etc. Ces informations sont gardées confidentielles dans la mesure où vos informations reçoivent un numéro aveuglé pour protéger votre identité tout au long de l'essai.

5. Participer à un essai clinique signifie que vous devrez peut-être investir de l'argent personnel dans celui-ci. Les participants aux essais cliniques doivent rarement engager des coûts liés à la participation à un essai. Il existe deux types de coûts associés à un essai clinique : les coûts de recherche et les coûts de soins aux patients.

Les coûts de recherche sont ceux associés à la conduite de l'essai et sont généralement couverts par un promoteur de l'étude, comme la société biopharmaceutique, et ne sont pas de la responsabilité du patient. Le promoteur de recherche soutenant l'essai clinique ne couvre pas les coûts des soins aux patients. Des exemples de ces coûts incluent vos visites médicales de routine, des tests de laboratoire cliniques et des radiographies.

Demandez à l'équipe de recherche d'essais cliniques s'il y a des coûts que vous pourriez devoir couvrir et vérifiez auprès de votre fournisseur d'assurance maladie la couverture des participants aux essais cliniques avant de décider de participer à un essai clinique.

6. Je ne pourrai pas continuer à voir mon médecin actuel pendant un essai clinique. En tant que patient participant à un essai clinique, vous pouvez toujours continuer à recevoir des soins de santé réguliers de votre médecin et de votre équipe de soins de santé. Il doit y avoir une communication continue entre vous et votre médecin. Votre médecin actuel peut vous aider à trouver un essai clinique et vous soutenir tout au long de l'essai avec des soins réguliers.



Réalités de Maladies Rares et Recrutement Pour des Essais Cliniques

1 Canadien sur 12 (dont 2 enfants) est atteint par des maladies rares. Le petit nombre de patients admissibles par maladie rend très difficile le recrutement de participants pour les essais. Même lorsqu'on a diagnostiqué une maladie rare, seulement 5 % des maladies rares ont des traitements, et seulement 60 % des nouvelles options de traitement en provenance des États-Unis et de l'Europe arrivent au Canada. La plupart de ces nouvelles options de traitement n'entrent au Canada que des années après avoir reçu l'approbation dans d'autres pays.

Lorsqu'on considère les facteurs géographiques, les critères d'inclusion/exclusion et si un patient représente la population de sa maladie rare, ces composantes créent des limites supplémentaires lorsqu'on trouve et qu'on rejoint les essais cliniques.

Un nombre limité de patients pose des difficultés à créer des données convaincantes et à atteindre l'importance statistique de l'innocuité et de l'efficacité d'un essai. Pour cette raison, certains essais peuvent être incapables de compléter leur étude.

Comment les essais cliniques pour les maladies rares sont-ils différents?

Trouver des essais cliniques peut être plus difficile pour les patients atteints de maladies rares. Les essais cliniques peuvent prendre des années; certains peuvent même survivre à l'espérance de vie d'un participant. Cependant, les limites des essais sur les maladies rares sont prises en considération, comme nous le voyons avec la loi américaine sur les médicaments orphelins et les règles sur les patients au Canada, qui favorisent l'accès et le développement de nouveaux médicaments pour les maladies rares.

Comprendre une Opportunité d'essai Clinique

Pour vous assurer de mieux comprendre une opportunité d'essai clinique, il est important de faire vos recherches. L'équipe de recherche d'essai veut s'assurer que vous avez toutes les informations dont vous avez besoin pour prendre une décision éclairée. Envisagez de demander ce qui suit pour en savoir plus sur une opportunité d'essai clinique:

Objectif : Quel est l'objectif de cet essai clinique?

Options de traitement : Y a-t-il actuellement des options de traitement disponibles pour moi ? Comment un médicament expérimental issu de l'essai clinique pourrait-il être bénéfique ou aggraver ma maladie?

Risques : Quels effets secondaires potentiels, risques ou complications pourraient survenir pendant l'essai ?

Avantages : Quels sont les avantages potentiels de participer à un essai clinique?

Couverture du procès : Vais-je être indemnisé pour tout frais de voyage, d'essai ou de frais imprévus pendant l'essai? Après l'essai, aurai-je accès à ce nouveau médicament?

Questions à poser:

- L'étude implique-t-elle un placebo ou des traitements déjà sur le marché?
- Puis-je quitter le procès à tout moment ?
- Vais-je pouvoir continuer à voir mon médecin pendant l'étude?
- Vais-je pouvoir continuer à prendre mes médicaments réguliers pendant l'étude?
- S'il y a des effets secondaires, peuvent-ils être traités pendant l'étude?
- Combien de temps prendra la participation, et les déplacements sont-ils nécessaires?
- Les enquêteurs peuvent-ils me sortir de l'étude, même si je veux rester dedans ?
- Dois-je payer pour participer à l'étude? Si oui, l'assurance la couvre-t-elle? D'autres dépenses sont-elles couvertes? (Voyage, hôtels, travail manqué, etc.)
- Une indemnité est-elle accordée pour participer à l'étude?

La participation à un essai clinique pourrait être une option pour vous. Lorsque vous envisagez les avantages personnels et communautaires par rapport aux risques d'un essai clinique, vous pouvez prendre une décision éclairée quant à votre participation. Avec une compréhension des processus d'essai clinique, des idées fausses ont répondu et une liste de questions organisées pour vous aider à recueillir de l'information, nous espérons que vous vous sentez habilité à explorer les possibilités d'essais cliniques disponibles. MitoCanada est avec vous à chaque étape de la façon de contribuer à dynamiser votre vie.

Ce guide pédagogique a été élaboré par MitoCanada à des fins d'information seulement. Il ne doit pas être utilisé pour remplacer l'avis médical de votre médecin ou d'un autre fournisseur de soins de santé qualifié qui vous connaît ainsi que vos antécédents médicaux complets.

Citations:

Insightful Moments. "Finding a Clinical Trial". PTC Therapeutics, 2021, https://admin.ptcbio.com/en/wp-content/uploads/sites/3/2022/01/FindingAClinicalTrialRoadmap_EN.pdf

"I Am in a Clinical Trial." *Clinical Trials Ontario*, 21 Mar. 2019, <https://www.ctontario.ca/patients-public/learn-more-about-clinical-trials/i-am-in-a-clinical-trial/>.

"What Are Clinical Trials and Studies?" *National Institute on Aging*, U.S. Department of Health and Human Services, <https://www.nia.nih.gov/health/what-are-clinical-trials-and-studies/>.

À Propos de Nous

Depuis 2010, MitoCanada soutient les personnes atteintes de maladies mitochondriales en leur fournissant de l'information, des initiatives et des occasions d'inspirer, d'autonomiser et de relier tout en améliorant la qualité de vie. Nous élaborons des programmes d'éducation et de sensibilisation. Nous défendons les personnes vivant avec ou à risque de développer une maladie mitochondriale, et nous finançons des recherches axées sur le patient et transformatives.

MitoCanada est le seul organisme de bienfaisance national dédié à la maladie mitochondriale. Nous sommes la voix des Canadiens qui vivent avec ou qui risquent de développer une maladie mitochondriale.

Demande de Soutien

MitoCanada est un organisme de bienfaisance national régi par un conseil d'administration bénévole. Nous comptons sur les dons du public et sur la générosité de nos partenaires pour élaborer et offrir des programmes et des ressources de soutien et d'éducation. Veuillez envisager d'inclure MitoCanada comme l'un de vos organismes de bienfaisance de choix à soutenir.

Contactez-nous

MitoCanada Foundation
30022-478 Dundas Street West
Oakville, ON, L6H 7L8

Faites un Don

Faites un don à :

www.mitocanada.org/donate

 **REDUIRE**
les effets de mito
sur le développement et de
réduire le temps de diagnostic
pour les personnes touchées

 **AVOCAT**
pour ceux qui vivent
avec ou à risque de développer
mito

 **CONNECTEZ-VOUS**
et soutiennent ceux qui ont été
touchés par mito afin qu'ils
soient autonomes et unifiés

 **ELEVER**
qualité de vie
pour ceux qui souffrent de
mito