

## Essais cliniques

### Comment la recherche aboutit-elle à un traitement approuvé?

Comprendre ce que fait un type de cellule en examinant son comportement et ses caractéristiques telles que l'ADN.

Cellules



Systèmes

Comprendre comment différents types de cellules et d'organes travaillent ensemble comme un système pour mener à bien un processus.

Développer un traitement pour cibler un système et modifier son comportement.

Traitement



Études précliniques

Tester le traitement en laboratoire pour déterminer la dose efficace et vérifier l'innocuité.

Tester le traitement dans le cadre d'essais cliniques sur des personnes afin d'en vérifier l'efficacité et l'innocuité.

Essais cliniques



Application

Soumettre le traitement, preuves à l'appui, à l'approbation des organismes de réglementation.

Traitement approuvé pour une utilisation clinique.

Approbation

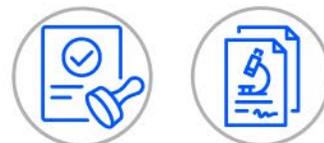


## Essais cliniques

### Que se passe-t-il dans un essai clinique?

Après les études précliniques, les organismes de réglementation donnent leur accord pour que l'essai ait lieu.

#### Approbation



#### Recrutement

Les participants sont recrutés et donnent leur accord pour participer à l'essai.

Les participants sont divisés en groupes pour recevoir le nouveau traitement et/ou le meilleur traitement actuel et/ou un placebo.

#### Début du traitement



#### Fin du traitement

Les chercheurs évaluent l'efficacité et l'innocuité du traitement.

Les résultats de l'essai sont généralement partagés afin que d'autres apprennent de ses résultats.

#### Publication



#### Progression

Le traitement peut passer à l'étape suivante des essais ou être approuvé pour une utilisation clinique.

### Section 1 : Comment la recherche aboutit-elle à un essai clinique?

Vous avez peut-être entendu parler que le passage d'un nouveau traitement de la découverte à la commercialisation peut prendre 15 ans, voire plus. En effet, de nombreuses étapes doivent être franchies avant que l'utilisation d'un traitement ne soit approuvée. FRDJ finance la recherche à toutes les étapes de ce parcours. Chaque étape de la recherche est fortement réglementée afin de garantir que les chercheurs travaillent dans le respect de l'éthique et que le risque de préjudice est réduit au minimum.

#### Recherche sur les cellules

La première étape du parcours de recherche consiste à étudier les types de cellules individuelles concernées par une maladie. Au niveau de la recherche sur les cellules, les chercheurs essaient de comprendre ce que fait un type de cellule particulier.



Par exemple, dans le cas du DT1, nous nous intéressons aux cellules bêta productrices d'insuline et aux cellules du système immunitaire qui les attaquent.

#### Recherche sur les systèmes



Une fois que les chercheurs ont compris le fonctionnement des différents types de cellules, ils peuvent s'intéresser aux systèmes. Les systèmes de l'organisme sont des ensembles de cellules et d'organes qui travaillent ensemble pour mener à bien un processus. Si nous pouvons comprendre comment un système se comporte normalement et si nous pouvons voir où ou pourquoi ce système ne se comporte pas comme il le devrait dans une maladie, cela pourrait indiquer des points possibles dans le système qui pourraient être ciblés par des traitements.

Par exemple, dans le cas du DT1, nous cherchons à comprendre comment le système immunitaire se comporte et comment/pourquoi les cellules des îlots de Langerhans cessent de fonctionner dans le pancréas.

#### Développement du traitement

Les traitements peuvent prendre de nombreuses formes, y compris des médicaments, des technologies médicales ou des programmes d'éducation. Étant donné que les traitements prennent de nombreuses formes, la recherche à ce niveau peut être très variée et le chemin à parcourir pour faire passer un traitement à l'étape de l'essai est unique pour chaque nouveau traitement.



Par exemple, les chercheurs développent des médicaments pour modifier le comportement du système immunitaire afin d'empêcher les cellules immunitaires d'attaquer les cellules bêta.

### Études précliniques



Lorsqu'un nouveau traitement est mis au point, il fait l'objet de tests approfondis en laboratoire avant d'être testé chez l'homme. Les études précliniques consistent à tester le traitement sur des échantillons de tissus humains ou sur des animaux en laboratoire. L'objectif des études précliniques est de vérifier autant que possible que le traitement est susceptible d'être utilisé en toute sécurité chez l'homme et de déterminer la dose la plus efficace.

Par exemple, un médicament développé pour empêcher les cellules immunitaires d'attaquer les cellules bêta serait testé sur une souche spéciale de souris atteintes de DT1.

### Essais cliniques

Les essais cliniques constituent la dernière étape du développement d'un traitement, et ils ne peuvent avoir lieu que lorsqu'il existe suffisamment de preuves pour suggérer que le traitement pourra être utilisé en toute sécurité chez l'homme. Au Canada, les comités d'éthique de la recherche et Santé Canada sont chargés d'approuver les essais cliniques.



Les essais cliniques se déroulent en trois phases principales, et un traitement doit démontrer son innocuité et son efficacité dans chacune d'entre elles pour être approuvé en vue d'une utilisation clinique. Ces phases sont expliquées à la [Section 2](#).

### Demande et approbation



Lorsqu'un nouveau traitement a franchi avec succès les trois phases des essais cliniques, toutes les preuves de l'innocuité et de l'efficacité du traitement recueillies au cours des essais cliniques sont soumises aux autorités de réglementation (c'est-à-dire à Santé Canada) pour examen.

L'autorité de réglementation décidera alors s'il y a suffisamment de preuves des avantages par rapport aux risques pour approuver l'utilisation d'un nouveau traitement dans la pratique clinique.



### Points clés

La recherche passe par une série d'étapes avant d'aboutir à des essais cliniques

Il est nécessaire que la recherche suive ces étapes afin que nous puissions vérifier l'innocuité et l'efficacité autant que possible avant de commencer les essais cliniques

Les essais cliniques sont essentiels pour tester l'innocuité et l'efficacité d'un nouveau traitement chez les personnes

Un nouveau traitement ne sera approuvé pour un usage clinique que si des essais cliniques ont apporté des preuves convaincantes de son innocuité et de son efficacité

## Section 2: Comment fonctionne un essai clinique?

Les essais cliniques peuvent être classés en deux catégories. Les essais cliniques **interventionnels** consistent à administrer quelque chose au participant, par exemple un médicament, un nouveau dispositif ou un programme d'exercices. Les essais cliniques **observationnels** sont des essais où rien n'est administré au participant, mais où de l'information est enregistrée par le participant à un ou plusieurs moments. Un exemple de ce type d'essai est le registre des maladies.

### Phases de l'essai

Les essais cliniques interventionnels se déroulent en plusieurs étapes, appelées phases. Les traitements doivent démontrer leur efficacité, ou un bénéfice supérieur au risque, avant de passer à la phase suivante.

**Phase 1:** un nouveau traitement est généralement administré à un petit nombre de volontaires (~20-80). Cette phase vise à vérifier que le traitement peut être utilisé en toute sécurité chez l'homme et d'évaluer les éventuels effets secondaires. Dans les cas où le traitement est déjà utilisé pour d'autres conditions ou maladies, cette phase peut être omise.

**Phase 2:** un traitement est testé sur un nombre légèrement plus important de volontaires (~100-300) souffrant de la maladie pour laquelle le traitement est conçu. Cela permet de vérifier l'efficacité du traitement et d'ajuster les doses.

**Phase 3:** le nouveau traitement est testé sur un grand nombre de volontaires (~500-3000) atteints de la maladie. Cette phase vise à vérifier que le traitement est sûr et efficace pour une utilisation chez des personnes ayant des corps et des métabolismes différents, et qui sont à différents stades de la maladie.

### Approbation

Tous les essais cliniques doivent être examinés par un comité d'éthique de la recherche (CER) et, dans certains cas, par Santé Canada. Les CER sont des conseils indépendants qui approuvent et surveillent la recherche afin d'assurer une conduite éthique de la recherche impliquant des humains. Les CER s'assurent du respect des participants, de la protection du bien-être et du fait que les avantages de la recherche l'emportent sur les risques.



De plus, tout essai clinique impliquant un médicament, un produit de santé naturel, une thérapie biologique ou génétique et des dispositifs médicaux (tels que les SGC ou les pompes à insuline) doit être approuvé par Santé Canada.

### Recrutement et consentement éclairé



Lors du recrutement, les chercheurs expliqueront aux participants potentiels les avantages et les risques de l'essai. Les participants (ou un parent/tuteur légal) devront signer un formulaire de consentement pour montrer qu'ils ont compris les risques et qu'ils acceptent de participer. Les participants sont libres de quitter l'essai à tout moment, pour quelque raison que ce soit.

Les critères d'admissibilité sont définis pour tester le traitement dans le groupe de personnes qui en tireront le plus de bénéfices et présenteront le moins de risques. Ces critères s'élargissent généralement au fur et à mesure des phases.

### Interventions dans le cadre d'essais cliniques

Pour déterminer l'efficacité, les essais cliniques comparent le nouveau traitement à un traitement similaire actuellement utilisé ou à un placebo. Un placebo est un faux traitement : il est généralement conçu pour ressembler au vrai traitement, même pour le personnel médical et les chercheurs. Si la maladie est grave et qu'il n'y a pas de traitement disponible actuellement, le nouveau traitement peut être administré à tous les participants (par exemple, les essais de thérapie cellulaire du DT1).



Lorsque des traitements sont comparés, les chercheurs tentent de recourir à « l'aveuglement » pour minimiser les préjugés. Dans ce cas, les chercheurs et/ou les participants ne savent pas quel traitement ils reçoivent afin de minimiser l'impact de « l'effet placebo ».

### Résultats des essais cliniques



Une fois l'essai clinique terminé, les participants n'ont rien d'autre à faire. Les chercheurs analysent les données qu'ils ont recueillies et présentent souvent leurs résultats dans un article publié dans une revue scientifique. Les chercheurs ont tout intérêt à informer les participants des résultats de l'étude.

Ultimement, les résultats de l'essai peuvent signifier que le traitement peut passer à l'étape suivante des tests, ou que des preuves supplémentaires sont nécessaires avant que cela ne se produise. Après un essai clinique de phase 3, les résultats peuvent être soumis à Santé Canada pour approbation réglementaire, comme décrit à la [Section 1](#).



### Participer

La participation à un essai clinique peut apporter de grands avantages, tels que l'accès à un traitement innovant ou l'amélioration des soins médicaux, mais il est également important de se rappeler qu'il y a toujours des risques lors de l'essai d'un traitement. C'est pourquoi il est essentiel que toute personne participant à un essai comprenne à la fois les avantages et les risques. Il est important de toujours parler à votre équipe soignante de tout essai clinique auquel vous envisagez de participer. Ils pourront vous conseiller sur les risques et les avantages d'une participation à un essai clinique.

### Points clés

Participer à un essai clinique permet d'accélérer la recherche

Les essais cliniques sont essentiels pour tester l'innocuité et l'efficacité d'un nouveau traitement

Les essais cliniques sont menés pour de nouveaux médicaments, traitements ou dispositifs médicaux, mais aussi pour l'application d'un médicament existant à une nouvelle population ou à une nouvelle maladie, pour des interventions comportementales et pour la recherche observationnelle

Les essais cliniques se déroulent en trois phases afin de tester de manière approfondie l'innocuité et l'efficacité d'un nouveau traitement sur un nombre croissant de personnes

La participation à un essai clinique est entièrement volontaire et les participants peuvent quitter l'essai quand ils le souhaitent

Si vous participez à un essai, il se peut que vous ne receviez pas le nouveau traitement – il se peut que vous receviez le meilleur traitement actuellement disponible ou un placebo