

Vous (ou une personne de votre entourage) êtes atteint d'un cancer et votre médecin vous a proposé de participer à un essai clinique.

Nous vous donnons les premières clés pour comprendre les enjeux de la recherche clinique en oncologie et ainsi ceux de votre participation.

Avec le concours du Professeur Christophe Massard, Chef du Département d'Innovation Thérapeutique et d'Essais Précoces (DITEP) de Gustave Roussy (Villejuif).

Cette fiche ne se substitue pas aux recommandations de votre médecin, mais elle vise à répondre à vos premières questions.

PARTICIPER À UN ESSAI CLINIQUE

EN ONCOLOGIE

COLLECTION **COMPRENDRE ET AGIR**

QU'EST-CE QU'UN ESSAI CLINIQUE ?

Un essai clinique est une étude scientifique réalisée sur l'homme. C'est une étape indispensable et obligatoire au développement de nouveaux traitements contre le cancer. Elle permet d'évaluer, chez des personnes volontaires (bien souvent des patients et non des volontaires sains), des traitements élaborés et préalablement testés en laboratoire.

.....

Réalisé dans la continuité des étapes de recherche fondamentale et préclinique, un essai clinique a le plus souvent pour objectif **de s'assurer qu'un nouveau traitement est plus efficace que celui de référence et qu'il est bien toléré, ou parfois qu'il est aussi efficace mais mieux toléré.**

En cancérologie, on évalue ainsi les nouvelles molécules, leurs différents modes d'administration (par voie orale ou injection, fréquence...), les nouveaux protocoles de chirurgie, de radiothérapie... ou encore les associations de traitements, les parcours de prise en charge, etc. D'une durée variable, l'essai est lancé à l'initiative le plus souvent une structure telle qu'un centre hospitalier, un laboratoire pharmaceutique, un institut de recherche, une université, etc.

La tendance actuelle en cancérologie est de réunir les phases 1 et 2 d'un essai clinique (on parle alors d'« **essai de phase précoce** »). Depuis 2010, ces essais sont menés au sein des Centres labellisés INCa de phase précoce (CLIP²).



LES DIFFÉRENTES PHASES

Chaque candidat-médicament est testé dans plusieurs essais correspondant à différentes « phases ». À tout moment, l'essai peut s'arrêter si le nouveau traitement ne répond pas aux objectifs fixés ou si, à l'inverse, il devient évident que l'un des traitements est meilleur que l'autre. Un même patient ne participe pas à toutes les phases car les critères de participation changent d'une étape à l'autre.

.....



50 personnes maximum



une centaine de patients



des centaines à des milliers de patients, divisés en deux groupes par tirage au sort (randomisation)

❖ PHASE 1

- Étudier la tolérance de l'organisme au médicament et ses effets secondaires.
- Comprendre comment le médicament est transformé et éliminé par le corps.
- Déterminer la dose et le protocole d'administration auxquels le médicament montre des signes d'efficacité tout en entraînant le moins d'effets secondaires.

❖ PHASE 2

- Déterminer dans quelles indications le dosage et le protocole d'administration du médicament est le plus efficace.
- Évaluer la tolérance à court terme.

❖ PHASE 3

- Déterminer la tolérance (effets secondaires) et l'efficacité du médicament.
- Montrer que le traitement à l'essai est au moins aussi efficace que le traitement de référence. Un traitement qui n'est pas plus efficace mais qui a moins d'effets secondaires que le traitement de référence sera considéré supérieur à ce dernier.

Autorisation de mise sur le marché délivrée par l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) ou par l'Agence européenne du médicament (EMA) au niveau européen

❖ PHASE 4

- Signaler aux autorités de santé tout effet secondaire non répertorié (phase de **pharmacovigilance**).

LE PATIENT DANS L'ESSAI CLINIQUE

Participer à un essai clinique permet au patient d'accéder à un traitement innovant et le rend acteur de la recherche.

.....

Dans le cadre de l'essai clinique, le patient a plus de rendez-vous médicaux que pour les traitements usuels. En effet, les effets secondaires et l'efficacité du traitement doivent être étroitement surveillés par les médecins. C'est pourquoi de nombreux examens cliniques, sanguins et radiologiques sont également entrepris afin de vérifier le comportement de la tumeur face au nouveau traitement.

À la fin de l'étude, le patient est informé, s'il le désire, des résultats globaux de l'essai.

Le patient prend sa décision en toute liberté : le médecin lui transmet, oralement et par écrit, les informations nécessaires pour comprendre l'essai clinique ainsi que les risques encourus. Une fois bien informé, un formulaire de **consentement libre et éclairé** lui est remis. Après un délai de réflexion, ce formulaire est signé par le médecin et le patient. Celui-ci est toutefois libre d'interrompre sa participation à tout moment. Cette décision n'aura aucun impact sur la qualité de sa prise en charge. En France, toute personne qui participe à une recherche biomédicale est protégée par la loi Huriet Serusclat de 1988 (modifiée par la loi de santé publique du 9 août 2004) et la loi Jardé du 5 mars 2012 (dont le décret d'application est paru en novembre 2016), qui garantissent la sécurité des patients.

En France, toute personne
qui participe à une recherche biomédicale
est protégée par deux lois.

QUE DEVIENNENT LES DONNÉES COLLECTÉES ?

Toutes les informations personnelles recueillies au cours de l'essai sont confidentielles conformément au Règlement général de la protection des données. Elles sont enregistrées et conservées de façon anonyme dans une base de données.

De même, les médecins réalisent en général divers prélèvements biologiques : prise de sang, analyse d'urine, biopsie...

Après la fin de l'essai, ces échantillons peuvent être conservés de façon anonyme dans des centres de ressources biologiques pour être utilisés ultérieurement dans le cadre de la recherche médicale. Chaque participant est en droit de s'opposer à l'utilisation à des fins de recherche de ses données et échantillons après l'essai.



LA MISE EN PLACE D'UN ESSAI CLINIQUE

La mise en place d'un essai clinique est strictement encadrée pour assurer la sécurité des patients et répondre à des questions de recherche précisément posées.

.....

Un essai clinique nécessite une phase de préparation durant laquelle les chercheurs rédigent le **protocole de recherche**. Celui-ci doit être ensuite soumis à l'avis du **Comité de protection des personnes (CPP)** et à l'autorisation de l'**Agence nationale pour la sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM)**. Le CPP est indépendant et veille à la protection des patients et à la qualité de leur information. L'ANSM évalue, quant à elle, la sécurité et la qualité des produits utilisés au cours de la recherche, avec l'objectif de s'assurer que la sécurité des participants est garantie. Le travail d'expertise, de coordination et de mise en place pour obtenir les autorisations peut parfois prendre du temps, en particulier si l'essai est mené simultanément dans plusieurs centres.

Tout est fait pour garantir la sécurité et la qualité de l'étude, et s'assurer que la participation d'un patient ne puisse constituer une perte de chance pour lui.

Un essai clinique est le plus souvent conduit par un médecin qu'on appelle « **investigateur de l'essai** ». Il vérifie que le patient présente tous les critères requis (âge, sexe, antécédents médicaux, types de tumeur...), appelés « **critères d'inclusion** », propres à chaque essai. Le patient doit également être affilié à un régime de sécurité sociale ou être bénéficiaire d'un tel régime.

Tous les soins liés spécifiquement à l'essai sont à la charge financière du « **promoteur** » : c'est l'institution ou la société qui propose de mettre en œuvre un essai clinique qui en assure son financement.

MÉDECINE DE PRÉCISION UNE NOUVELLE FAÇON DE CONCEVOIR LES ESSAIS CLINIQUES ?

Professeur Christophe MASSARD
Chef du Département d'Innovation Thérapeutique et
d'Essais Précoces (DITEP) de Gustave Roussy (Villejuif).

“

La médecine de précision en oncologie permet d'adapter le traitement à chaque patient en fonction des caractéristiques moléculaires de sa tumeur. C'est une approche que l'on peut aujourd'hui proposer à toute personne qui présente un cancer avancé, métastatique, quelle que soit la localisation : sein, pancréas, poumon, prostate... On commence par un diagnostic moléculaire, visant à analyser la tumeur retirée chirurgicalement. L'objectif est de trouver les « clés » à actionner pour bloquer la progression du cancer. Ces clés sont en fait des anomalies moléculaires qui peuvent permettre, si elles sont présentes, de proposer des traitements particuliers : thérapie ciblée, immunothérapie ou chimiothérapie spécifique. Ces traitements sont rarement commercialisés et ne sont, en général, disponibles que dans le cadre d'un essai clinique. C'est pourquoi les patients concernés se voient proposer de participer à des essais cliniques particuliers.

Dans le domaine de la médecine de précision en oncologie, on distingue les essais « basket » (ou « panier ») et les essais « umbrella » (ou « parapluie »). Les essais « basket » incluent des patients dont la tumeur présente le même type d'anomalie moléculaire, quel que soit leur cancer : poumon, pancréas, côlon... On leur administre un traitement qui agit spécifiquement sur cette anomalie. Car certains cancers peuvent être traités par le même médicament si les tumeurs présentent le même défaut moléculaire. Les essais « umbrella », quant à eux, évaluent l'efficacité de plusieurs médicaments visant des cibles moléculaires différentes dans un seul type de cancer. Les patients recevront différents traitements en fonction des mutations qui affectent leur tumeur. Aujourd'hui, cette approche de médecine de précision a été validée par plusieurs essais et l'on peut penser qu'à terme le choix du traitement reposera davantage sur les anomalies moléculaires présentes dans la tumeur que sur sa localisation.

”

Le lexique

Essai préclinique

Étape de la recherche durant laquelle le traitement innovant, ou la nouvelle approche thérapeutique, est testé sur des modèles expérimentaux.

Randomisation

Répartition aléatoire en deux groupes des patients qui participent à un essai clinique : un groupe reçoit le nouveau traitement, l'autre celui de référence. Ces groupes sont les plus comparables possible. Les essais randomisés peuvent être réalisés en double aveugle : ni les patients volontaires ni les médecins ne connaissent la nature du produit administré.

Protocole

Description précise des conditions et du déroulement de l'essai clinique.

Comité de protection des personnes (CPP)

Comité d'éthique indépendant qui vérifie que l'essai clinique est conforme aux règles d'éthique et que tout a été mis en œuvre pour une protection optimale des participants.

OÙ S'INFORMER SUR LES ESSAIS CLINIQUES EN COURS ?

- www.e-cancer.fr, rubrique « Patients et proches » : essais cliniques en cancérologie ouverts en France.
- u-link.eu : essais cliniques en oncologie et hématologie pédiatrique ouverts en France.
- www.clinicaltrials.gov ou www.clinicaltrialsregister.eu : répertoires internationaux.

La Fondation ARC, reconnue d'utilité publique, est 100 % dédiée à la recherche sur le cancer.

Grâce à la générosité de ses donateurs et testateurs, elle alloue chaque année plus de 26 millions d'euros à des projets de recherche porteurs d'espoir pour les malades.

Son objectif : contribuer à guérir 2 cancers sur 3 en 2025.

La Fondation partage avec le plus grand nombre les avancées de la recherche et les transforme en connaissances utiles. Son action apporte à chacun les moyens de mieux prévenir, de mieux prendre en charge et de mieux comprendre la maladie.

Trois collections sont disponibles :

- **Sensibiliser et Prévenir**

pour sensibiliser aux risques et à la prévention des cancers.

- **Comprendre et Agir**

pour informer sur la maladie et la prise en charge.

- **Mieux vivre**

pour améliorer la qualité de vie pendant et après la maladie.



POUR DÉCOUVRIR ET COMMANDER GRATUITEMENT
TOUTES NOS PUBLICATIONS :

www.fondation-arc.org

LES RESSOURCES DE LA FONDATION ARC PROVIENNENT
DE LA GÉNÉROSITÉ DE SES DONATEURS ET TESTATEURS

POUR AGIR À NOS CÔTÉS, CONTACTEZ-NOUS AU :
01 45 59 59 09 ou contact@fondation-arc.org
ET RENDEZ-VOUS SUR : www.fondation-arc.org