

Ce que vous devez savoir sur les études de recherche clinique. (suite)

La participation à toute étude de recherche clinique est entièrement volontaire et vous pouvez vous retirer ou retirer votre enfant d'une étude de recherche clinique à tout moment pour quelque raison que ce soit. Avant de participer à une étude de recherche clinique, il est important de peser les risques et les avantages potentiels liés à la participation. Le personnel de l'étude vous informera sur les risques et les avantages potentiels de la participation à l'étude, ainsi que sur les effets secondaires possibles. Pour prendre une décision éclairée, recueillez autant d'informations que possible et discutez de toutes les questions que vous pourriez avoir avec vos fournisseurs de soins de santé ou ceux de votre enfant.

Pendant l'étude, vous travaillerez avec le personnel de l'étude, qui peut comprendre des médecins de l'étude, des membres du personnel infirmier de l'étude et d'autres membres du personnel de recherche.

Nous vous remercions de votre intérêt envers une possible participation à l'étude BRAVE.

**Nous nous engageons à renforcer notre culture d'inclusion
et d'appartenance, qui reflète les communautés où nous
exerçons nos activités et les patients que nous servons.**



Projet approuvé par le
CER du CHU de
Québec-Université Laval
(no MP-20-2026-8177)

BRAVE

L'étude BRAVE évalue une option de traitement
potentielle pour l'ataxie de Friedreich.

Si votre enfant a reçu un diagnostic d'ataxie de Friedreich (AF), il pourrait être admissible à l'étude BRAVE.

À propos de l'étude BRAVE.

L'étude BRAVE évalue l'innocuité d'un médicament à l'étude et son efficacité dans le traitement de l'ataxie de Friedreich (AF) chez les enfants âgés de 2 à 15 ans. Le médicament à l'étude est le seul traitement approuvé disponible pour l'AF chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus.

Le médicament à l'étude consiste en une capsule orale et sera comparé à un placebo. Un placebo a exactement la même apparence que le médicament à l'étude, mais il ne contient aucune substance active. Votre enfant sera réparti de manière aléatoire pour prendre soit le médicament à l'étude, soit le placebo une fois par jour.

Votre enfant aura plus de chances de recevoir le médicament à l'étude que le placebo. Ni vous, ni votre enfant, ni le personnel de l'étude ne saurez quel traitement lui a été attribué mais, en cas d'urgence, le personnel de l'étude peut le savoir rapidement.



Conception de l'étude.

L'étude BRAVE pourrait durer jusqu'à trois ans et comporte deux parties.

Partie 1

- **Sélection (28 jours)** – Le personnel de l'étude déterminera si votre enfant peut participer à l'étude. Il y aura une visite au centre d'étude.
- **Traitement (environ un an)** – Votre enfant sera réparti de manière aléatoire pour recevoir le médicament à l'étude ou le placebo sous forme de capsule orale. La capsule devra être prise une fois par jour avec l'aide d'un parent ou d'un aidant. Il y aura six visites au centre d'étude, une visite à domicile (ou au centre d'étude) et un appel téléphonique pendant la période de traitement. Il y aura également un appel téléphonique de suivi environ un mois après la dernière visite au centre d'étude pour les personnes qui ne participent pas à la partie 2. Au besoin, le personnel de l'étude pourrait planifier une visite supplémentaire pour votre enfant.

Si votre enfant termine la partie 1 de l'étude, il pourrait être admissible à la partie 2. Tous les participants à la partie 2 recevront le médicament à l'étude, même s'ils ont reçu le placebo dans la partie 1.

Partie 2

- **Prolongation ouverte (environ deux ans)** – Votre enfant a la garantie de recevoir le médicament à l'étude. Au cours des trois premiers mois, il y aura deux visites au centre d'étude, une visite à domicile (ou au centre d'étude) et un appel téléphonique. Ensuite, il y aura des visites d'étude environ tous les six mois jusqu'à la fin de l'étude. Il y aura également un appel téléphonique de suivi environ un mois après la dernière dose du médicament à l'étude. Au besoin, le personnel de l'étude pourrait planifier une visite supplémentaire pour votre enfant.

Visites d'étude.

Tout au long des périodes de l'étude, le personnel de l'étude effectuera des tests et des évaluations usuels pour assurer la santé de votre enfant et pour déterminer si le traitement à l'étude qui lui a été attribué fonctionne.

Certains de ces tests et évaluations comprennent :

- Évaluations de l'échelle d'évaluation de l'ataxie de Friedreich modifiée (Modified Friedreich Ataxia Rating Scale, mFARS) pour mesurer la progression de l'AF de votre enfant
- Collecte d'échantillons de sang et d'urine
- Mesures de la tension artérielle, du pouls et de la température corporelle
- Mesures de la taille et du poids
- Tests de grossesse (le cas échéant)
- Questionnaires sur la façon dont votre enfant se sent
- Échocardiogrammes (ÉCHO) et électrocardiogrammes (ECG) pour vérifier le fonctionnement du cœur de votre enfant

Ces tests et évaluations sont courants dans les études de recherche clinique et sont réalisés gratuitement. Le personnel de l'étude surveillera la santé de votre enfant pendant toute la durée de l'étude BRAVE. Votre enfant recevra le même niveau de soins, peu importe s'il reçoit le médicament à l'étude ou le placebo.

À propos du médicament à l'étude.

Le médicament à l'étude a été approuvé pour le traitement de l'AF chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus. L'étude BRAVE évalue l'innocuité du médicament à l'étude et son efficacité dans le traitement de l'AF chez les enfants âgés de 2 à 15 ans.

Le médicament à l'étude ou le placebo peut être administré par voie orale ou, si votre enfant n'est pas en mesure d'avaler des capsules entières, il peut être ouvert. Une fois ouvert, le contenu peut être saupoudré sur de la compote de pommes ou un autre aliment approuvé, lequel doit être confirmé par le médecin de votre enfant et remué jusqu'à ce qu'il soit bien mélangé.

Coût de l'étude.

Ni vous ni votre assureur ne devez assumer le coût des tests ou des procédures réalisés dans le cadre de l'étude clinique. Une assistance pour les déplacements peut être offerte au besoin.

Renseignez-vous pour savoir si votre enfant pourrait être admissible.

Si vous souhaitez que votre enfant participe à l'étude BRAVE, il doit :

- Être âgé de 2 à 15 ans
- Avoir reçu un diagnostic d'AF
- Ne pas être atteint de diabète non maîtrisé
- Ne pas avoir d'antécédents de maladie hépatique

Il y a d'autres exigences pour participer à l'étude, qui peuvent être expliquées par le personnel de l'étude.

Ce que vous devez savoir sur les études de recherche clinique.

Les études de recherche clinique ont pour but de répondre à des questions précises sur la façon dont les médicaments peuvent agir. Ces études sont le moyen par lequel les nouveaux traitements sont approuvés pour devenir accessibles aux patients qui en auront besoin à l'avenir. Vous devez vous sentir pleinement informé de ce à quoi vous pouvez vous attendre en participant à une étude de recherche clinique.

Les chercheurs mènent des études de recherche clinique pour :

- Répondre à des questions précises en matière de santé
- En apprendre plus sur les effets et l'innocuité d'un médicament à l'étude

Des règlements et des politiques ont été élaborés pour permettre de protéger les droits, la sécurité et le bien-être des personnes qui participent à des études de recherche clinique et pour s'assurer que ces études sont réalisées selon des principes scientifiques et éthiques stricts. Avant qu'une étude de recherche clinique puisse commencer, un comité d'examen de l'établissement (CEE) ou un comité d'éthique (CE) doit examiner et approuver l'étude.

