



ESSAIS CLINIQUE BOÎTE À OUTILS



**ATAXIE
ATAXIA
CANADA**

**Qui
sommes-
nous ?**

Ataxia Canada - Fondation Claude St-Jean est une organisation d'une histoire de plus de 50 ans. Tout a commencé avec l'engagement de Claude St-Jean, qui a choisi de ne pas rester inactif face à son diagnostic. Il a convaincu la communauté médicale de lancer des recherches qui sont aujourd'hui considérées comme les fondements modernes de la recherche sur l'ataxie.

Notre mission: améliorer le bien-être des personnes atteintes d'une ataxie familiale, contribuer à la recherche de traitements prometteurs
Notre vision: un monde où les personnes atteintes d'ataxie peuvent aspirer à une vie épanouissante grâce aux progrès de la recherche, au soutien et à l'inclusion au sein de la communauté canadienne.

ESSAIS CLINIQUES : INTRODUCTION

Que vous envisagiez de participer à un essai clinique, que vous souhaitiez jouer un rôle plus actif dans vos soins de santé, aider les chercheurs à en savoir plus sur l'ataxie ou simplement parce qu'il n'existe pas encore de traitement disponible pour l'ataxie au Canada, ce guide vous aidera tout au long de ce parcours.

Nous avons conçu ce guide afin d'aborder et de démystifier les préoccupations les plus courantes concernant les essais cliniques. Nous comprenons que le monde de la recherche médicale peut être complexe ! Nous sommes là pour vous donner les moyens d'agir grâce à des connaissances et des informations qui vous **permettront de prendre des décisions éclairées** ! En tant que patient envisageant de participer à un essai clinique, il est essentiel de poser les bonnes questions. Les termes « essais cliniques » et « études » sont souvent utilisés de manière interchangeable, ce qui prête à confusion pour de nombreux patients. Nous allons clarifier la distinction entre ces deux concepts, en expliquant en quoi les essais cliniques diffèrent des études observationnelles et d'autres types de recherche médicale.

Quelles sont les différentes étapes d'un essai clinique ?

Comprendre les différentes étapes d'un essai clinique peut être très instructif. Nous vous guiderons à travers chaque phase, de la recherche préclinique à la surveillance post-commercialisation, en mettant en lumière les étapes cruciales mises en œuvre pour garantir la sécurité et l'efficacité des nouveaux traitements.

Que signifie ce mot ?

Le jargon médical peut être déroutant, mais nous sommes là pour vous aider. Ce guide comprend un glossaire complet des termes couramment utilisés dans la recherche clinique. Fort de ces connaissances, vous pourrez aborder les complexités des essais cliniques avec confiance et compréhension.

Comment la sécurité est-elle contrôlée ?

Votre sécurité est primordiale, et nous voulons que vous soyez pleinement conscient des protocoles de sécurité rigoureux mis en place pendant les essais cliniques. Dans cette section, nous détaillerons les mesures prises pour surveiller votre bien-être tout au long de l'essai, afin que vous puissiez avoir confiance dans le processus.

Quelles sont les règles de conduite à respecter lors d'essais cliniques ?

Participer à un essai clinique implique certaines responsabilités et règles de conduite. Nous vous fournirons des informations précieuses sur ce à quoi vous pouvez vous attendre et sur la manière d'être un participant proactif et engagé, afin de favoriser une expérience positive pour vous-même et pour les autres.

Grâce à ce guide, vous disposerez des connaissances et de la confiance nécessaires pour naviguer dans le monde de la recherche clinique. N'oubliez pas que votre participation à des essais cliniques est essentielle pour faire progresser la science médicale et améliorer la vie des personnes atteintes d'ataxie. Il s'agit néanmoins d'une décision importante et personnelle, qui implique des responsabilités importantes et une analyse des risques et des avantages qui doit être discutée avec votre équipe médicale.

Ensemble, embrassons cette voie de découverte et d'espoir. Merci de nous confier votre parcours.

François-Olivier Théberge
Directeur général – Ataxie Canada



RECHERCHE CLINIQUE

ESSAI VS ÉTUDE

ESSAIS CLINIQUES

- Interventionnels.
- Impliquent de tester un médicament, un traitement ou un dispositif médical.
- En général, il n'est pas possible de participer à plus d'un essai clinique à la fois.

POURQUOI LES ESSAIS CLINIQUES SONT-ILS IMPORTANTS ?

- Les essais cliniques sur les maladies rares sont essentiels pour recueillir des données sur les traitements potentiels, car les informations disponibles sont souvent limitées en raison de la rareté de la maladie.
- En participant à ces essais, les patients contribuent à l'avancement des connaissances scientifiques, ce qui pourrait bénéficier aux générations futures touchées par les mêmes maladies rares.



ÉTUDE CLINIQUE

- Observationnelle.
- Comprend :
 - Études sur les biomarqueurs.
 - Études d'histoire naturelle.
- Description / mesure / observation de la maladie.
- Aucune intervention n'est testée : aucun médicament, aucun traitement, aucun dispositif.
- Le consentement éclairé s'applique toujours.
- Permet d'évaluer un moment précis ou une période donnée (longitudinal).

POURQUOI LES ÉTUDES CLINIQUES SONT-ELLES IMPORTANTES ?

- Définir les meilleures pratiques cliniques pour l'ataxie afin de fournir le plus haut niveau de soins cliniques aux patients.
- Recueillir des données pour mieux comprendre la progression de l'ataxie et quantifier les changements au fil du temps.
- Créer et valider des mesures de résultats (par exemple, tests de marche chronométrés, tests de vision) pour les futurs essais cliniques.
- Élargir le réseau de centres de recherche axés sur l'ataxie, afin de rendre la conception et la mise en œuvre des essais cliniques plus efficaces.
- Collecter des échantillons biologiques (prélèvements buccaux, sang) afin d'identifier des biomarqueurs, d'étudier leur rôle dans le processus pathologique et de suivre les changements au fil du temps.
- Les données d'histoire naturelle du FACOMS ont été précieuses pour fournir des données supplémentaires sur le groupe témoin, ce qui a conduit à l'approbation de la demande d'autorisation de l'omaveloxolone après un refus initial à la suite d'essais cliniques.

QUEL EST LE PROCESSUS D'ACCÈS D'UN MÉDICAMENT ?

- CALENDRIER : Un médicament ou un traitement n'est mis à la disposition de la communauté qu'après un processus long et complexe comportant plusieurs étapes.
- À tout moment, pour quelque raison que ce soit, le programme de développement d'un médicament peut être suspendu ou annulé.
- Accès au Canada : Chaque pays a son propre processus d'approbation réglementaire. Lorsqu'un médicament ou un traitement est approuvé dans un pays, cela ne signifie pas qu'il sera soudainement disponible dans le monde entier.



DÉCOUVERTE

Un concept susceptible d'aider les personnes est identifié en laboratoire.



ÉTUDES PRÉCLINIQUES

La découverte est validée sur des modèles animaliers.



ÉVALUATION RÉGLEMENTAIRE

L'organisme de réglementation examine les études précliniques et le plan proposé pour les études chez l'homme.



ESSAIS CLINIQUES

Si les bénéfices potentiels semblent l'emporter sur les risques, des essais cliniques peuvent alors être menés sur des êtres humains.



APPROBATION RÉGLEMENTAIRE

S'assurer que les médicaments sont sûrs et efficaces.



ACCÈS

Accès aux médicaments grâce à la fabrication, la distribution, la formation des prestataires et la collaboration avec les payeurs de soins de santé.

ESSAIS CLINIQUES TERMES À CONNAÎTRE LE JARGON !



COHORTE

Groupe de personnes qui participent ensemble à l'étude. Elles peuvent appartenir à différents bras de l'étude, mais font partie de la même cohorte.



ÉTUDE CROISÉE

Participants qui reçoivent initialement un placebo mais qui ont accès au traitement plus tard dans l'essai.



DÉBUT DIFFÉRÉ

Les individus sont soit randomisés pour recevoir le traitement au début de l'étude, soit reportés à un moment précis.



DOUBLE INSU

Tous les participants, chercheurs, cliniciens et promoteurs ignorent à quel groupe de l'étude appartient le participant. Aucun d'entre eux ne sait quel traitement reçoit un participant.



ÉTUDE OUVERTE

Les participants, les chercheurs et les prestataires de soins de santé savent tous quel traitement est administré au participant.



CONTRÔLÉE PAR PLACEBO

Un groupe reçoit le traitement actif, l'autre reçoit le placebo. Tout le reste est identique entre les deux groupes. Les résultats ou la sécurité est attribuée au traitement actif.



RANDOMISÉE

Étude expérimentale dans laquelle les participants sont répartis de manière aléatoire entre les différents groupes de l'étude. Réduit les biais.



BRAS D'ÉTUDE

Chaque agent thérapeutique (ou placebo) constitue un groupe d'étude. Exemples de groupes d'étude : placebo, faible dose, forte dose.



ÉVÉNEMENTS INDÉSIRABLES

Problème médical imprévu survenant pendant un essai clinique. Il peut être léger, modéré ou grave.



BIO-MARQUEURS

Caractéristiques pouvant être mesurées de manière précise et reproductible. Il peut s'agir d'un indicateur de processus biologiques normaux ou de la progression d'une maladie.



ÉTUDE D'EFFICACITÉ

Efficacité. Capacité d'un médicament ou d'un traitement à produire un effet.



CRITÈRE DE JUGEMENT

Mesure(s) prévue(s) importante(s) pour évaluer la sécurité ou l'effet d'un traitement. Les critères d'évaluation primaires et secondaires sont définis avant le début de l'essai.



PLACEBO

Le placebo est une substance inoffensive qui n'a aucun effet thérapeutique. Il est utilisé comme contrôle.



ARRÊT DE L'ÉTUDE

Interruption d'un essai avant son achèvement. Peut concerner un site ou l'ensemble de l'étude. Peut être décidée par le promoteur, le site, le comité d'éthique ou Santé Canada.



TOLÉRABILITÉ

Le degré auquel les effets indésirables d'un médicament ou d'un traitement peuvent être tolérés par les participants.



SEVRAGE

Période pendant laquelle les participants doivent interrompre un traitement en cours avant de pouvoir être admissibles à l'essai.



RETRAIT

Personne qui cesse de participer à un essai. Le participant peut choisir de se retirer ou les chercheurs peuvent exiger qu'il cesse de participer.



OBSERVATIONNELLE

Recueil des informations sur l'état de santé actuel. Pas de médicaments, d'interventions ou de traitements.



INTERVENTIONNELLE

Une expérience qui teste si un nouveau médicament, dispositif, intervention ou traitement est sûr et/ou efficace.



PREMIÈRE CHEZ L'HUMAIN

Essai de phase 1 : lorsqu'un nouveau médicament est testé pour la première fois chez des humains. Le traitement aura été testé sur des cellules et des animaux, mais pas encore sur des êtres humains.



DUA

Dose unique croissante. Les participants d'une cohorte reçoivent une dose unique. Si les effets secondaires sont minimes, une nouvelle cohorte reçoit une dose unique plus élevée.



DMA

Dose ascendante multiple. Les participants d'une cohorte reçoivent une dose à plusieurs reprises. Si les effets secondaires sont minimes, une nouvelle cohorte reçoit une dose plus élevée à plusieurs reprises.



ÉTUDE D'EFFICACITÉ

Phase 2 ou phase 3. Objectif : déterminer si le médicament est efficace dans le traitement d'un symptôme spécifique.



ÉTUDE INITIÉE PAR CHERCHEUR

Le médecin ou le chercheur universitaire lance et mène l'étude. Aucun commanditaire industriel.



ÉTUDE D'ENREGISTREMENT

Essai clinique destiné à fournir des données suffisantes pour appuyer le dépôt d'une demande d'autorisation auprès d'une agence réglementaire.



ÉTUDE DE SÉCURITÉ

Établit la sécurité à court ou à long terme. Ou, si un médicament est réutilisé, l'étude de sécurité confirme la sécurité dans la maladie ciblée.

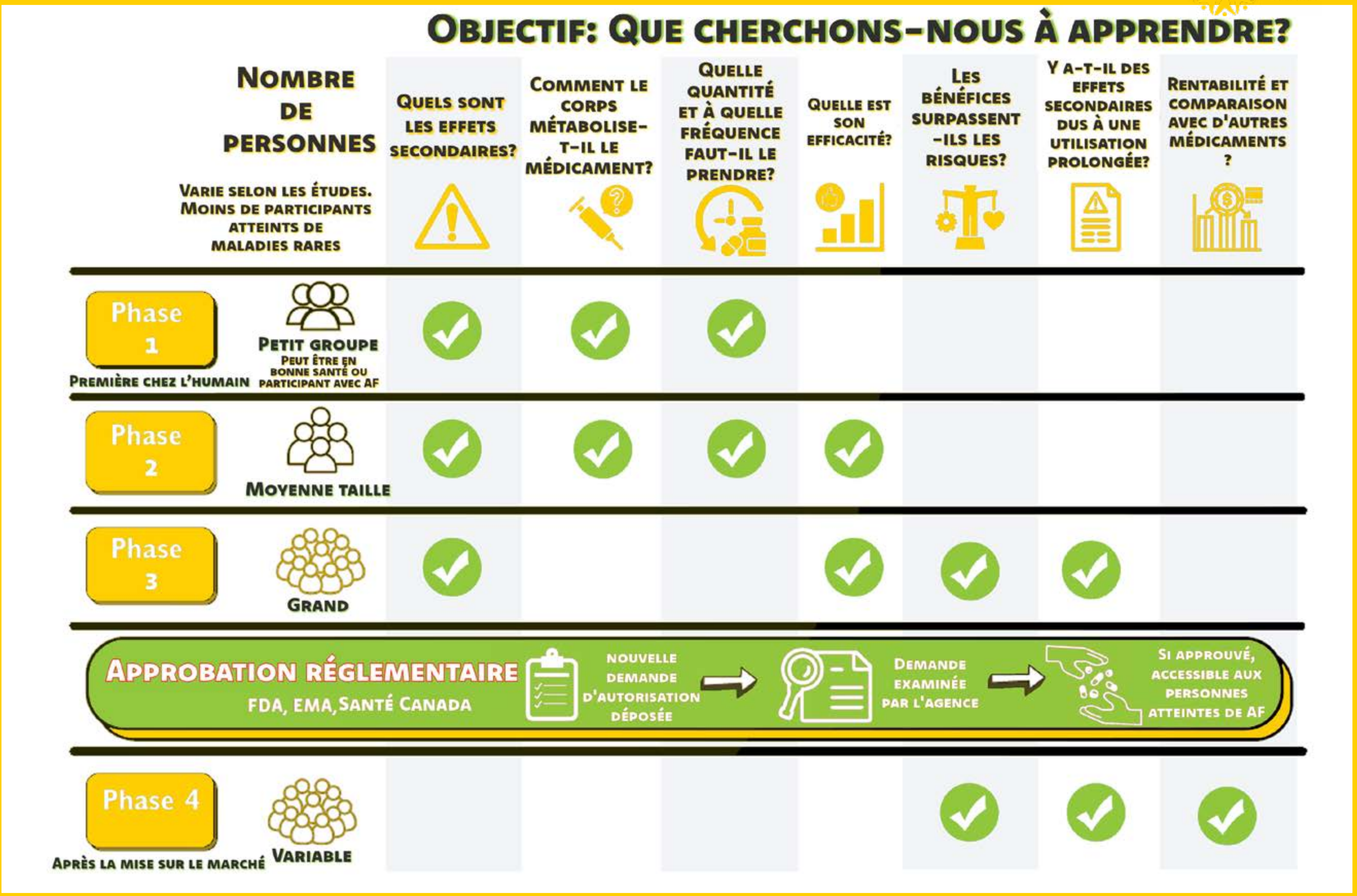


ATAXIE
ATAXIA
CANADA

Il est essentiel de demander à votre médecin ou au chercheur principal des explications sur les termes médicaux que vous ne connaissez pas dans le cadre d'un essai clinique afin de bien comprendre et de prendre des décisions éclairées concernant votre santé.

PHASES DES ESSAIS CLINIQUES

CALENDRIER :
ENTRE LA PREMIÈRE
ADMINISTRATION CHEZ L'HUMAIN
ET LA MISE À DISPOSITION
DU MÉDICAMENT DANS LES
PHARMACIES DU MONDE ENTIER,
LE PROCESSUS PEUT PRENDRE
PLUSIEURS ANNÉES



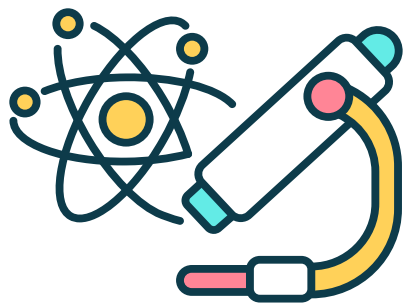
SURVEILLANCE DE LA SÉCURITÉ DANS LES ESSAIS CLINIQUES : RÔLES ET RESPONSABILITÉS



AVANT LES ESSAIS CLINIQUES

Promoteur de l'étude

- Assume la responsabilité et lance l'essai.
- Élabore un protocole, y compris des lignes directrices pour la surveillance de la sécurité.
- Les promoteurs sont habituellement des sociétés pharmaceutiques.



Organismes de réglementation (FDA, EMA, Santé Canada)

- Fournit des lignes directrices et des conseils pour la conception et la supervision des essais.
- Examine les données précliniques afin d'évaluer la sécurité.



Comité d'éthique institutionnel

- Chaque équipe chargée de l'étude procède à son propre examen institutionnel ou éthique.
- Garantit le consentement éclairé.
- Le document explique clairement le protocole de l'étude et les risques/avantages potentiels.



Comité de surveillance de la sécurité des données

- Mis en place par le promoteur de l'étude. Comprend des experts cliniques.
- Peut inclure des membres de la communauté des personnes atteintes d'ataxie.



Équipe chargée de l'étude du site

- Évalue les dossiers médicaux des participants potentiels.
- Les cliniciens déterminent si les participants potentiels peuvent participer à l'essai en toute sécurité.



Rôle du participant

- Écoute attentivement le protocole et les risques/avantages lors du consentement éclairé.
- Pose des questions ou clarifie toute information que vous lisez ou qui vous est communiquée par l'équipe en charge.



PENDANT LES ESSAIS CLINIQUES

- Communique régulièrement avec l'équipe chargée de l'étude sur le site.
- Si un « événement indésirable » est signalé : l'examiner en temps réel et le signaler au comité de surveillance de la sécurité des données et aux agences réglementaires.

- Reçoit des notifications régulières du promoteur de l'étude concernant les problèmes de sécurité liés à l'étude.
- Assure la surveillance réglementaire, y compris la possibilité de recommander la suspension de l'étude en cas de problème grave de sécurité.

- Assure la supervision et le suivi.
- Approuve toute modification du protocole de l'étude qui pourrait survenir pendant la durée de l'étude.

- Surveille et examine toutes les données de l'étude tout au long de l'essai.
- Recommande des mesures à prendre si un risque pour la sécurité est détecté.
- REMARQUE : les événements indésirables n'entraînent pas nécessairement l'arrêt de l'étude.

- Surveille la santé des participants pendant l'étude.
- Évalue tous les problèmes signalés et communique avec le comité d'éthique et le promoteur de l'étude.
- Peut retirer des participants de l'étude en cas de problème de sécurité.

- Respecte le protocole de l'étude.
- Se rend aux rdv à la clinique.
- Se soumet aux procédures convenues.
- Alerte l'équipe chargée de l'étude sur le site en cas de problèmes liés à la santé et à la sécurité.
- La participation est volontaire.

PENDANT UN ESSAI CLINIQUE

ÉTIQUETTE : À FAIRE ET À NE PAS FAIRE

OUI



Parler de l'essai

- Informez votre famille et vos amis que vous participez à un essai clinique.

Conformité

- Suivez le protocole. Si vous avez des questions, appelez le site.

Suivi

- Renseignez-vous sur le nombre de visites, les tests qui seront effectués et toutes les autres exigences auxquelles vous devrez vous conformer.

Bonne volonté

- Faites part de vos préoccupations. Si quelque chose ne correspond pas à vos attentes, posez des questions.
- Faites preuve de résilience et de patience tout au long du processus.

NON



Parler de l'essai

- Si l'essai est mené en aveugle, ne partagez pas votre opinion sur les effets du médicament ou du traitement. Cela pourrait compromettre l'intégrité de la recherche.

Conformité

- Ne faites pas de suppositions.
- Ne menez pas votre propre étude dans le cadre de l'étude.
- Ne modifiez pas votre traitement médicamenteux, votre supplémentation en vitamines, etc. sans en parler au coordinateur.

Suivi

- Ne perdez pas l'intérêt pour l'étude avant de l'avoir terminée.
- La participation est volontaire. Si vous décidez de vous inscrire, il est important de participer pleinement jusqu'à la fin de l'essai (en supposant qu'il n'y ait pas d'effets indésirables, etc.).

Bonne volonté

- Ne vous laissez pas décourager par les obstacles logistiques qui se dressent sur votre chemin.
- Gardez à l'esprit qu'il s'agit d'une recherche. C'est peut-être la première fois que ce test est réalisé, etc. Il y aura une courbe d'apprentissage, et vous pouvez contribuer à l'améliorer.



**ATAXIE
ATAXIA
CANADA**

Ataxie Canada –Fondation Claude St-Jean

4388 Saint-Denis, suite 200
Montreal, QC, H2J 2L1

Téléphone: 514-321-8684
Sans Frais: 1-855-321-8684

ataxie@lacf.org
lacf.org

No : 107600132 RR0001