

# Qu'est-ce qu'un essai clinique ?

**Pour qu'un nouveau médicament soit mis à la disposition des médecins et des malades, il est nécessaire de procéder à son évaluation la plus rigoureuse possible. Les essais cliniques servent à effectuer cette évaluation chez l'homme, selon des règles scientifiques, éthiques et réglementaires très précises.**

Avant qu'un nouveau médicament ne voie le jour, 10 ans de recherches sont en moyenne nécessaires. Son élaboration doit en effet répondre à toutes une série de critères, dont les principaux sont bien sûr d'être efficace et le mieux toléré possible. Pour y parvenir, chercheurs et médecins doivent suivre un grand nombre d'étapes, qui vont d'études en laboratoire (sur des cellules par exemple) jusqu'à l'expérimentation chez l'homme. Cette dernière s'effectue dans le cadre d'essais cliniques (on parle aussi d'essais thérapeutiques).

## Un cadre précis

Un essai clinique consiste à étudier l'effet d'un médicament actif contre une maladie chez des personnes qui en sont atteintes. Mais pour que les observations recueillies puissent être valides et apporter des informations intéressantes, il est indispensable que l'essai soit réalisé de manière organisée et codifiée. Il est en effet nécessaire que tous les médecins qui participent à un essai travaillent dans les mêmes conditions et de la même manière.

La médecine n'est pas une science exacte. L'effet d'un médicament peut être différent d'une personne à une autre. On ne peut ainsi affirmer qu'un traitement est efficace s'il a été donné à une seule personne et que celle-ci a guéri. Il faut au contraire proposer ce traitement à un grand nombre de personnes et voir si, en prenant en compte l'évolution de l'état de santé de toutes ces personnes, il est possible de conclure à une efficacité du traitement.

## Les principales règles

Un essai doit répondre à une question précise. Par exemple, ce médicament est-il plus efficace qu'un médicament ayant déjà montré son efficacité ? Dans ce cas, l'essai va consister à comparer les deux médicaments.

Un essai doit être réalisé chez des personnes ayant des caractéristiques communes. Si on compare deux traitements chez des personnes atteintes d'un cancer du côlon, mais que le stade de la maladie est très différent entre les patients qui auront pris le médicament A et



ceux qui auront reçu le médicament B, la comparaison ne sera pas valide. Les personnes à qui il est proposé de participer à un essai sont ainsi sélectionnées en fonction de critères d'inclusion et de non-inclusion. Les conditions de suivi et de prise en charge doivent être identiques pour tous les patients qui sont entrés dans l'essai.

L'éthique doit être respectée. Cela signifie qu'un essai ne doit pas pénaliser a priori les personnes qui y participent.

Pour chaque essai, l'ensemble des règles est indiqué dans un document appelé protocole.



## Des acteurs bien identifiés

Un essai clinique n'est pas réalisé par n'importe qui. Ce sont obligatoirement des médecins qui proposent à leurs patients d'entrer dans un essai et de les suivre dans le cadre de ce dernier. Ces médecins sont alors les investigateurs de l'essai. Ils sont sélectionnés en fonction de leur compétence et de leur lieu d'exercice. La majorité des essais cliniques en cancérologie sont réalisés par des médecins hospitaliers.

L'un de ces médecins est l'investigateur principal ou coordinateur. C'est généralement lui qui a proposé l'essai et qui a écrit le protocole. Il gère l'ensemble de l'essai et est en relation directe avec le promoteur.

Ce dernier est le plus souvent une institution ou un laboratoire pharmaceutique. Le promoteur est en quelque sorte le maître d'œuvre de l'essai. Il en assure l'organisation et le financement, ainsi que toutes les responsabilités au regard de la loi.

## Une durée variable

La durée d'un essai clinique dépend du type de médicament évalué, de la maladie contre laquelle il est utilisé, du nombre de personnes qui y participent et du temps pendant lequel ces personnes sont suivies. En cancérologie, les essais durent souvent plusieurs années. En effet, on ne peut généralement mesurer l'effet d'un traitement (une chimiothérapie par exemple) qu'après un certain délai ; 3 à 5 ans dans la majorité des cas. Par ailleurs, tous les participants ne sont pas inclus dans l'essai au même moment, surtout s'ils sont plusieurs centaines. Ainsi, il peut arriver que certains participants finissent leur suivi alors que d'autres le commencent tout juste. Enfin, il faut compter avec le temps nécessaire pour analyser l'ensemble des informations recueillies au cours de l'essai.

## Une loi pour vous protéger

Depuis 1988, il existe en France une loi qui encadre la réalisation des essais cliniques. Cette loi, qui porte le nom de ses deux auteurs, les sénateurs Huriet et Sérusclat, définit toutes les obligations qui s'imposent aux médecins et aux promoteurs réalisant des essais. Elle a notamment mis en place des Comités de Protection des Personnes qui sont chargés d'examiner tous les projets d'essais avant leur lancement.

Depuis peu (avril 2004), cette loi a été harmonisée au niveau de l'ensemble de l'Europe.

### A retenir

- *Un essai clinique est un ensemble de règles et de procédures que se donnent les médecins qui le réalisent pour répondre à une question médicale.*
- *Des essais cliniques sont systématiquement réalisés sur les nouveaux médicaments, avant qu'ils ne soient autorisés à la prescription. Ces essais permettent une évaluation rigoureuse et précise de leur activité et de leur tolérance.*
- *Tous les essais cliniques conduits en France respectent une loi sur la recherche biomédicale qui protègent notamment les droits des patients qui y participent.*

## Les différents types d'essais

Au cours de sa mise au point, un nouveau médicament fait l'objet de plusieurs essais successifs. Chaque essai répond à un objectif précis et ses résultats déterminent la poursuite (ou l'abandon) des recherches.

On distingue ainsi quatre grands types d'essais :

- **Les essais de phase I** : ils sont réalisés dans des centres spécialisés, sur un petit nombre de personnes. Il s'agit généralement de personnes non-malades. L'objectif est essentiellement d'étudier comment le médicament évalué se diffuse dans l'organisme et de déterminer la dose maximale tolérée, c'est-à-dire la dose la plus forte que l'on peut donner sans que les effets indésirables deviennent trop importants.
- **Les essais de phase II** : ils sont réalisés auprès d'un nombre plus important de personnes qui sont, cette fois, atteintes de la maladie contre laquelle le médicament étudié est actif. Ces essais visent essentiellement à déterminer la meilleure dose, à répertorier les effets indésirables et à s'assurer que l'activité du médicament est conforme à celle attendue.
- **Les essais de phase III** : ce sont les essais qui permettent de déterminer l'efficacité d'un nouveau médicament. Ils sont réalisés avec la participation d'un grand nombre de patients, souvent plusieurs centaines. Dans ces essais, le nouveau médicament est généralement comparé à un traitement dont l'efficacité est déjà prouvée. Cela permet de savoir s'il est plus actif et/ou mieux toléré que ce dernier. C'est sur la base des résultats des essais de phase III que les nouveaux médicaments sont autorisés ou non à la prescription. Si les résultats sont favorables, ils reçoivent alors une autorisation de mise sur le marché (AMM)
- **Les essais de phase IV** : ce sont des essais réalisés après que le nouveau médicament a été mis à la disposition des médecins et des patients. Ils visent essentiellement à mieux connaître sa tolérance dans des conditions réelles d'utilisation.

## LA QUESTION DE... Nadine R., 55 ans

“ Si je participe à un essai clinique, j'ai l'impression que je deviendrais un cobaye. Est-ce que je me trompe ? ”

Entrer dans un essai n'est jamais une obligation, vous êtes tout à fait libre d'accepter ou de refuser, sans que cela ne change en rien les relations que vous avez avec votre médecin. Par ailleurs, la loi sur la recherche biomédicale protège vos droits. Aucun essai ne peut être autorisé s'il ne respecte pas vos droits, en particulier celui de bénéficier du meilleur traitement possible pour vous. Enfin, vous recevez des informations sur l'essai avant de décider d'y entrer ou non et vous serez informé de ses résultats. Plutôt qu'un cobaye, vous serez le partenaire des médecins qui conduisent l'essai.