

# Les essais cliniques en cancérologie : les réponses à vos questions

PARTICIPER À UN ESSAI  
CLINIQUE EST-IL UTILE  
POUR FAIRE PROGRESSER  
LA RECHERCHE ?

PARTICIPER À UN ESSAI  
CLINIQUE DONNE-IL PLUS  
DE CHANCES D'AVOIR  
LE MEILLEUR TRAITEMENT ?

QUELS SONT LES RISQUES  
ET LES BÉNÉFICES  
À PARTICIPER À UN ESSAI  
CLINIQUE ?

# Sommaire

## LES ESSAIS CLINIQUES EN CANCÉROLOGIE *p. 4*

- Des premiers tests en laboratoire
- Les différentes phases des essais cliniques

## LE DÉROULEMENT D'UN ESSAI CLINIQUE *p. 6*

- Qui est à l'initiative d'un essai clinique ?
- Qui mène l'essai clinique ?
- Tous les malades sont-ils concernés ?
- Participer à un essai clinique est-il utile pour faire progresser la recherche ? *p. 9*
- Suis-je libre de participer à l'essai clinique que l'on me propose, et puis-je changer d'avis même après avoir accepté ? *p. 9*
- En participant à un essai clinique, ai-je plus de chances d'avoir le meilleur traitement ? *p. 10*
- Est-ce que j'encours des risques particuliers à participer à un essai clinique ? *p. 10*
- Quels bénéfices aurai-je à participer à un essai clinique ? *p. 11*
- Serai-je bien informé(e) pour prendre ma décision en toute liberté ? *p. 12*

## POUR PLUS D'INFORMATIONS *p. 13*

## LEXIQUE *p. 14*

## Les essais cliniques en cancérologie

Ils ont pour but l'évaluation de nouveaux traitements du cancer. En effet, avant de proposer de nouveaux traitements à tous les patients concernés, il faut s'assurer qu'ils sont efficaces et bien tolérés.

Les essais cliniques (appelés aussi « essais thérapeutiques » ou « études cliniques ») doivent notamment évaluer :

- des nouveaux médicaments ou associations de médicaments (contre la maladie ou ses effets secondaires\*);
- des nouvelles façons de les administrer (par comprimés plutôt que par injection, par exemple);
- des nouvelles techniques de traitement (nouveau type d'opération chirurgicale ou de radiothérapie\*, par exemple) ou de diagnostic (nouveau test biologique, par exemple).

### DES PREMIERS TESTS EN LABORATOIRE

Quand un nouveau médicament est découvert, il est d'abord mis au point dans un laboratoire, puis testé sur l'animal (c'est la recherche préclinique).

Si les résultats de ces tests se révèlent favorables, on pourra alors envisager de proposer à des personnes malades de participer, avec leur accord, à son évaluation. Cette évaluation, réalisée avec la collaboration de patients, s'appelle un essai clinique.

### LES DIFFÉRENTES PHASES DES ESSAIS CLINIQUES

Pour garantir la sécurité des malades et la rigueur scientifique, les essais cliniques comprennent plusieurs étapes (ou phases) qui sont chacune destinées à recueillir des informations spécifiques sur le nouveau traitement.

Les essais de **Phase I** ont pour objectif d'évaluer la tolérance d'un tout nouveau médicament, et donc la tolérance de l'organisme au traitement, dans le but de déterminer la dose recommandée. Le traitement évalué est administré à un petit nombre de malades (10 à 40).

Les essais de **Phase II** évaluent l'efficacité d'un traitement. Ils nécessitent en général l'inclusion de 40 à 80 malades.

Les essais de **Phase III** sont des essais comparatifs. Ils permettent de comparer le nouveau traitement avec le traitement utilisé habituellement, dit « traitement de référence » ou « traitement standard »\*. Deux groupes de patients sont constitués par tirage au sort (randomisation\*), ce qui permet de constituer des groupes homogènes et comparables (âge, sexe, caractéristiques de la maladie...) : l'un recevra le traitement de référence, l'autre le nouveau traitement. Ce n'est donc pas le médecin qui décide de l'attribution de l'un ou l'autre des traitements à son patient. Ces

essais nécessitent l'inclusion d'un grand nombre de malades (plusieurs centaines ou milliers de malades) pour établir une différence entre les traitements.

Si les données et résultats de ces essais sont en faveur du nouveau traitement, cela permet de constituer un dossier d'enregistrement qui sera soumis aux autorités de santé afin qu'elles délivrent l'autorisation de mise sur le marché (AMM) qui autorise la commercialisation du nouveau traitement.

Quand le médicament est commercialisé, il fait encore l'objet d'une surveillance étroite appelée pharmacovigilance. Ainsi, tout signe anormal inattendu dû à son administration fait l'objet d'une déclaration à l'Agence Française de Sécurité Sanitaire des Produits de Santé (Afssaps). C'est ce qu'on appelle les essais de **Phase IV**.

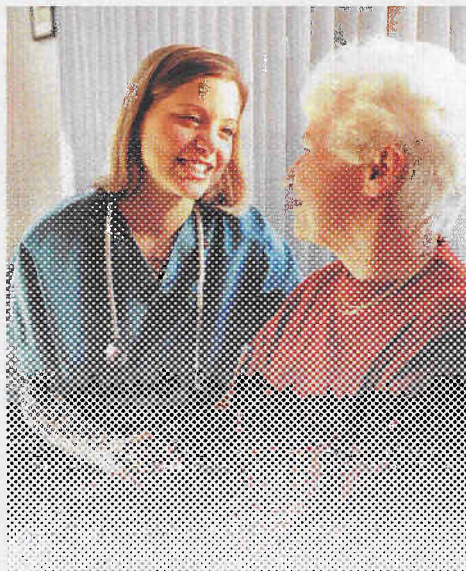
*N.B. Le malade ne participe pas à toutes les phases de manière successive mais se voit proposer de participer à un essai dans l'une des quatre phases, en fonction de critères très précis.*

Traitement de référence = traitement standard  
Traitement expérimental = nouveau traitement

## Le déroulement d'un essai clinique

### QUI EST À L'INITIATIVE D'UN ESSAI CLINIQUE ?

On appelle « promoteur » de la recherche l'institution qui propose de mettre en œuvre un essai. Il peut s'agir d'une université, d'une institution de recherche privée ou publique ou d'une firme pharmaceutique. Un essai clinique peut être mis en place sur le territoire français mais est souvent mené au niveau européen, voire international.



### DEUX ORGANISMES DE CONTRÔLE :

- > LE COMITÉ DE PROTECTION DES PERSONNES ;
- > L'AGENCE FRANÇAISE DE SÉCURITÉ SANITAIRE DES PRODUITS DE SANTÉ.

Le promoteur de la recherche doit déposer une demande d'avis auprès d'un Comité de Protection des Personnes\* (CPP). Ce comité d'éthique indépendant est chargé de revoir l'objectif, le schéma du traitement et le déroulement de l'essai. Outre des personnes qualifiées en matière de recherche biomédicale, de santé, d'éthique et de législation, chaque CPP compte également deux représentants des associations agréées de malades et d'usagers du système de santé. Le Comité donne un avis, en particulier sur la pertinence de la recherche, la protection et l'information des personnes qui vont y participer. L'essai clinique ne débutera qu'après avis favorable du CPP et autorisation de l'Agence Française de Sécurité Sanitaire des Produits de Santé (Afssaps) qui garantit, au travers de ses missions de sécurité sanitaire, l'efficacité, la qualité et le bon usage des produits de santé, et notamment du médicament.

## QUI MÈNE L'ESSAI CLINIQUE ?

Un essai clinique est conduit par un médecin qu'on appelle investigateur\* de l'essai. C'est lui qui propose au patient de participer à l'essai, lui fournit toutes les explications nécessaires et le suit durant toute sa durée.

### L'ÉQUIPE MÉDICALE QUI PREND SOIN DU MALADE

Dans un essai clinique, le malade est entouré d'une équipe qui prend soin de lui, disponible pour l'informer, l'écouter, répondre à ses questions et à ses attentes : l'investigateur de l'essai, l'infirmière, l'attaché(e) de recherche clinique ou ARC (qui aide le médecin investigateur à l'inclusion et au suivi des malades), un psychologue si le malade en exprime le besoin, et le médecin traitant, tenu régulièrement informé des résultats de l'essai.

## TOUS LES MALADES SONT-ILS CONCERNÉS ?

Les patients qui pourront entrer dans un essai clinique devront remplir un certain nombre de critères, appelés « critères d'inclusion » qui sont propres à chaque essai clinique.

Chaque essai a un objectif précis, c'est pourquoi certains malades, et pas d'autres, se verront proposer de participer à un essai et cela en raison de certaines de leurs caractéristiques, comme par exemple le type ou la taille de leur tumeur.



## Participer à un essai clinique est-il utile pour faire progresser la recherche ?

Oui, la participation des malades à des essais cliniques est une contribution indispensable à la découverte de nouveaux traitements et de nouvelles stratégies qui pourront bénéficier à un grand nombre de personnes touchées par le cancer.

Les progrès réalisés en médecine, et notamment dans les traitements contre le cancer, sont le fruit de la recherche clinique garants d'un niveau de preuve scientifique, grâce à des essais menés avec rigueur et méthode. Cependant, il reste encore de nombreuses situations qui démontrent l'incertitude et l'insuffisance des thérapeutiques actuelles. De nombreux progrès restent à accomplir, tant dans la recherche de nouveaux traitements que dans l'élaboration de nouvelles stratégies thérapeutiques.

Il faut aussi noter que, grâce à la loi du 4 mars 2002 relative aux droits des malades et à la qualité du système de santé (dite loi Kouchner), les personnes qui ont participé à une recherche dans le cadre d'un essai clinique peuvent demander à être informées, à l'issue de cette recherche, de ses résultats globaux.

## Suis-je libre de participer à l'essai clinique que l'on me propose, et puis-je changer d'avis même après avoir accepté ?

Votre participation est libre et volontaire. Même après avoir accepté de participer à un essai, vous serez libre de le quitter à tout moment et votre médecin vous proposera alors un autre traitement adapté à votre maladie. Cette décision ne changera rien à l'engagement de l'équipe médicale pour traiter votre maladie.

## En participant à un essai clinique, ai-je plus de chances d'avoir le meilleur traitement ?

Participer à un essai clinique ne représente aucune perte de chance par rapport au traitement administré en dehors d'un essai clinique. Cette participation offre néanmoins la possibilité d'avoir accès, dans certains cas, aux traitements les plus innovants.

Néanmoins, si vous refusez de participer à l'essai clinique qui vous est proposé, cette décision sera sans conséquences sur la prise en charge de votre maladie, sur vos relations avec votre médecin et l'équipe soignante, et sur la qualité des soins qui vous seront prodigués.

## Est-ce que j'encours des risques particuliers à participer à un essai clinique ?

Comme pour tout traitement, les traitements utilisés dans les essais cliniques peuvent entraîner des effets secondaires\*. Ceux-ci sont le plus souvent connus et répertoriés, mais il peut arriver que certains symptômes, particulièrement rares, n'aient pas encore été signalés, même si des études approfondies ont déjà été effectuées en laboratoire avant que ces essais ne soient menés sur l'homme. Aussi, des contrôles et des examens supplémentaires pour rechercher des effets indésirables inattendus peuvent être nécessaires et ajouter des contraintes pour le malade.

Toutes les modalités de prise en charge et de suivi d'un patient qui entre dans un essai clinique sont définies avec précision et soumises à diverses réglementations (nationales et internationales) et à des organismes de contrôle très rigoureux.

---

### LA LOI GARANTE DE LA SÉCURITÉ DES PATIENTS

*En France, tout participant à un essai clinique est protégé par la loi relative à la protection des personnes qui se prêtent à une recherche bio-*

*médicale, dite loi Huriet-Serusclat de 1988, modifiée par la loi de santé publique du 9 août 2004.*

L'équipe médicale continuera, tout au long de l'étude, à vous fournir toutes les explications utiles sur la nature et le déroulement du traitement.

Les effets secondaires varient d'un patient à l'autre : dans les essais comparatifs de Phase III, ils sont en général comparables à ceux observés avec les traitements de référence ; ils sont pour la plupart temporaires et disparaissent une fois le traitement terminé.

## Quels bénéfices aurai-je à participer à un essai clinique ?

Participer à un essai clinique, c'est la possibilité d'avoir accès à un traitement innovant.

C'est aussi un encadrement spécifique de la prise en charge et un suivi adapté et rigoureux, pendant et après la fin du traitement.

Les médecins qui effectuent un essai clinique suivent scrupuleusement un plan de traitement (plan thérapeutique\*). Ce plan définit toutes les modalités de l'essai (critères d'inclusion, durée, calendrier du traitement, examens complémentaires...). Le plan thérapeutique\* prévoit également une surveillance du patient tout au long du déroulement de l'essai afin de vérifier l'efficacité et la tolérance du traitement. En conséquence, tous les médecins et infirmières qui collaborent à un essai clinique suivent en permanence le malade afin de vérifier que le traitement produit les bénéfices escomptés et d'intervenir immédiatement si le moindre effet secondaire apparaissait.

S'agissant de nouveaux traitements, les personnes malades qui prennent part à des études cliniques sont donc suivies avec une grande rigueur pendant toute la durée de l'essai clinique, mais aussi après la fin du traitement.



## Serai-je bien informé(e) pour prendre ma décision en toute liberté ?

Oui, avant toute participation à un essai clinique, le médecin délivre au patient une information orale puis il lui remet obligatoirement une note d'information écrite qui liste les bénéfices attendus et les risques potentiels. Cette notice peut parfois paraître compliquée à comprendre, mais n'hésitez pas à revenir vers votre médecin pour qu'il vous l'explique. Vous pourrez ainsi avoir connaissance de toutes les informations nécessaires pour comprendre l'essai et réfléchir aux raisons de votre participation en prenant le temps de la réflexion nécessaire à votre décision. Vous serez également informé(e) des alternatives possibles si vous ne rentrez pas dans l'essai.

Seuls les patients qui y consentent, après avoir reçu toutes les informations nécessaires pour comprendre l'essai clinique, peuvent y participer. Il est donc impossible d'être inclus dans un essai sans le savoir.

Votre consentement libre, écrit et éclairé, sera recueilli dans un formulaire de consentement transmis par votre médecin. Ce formulaire concrétisera votre accord et attestera que vous avez bien reçu les informations concernant l'étude. Il sera signé par vous-même et par votre médecin.

### PARTICIPER OU NON : VOTRE LIBRE CHOIX

Vous ne devez pas hésiter à demander des explications sur tout ce qui ne vous paraît pas clair. Et si, après réflexion, vous ne souhaitez pas participer à l'essai, vous êtes tout à fait en droit de refuser. Cela ne réduira en rien le dévouement de votre médecin et du personnel soignant à votre égard.

---

*Deux documents obligatoires pour l'information et le consentement du patient : la notice d'information et le formulaire de consentement éclairé.*

## UNE LIBERTÉ DE QUITTER L'ESSAI QUAND ON LE SOUHAITE

Si le traitement administré dans le cadre d'un essai clinique n'aide pas la personne malade, le médecin peut décider de la retirer de l'étude et lui proposer un autre traitement. Le malade est libre également de demander à tout moment de quitter un essai clinique. Cette décision serait alors sans conséquences sur la prise en charge de la maladie, sur les relations du malade avec son médecin et l'équipe soignante, ou sur la qualité des soins.



## POUR PLUS D'INFORMATIONS

Institut National du Cancer : [www.e-cancer.fr](http://www.e-cancer.fr) Espace « Les essais cliniques »

La Ligue Nationale Contre le Cancer : [www.ligue-cancer.net](http://www.ligue-cancer.net)

Cancer Info Service, une ligne téléphonique d'information et d'écoute dédiée aux personnes malades et à leurs proches : **0810 810 821** (coût d'un appel local)

## Lexique

**CHIMIOTHÉRAPIE** (chimio) : traitement général du cancer à l'aide de médicaments. Ces médicaments visent à détruire les cellules cancéreuses ou à les empêcher de se multiplier, entraînant leur destruction. Les médicaments de chimiothérapie peuvent être administrés par piqûres, perfusions ou, parfois, sous forme de comprimés.

**CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ** : on dit que la personne malade donne son consentement éclairé lorsqu'elle donne son accord pour participer à une étude ou un essai clinique en ayant reçu toutes les informations sur le but de l'essai, les bénéfices et les risques qui y sont associés.

**COMITÉ DE PROTECTION DES PERSONNES (CPP)** : comité dont le rôle est de vérifier, avant la mise en œuvre d'un projet de recherche, que celui-ci obéit aux grandes règles de l'éthique et que toutes les mesures sont prises pour protéger au mieux les personnes qui y participeront, cette participation ne pouvant être que volontaire et librement consentie après qu'une information claire leur ait été donnée.



**EFFET SECONDAIRE** : les traitements ont pour but de soigner le cancer. Parfois, ils entraînent des conséquences désagréables pour le patient qu'on appelle des effets secondaires. Il y a deux types d'effets secondaires : les effets secondaires immédiats et les effets secondaires tardifs.

Si les effets secondaires sont fréquents, ils n'apparaissent pas de façon obligatoire ni systématique. Ils dépendent des traitements reçus, des doses administrées, du type de cancer et de la façon dont chacun réagit aux traitements.

**INVESTIGATEUR** : un investigateur est un médecin, et aussi un spécialiste expérimenté de recherche clinique, qui prépare un protocole ou un plan de traitement dans le cadre d'un essai clinique, et qui le réalise chez des malades.

**PLAN THÉRAPEUTIQUE** : ensemble de différents traitements réalisés dans un ordre bien défini (par exemple, une chirurgie peut précéder une chimiothérapie).

**RADIOTHÉRAPIE** : « traitement local » du cancer à l'aide d'un appareil qui émet des rayons. Ces rayons, dirigés vers la tumeur, vont la détruire. Ce traitement se fait dans un service spécialisé de radiothérapie. On parle aussi de rayons ou de séance de rayons.

**RANDOMISATION** : tirage au sort (informatisé ou à partir de tables de répartition) du traitement attribué dans un essai clinique « randomisé », après information et consentement du patient. La randomisation permet de constituer des groupes de patients aussi comparables que possible.

**TRAITEMENT DE RÉFÉRENCE OU TRAITEMENT STANDARD** : traitement (ou autre intervention) couramment utilisé et considéré comme étant efficace sur la base d'études précédentes. Il s'agit du meilleur traitement connu.