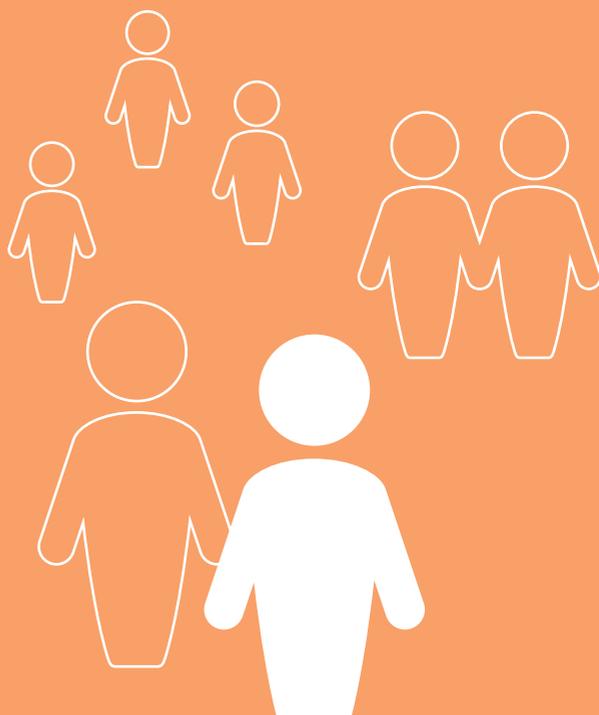
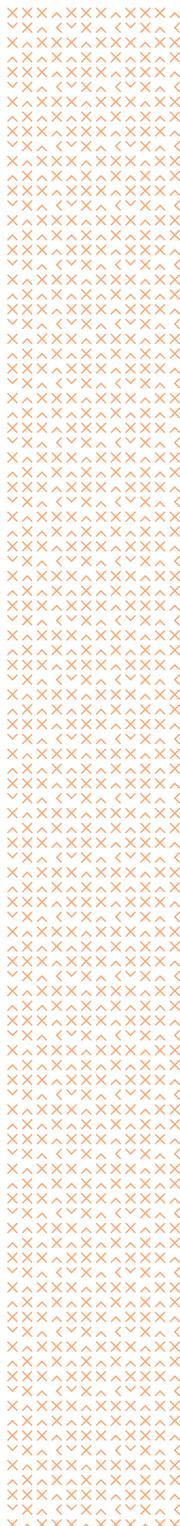


Novartis Pharmaceuticals



Informations essentielles sur les essais cliniques

Ce que les personnes intéressées (patients, parents ou amis) souhaitent savoir à propos des essais cliniques.



Introduction

Choisir de participer à un essai clinique est une décision personnelle importante. Les questions et réponses qui suivent vous apporteront des éléments d'information utiles. Avant de prendre une telle décision, vous pouvez en discuter personnellement avec votre médecin traitant, votre famille, vos amis ou des membres d'associations de patients. Par la suite, vous pouvez obtenir de plus amples informations en contactant le médecin responsable de l'essai par l'intermédiaire de votre médecin traitant.

Cette brochure est destinée aux personnes intéressées, patients, parents ou amis, hommes ou femmes, qui souhaitent en savoir plus sur les essais cliniques de médicaments en Suisse.

Associations de patients approuvant l'information contenue dans cette brochure :



Muskelgesellschaft

muskelkrank & lebensstark

Schweizerische Muskelgesellschaft

Kanzleistrasse 80

8004 Zürich

Téléphone: 044 245 80 30

E-mail: info@muskelgesellschaft.ch

www.muskelgesellschaft.ch

PRORARIS



Alliance Maladies Rares – Suisse
Allianz Seltener Krankheiten – Schweiz
Alleanza Malattie Rare – Svizzera

ProRaris

Sulgeneckstrasse 35

3007 Berne

Téléphone: 031 331 17 33

E-mail: contact@proraris.ch

www.proraris.ch



Schweizerische Psoriasis- und Vitiligo-Gesellschaft (SPVG)

Société Suisse du Psoriasis et du Vitiligo (SSPV)

Postfach 1

3000 Bern 22

Téléphone: 031 359 90 99

E-mail: info@spvg.ch

www.spvg.ch



Retina Suisse

Die Selbsthilfeorganisation von Menschen mit Retinitis pigmentosa (RP), Makuladegeneration, Usher-Syndrom und anderen degenerativen Netzhauterkrankungen

Retina Suisse, Beratungsstelle Zürich

Ausstellungsstrasse 36
8005 Zürich
Téléphone: 044 444 10 77

Retina Suisse, Service de Consultation Lausanne

Av. de France 15
1007 Lausanne
Téléphone: 021 626 86 52
E-mail: info@retina.ch
www.retina.ch



Associazione Cefalea Ticino

Un sostegno per chi soffre di mal di testa

Associazione Cefalea Ticino

Annalisa Lentini
Casella postale 1902
6830 Chiasso 1
Téléphone: 079 759 49 61
www.cefaleaticino.ch



Schweizerische Gesellschaft für Cystische Fibrose (CFCH)
Société Suisse pour la Mucoviscidose (CFCH)
Società Svizzera per la Fibrosi Cistica (CFCH)

Société Suisse pour la Mucoviscidose (CFCH)

Altenbergstrasse 29
Case postale 686
3000 Berne 8
Téléphone: 031 313 88 45
E-mail: info@cfch.ch
www.cfch.ch/fr

Table des matières

Questions et réponses pour une participation éclairée		Page
1	Qu'est-ce qui pourrait me faire envisager de participer à un essai clinique?	8
2	Où puis-je trouver des informations sur les essais cliniques en Suisse?	9
3	Qu'est-ce qu'un essai clinique?	10
4	Quel est l'objectif d'un essai clinique?	11
5	Quelles sont les différentes phases de développement clinique?	12
6	Quelles sont les autorités chargées d'évaluer si l'essai peut être mené sur l'être humain?	14
7	Quelles sont les informations importantes à connaître sur l'essai clinique?	16
8	Qu'entend-on par conception d'un essai clinique?	17
9	Qu'entend-on par évaluation d'un essai clinique?	19
10	Quels sont mes interlocuteurs en tant que participant à l'essai clinique?	20
11	Comment puis-je accéder aux informations importantes sur l'essai qui m'aideront à décider si je souhaite ou non y participer?	21
12	Puis-je participer à l'essai?	25
13	Puis-je intégrer l'essai clinique à n'importe quel moment?	26

14	Quels sont mes droits et mes obligations en tant que participant?	29
15	Quels sont les bénéfices et les risques liés à la participation à un essai clinique?	30
16	Comment est assurée la confidentialité de mes données personnelles?	32
17	Comment sont prises en charge les procédures médicales expérimentales et celles standard de l'essai clinique?	31
18	Que se passe-t-il si le médicament a des effets sur ma maladie?	32
19	Que se passe-t-il une fois que toutes les données de l'essai ont été recueillies?	33
20	Qu'est-ce qu'une sous-étude génétique?	34
21	Quel est mon traitement au terme de l'essai clinique?	36

Notes personnelles	37
---------------------------	----

Témoignages de participants à un essai clinique	40
--	----

Glossaire	44
Tous les mots en gras sont expliqués dans le glossaire	

Références	47
-------------------	----

1 | Qu'est-ce qui pourrait me faire envisager de participer à un essai clinique ?

La participation à un **essai clinique** implique une démarche active de votre part quant à votre santé, vous donnant potentiellement accès à de nouveaux traitements avant que ceux-ci ne soient accessibles à tous. En participant à un essai clinique, vous contribuez également à la recherche scientifique et aidez ainsi les personnes atteintes de la même maladie, non seulement en Suisse mais aussi dans le monde entier. Vous devez prendre en compte que les bénéfices du traitement expérimental peuvent ne pas avoir été démontrés et que vous pourriez donc ne retirer aucun bénéfice personnel d'une participation à l'essai clinique.



2 | Où puis-je trouver des informations sur les essais cliniques en Suisse ?

Les promoteurs d'essais cliniques publient les informations utiles sur les essais à destination des personnes intéressées et des professionnels de la santé sur des sites web accessibles au public.

<http://kofam.ch> est le portail de l'Office Fédéral de la Santé Publique (OFSP) consacré à la recherche sur l'être humain en Suisse.¹ Sur ce site web, vous trouverez non seulement des informations sur tous les essais réalisés en Suisse mais aussi des informations sur la réglementation encadrant la recherche sur l'être humain en Suisse.

Le site web <https://clinicaltrials.gov>, appartenant à l'Institut national américain de la santé (National Institute of Health) est un registre international et une base de données de résultats des essais cliniques menés sur l'être humain dans le monde entier, financés par les secteurs public et privé.²

Les informations disponibles sur ces deux sites web sont périodiquement mises à jour. C'est pourquoi il est conseillé de les consulter régulièrement. Votre médecin traitant pourra vous aider à aborder toutes les questions. Si nécessaire, votre médecin contactera directement le promoteur de l'essai pour obtenir de plus amples informations.

3 | Qu'est-ce qu'un essai clinique ?

En vertu de la Loi fédérale relative à la recherche sur l'être humain (LRH), un essai clinique est un projet de recherche mené sur des personnes qui ont un rôle actif dans l'essai.³ Les essais cliniques sont également appelés études interventionnelles dans le sens où elles visent à évaluer l'effet d'une **intervention** d'ordre sanitaire (produit médical, dispositif médical, irradiation ou intervention chirurgicale) sur une affection médicale.

Les essais cliniques s'opposent à deux autres types d'études :

- 1) les études observationnelles dans lesquelles des personnes sont observées dans le cadre d'une prise en charge médicale standard, et
- 2) les projets de recherche basés sur des données personnelles et/ou du matériel biologique, sans implication des personnes auxquelles ils appartiennent.

	Éssai clinique	Étude observationnelle	Projet de recherche
Évaluation de l'intervention d'ordre sanitaire			
Évaluation de la prise en charge médicale standard			
Évaluation des données personnelles et/ou de matériel biologique			

4 | Quel est l'objectif d'un essai clinique ?

La recherche clinique est la deuxième étape du développement, au cours de laquelle un produit est validé comme médicament. La recherche débute en laboratoire (recherche fondamentale) pour étudier l'effet du produit sur des lignées cellulaires et des animaux afin de déterminer son efficacité et sa sécurité d'emploi. Ce n'est qu'une fois cette phase terminée avec succès que les produits avec les résultats biologiques les plus prometteurs passent à la deuxième étape, la recherche clinique, où ils seront évalués au cours d'essais cliniques de médicament sur l'être humain. Tout au long du développement clinique, de plus en plus d'informations sont recueillies sur le traitement expérimental, sur ses risques et sur son efficacité (ou sur son manque d'efficacité). Tandis que la sécurité d'emploi d'un **médicament** est évaluée par des tests de laboratoire, des examens radiologiques et des tests fonctionnels, l'efficacité d'un médicament est, pour sa part, évaluée par des mesures propres à la maladie pour laquelle le médicament est étudié.

Lorsqu'un produit entre en développement clinique, seules des informations limitées sont disponibles. C'est pourquoi le développement d'un médicament nécessite une progression en quatre phases. Chaque phase a des objectifs différents qui permettent de répondre aux questions des chercheurs.

L'essai vise à répondre à des questions scientifiques telles que:

- Quelle dose du traitement expérimental est associée à une modification de la maladie?
- Le traitement expérimental affecte-t-il un aspect donné de la maladie (amélioration ou détérioration)?
- Dans quelle mesure le traitement expérimental est-il tolérable?
- Le traitement expérimental est-il associé à des effets indésirables?

5 | Quelles sont les différentes phases du développement clinique ?

Le développement clinique d'un médicament pour une maladie courante est le suivant:

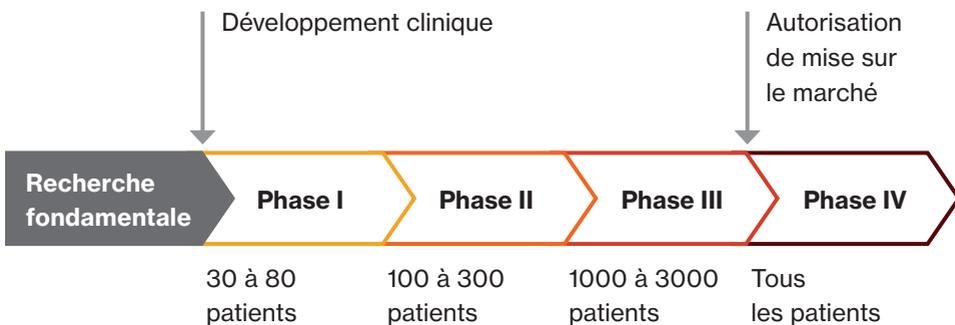
Dans les essais de **phase I**, les chercheurs étudient un traitement expérimental pour la première fois sur un petit groupe de personnes (20 à 80), afin d'évaluer comment il est absorbé, distribué, transformé et éliminé par l'organisme, afin d'identifier la voie d'administration et la posologie optimales. À ce stade, les sujets de l'essai sont généralement des volontaires sains.

Dans les essais de **phase II**, le traitement expérimental est administré à un plus grand groupe de personnes (100 à 300), afin d'évaluer son efficacité et d'approfondir l'évaluation de sa sécurité d'emploi. À partir de cette phase, les sujets de l'essai sont des patients atteints de la maladie pour laquelle le médicament est en cours de développement.

Dans les essais de **phase III**, le traitement expérimental est administré à un groupe de patients encore plus grand (1000 à 3000) afin de confirmer son efficacité, d'évaluer les effets secondaires, de comparer le traitement expérimental à un comparateur, traitement standard existant, ou en l'absence de traitement standard, à un placebo, et de recueillir des informations qui permettront d'utiliser le médicament ou le traitement, de la manière la plus efficace possible pour le patient.

Les essais de **phase IV** sont menés une fois que l'autorisation de mise sur le marché a été accordée. Ils ont pour but de collecter des informations supplémentaires sur les risques, les bénéfices ou l'utilisation optimale du médicament.

Le développement clinique d'un médicament pour une maladie rare peut être légèrement différent. Le rapport risques/bénéfices pour les patients atteints d'une maladie chronique invalidante sans alternative thérapeutique peut être différent de celui pour les patients atteints d'une maladie courante, permettant ainsi un accès précoce des patients à des essais de Phase 1. Aussi, pour les essais cliniques de médicaments pour le traitement de maladies rares, le nombre de participants peut être inférieur et certaines phases de développement peuvent être combinées.



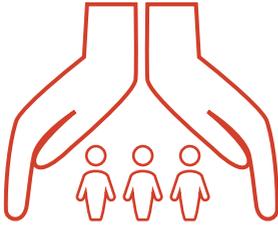
6 | Quelles sont les autorités chargées d'évaluer si l'essai peut être mené sur l'être humain ?

La recherche clinique en Suisse est soumise à des obligations spécifiées par des directives internationales et des normes fédérales et cantonales.³⁻⁸ Ces normes garantissent publiquement que les droits, la sécurité et le bien-être des participants sont protégés et que les données recueillies sont fiables. Toutes les parties impliquées sont tenues au strict respect de ces normes.

En qualité de signataire des traités internationaux, la Suisse a mis en œuvre les principes et les interdictions de deux textes internationaux légalement contraignants, la Convention européenne des droits de l'homme de 1974 et la Convention sur les droits de l'homme et la biomédecine de 1999, qui protègent la dignité, les droits et la liberté de l'être humain.⁴⁻⁵ Les normes suisses relatives à la recherche clinique respectent également la législation dite souple qui réglemente les aspects éthiques, la Déclaration d'Hel-sinki de l'Organisation mondiale de la santé, les Bonnes pratiques cliniques et les Directives internationales en matière d'éthique pour la recherche biomédicale impliquant des sujets humains du Conseil des organisations internationales des sciences médicales.⁶⁻⁷

Les mêmes principes ont été mis en œuvre dans la législation fédérale. La loi suisse réglemant la recherche clinique menée sur l'être humain (Loi relative à la recherche sur l'être humain, LRH) et son ordonnance ont été introduites en 2011 et revues en 2014.^{3,8}

L'ordonnance d'organisation concernant la loi relative à la recherche sur l'être humain réglemente le fonctionnement d'organismes indé-



pendants, dénommés **commissions d'éthique**.⁹ Les commissions d'éthique sont constituées de professionnels du monde médico-scientifique ainsi que des professionnels d'autres milieux non-médico-scientifiques, dont la responsabilité est d'assurer la protection des droits, de la sécurité et du bien-être des sujets humains engagés dans un essai.

En Suisse, les commissions d'éthique sont sous la responsabilité des cantons et exercent leur autorité dans leur canton/région en coordination avec les autres commissions éthiques pour les essais cliniques multicentriques.

Swissmedic, l'institut suisse des produits thérapeutiques, est l'autorité suisse rattachée au Département fédéral de l'intérieur, responsable de l'autorisation et de la supervision des produits thérapeutiques, évaluant la qualité, la sécurité d'emploi et l'efficacité des médicaments et des dispositifs médicaux.¹⁰ Swissmedic enregistre, valide et surveille toutes les études cliniques.

Un essai clinique ne peut être mené en Suisse que lorsque les commissions éthiques responsables et Swissmedic ont approuvé la mise en place de l'essai clinique. Depuis le lancement du nouveau portail en ligne pour la soumission aux commissions d'éthique, BASEC (Business Administration System for Ethics Committees) en 2016, les essais approuvés sont automatiquement publiés sur le portail de l'Office fédéral de la santé publique pour la recherche sur l'être humain en Suisse <http://kofam.ch>.¹

7 | Quelles sont les informations importantes à connaître sur l'essai clinique ?

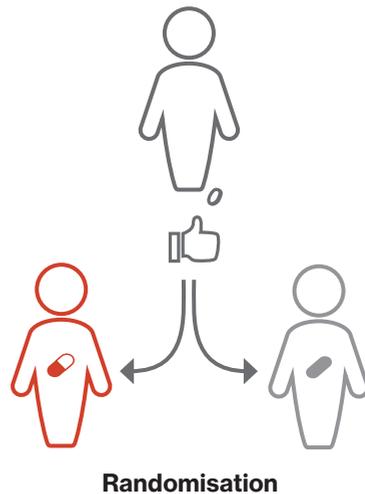
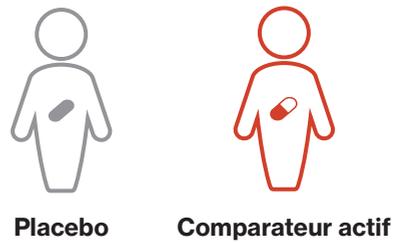
Les informations importantes concernent tous les aspects de l'essai, puisque le patient y joue un rôle actif. Un essai clinique est un projet de recherche unique défini par des objectifs spécifiques, la **conception de l'essai**, le médicament expérimental (y compris ses risques et bénéfices – voir question 15), les évaluations de l'essai (voir question 9), la population étudiée (critères d'inclusion et d'exclusion – voir question 12). Toutes les informations propres à l'essai sont rassemblées dans un document appelé «protocole de l'essai», mis à la disposition du médecin responsable de l'essai et des membres de son équipe. Pour rendre le contenu du protocole accessible aux possibles participants, celui-ci est résumé dans la feuille d'information leur permettant de donner leur **consentement éclairé** (voir question 11).

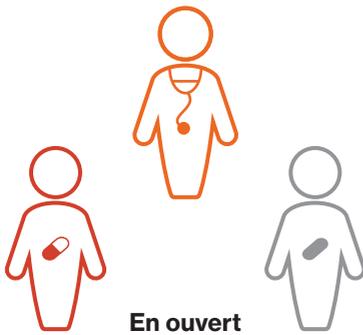
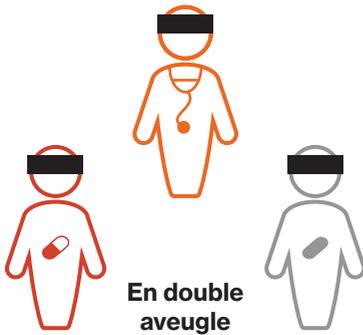
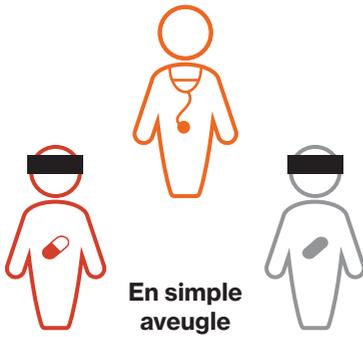
8 | Qu'entend-on par conception d'un essai clinique?

La conception de l'essai définit la structure de l'essai clinique. Elle est choisie dans le but d'optimiser les conditions de l'essai, d'atteindre ses objectifs et de répondre aux questions posées.

Afin d'évaluer les effets d'un produit, il peut être nécessaire de le comparer à un produit inactif (**placebo**) ou à un autre médicament (**comparateur actif**).

Pour rendre la comparaison possible sans être soumis à l'influence d'un quelconque autre facteur, les patients sont répartis de manière aléatoire à un **groupe de traitement** donné. La **randomisation** est une procédure au cours de laquelle on attribue aléatoirement les participants à un groupe expérimental, traité avec le produit expérimental ou à un groupe contrôle, placebo ou médicament actif.





Le traitement en aveugle est une procédure au cours de laquelle, la nature du traitement n'est pas révélée au personnel de l'essai clinique, ou aux participants, ou aux deux. En **simple aveugle** signifie que seuls les patients ne connaissent pas la nature du traitement auquel ils ont été assignés. En **double aveugle** signifie que ni les patients, ni les investigateurs, ni, dans certains cas, les analystes des données, ne connaissent la nature du traitement auquel les patients ont été assignés.

Le traitement **en ouvert** est une procédure au cours de laquelle le personnel de l'essai clinique et les participants sont informés de la nature du traitement.

9 | Qu'entend-on par évaluation d'un essai clinique ?

L'**évaluation** désigne une mesure de l'effet du produit étudié, comme son efficacité et sa sécurité d'emploi. L'évaluation comprend des mesures d'éléments biologiques dans le sang, dans les urines ou dans tout autre échantillon biologique. Elle comprend également des informations recueillies pendant l'examen physique, comme la tension artérielle et le pouls; des informations recueillies dans le cadre d'examens radiologiques, comme la longueur d'un os; ou encore pendant des tests fonctionnels, comme la mesure de la vitesse de marche. Le choix de l'évaluation peut être basé sur des travaux préalables ou en cours, démontrant que l'évaluation est adaptée pour mesurer un effet du produit sur la maladie en question. Les évaluations de même que leur calendrier, sont définis dans le protocole, et présentés sous forme simplifiée dans la feuille d'information destinée au participant.

	Jour 1	Jour 8	Jour 15	Jour 22
Poids	×	×	×	×
Taille	×			
Tension artérielle	×	×	×	×
Taux de glycémie	×	×	×	×

10 | Quels sont mes interlocuteurs en tant que participant à l'essai clinique ?

L'**équipe soignante** de l'essai comprend le médecin responsable de l'essai, également appelé **investigateur principal**, ainsi que ses collaborateurs, c.-à-d. médecins, infirmiers, coordinateurs, techniciens, soignants et travailleurs sociaux. L'investigateur principal peut déléguer une partie ou l'ensemble de ses tâches à d'autres membres de son équipe mais il demeure responsable de la bonne exécution de l'essai. Chacun des membres de l'équipe réalise des tâches spécifiques déléguées par l'investigateur principal sous sa supervision.

Les conditions de réalisation de l'essai clinique sont déterminées par le **protocole** de l'essai. Ainsi, l'équipe soignante évalue votre état de santé à l'entrée dans l'essai, vous avise des instructions spécifiques à l'essai, suit étroitement votre état de santé et vous informe au cours de l'essai et, parfois même, reste en contact avec vous au-delà du terme de l'étude. Certains essais nécessitent des examens et des visites supplémentaires à la prise en charge standard de la maladie. Tout au long de l'essai, vous devez collaborer étroitement avec l'équipe soignante afin de respecter le protocole.

Votre médecin traitant joue également un rôle important. Il ne fait pas directement partie de l'équipe de l'essai, mais il contribue à sa bonne exécution. En l'occurrence, le cadre précis de l'essai clinique de médicament prévoit l'introduction du médicament pour un temps donné et pour une maladie ou affection donnée. Par contre, il ne prévoit pas un suivi médical large ou global du participant. Le médecin traitant peut donc être amené à vous voir pendant la durée de l'essai et à vous prescrire des médicaments et des traitements

qui doivent être conformes au protocole de l'essai. Par ailleurs, le médecin traitant peut aussi détecter d'éventuels risques pour votre santé qui doivent être communiqués à l'équipe soignante de l'essai.

C'est pourquoi il est recommandé que vous discutiez de votre participation à un essai clinique avec votre médecin traitant et que vous le teniez au courant des évolutions de l'essai.

11 | Comment puis-je accéder aux informations importantes sur l'essai qui m'aideront à décider si je souhaite ou non y participer ?

Comme pour toute autre procédure médicale, la décision de participer à un essai appartient uniquement au patient capable de **discernement** et préalablement informé de manière appropriée. L'Association des commissions d'éthique suisses relative à la recherche sur l'être humain (<http://www.swissethics.ch>) met à disposition du promoteur et de l'investigateur un modèle de feuille d'information et de consentement dans le respect du droit suisse.^{3, 11} Ces derniers l'adaptent à l'attention du potentiel participant, dans une langue qu'il comprend et sans vocabulaire technique. La feuille d'information couvre les aspects suivants:

swissethics

Objectifs de l'étude	Autres possibilités de traitement
Sélection des personnes pouvant participer à l'étude	Découvertes pendant l'étude
Informations générales sur l'étude	Confidentialité des données et des échantillons
Déroulement pour les participants	Retrait de d'étude
Bénéfices pour les participants	Compensation des participants
Droits des participants	Réparation des dommages subis
Obligations des participants	Financement de l'étude
Risques et contraintes pour les participants	Interlocuteur(s)

Comme tous les documents en lien avec l'essai, la feuille d'information et la déclaration de consentement sont examinées et approuvées par la commission d'éthique du canton ou de la région.

Il est très important que vous preniez le temps de discuter de vos questions et de vos doutes avec le médecin responsable de l'essai ou avec toute autre personne de confiance, votre médecin traitant, votre famille, vos amis ou des représentants d'associations de patients. Si vous acceptez de participer à l'essai, le médecin vous demandera de bien vouloir signer le formulaire de consentement.

Est-ce que des enfants ou des adolescents peuvent prendre part à des essais cliniques ?



Oui, les enfants (définis comme des personnes âgées de moins de 13 ans) et les adolescents (définis comme des personnes de 14 à 17 ans) peuvent participer à des essais cliniques. Toutefois, ils sont considérés comme une **population** vulnérable. Dans ce contexte, les bénéfices directs attendus ainsi que les risques et la charge

supplémentaire occasionnée par la participation à l'essai doivent être considérés lors de l'élaboration l'essai. De même, une attention particulière est accordée à la discussion de l'information et l'obtention du consentement.³

Si un enfant n'est pas capable de discernement (nouveau-nés, nourrissons et petits enfants), le consentement est donné par son représentant légal (généralement les parents ou un tuteur légal désigné par la loi). Le représentant légal signe le formulaire de consentement éclairé au nom de l'enfant.

Les enfants de 10 ans et moins, capables de discernement, doivent avoir été informés oralement de l'essai et accepter d'y participer et/ou ne pas montrer de signe d'opposition à leur participation, avant que leur représentant légal consente à leur participation et signe le formulaire de consentement éclairé.

Les enfants de 11 à 13 ans, capables de discernement, seront informés oralement et par écrit de l'essai, de manière adaptée au niveau de leur compréhension pour leur âge. Leur représentant légal reçoit toutes les informations sur l'essai et signe le formulaire de consentement, pour autant que l'enfant accepte de prendre part à l'essai et/ou ne montre pas de signe d'opposition à sa participation.

Les adolescents à partir de 14 ans sont informés oralement et par écrit, tout comme leur représentant légal, mais de manière moins formelle. Il leur est par ailleurs demandé de fournir leur consentement par écrit. La signature de leur représentant légal est également requise lorsque la charge du participant et les risques sont autres que minimaux.

Des adultes ne disposant pas de la capacité de discernement peuvent-ils participer à des essais cliniques ?



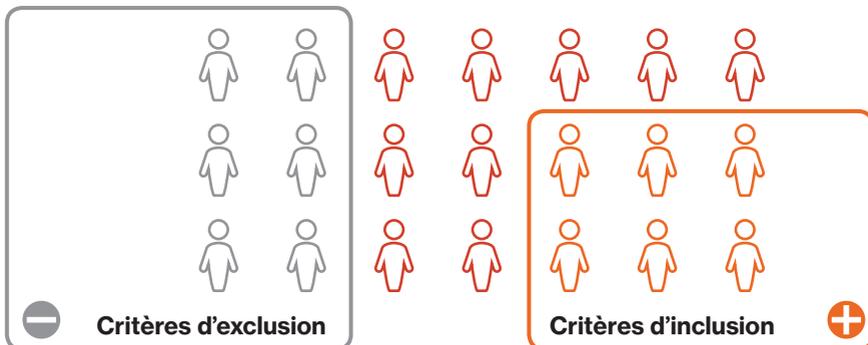
Oui, les adultes ne disposant pas de la capacité de discernement peuvent participer à des essais cliniques. Toutefois, ils sont considérés comme une population vulnérable. Dès lors, les bénéfices et les risques attendus ainsi que la charge supplémentaire occasionnée par la participation à l'essai doivent être pris en considération au moment de l'élaboration de l'essai. De même, une attention particulière est accordée à la discussion de l'information et l'obtention du consentement.³

L'essai peut être réalisé si la personne concernée a donné son consentement, alors qu'elle était capable de discernement et que celui-ci a été dûment documenté, ou si le consentement a été donné par écrit par le représentant légal, une personne de confiance ou le proche parent désigné(e), en l'absence de consentement écrit de la part de la personne concernée. Dans tous les cas, la personne concernée ne peut participer que si elle n'exprime visiblement aucune opposition à sa participation à l'essai.

12 | Puis-je participer à l'essai clinique ?

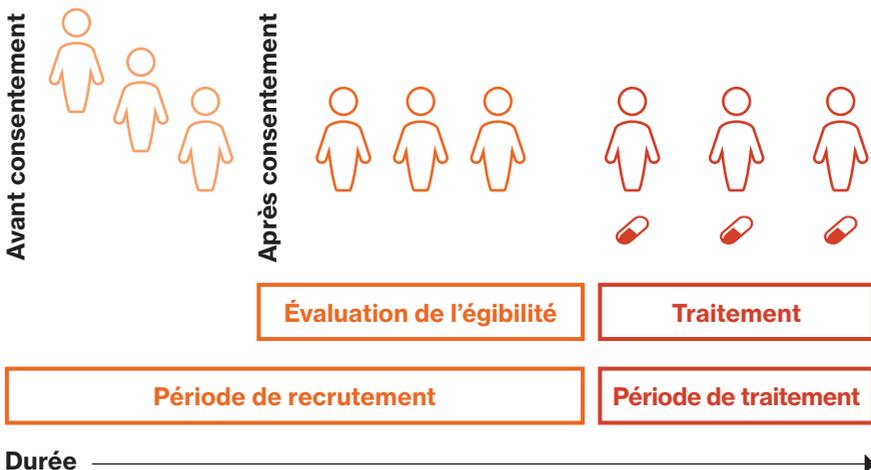
Pour chaque essai clinique, il est clairement défini dans le protocole de l'essai, ainsi que dans la feuille d'information, qui sont les patients éligibles, c'est-à-dire, susceptibles de participer. Les critères définissant les personnes à même de participer s'appellent des **critères d'inclusion**, tandis que les critères définissant les personnes ne pouvant participer s'appellent des **critères d'exclusion**. Ces critères se basent sur des facteurs tels que l'âge, le sexe, le type de maladie et son évolution, les traitements antérieurs, la présence d'autres maladies ainsi que sur des valeurs d'examen de laboratoire. Ensemble, les critères d'inclusion et l'exclusion définissent la population de l'essai clinique. L'utilisation de critères d'inclusion/d'exclusion constitue un principe important de recherche médicale qui permet de protéger la sécurité des participants et d'obtenir des résultats fiables. C'est pour cette raison, qu'avant l'inclusion dans un essai clinique, les critères doivent être contrôlés par le médecin responsable de l'essai.

Il est important de noter que les critères d'inclusion et d'exclusion ne sont pas utilisés pour discriminer les participants mais, au contraire, pour identifier les personnes les plus à même de participer, tout en les protégeant. Le médecin de l'essai discutera de ces critères avec vous afin d'évaluer votre éligibilité.



13 | Puis-je intégrer l'essai clinique à n'importe quel moment ?

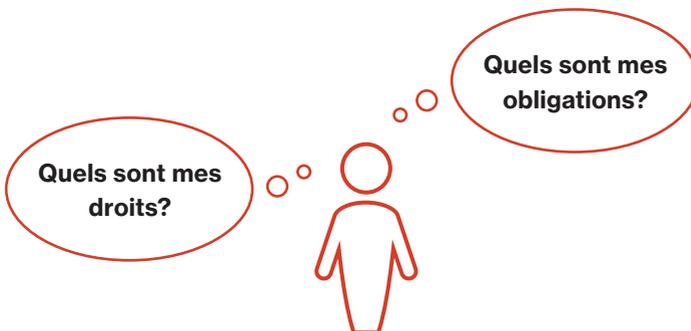
L'entrée dans un essai clinique n'est pas seulement déterminée par les critères d'inclusion et d'exclusion, mais elle est également déterminée dans le temps. La période pendant laquelle l'entrée dans un essai est possible s'appelle la période de **recrutement**. Au-delà de la période de recrutement, il n'est plus possible d'intégrer un essai clinique. La période de recrutement peut dépendre de la taille de l'échantillon, des caractéristiques de la population de l'étude et de la phase de développement. Ainsi, la période de recrutement d'un essai avec des patients atteints d'une maladie courante peut être plus courte que celle d'un essai avec des patients atteints d'une maladie rare. De même, la période de recrutement d'un essai avec des patients de 65 ans et plus, dont la fonction locomotrice est limitée, peut être plus courte que celle d'un essai avec des patients de 65 ans et plus, dont la fonction locomotrice est supérieure à la normale. Finalement, la période de recrutement d'un essai de phase 3 avec des milliers de participants peut être plus longue que celle d'un essai de phase 1 avec des dizaines de participants.



14 | Quels sont mes droits et mes obligations en tant que participant ?

Il revient au seul patient de décider s'il souhaite qu'un acte médical soit réalisé ou non. Il en est de même pour la participation à un essai clinique. Personne ne peut vous obliger ou vous influencer. Si vous refusez de participer à l'essai, votre médecin traitant vous informera du meilleur traitement disponible. Si vous décidez de participer, vous pouvez toujours changer d'avis. Il ne vous sera pas demandé de vous justifier si vous ne donnez pas votre consentement ou si vous le retirez. Vous avez le droit d'être informé, avant que l'essai ne commence, durant celui-ci et après son terme. Vous êtes en droit de poser des questions à tout moment au médecin responsable. Ses coordonnées figurent dans la feuille d'information.

Si vous décidez de participer à l'essai, on vous demandera de documenter votre décision en signant le formulaire de consentement conçu pour l'essai en question. En donnant votre consentement, on attend de vous que vous vous conformiez aux recommandations qui vous seront faites pour votre sécurité et votre santé. L'équipe de l'essai vous assistera autant que possible. En tant que participant à l'essai, on attend de vous que :



- Vous vous conformiez aux recommandations médicales fournies par le médecin responsable et que vous adhérez au plan de l'essai.
- Vous informiez le médecin responsable de l'état de votre maladie et de tout changement, nouveau symptôme, nouveau signe, et ce jusqu'à terme de l'essai.
- Vous informiez le médecin responsable de votre traitement actuel, y compris tout autre traitement que vous vous êtes procuré sans prescription.

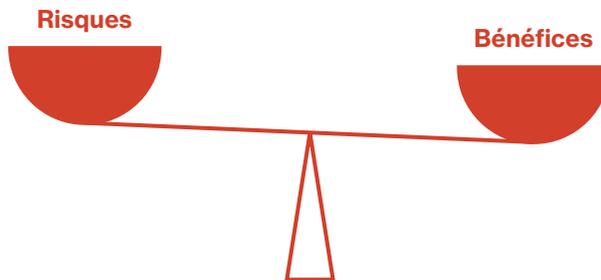
15 | Quels sont les bénéfices et les risques liés à la participation à un essai clinique ?

Les bénéfices et les risques liés à la participation à un essai clinique sont spécifiques à l'essai, à sa conception, au médicament expérimental, à la population à l'étude, aux évaluations de l'essai. Il se peut que les bénéfices du traitement expérimental n'aient pas été démontrés et que vous ne retiriez aucun bénéfice personnel d'une participation à l'essai clinique. Toutefois, sur la base d'études pré-cliniques ou cliniques, on s'attend à ce que le traitement expérimental puisse améliorer certains aspects de votre maladie. L'essai pourrait non seulement avoir un impact sur vous, mais également sur d'autres patients atteints de la même affection médicale, en Suisse et dans le monde entier.

En tant que participant, vous devez non seulement évaluer les bénéfices, mais aussi les risques associés au traitement expérimental ainsi qu' à toutes les procédures liées à l'essai. Le traitement expé-

rimental peut être associé à une insuffisance ou une absence d'efficacité. Il peut également s'accompagner d'effets indésirables, tels que rapportés dans des études antérieures menées sur l'être humain ou sur l'animal.

Au fur et à mesure que le développement clinique progresse, de nouvelles informations sont collectées. Vous serez informé en temps voulu de tout changement des bénéfices et des risques qui pourrait influencer votre décision de poursuivre votre participation à l'essai. Il est très important que vous informiez l'équipe de l'essai de tout changement de votre état de santé, de votre maladie mais aussi de tout nouveau symptôme ou de tout nouveau signe. Si cela s'avère nécessaire, l'équipe de l'essai prendra toutes les mesures qui s'imposent pour vous et pour tous les participants. Si vous subissez un préjudice ou un accident suite au traitement expérimental ou aux procédures de l'étude, la responsabilité sera couverte par la compagnie d'assurance du promoteur.



16 | Comment est assurée la confidentialité de mes données personnelles ?

Dans le cadre de l'essai, des informations vous concernant seront collectées, telles que vos antécédents médicaux et vos résultats d'examens de laboratoires. Le promoteur de l'essai a la responsabilité de respecter les directives nationales et internationales sur la protection des données. Toutes les informations personnelles et médicales ainsi que tous les échantillons recueillis dans le cadre de l'essai sont codés, ce qui signifie qu'ils ne sont identifiés que par un numéro. Le promoteur est responsable de conserver les mêmes dispositions de protection des données pour les données personnelles et les échantillons envoyés en dehors de la Suisse.

Il se peut que l'essai soit examiné pendant son déroulement par les autorités chargées de son autorisation, Swissmedic, la commission d'éthique ou le promoteur, pour évaluer que les procédures visant à assurer votre sécurité soient respectées. Dans le cadre d'un tel examen, il se peut que l'investigateur doive donner accès à vos données personnelles et médicales à des autorités chargées de l'autorisation et au promoteur. Toutes les personnes impliquées dans l'essai doivent respecter la plus stricte confidentialité.



17 | Comment sont prises en charge les procédures médicales expérimentales et celles standard de l'essai clinique ?

Votre décision de participer ou non à un essai clinique dépend uniquement de votre évaluation libre et éclairée des bénéfices et des risques en lien avec une participation. Aucun participant à un essai clinique n'est ni rémunéré ni redevable de frais.

Vous ne réglerez aucun des frais.

Dans le cadre de l'essai, les procédures médicales approuvées et remboursées qui font partie de la prise en charge standard de votre maladie, seront prises en charge par votre assurance maladie ou par l'assurance-invalidité (AI). Par contre, les procédures médicales spécifiques à l'essai seront prises en charge par le promoteur de l'essai.

Médicaments et procédures médicales

Prise en charge
standard

Prise en charge
spécifique à l'essai

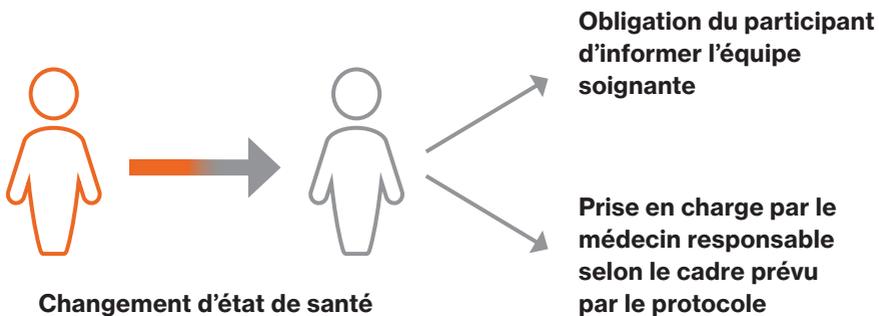
Frais couverts par l'assurance
maladie ou par l'AI

Frais couverts
par le promoteur

18 | Que se passe-t-il si le médicament a des effets sur ma maladie ?

Il est très important que vous informiez l'équipe de l'essai de tout changement de votre état de santé, et ce, tout au long du traitement et jusqu'à la fin de l'essai clinique (certains essais cliniques incluent également une période de suivi au terme de la période de traitement), comme il est stipulé dans vos obligations (voir question 14). Si le médicament expérimental est administré dans le cadre d'un essai clinique randomisé en aveugle, vous ne serez informé de la nature du traitement que vous recevez qu'à la fin de l'essai, à moins que votre état de santé ne nécessite de lever l'aveugle sur votre traitement (voir question 9) avant la fin de l'essai.

Si votre état de santé se modifie, le médecin responsable adaptera votre traitement dans le cadre prévu par le protocole de l'essai, par exemple en introduisant des médicaments de secours.

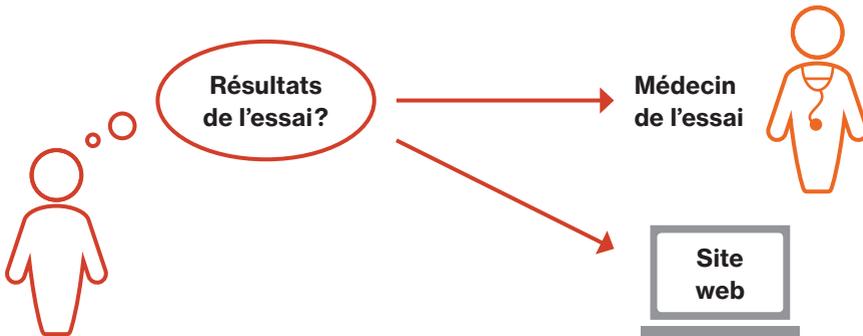


19 | Que se passe-t-il une fois que toutes les données de l'essai ont été recueillies ?

Au terme de l'essai, les statisticiens analysent les données recueillies afin d'évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi du traitement expérimental. Ces informations demeurent confidentielles jusqu'à ce que les résultats de l'essai soient communiqués publiquement. Pour connaître les résultats, veuillez-vous adresser au médecin responsable de l'essai.

Par obligation, les résultats de l'essai sont soumis aux autorités (Commission d'éthique et Swissmedic) qui ont approuvé l'essai. Les résultats de l'essai sont également publiés sur des sites web publics tels que <https://clinicaltrials.gov>.²

De plus, les résultats de l'essai sont aussi publiés dans des revues scientifiques. Une fois que la sécurité d'emploi et l'efficacité du nouveau traitement sont démontrées par les essais cliniques, une demande de mise sur le marché peut être soumise à Swissmedic, l'institut suisse des produits thérapeutiques.



20 | Qu'est-ce qu'une sous-étude génétique ?

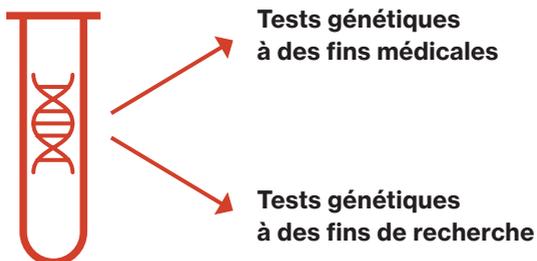
Les gènes de l'ADN renferment des informations sur ce qui compose les organismes vivants. La majorité de l'ADN est identique chez tous les êtres humains, mais d'infimes variations dans notre ADN sont responsables de différences entre les individus, comme par exemple la couleur des yeux. Les variations dans l'ADN peuvent également expliquer des réactions différentes à un même médicament, différents risques de développer une maladie ou différentes évolutions d'une même maladie. Au travers de la recherche génétique, le promoteur étudie les relations entre l'ADN et ces caractéristiques individuelles. Si l'essai comprend une sous-étude génétique, vous recevrez des informations précises concernant les tests génétiques dans la feuille d'information spécifiquement développée pour la sous-étude génétique. Ainsi vous pourrez vous prononcer spécifiquement sur la sous-étude génétique en signant le formulaire de consentement.

Certaines analyses génétiques sont des tests approuvés à des fins médicales dont les résultats permettent de confirmer un diagnostic, d'évaluer le risque d'une maladie donnée ou d'adapter votre traitement actuel. Dans ce contexte, le patient aura l'opportunité de discuter des résultats avec le médecin responsable de l'essai.

Certaines analyses génétiques sont des tests à des fins de recherche sans implication clinique. Dans ce contexte, il n'est pas prévu que les patients tirent un bénéfice personnel de ces tests. Toutefois, y participer, c'est contribuer au développement des connaissances sur la maladie, sur le traitement expérimental afin d'améliorer la prise en charge des patients atteints de la même maladie.

Vous restez, pendant et après l'essai, le seul propriétaire des échantillons génétiques. Ainsi, à tout moment, vous avez le droit de demander leur destruction si vous retirez votre consentement. Si tel est le cas, vous devez contacter le médecin responsable afin que les démarches nécessaires soient réalisées. Toutefois, les données médicales ainsi que les échantillons biologiques recueillis jusqu'à là seront évalués afin de préserver la validité de l'essai.

Le promoteur a la responsabilité de détruire les échantillons à la fin du délai de conservation indiqué dans la feuille d'information.

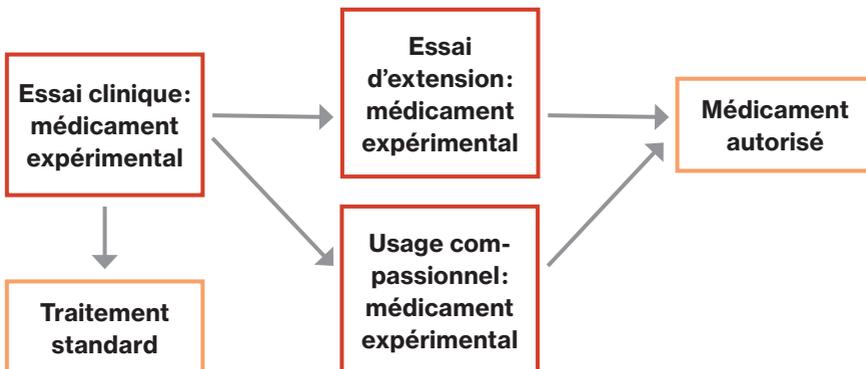


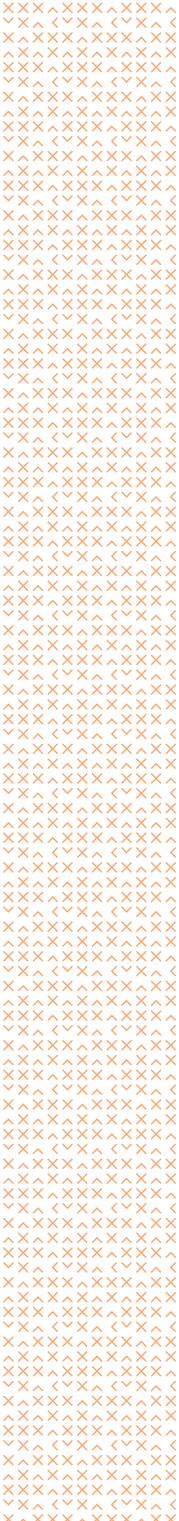
21 | Quel est mon traitement au terme de l'essai clinique ?

En principe, au terme de l'essai clinique, un patient ne peut plus être traité par le médicament expérimental. Le médecin de l'essai vous expliquera les alternatives thérapeutiques à disposition et vous guidera dans le choix du traitement qui vous convient le mieux.

Toutefois, certains essais prévoient d'emblée dans le protocole original une phase d'extension permettant aux patients qui le consentent, de continuer à recevoir le médicament expérimental, souvent (mais pas nécessairement) en ouvert, jusqu'à sa mise sur le marché. Si tel est le cas, vous trouverez toutes les informations nécessaires dans la feuille d'information. Vous pouvez demander des informations à ce sujet au cours de l'entretien pouvant mener au consentement.

En l'absence de phase d'extension, le médecin responsable de l'essai peut toutefois estimer qu'il soit approprié de poursuivre le traitement avec le médicament expérimental (usage compassionnel). Si Swissmedic autorise l'usage compassionnel, le médecin demandera au promoteur de mettre à disposition le médicament.





Témoignages de participants à un essai clinique

Effets positifs du traitement observés durant l'essai

« J'ai participé à un essai pilote visant à évaluer l'efficacité d'une combinaison de suppléments nutritionnels dans le cadre d'un programme d'exercices pour des adultes atteints d'une maladie musculaire. Cet essai courrait sur 12 semaines, pendant lesquelles chacun des deux produits était pris l'un après l'autre pendant 6 semaines consécutives.

Dans le cadre de l'essai, je me suis rendu à l'hôpital pour trois visites médicales lors desquelles les mêmes examens étaient effectués: examen physique, signes vitaux, analyse de sang et d'urine, mesure de la densité osseuse, calorimétrie, mesure de la force musculaire et imagerie par résonance magnétique.

Aucun des frais occasionnés par les procédures de l'essai n'ont été à la charge des participants.

Au cours de l'essai, j'ai présenté certains effets secondaires légers des médicaments, comme une perte d'appétit et des diarrhées.

Au terme du traitement de l'essai qui fut associé à une sensation de force augmentée et une récupération plus rapide après l'effort, le traitement a été interrompu. Je me suis très vite retrouvé dans mon état initial avant l'essai.

Le plus grand problème pour les participants était le transport des grandes quantités de médicaments (bouteilles). Les quantités étaient telles qu'il était très difficile de les ramener par transports publics.

Après l'essai, j'ai pu bénéficier de la poursuite du traitement par prescription. Ainsi, les effets positifs du traitement observés durant l'étude ont pu être prolongés.»

La participation à cet essai nous a demandé et nous demande encore d'énormes efforts

« Bien sûr, j'ai fait beaucoup de recherches sur internet. Vraiment beaucoup. Et heureusement que j'ai fait toutes ces recherches! Quelques mois plus tard, je suis en effet tombée sur un rapport concernant un essai clinique visant à ralentir la progression de la maladie.

Pleine d'espoir, j'ai envoyé ce rapport au médecin de l'Hôpital des enfants, demandant par écrit que notre fils soit impérativement inclus dans l'essai si la mutation responsable de sa maladie le permettait. La réponse fut extrêmement décevante. Comme à l'époque il n'existait pas de registre de patients, le médecin nous a entre autres expliqué que c'était à nous, parents, de faire le nécessaire pour trouver les essais.

Je m'y suis donc mise.

Quand j'ai trouvé un essai avec des patients atteints de la maladie de mon fils, on a vraiment eu envie de faire la fête! Mais l'essai était retardé et cette attente était difficile.

Enfin, nous avons reçu l'appel tant attendu: le coup d'envoi était donné. Nous étions invités à nous rendre au centre de l'étude. Nous avons tout laissé en plan et nous sommes partis!

La participation à cet essai nous a demandé et nous demande encore d'énormes efforts. Pendant les 10 premiers mois, nous nous déplaçons chaque semaine. Après une nuit à l'hôtel, le traitement est administré le lendemain matin. Puis nous déjeunons, partons et arrivons à la maison à 19 h 30.

Si personne ne participe aux essais cliniques, aucun médicament ne pourra être développé! Lors de chacun de nos départs, nous emme-

nous avec nous de nombreux espoirs. Même si la participation à cet essai est lourde et pénible, nous tenons bon. L'espoir est la dernière chose qui nous quittera!»

Anonyme, 2016

Ma participation servira les patients affectés par la même maladie

«C'est à la suite d'une demande faite dans le cadre d'une conférence que je me suis inscrit pour participer à cet essai. Deux aspects m'ont particulièrement motivé:

- 1. D'un côté, cela aidera une étudiante à soutenir sa thèse de doctorat.*
- 2. Ensuite, cela contribuera à la recherche sur les maladies rares dont l'étude est difficile. Ainsi même si je ne retire pas de bénéfices personnels, ma participation servira à terme les patients affectés de la même maladie à long terme.*

Tout ce qu'on me demandait était de me rendre à deux reprises dans une clinique universitaire pour y effectuer différents examens au niveau de l'oreille. On m'avait expliqué que je pouvais présenter d'éventuels effets secondaires de courte durée, tels que des vertiges et d'autres effets similaires. L'essai n'a eu aucun effet sur moi, ni positif ni négatif.

Ma satisfaction personnelle est d'avoir appris que les maladies nerveuses inflammatoires n'ont aucune incidence sur le système vestibulaire, ce qui m'a bien sûr fait très plaisir.»

Anonyme, 2016

Glossaire

Commission d'éthique

Commission indépendante composée de différents experts dont des médecins, des biologistes et des conseillers juridiques, qui examinent les aspects scientifiques, éthiques et juridiques de l'essai en vue de garantir la protection des participants à l'étude.

Comparateur

Médicament actif dont l'effet clinique a été prouvé pour une affection médicale donnée. Le comparateur sert de référence à laquelle on compare le médicament expérimental, pour évaluer l'effet relatif du médicament expérimental.

Conception

La conception de l'essai décrit le plan de l'étude. La conception de l'essai est déterminé par l'hypothèse évaluée dans l'essai.

Exemple: Hypothèse: le médicament «A» est-il plus efficace pour traiter l'affection «X» que le médicament «B»? Conception de l'essai: deux groupes de traitement pour comparer l'effet du médicament «A» à celui du médicament «B» chez les patients atteints de «X».

Consentement éclairé

Comme pour toute autre intervention liée à la santé, le consentement éclairé est nécessaire avant de participer à l'essai. Il fait référence à la procédure au cours de laquelle le patient est informé de tous les éléments clés lui permettant de juger s'il souhaite participer. Après avoir été informé, le patient reçoit la feuille d'information et la déclaration de consentement, spécifiquement développées pour l'essai par le promoteur. En apposant sa signature, le patient donne son consentement pour participer à l'essai.

Critères d'exclusion

Critères excluant de potentiels participants à l'essai. Les critères d'exclusion sont destinés à protéger les participants qui pourraient être potentiellement soumis à un risque accru d'événements indésirables s'ils participent à l'essai.

Par exemple: «âge inférieur à 20 ans» comme critère d'exclusion signifie que les volontaires/patients de moins de 20 ans ne peuvent pas participer à l'essai.

Critères d'inclusion

Critères définissant l'éligibilité de potentiels participants à l'essai. Les critères d'inclusion sont destinés à identifier les participants qui pourraient potentiellement tirer un bénéfice de la participation à l'essai.

Par exemple: «patients diabétiques» comme critère d'inclusion signifie que les patients diabétiques peuvent participer à l'essai.

Discernement

Le discernement fait référence à la capacité de toute personne capable de prendre une décision rationnelle, qui n'est pas trop jeune, concernée par un déficit cognitif, une affection psychiatrique, un problème de toxicomanie ou par toute autre affection qui pourrait perturber le discernement.

En double aveugle

Type d'essai ou période de l'essai pendant laquelle le participant reçoit un médicament expérimental dont la nature (médicament évalué, placebo ou comparateur actif, selon le protocole de l'essai) est cachée au participant et au médecin pour éviter toute influence de facteurs d'ordre psychologique.

En ouvert

Type d'essai ou période de l'essai pendant laquelle le participant reçoit un médicament expérimental dont la nature (médicament évalué, placebo ou comparateur actif, selon le protocole de l'essai) est connue du participant et du médecin.

En simple aveugle

Type d'essai ou période de l'essai pendant laquelle le participant reçoit un médicament expérimental dont la nature (médicament évalué, placebo ou comparateur actif, en vertu du protocole de l'essai) est cachée au participant pour éviter toute influence de facteurs d'ordre psychologique.

Equipe soignante

Groupe de personnes impliquées dans l'exécution de l'essai sous la direction de l'investigateur principal. L'équipe de l'essai peut comprendre des médecins, le personnel infirmier, des biologistes, des kinésithérapeutes et d'autres professionnels de la santé. Il s'agit des personnes que le participant rencontrera régulièrement tout au long de l'essai clinique.

Essai clinique

Projet de recherche impliquant des êtres humains dans laquelle les participants sont soumis à une intervention liée à la santé (par exemple un médicament) afin d'évaluer son effet sur la santé ou sur le fonctionnement du corps humain.

Par exemple: essai randomisé, essai en ouvert.

Évaluation

Les évaluations de l'essai permettent de mesurer l'activité de la maladie et, ce faisant, l'effet du médicament expérimental sur la maladie. Les évaluations de l'essai peuvent consister en une évaluation de routine dans le cadre d'une prise en charge standard mais elles peuvent également être spécifiques à un essai.

Par exemple: prise de sang, TDM (tomodensitométrie), questionnaire patient.

Groupe de traitement

Traitement expérimental définissant le groupe de participants à recevoir ce traitement en particulier.

Exemple: groupe placebo, groupe comparateur.

Intervention

Dans les essais cliniques, l'intervention est une mesure liée à la santé, destinée à prévenir, diagnostiquer, traiter ou soigner une affection médicale.

Par exemple: dispositif médical, traitement, produit médical, intervention chirurgicale, radiation.

Investigateur principal

Personne responsable de la réalisation pratique de l'essai clinique en Suisse ainsi que de la protection des personnes participant à l'essai clinique au lieu de réalisation; lorsqu'un investigateur assume la responsabilité de l'initiative d'un essai clinique en Suisse, il est également promoteur.

Médicament

Le médicament expérimental fait référence à tout médicament utilisé dans un essai clinique.

Exemple: médicament actif, placebo, comparateur actif.

Placebo

Médicament inactif qui sert de référence à laquelle comparer le médicament expérimental, pour évaluer l'effet relatif du médicament expérimental.

Population

La population à l'étude est définie par les critères d'inclusion et d'exclusion.

Promoteur

Personne ou institution dont le siège ou une représentation se trouvent en Suisse, qui assume la responsabilité de l'initiative d'un essai clinique en Suisse, notamment du lancement, de la gestion et du financement.

Protocole

Le protocole est un plan d'étude contenant toutes les informations relatives aux objectifs et à l'exécution de l'étude.

Randomisation

Procédure de répartition aléatoire des participants à l'essai dans les différents groupes de traitement (au moins deux pour pouvoir établir une comparaison).

Recrutement

Période de l'essai pendant laquelle les participants intègrent l'étude. Tant que l'essai est en phase préparatoire, le recrutement de participants n'est pas encore ouvert. Une fois le recrutement terminé, aucun patient supplémentaire ne peut intégrer l'essai.

Références

1. Organe de coordination de la recherche sur l'être humain

Disponible sur: <http://kofam.ch/> (Consulté en janvier 2017)

2. Clinicaltrials.gov

Disponible sur: <https://clinicaltrials.gov/> (Consulté en janvier 2017)

3. Loi fédérale relative à la recherche sur l'être humain

Disponible sur: <https://www.admin.ch/opc/fr/classified-compilation/20061313/index.html> (Consulté en janvier 2017)

4. European Convention on Human Rights.

Disponible sur: http://www.echr.coe.int/Documents/Convention_ENG.pdf (Consulté en janvier 2017)

5. European Convention on Human Rights and Biomedicine

Disponible sur: <https://rm.coe.int/CoERMPublicCommonSearchServices/DisplayDCTMContent?documentId=090000168007cf98> (Consulté en janvier 2017)

6. Declaration of Helsinki

Disponible sur: <http://www.wma.net/en/30publications/10policies/b3/17c.pdf> (Consulté en janvier 2017)

7. The Good Clinical Practices

Disponible sur: http://www.ich.org/fileadmin/Public_Web_Site/ICH_Products/Guidelines/Efficacy/E6/E6_R2_Step_4.pdf (Consulté en janvier 2017)

8. Ordonnance sur les essais cliniques dans le cadre de la recherche sur l'être humain

Disponible sur: <https://www.admin.ch/opc/fr/classified-compilation/20121176/index.html> (Consulté en janvier 2017)

9. Ordonnance d'organisation concernant la loi relative à la recherche sur l'être humain

Disponible sur: <https://www.admin.ch/opc/fr/classified-compilation/20121179/index.html> (Consulté en janvier 2017)

10. Swissmedic

Disponible sur: <https://www.swissmedic.ch> (Consulté en janvier 2017)

11. Swissethics

Disponible sur: <http://www.swissethics.ch> (Consulté en janvier 2017)

Novartis Pharma Schweiz AG

Suurstoffi 14, Case Postale,

CH-6343 Rotkreuz

Téléphone +41(0)41 763 71 11

www.novartis.ch