

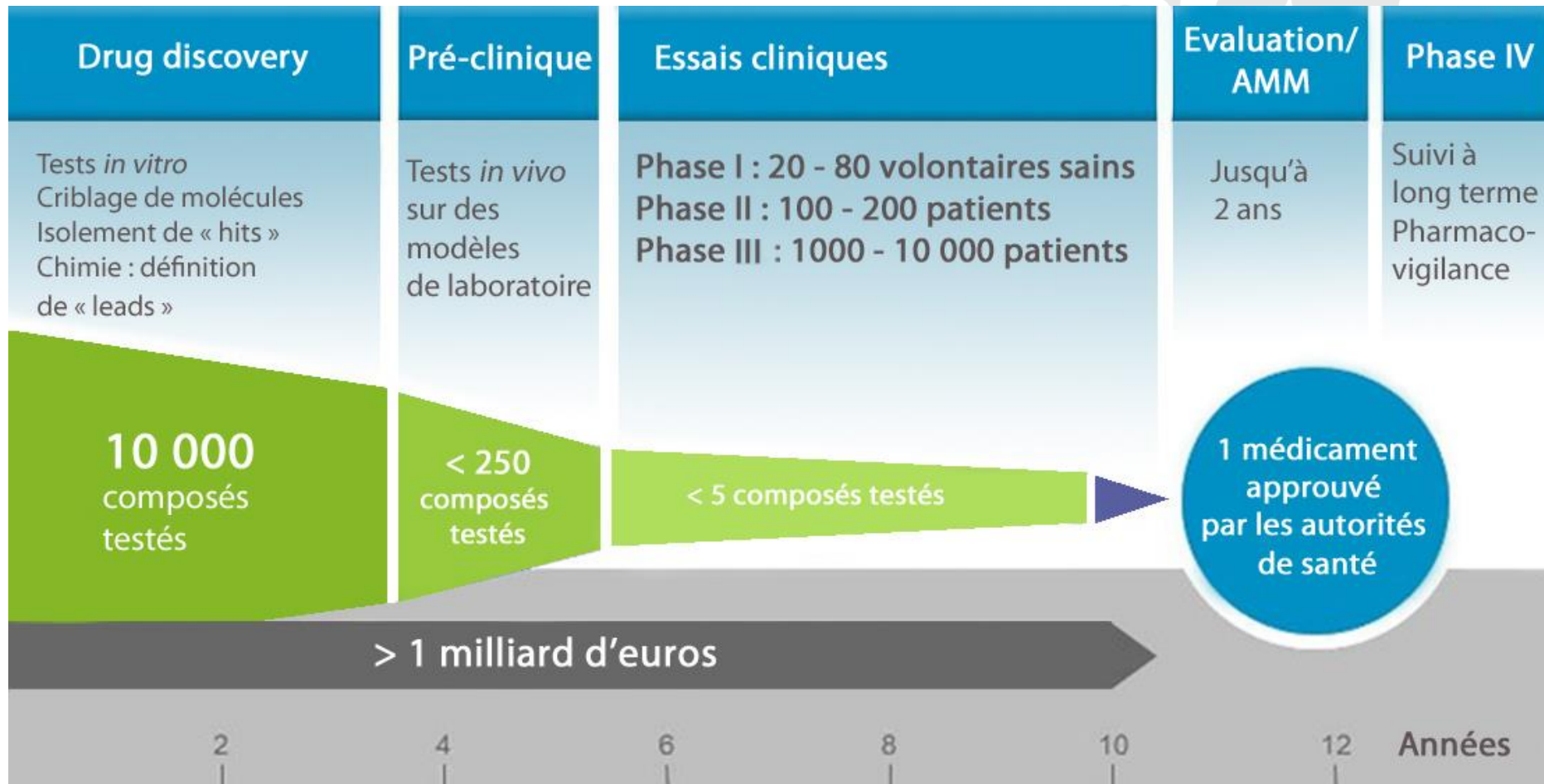
L'importance des essais cliniques dans le développement des médicaments



Marine Berro- Chef de Projets

JIP –MaRIH- Paris / 30 janvier 2016

Comment une substance chimique devient un médicament



Source: fondation synergie lyon cancer

Le développement clinique

But:

Evaluer l'efficacité et la sécurité d'un médicament
(**Rapport bénéfice/Risque**)

- 1/ afin de l'enregistrer auprès des autorités réglementaires
Autorisation de mise sur le marché (AMM)
 - 2/ afin de définir ses conditions d'utilisation
RCP (résumé des caractéristiques du produit) dans une indication déterminée, pour une population déterminée, pour une dose optimale

L'objectif du développement clinique

- Définition de la dose et efficacité
- Mode d'administration
- Patients répondeurs/non répondeurs
- Indication précise
- Comparaisons avec autres médicaments

Les règlements qui protègent les volontaires

- Le code de Nuremberg 1947
- La déclaration d'Helsinki (1964)
- En France:
 - Loi Huriot-Sérusclat (1988)
 - Loi de aout 2004
 - Loi Jardé (2012)
- En Europe
 - Directive Européenne 2001/20/CE
 - Règlement Européen 536/2014

Les BPC :
Bonnes Pratiques cliniques

Les autorités réglementaires en France

- L'ANSM: Agence Nationale de Sécurité des médicaments et des produits de santé
 - Evaluer la sécurité et la qualité des produits utilisés
- Les CPP: Comités de Protection des Personnes
 - Assurer la protection des personnes participants à la recherche biomédicale
 - Pertinence de l'étude
 - Evaluation du bénéfice risque
- La CNIL: Comité National « Informatique et Liberté »
 - Protection des données personnelles

Les différents types de Recherche

- La Recherche Interventionnelle
 - La recherche biomédicale
 - La recherche en soins courants
- La Recherche non interventionnelle

- Les essais sur les traitements (Médicaments, Interventions, Dispositifs médicaux)
- Les essais sur la prévention
- Les essais sur le diagnostic
- Les essais sur la qualité de vie

Les différentes phases d'essais cliniques

Phase I: 1ere administration à l'homme.

- Volontaire sain
- Recherche de la dose maximale tolérée
- Recherche de donnée de pharmacocinétique
- Très peu de patients

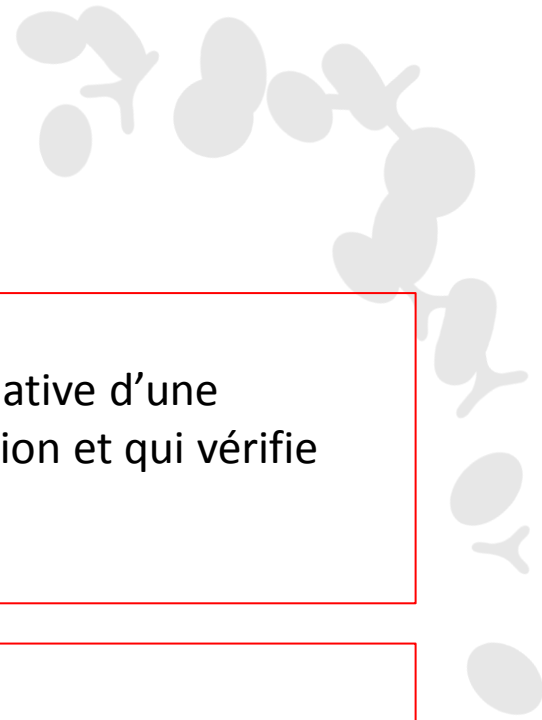
Phase II: Preuve de concept

- Recherche de la dose optimale
- Recherche des effets secondaires
- Plus grand nombre de patients (en fonction du nombre de patients disponibles dans les maladies rares)

Phase III: Efficacité thérapeutique

- Définir le rapport bénéfice/risque
- Tolérance sur des longues durées d'administration
- Plus grand nombre de patients(en fonction du nombre de patients disponibles dans les maladies rares)

Le Promoteur



Définition :

« La personne physique ou la personne morale qui prend l'initiative d'une recherche biomédicale sur l'être humain, qui en assure la gestion et qui vérifie que son financement est prévu »

Qui?

- Industriel
- Institution
- Organisme de recherche

Role:

- Obtenir les autorisations réglementaires
- Financement & Assurance
- Qualité

L'investigateur

Définition :

La ou les personnes physiques qui dirigent et surveillent la réalisation de la recherche.

Qui?

L'investigateur est un **médecin** (inscrit à l'ordre des médecins) justifiant d'une **expérience et de connaissances scientifiques appropriées** dans le domaine de soins et des investigations aux patients requis par l'essai clinique.

Role:

- L'investigateur principal a la responsabilité du déroulement de l'essai clinique et de la coordination entre les équipes travaillant dans les différents sites
- L'investigateur clinique supervise l'essai clinique dans son centre d'investigation
- Les investigateurs et tout le personnel de santé participant à l'essai clinique doivent suivre le même protocole d'essai clinique

Le Patient ou volontaire sain

Définition :

La ou les personnes physiques qui après avoir reçu **une information CLAIRE, ORAL et ECRITE** sur le déroulement et les objectifs de l'étude, donne **son consentement LIBRE, ECLAIRE et ECRIT** de participer à l'essai clinique.

Qui?

Un volontaire sain

Ou un patient atteint de la pathologie étudiée dans l'essai clinique

Role:

- Il doit être **informé préalablement et de façon claire** de l'objectif et du déroulement de l'essai clinique à l'oral (Investigateur) et écrite (**Lettre d'information**)
- Il doit donner son consentement libre et éclairé (**Notice de consentement**)
- En acceptant de participer **le patient s'engage** à respecter les règles imposées par le protocole de l'essai clinique (observance médicament, visite obligatoire, ...)
- Il peut à tout moment **décider de ne plus y participer** sans conséquence sur sa prise en charge habituelle
- Il peut **être informé des résultats globaux de l'étude**

Les autres acteurs importants

TEC ou Technicien de recherche clinique: La personne qui va assister l'investigateur dans l'ensemble des tâches qui ne sont pas d'ordre médicale et qui va accompagner le patient lors des visites médicales

ARC ou Attaché de recherche clinique:

La personne qui va s'assurer de la qualité de l'essai clinique en faisant des visites de monitoring régulièrement.

Le pharmacien

Personne qui va être responsable du circuit du médicament (récupération, stockage, suivi de l'observance)

Les data managers, biostatisticiens

Personnes qui vont être en charges de la saisie, du contrôle, et de l'analyse des données de l'essais cliniques

De nombreux autres acteurs: ...

Ce que vous devez savoir

Chaque essai clinique comporte :

- Un protocole
- Des critères d'admissibilités
- Des avantages et des risques **qui lui sont propres**

→ **Prenez le temps de discuter des détails de l'essai clinique avec votre médecin**

Ce que vous devez savoir

Les risques possibles à participer à un essai clinique:

- Votre pathologie pourrait ne pas connaître d'amélioration
- Vous pourriez ressentir des effets secondaires ou une aggravation de votre état de santé.
 - Votre équipe soignante surveillera de près vos réactions au cours de l'étude.
 - Vous êtes libres à tout moment d'arrêter l'essai clinique.
- Le nouveau traitement pourrait ne pas fonctionner pour vous, alors qu'il est utile pour d'autres.
- La participation à un essai clinique peut vous demander plus de temps qu'un traitement standard ou vous imposer des contraintes (modification du mode de vie, examens complémentaires, ...)

Ce que vous devez savoir

Les avantages à participer à un essai clinique:

- Vous pouvez **recevoir un traitement qui n'est pas disponible** autrement et qui pourrait être plus sécuritaire et/ou plus efficace que les autres traitements disponibles
- Vous pourriez **bénéficier de soins supplémentaires** de suivis offert aux participants
 - Attention et **soins médicaux spécialisés** au-delà de ceux prodigués dans votre soins courant
 - **Surveillance étroite** des bienfaits et des effets secondaires pouvant contribuer à la détection d'autres problème de santé
- Vous participez activement à une **décision qui affecte votre vie.**
- Vous avez l'occasion d'être **acteur du développement** d'un nouveau médicament et de la connaissance de votre pathologie, et ainsi de venir en aide à d'autres personnes atteintes de la même pathologie que vous
 - **Satisfaction de savoir que vous participez à l'amélioration de la santé des générations futures**

- Rattachée à l'Institut de Neurosciences de la Timone (Int)
 - À Aix Marseille Université (AMU) 
 - Au CNRS (UMR 7289) 
- Labellisée F-CRIN (French Clinical Research Infrastructure Network) 
- Agit en collaboration avec l'ensemble des structures nationales actrices dans les maladies rares

Notre équipe:



Pr Olivier Blin
Coordinateur
30 ans d'expérience



Marine Berro
Chef de projet
10 ans d'expérience



Cécile Colombar
Chef de projet
15 ans d'expérience

- OrphanDev est spécialisée dans l'accompagnement :
 - Des chercheurs
 - Des médecins
 - Des industriels de la santé
 - Des associations de patients
- Dans les étapes cruciales du développement de médicaments

Apport d'une **expertise scientifique et réglementaire**:

- Dans les demandes de désignation médicament orphelin
- Dans les demandes de « protocol assistance »

Apport d'un **appui logistique et méthodologique**:

Dans les essais cliniques maladies rares

- Avec une spécificité dans le recrutement des patients
- Avec son expérience dans les appels à projets nationaux et européens

Le recrutement des patients dans les essais cliniques

La stratégie de recrutement des patients:

OrphanDev propose une stratégie de recrutement des patients en lien avec les contraintes et les objectifs des essais cliniques.

Avantages

- Gain de temps pour les investigateurs
- Gain de temps pour les patients
- Diminution du Screen Failure
- Respect des délais d'inclusion


Services d'OrphanDev

- Proposition d'une stratégie de recrutement des patients en fonction des contraintes et objectifs de l'essai clinique
- Mise en place et gestion d'outils de communication
- Mise en place et gestion d'outils de pré screening
- Suivi des inclusions en collaboration avec les centres investigateurs et réseaux impliqués dans l'étude

Une expérience confirmée dans les maladies rares

OrphanDev a répondu à plus de 80 requêtes depuis 2009
du simple conseil à la mise en place d'un essai clinique
en passant par la désignation orpheline

OrphanDev, aujourd'hui, c'est:

- 7 essais cliniques en cours de recrutement
dont
 - 2 essais cliniques académiques
européens 
 - 3 essais cliniques industriels
internationaux
- 12 désignations orphelines obtenues
- 3 protocoles assistances réalisés

OrphanDev, aujourd'hui, c'est aussi :

- 5 essais cliniques en cours de montage
- 7 lettres d'intentions déposées en tant que
partenaire de projet H2020
 - Dont 4 retenues pour la soumission
finale

Formation

Explique moi les essais cliniques

À destination des patients, en particulier ceux atteints de maladies rares, cette formation est organisée en partenariat avec les [associations Tous Chercheurs](#) et [François Aupetit \(AFA\)](#) et avec le soutien de [F-CRIN](#). Elle a pour but de sensibiliser les patients à l'évaluation thérapeutique en leur permettant de mieux comprendre le processus de développement des médicaments et le déroulement d'un essai clinique.



L'association Connaitre les Syndromes Cérébelleux (CSC) en parle « primordial afin de permettre au patient de passer du statut de «simple cobaye» à celui d'acteur éclairé de sa santé... La connaissance est nécessaire pour l'action, CSC en est persuadé et souhaite que de telles formations se renouvellent et attirent du monde afin d'être tous ACTEURS ! Sans compter le bien fou que procure le fait de participer à une telle formation.»

Merci pour votre
attention !

orphan
ACCÉLÉRATEUR DE THÉRAPEUTIQUES ORPHELINES
Plateforme F-CRIN
dev

