

Essais cliniques : épisode 3 ! ^[1]

Innovation ^[2]

Un essai clinique de phase 3 vise à prouver l'efficacité d'un nouveau traitement et à documenter les effets secondaires. En effet, les autorités de santé sont de plus en plus attentives à la qualité de vie des patients...

Quand un essai clinique de phase 2 a démontré une certaine efficacité, place à la phase 3 ! « *Il s'agit de confirmer les promesses du nouveau traitement* », explique le Pr François Duhoux, oncologue aux Cliniques universitaires Saint-Luc. « *Objectif : démontrer sa supériorité ou, au moins, sa non-infériorité par rapport au traitement standard de référence.* »

La qualité de vie : un critère à part entière

Au terme de la phase 3, l'efficacité du nouveau traitement et le nombre de patients sur lequel il a été testé ne sont pas les seuls critères pris en compte par les autorités de santé pour enregistrer et, donc, autoriser un nouveau médicament (1). « *L'Agence européenne du médicament (EMA) et la FDA, son pendant américain, sont de plus en plus soucieuses de la qualité de vie des patients* », explique le Pr Duhoux. « *C'est devenu un critère à part entière. L'efficacité d'un traitement doit être à la fois statistiquement et cliniquement significative. Par exemple, un médicament expérimental qui provoque de sévères effets secondaires a peu de chances d'être enregistré. A contrario, s'il n'est ni plus ni moins efficace que le traitement standard, mais qu'il provoque nettement moins d'effets secondaires, il a ses chances !* »

Signaler les effets secondaires

Tout médicament est susceptible de provoquer des effets secondaires. Comme les phases 3 rassemblent de plus grosses cohortes que les essais cliniques de phase 1 ou 2, des effets secondaires que l'on n'avait jamais vus auparavant vont sans doute se manifester chez certains patients. « *Il faut les répertorier et les documenter le plus soigneusement possible* », explique le Pr Duhoux. « *C'est important pour obtenir l'enregistrement du médicament. De plus, les médecins doivent pouvoir informer correctement leurs patients et, le cas échéant, pallier les effets secondaires les plus pénibles.* »

L'expertise des patients

Avant, il incombait aux seuls médecins de signaler à la firme les effets secondaires d'un traitement expérimental. Or, il y a parfois de grandes différences entre les rapports des médecins et les effets secondaires réels. « *Le patient peut oublier de les signaler à la consultation, le médecin peut les minimiser ou les sous-estimer, les questions peuvent être mal posées, etc. Raison pour laquelle les essais cliniques les plus rigoureux intègrent désormais des PROMs ("Patients-reported outcomes measures").* » Les PROMs sont des questionnaires que les patients doivent remplir au jour le jour. Il s'agit de lister les effets secondaires (fatigue, nausées, problèmes cutanés, douleurs articulaires, etc.) et d'en évaluer l'intensité sur des échelles de valeurs. Ce qui permet d'avoir une vision plus juste et plus

complète de l'impact d'un traitement sur la qualité de vie des patients.

Des études qui prennent des années

Les essais cliniques de phase 3 sont (très) chers. Et pour cause : ils rassemblent entre 2000 et 10 000 patients et s'étalent sur plusieurs années. « *En oncologie, tout dépend du type et surtout du stade du cancer pour lequel un traitement est testé* », précise le Pr Duhoux.

« *Les études pour des cancers non métastatiques durent souvent 10 ans. S'il y a des métastases (signe d'un cancer à un stade avancé), c'est plutôt 4 ou 5 ans.* »

Il faut aussi différencier la durée du traitement proprement dit du suivi qui peut être (beaucoup) plus long. La durée du suivi peut aussi varier selon le stade du cancer ou être fixée selon d'autres critères que le temps. Par exemple, on peut suivre la cohorte de patients jusqu'à atteindre un certain nombre de rechutes... ou de décès.

Un suivi adaptable

Même si elle est déterminée en amont, la durée du suivi peut être modifiée en cours d'étude.

« *Il y a deux cas de figure* », poursuit le Pr Duhoux. « *Soit on observe des cas de rechutes tardives qui nécessitent d'allonger le suivi des patients. Soit on avait sous-estimé l'efficacité du traitement standard. Cela peut arriver quand ce dernier n'a plus été étudié depuis longtemps. Des progrès ont été réalisés dans d'autres domaines – les soins de support, par exemple – et les patients ont un meilleur pronostic qu'avant. Il faut donc davantage de temps pour établir l'efficacité du traitement expérimental.* »

(1) L'EMA et la FDA sont les organismes qui enregistrent les nouveaux médicaments pour tout le territoire européen ou américain et qui délivrent leur autorisation de mise sur le marché.

Source URL: <https://www.novartis.be/fr/stories/le-monde-de-linnovation/essais-cliniques-episode-3>

Links

[1] <https://www.novartis.be/fr/stories/le-monde-de-linnovation/essais-cliniques-episode-3>

[2] <https://www.novartis.be/fr/stories/innovations>