

Essais cliniques : épisode 4 ! ^[1]

Innovation ^[2]

Dernier épisode de notre série sur les essais cliniques ! Pour conclure, intéressons-nous à la phase 4 qui fournit de précieux renseignements sur les effets d'un médicament dans la vie « réelle ».

En Europe, quand un nouveau traitement a passé les essais cliniques de phase 3 avec succès, la firme pharmaceutique l'enregistre d'abord auprès de l'Agence européenne du médicament (EMA). Si le médicament remplit tous les critères de sécurité et d'efficacité requis, l'EMA délivre une autorisation de mise sur le marché (AMM), valable dans tous les pays de l'Union européenne.

Quand s'organise la phase 4 ?

Ensuite, si la firme souhaite obtenir le remboursement de son médicament pour une indication donnée, elle introduit une demande auprès de l'organe national compétent. En Belgique, il s'agit de la Commission de remboursement des médicaments. Cette procédure peut prendre jusqu'à un an. En attendant la décision, la firme peut organiser une phase 4. *« C'est souvent une vaste étude internationale qui regroupe des milliers de patients »*, explique le Dr Andrea Gombos, oncologue à l'Institut Jules Bordet. *« Son principal objectif est de lister et de documenter la toxicité d'un médicament de façon la plus exhaustive possible. Car, statistiquement parlant, plus le nombre de patients est important, plus grande est la probabilité de voir apparaître des effets secondaires rares ou inédits, qui n'auraient pas ou peu été observés durant la phase 3. »*

Un recrutement rapide

Une fois sur le marché, le nouveau traitement n'est plus réservé à quelques centres triés sur le volet. Théoriquement, tous les oncologues peuvent le prescrire. Ce qui permet de recruter un grand nombre de patients en seulement quelques mois. Par contre, la phase 4 peut durer plus longtemps que les autres. *« En oncologie, surtout dans les stades avancés ou métastatiques, le nouveau traitement est souvent administré jusqu'à l'apparition d'une intolérance ou jusqu'à la progression de la maladie »*, explique le Dr Gombos. Ce qui peut prendre des mois, voire des années.

Un médicament dans la vie « réelle »

Les essais cliniques de phase 4 ne sont pas toujours obligatoires. Parfois, les firmes pharmaceutiques sont libres de les organiser... ou pas. *« Néanmoins, pour les médecins comme pour les patients, c'est plus rassurant de savoir qu'une phase 4 a été organisée ou est en cours. En effet, elle permet de recueillir des informations pertinentes et parfois inédites sur les effets d'un médicament dans la vie réelle »*, poursuit le Dr Gombos. *« Certes, les médecins qui prescrivent le nouveau traitement doivent respecter une série de critères : type de cancer, stade déterminé, contre-indications connues, etc. Toutefois, les critères d'inclusion sont un peu plus souples. »*

Par exemple, alors que les 3 premières phases excluent souvent plusieurs autres thérapies, en phase 4, les patients suivent souvent d'autres traitements ou prennent des médicaments de type symptomatiques (antidouleurs, antiémétiques, antipyrétiques, etc.). Ce qui permet de repérer d'éventuelles interactions médicamenteuses.

Question économique et intérêt pour la recherche

Les informations récoltées durant une phase 4 doivent être publiés et peuvent jouer en (dé)faveur du nouveau traitement alors même que les autorités compétentes doivent statuer sur son éventuel remboursement ou le réévaluer. « *La phase 4 peut avoir un objectif "pharmacoéconomique"* », explique le Dr Gombos. « *Autrement dit, les bénéfices du nouveau traitement valent-ils le coût qu'il représentera pour la collectivité ? Pour le système des soins de santé, c'est toute la question !* »

Dans tous les cas, la phase 4 a un intérêt pour la recherche. « *Les examens médicaux de suivi (prise de sang, scanner, etc.) effectués pendant une phase 4 – et qui sont semblables à ceux d'une phase 3 – permettent de "collectionner" les résultats et réponses au traitement, plus proches de la vie réelle* », ajoute le Dr Gombos. « *Ce qui permet parfois d'établir des paramètres de prédictibilité qui, à terme, améliorent la prise en charge des patients.* »

Et après ?

Une fois la phase 4 terminée, même lorsque le médicament est remboursé et est rentré dans l'arsenal thérapeutique, il ne cesse jamais totalement d'être surveillé. Si un patient souffre d'un effet secondaire inédit ou inattendu, les médecins ont l'obligation de le rapporter à l'Agence fédérale des médicaments et produits de santé (AFMPS).

Retrouvez nos articles sur les essais cliniques

- [de phase 1](#) [3]
- [de phase 2](#) [4]
- [de phase 3](#) [5]

Source URL: <https://www.novartis.be/fr/stories/le-monde-de-linnovation/essais-cliniques-episode-4>

Links

- [1] <https://www.novartis.be/fr/stories/le-monde-de-linnovation/essais-cliniques-episode-4>
[2] <https://www.novartis.be/fr/stories/innovations>
[3] <https://www.novartis.be/fr/stories/le-monde-de-linnovation/essais-cliniques-episode-1>
[4] <https://www.novartis.be/fr/stories/le-monde-de-linnovation/essais-cliniques-episode-2>
[5] <https://www.novartis.be/fr/stories/le-monde-de-linnovation/essais-cliniques-episode-3>