

# Les différentes phases de recherches sur un médicament en pédiatrie

# 6

v.0424.3

*Nous vous proposons une collection de fiches pratiques pédagogiques destinées aux familles afin qu'elles puissent mieux appréhender les situations rencontrées dans le cadre d'une étude en recherche clinique quelle que soit la maladie concernée.*

## A propos de cette fiche

Les médecins proposent que votre enfant participe à une recherche médicale. Il existe plusieurs sortes de recherche dans le domaine médical. Les principes et lois qui sont attachés à ces recherches ne sont pas les mêmes selon le type de recherche envisagé. Vous devez les connaître pour comprendre les conséquences de votre décision.

## Objectif

L'objectif de ce document est de vous expliquer le chemin que parcourt une molécule avant de devenir un médicament. Dans ce parcours, des recherches sont menées sur l'être humain dont font partie les enfants.

## Quoi

Après une période de recherche au laboratoire, appelée « préclinique », certaines molécules prometteuses vont faire l'objet de recherches sur l'être humain en vue de devenir des médicaments.

### Phase I : Évaluation de la TOLÉRANCE

*Les essais de phase I* représentent la première administration d'un produit expérimental chez l'être humain. Ils ont pour objectif d'évaluer la tolérance, c'est-à-dire si le médicament est bien supporté et n'engendre pas des effets indésirables trop fréquents ou graves. Ces essais servent à déterminer la dose recommandée du nouveau traitement.

### Phase II : Évaluation de l'EFFICACITÉ

*Les essais de phase II* permettent d'évaluer, en plus de la tolérance, l'efficacité du nouveau traitement. En pédiatrie, les phases I et II sont généralement combinées.

### Phase III : Prouver l'INTÉRÊT THÉRAPEUTIQUE

La phase III permet d'évaluer l'intérêt thérapeutique du médicament sur un nombre de patients beaucoup plus important : de quelques centaines, à des milliers pour des maladies très fréquentes comme l'hypertension.

Les volontaires sont **le plus souvent répartis en deux groupes** afin de comparer l'efficacité du **candidat médicament** (le traitement expérimental) à un **médicament de référence qui a déjà fait ses preuves** mais qui peut encore être amélioré, soit en changeant la façon de l'administrer soit en changeant le principe d'action (autre molécule).

Deux groupes de patients homogènes et comparables sont donc constitués **par tirage au sort**, appelé *randomisation* : l'un recevra **le traitement de référence** et l'autre le traitement expérimental. Ce n'est donc pas le médecin qui décide de l'attribution de l'un ou l'autre des traitements, et **le participant ne peut pas choisir son groupe**.

Cette procédure permet de garantir l'intégrité et l'objectivité des données recueillies concernant le nouveau traitement expérimental.

A l'issue de ces 3 phases, et en fonction des résultats des essais cliniques, les autorités sanitaires délivrent (ou non) une **Autorisation de Mise sur le Marché (AMM)** au médicament testé.

### Phase IV : Évaluation des effets lointains (PHARMACOVIGILANCE)

Quand le nouveau médicament est commercialisé, il fait encore l'objet d'une surveillance étroite pendant plusieurs années. L'objectif est d'approfondir la connaissance de celui-ci dans les conditions réelles d'utilisation, d'évaluer sa tolérance sur plusieurs milliers de patients et de détecter les effets indésirables rares, exceptionnels et/ou retardés, qui n'auraient pas pu être mis en évidence dans les phases précédentes où les patients étaient moins nombreux.

## Qui fait quoi

**La recherche** de nouveaux médicaments est souvent l'association de scientifiques travaillant dans les unités de recherche publique (*Institut Nationale de la recherche médicale INSERM, par exemple*) et de chercheurs des industries pharmaceutiques. Elle peut être aussi le résultat d'une seule équipe. Par la suite, **la mise au point technique** du médicament sera le travail de spécialistes comme ceux qui mettent au point le comprimé ou le soluté qui sera injecté; etc. **La surveillance** (pharmacovigilance) revient à la fois à l'*Agence Nationale de Sécurité des Médicaments et des produits de santé (ANSM)* et au producteur.

## Un cas particulier

En pédiatrie plusieurs éléments spécifiques sont importants, par exemple : l'enfant n'a pas la même maturité physiologique que l'adulte. Il faut tenir compte de son évolution et de sa vie future pour démarrer une recherche.

## Mots clés associés pour rechercher d'autres informations

Pharmacovigilance, Répertoires des essais cliniques de médicaments, Base nationale des essais cliniques, Le cadre réglementaire des recherches cliniques (*nous vous invitons à parcourir le site du CERPed.fr pour une vue spécifique à la pédiatrie*), usage du placebo dans la recherche

## Questionner pour comprendre

Il peut être difficile de penser à des questions à poser quand votre quotidien est chargé et que beaucoup d'informations vous parviennent. De nombreux parents disent qu'il est utile de disposer d'une liste de questions déjà préparée. Il est toujours important de noter les questions qui vous viennent à l'esprit, elles doivent essayer de trouver des réponses pour ne pas produire de l'angoisse, du doute.

Les questions ci-après peuvent servir de base :

- Comment les résultats des phases antérieures ont-ils influencé la décision de passer à la phase d'étude sur des personnes ?
- Quand le médicament est commercialisé, y a-t-il encore une période de surveillance par les autorités ?
- Lors de recherches pour des traitements qui soignent, est-ce que tous les traitements reçus par les participants soignent ?
- J'ai entendu parlé de "placebo", est-ce qu'il y en a dans cette recherche ? Quand est-ce que cela est utilisé ? Pour quels types de recherche ?

**Notez ici les vôtres ou ajoutez-les sur une feuille ou un mémo sur votre téléphone**