



# Qu'est-ce qu'un essai clinique ?

Une introduction pour les patientes et leurs familles



**IMAGYN**

Initiative des Malades Atteintes  
de cancers Gynécologiques

Information Recherche Partage Sensibilisation Soutien







# Introduction

---

*L'espérance de vie en Europe depuis le début de ce siècle n'a cessé d'augmenter.*

*Nous attribuons cette heureuse évolution à divers facteurs, dont bien sûr les énormes progrès effectués dans le domaine médical. Aujourd'hui, de nombreuses maladies sont curables ou du moins peuvent être traitées de façon à prolonger l'espérance de vie. Les essais cliniques*

*sont au centre de ces progrès, puisqu'ils donnent une base scientifique aux nouveaux médicaments, aux nouvelles stratégies thérapeutiques et aux procédures diagnostiques innovantes.*

*Les nouveaux traitements sont autorisés par l'Agence Européenne du Médicament (EMA pour European Medicines Agency) s'ils ont prouvé qu'ils étaient plus efficaces que le traitement de référence et ils sont surveillés de très près dans chaque pays pour s'assurer qu'ils sont sans danger.*

*Avant de pouvoir être utilisés en pratique courante, ils doivent subir de longues années de développement, pour s'assurer qu'ils sont sûrs et efficaces. En moyenne générale, il se passe dix ans entre l'hypothèse initiale et l'utilisation en pratique clinique.*

*Cette brochure entend vous donner une information compréhensible sur les essais cliniques dans les cancers gynécologiques. Elle a été conçue pour vous aider à décider de participer (ou non) à un essai clinique que l'on vous aurait proposé, et comment en savoir plus sur la participation à un essai.*

*Toute personne participant à une étude le fait totalement volontairement, et peut aussi en sortir à n'importe quel moment, sans avoir à en donner la raison.*



*Birthe Lemley,  
patiente atteinte de cancer ovarien, Danemark,  
et membre d'ENGAGE :*

“

Les patientes atteintes de cancers gynécologiques, devraient être encouragées à participer à des essais cliniques, car elles pourraient recevoir une meilleure prise en charge qu'avec le traitement standard. Elles sont surveillées d'avantage, des scanners et des examens biologiques sont réalisés régulièrement en accord avec les critères du protocole de l'étude. La surveillance de suivi est établie pour évaluer la sécurité et la qualité de vie. Les patientes sont souvent réparties dans différents « bras » de traitement. Le nouveau traitement peut être comparé au traitement standard, ou à un placebo mais uniquement si aucun traitement standard n'est applicable. Les patientes atteintes de cancer n'auront pas de placebo dans un essai s'il existe un traitement standard. Si le résultat de l'essai est concluant, cela bénéficiera à la patiente qui a fait l'essai, et aux futures patientes. Il y a aujourd'hui beaucoup plus de traitements du cancer efficaces qu'il y a seulement quelques années, mais de nouvelles avancées dans la recherche de nouvelles molécules ne sont possibles que si nous, patientes atteintes de cancer, souhaitons entrer dans un essai clinique. Les essais donnent de l'espoir au patient et de l'espoir pour de meilleurs traitements dans le futur.

”



# Qu'est-ce qu'un essai clinique ?

Les essais cliniques, encore appelés études, sont une forme de recherche qui concerne des personnes. Ils sont la dernière étape d'un long processus qui commence par la recherche en laboratoire. Il y a en général trois phases dans chaque essai clinique.

## Les trois phases d'un essai clinique

1

**Dans la Phase I**, le nouveau traitement est habituellement donné à de très petites doses aux premiers patients. Les doses sont progressivement augmentées chez ces mêmes patients, car le but de cette phase est principalement d'étudier comment cela affecte le corps humain, afin de trouver la juste dose pour la phase II et déterminer comment elle doit être administrée. Un essai de phase I est normalement de petite taille, incluant entre 15 et 30 patients.

2

**Dans la phase II**, on étudie l'efficacité du traitement ainsi que les effets secondaires. Les essais de phase II concernent un plus grand nombre de patients que la phase I, mais en général ce nombre est inférieur à 100.

3

**En phase III**, la sécurité et l'efficacité du nouveau traitement sont habituellement comparées au meilleur traitement existant ou au traitement standard reconnu. Dans un essai de phase III, les patients sont répartis au hasard dans différents « bras » (groupes) de traitement, selon un procédé semblable à un jeté de dés, que l'on appelle « randomisation ». On donne au groupe de l'étude le nouveau traitement ou la procédure à tester ; on donne au groupe contrôle le meilleur traitement existant ou le traitement standard reconnu. Il est important de comprendre que les patientes ne peuvent pas choisir le groupe dans lequel elles seront, et il se peut qu'elles ne reçoivent pas le traitement expérimental au cours de l'essai.

L'essai de phase III, qui concerne en général des centaines voire des milliers de patients, est une condition préalable à l'approbation officielle d'un nouveau traitement par l'EMA (l'Agence européenne des médicaments) en Europe car c'est la seule façon d'évaluer

l'efficacité du nouveau traitement par rapport aux traitements existants.

Il faut noter que la randomisation, habituellement associée aux essais de phase III, est de plus en plus utilisée dans les essais de phase II, pour éviter l'influence d'autres facteurs que le traitement lui-même sur les résultats.



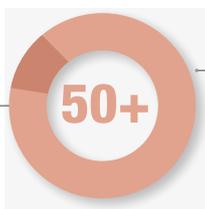
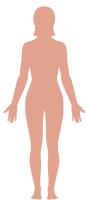
## LE CANCER DE L'ENDOMÈTRE EN CHIFFRES

En moyenne **80%** des femmes sont en vie 5 ans après le diagnostic.



**80%**

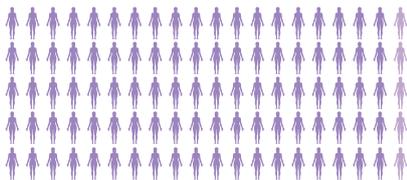
Plus d'un cancer féminin sur **20** affecte l'endomètre, et les taux augmentent en partie à cause de l'âge de la population et de l'obésité croissantes.



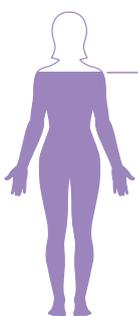
Plus de **90%** des cas surviennent chez des femmes de plus de 50 ans.

## LE CANCER DU VAGIN/VULVE EN CHIFFRES

**95%** des femmes sont en vie 5 ans après le diagnostic si le cancer du vagin est diagnostiqué précocement.



Cependant l'espérance de vie est plus faible dans les stades avancés.



**8 femmes sur 10**

atteintes d'un cancer de la vulve sont en vie 5 ans après le diagnostic s'il est débutant. Mais la survie à 5 ans est faible si le diagnostic est fait à un stade avancé.

Les femmes de plus de **65** ans ont plus de risque de développer un cancer de la vulve.

## LE CANCER DE L'OVAIRE EN CHIFFRES

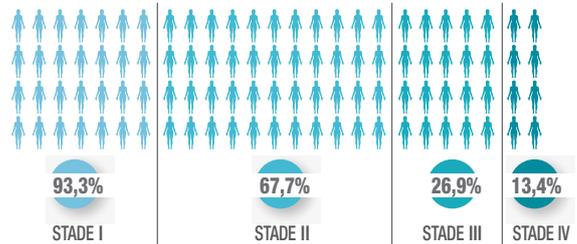
C'est le **6<sup>e</sup>** cancer le plus fréquent chez les femmes en Europe. L'Europe a l'un des taux les plus élevés de cancers de l'ovaire dans le monde.

**Plus de 4%**

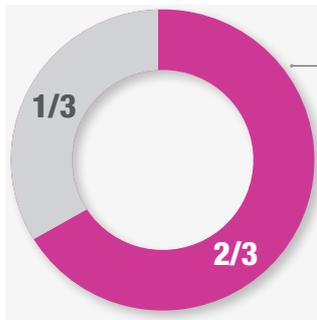
des femmes en Europe vont développer un cancer de l'ovaire.



LA SURVIE À 5 ANS **DIMINUE SIGNIFICATIVEMENT** SELON LE STADE AU DIAGNOSTIC.



## LE CANCER DU COL EN CHIFFRES



En moyenne

**2/3**

sont en vie 5 ans après un diagnostic de cancer du col.



Il y a de grandes variations dans les risques : les roumaines ont dix fois plus de risque de mourir d'un cancer du col que les finlandaises.

## Qui conduit les essais cliniques ?

Les chercheurs pratiquent des essais cliniques sur différents sites. De nombreux essais cliniques sont menés dans des centres de traitement du cancer car les moyens disponibles y sont plus importants. Habituellement les centres de traitement du cancer collaborent entre eux au sein de réseaux cliniques, en appliquant les mêmes critères de bonne pratique des soins, en réalisant des essais cliniques et en partageant leurs résultats. L'équipe de recherche qui conduit l'essai clinique peut comporter des chercheurs scientifiques, des médecins, des infirmières, des travailleurs sociaux, des diététiciens et d'autres professionnels de santé.

## Comment sont approuvés les essais cliniques ?

Le prérequis pour conduire un essai clinique est un protocole d'étude détaillé, à savoir une description écrite prédéfinie des intentions et du but de l'étude, des effets secondaires possibles, du déroulement précis de l'essai, des droits et devoirs du patient, et le calendrier des analyses à faire, pour comparer les résultats. Un comité éthique composé d'experts indépendants et de profanes examine le protocole d'essai et décide, sur la base des dernières connaissances, s'il est utile et éthiquement justifiable de mener l'étude. Le comité d'éthique examine également si les médecins et les établissements qui mènent ces études disposent des connaissances et des structures suffisantes pour administrer un tel traitement.

Tout changement dans le protocole, aussi infime soit-il, doit être discuté avec la personne endossant toute la responsabilité de l'étude et soumis à l'approbation du comité d'éthique. Ce standard élevé assure que la sécurité et la confidentialité du patient participant à l'essai pour développer de nouveaux médicaments, sont toujours les principes directeurs de l'essai.

Tous les patients participant à un essai devraient avoir une information orale et écrite compréhensible avant d'entrer dans l'essai, et suffisamment de temps pour y réfléchir.

## Pourquoi rentrer dans un essai clinique ?

Le principe fondamental de tout essai est la sécurité et le bien-être du patient pendant l'essai. Cela prend le pas sur les intérêts de la recherche scientifique.

Il y a de nombreuses bonnes raisons de participer à un essai clinique. Pour les patients, il est réconfortant de savoir que, comme participants, ils ont accès à un nouveau et potentiellement meilleur traitement, qui ne pourrait leur être proposé autrement. De plus, pouvoir activement contribuer aux progrès de la médecine et au renforcement des connaissances qui bénéficieront à de futurs patients, est motivant.



Pr Philippe Maurice,  
Président de l'ESGO

“

Si nous parlons des patients qui participent à un essai clinique, ils ont souvent un meilleur suivi. Comme le traitement est donné au cours d'un protocole selon des critères de bonne qualité de soins, le processus de suivi est ajusté pour évaluer la sécurité, et il est possible de recevoir un traitement plus efficace.

”

# Quels sont les bénéfices d'une participation à un essai clinique ?



Pr. Murat Gultekin,  
co-président d'ENGAGE

“ Les essais cliniques offrent de l'espoir à de nombreuses personnes et l'opportunité d'aider les chercheurs à trouver de meilleurs traitements pour d'autres dans le futur. ”

Participer à un essai clinique présente un autre avantage qui est la surveillance étroite des participants à l'essai. Les patientes participant à un essai clinique sont soumises à des examens médicaux particulièrement intenses et soigneux, et l'efficacité du traitement est mesurée précisément selon un calendrier adapté à l'étude et au traitement évalué.

La surveillance de la patiente n'apporte pas seulement d'importantes données en termes de travail scientifique, mais cela aide vos médecins à noter tout changement dans votre état afin de prendre rapidement les mesures qui s'imposent si nécessaire.

Dans la plupart des études cliniques, le médecin responsable de l'essai et de vos soins, collecte, analyse et vérifie non seulement les données de santé importantes relatives à l'étude, mais aussi de nombreuses autres données. L'avantage est que les effets secondaires du traitement et les modifications de votre état de santé peuvent être rapidement reconnus et traités.

De plus, un essai clinique fait intervenir des médecins spécialisés dans un grand nombre de disciplines, experts dans le traitement de différentes maladies. Cela permet un traitement optimal, quel que soit le bras de traitement auquel vous avez été assignée ou les effets secondaires ressentis.

Participer à un essai clinique est toujours un acte volontaire et requiert votre consentement écrit.

Les patientes doivent comprendre l'objectif de l'étude, ses spécificités, et quels risques, s'il y en a, elles encourent. Il faut aussi qu'elles comprennent que les traitements expérimentés ne sont pas toujours meilleurs, ou au moins aussi bons, que des traitements existants, et qu'ils peuvent avoir des effets indésirables inattendus.

**Toute personne éligible à un essai clinique peut être sûre qu'elle ne sera jamais contrainte de faire quoique ce soit contre sa volonté et qu'elle peut quitter l'essai à tout moment.**

# Pensez-vous participer à un essai clinique ?



Voici quelques questions que vous pourriez poser à votre oncologue ou à votre équipe de soins :

- Suis-je éligible à un essai clinique ?
- Quel est l'objectif de l'essai ?
- Quels sont les bénéfices ?
- Quels sont les effets secondaires et les risques ?
- Combien de personnes sont recrutées dans cet essai ?
- Qu'est-ce que ça implique et combien de temps cela va-t-il durer ?
- Combien de fois dois-je me rendre à l'hôpital ?
- Serais-je informée des résultats ?
- Comment puis-je savoir quels sont les essais cliniques en cours ?
- Quels types de traitements, de procédures, et/ou de tests aurais-je pendant l'essai ?
- Comment cet essai va-t-il affecter mon traitement habituel et ma vie quotidienne ?
- Dois-je arrêter mon traitement habituel ou continuer à prendre mes médicaments régulièrement pendant l'essai ?
- Si la personne en charge de mes soins médicaux pendant l'essai est différente de celle qui me prescrit mon traitement habituel, comment se fera la communication/interaction entre les deux ?
- Puis-je en parler avec d'autres personnes participant à l'étude ?
- Quelle est la procédure pour sortir de l'étude une fois que je l'ai commencée ?
- Ma participation engendrera-t-elle des dépenses pour moi ?
- Est-ce que l'assurance maladie couvrira les dépenses ?
- Quelles seront mes responsabilités si je participe ?
- Combien de temps serais-je dans l'étude ?
- Est-ce que j'ai plus/ d'autres options thérapeutiques que cet essai ?



Pr. Antonio Gonzales,  
Président d'ENGOT



Les patientes atteintes de cancers gynécologiques ne devraient pas hésiter à se porter volontaires pour des essais cliniques, parce qu'ils ont conduit à de nombreux bénéfices pour des patientes dans le monde entier, et permis l'accès aux traitements les plus innovants. Cependant, nous leur recommandons d'en parler avec leur équipe soignante afin d'être pleinement informées avant de prendre une décision.



# Comment participer à un essai clinique ?

Il y a plusieurs façons de se renseigner sur les essais cliniques pour les patients.

Certains pays ont des sites web mais le meilleur moyen est encore de demander à votre oncologue. Il y a aussi des informations sur les essais cliniques sur les sites suivants :

European Union Clinical Trials Register: <http://tinyurl.com/khewfg4>

ENGOT: <https://engot.esgo.org/discover/for-patients/>

Target Ovarian Cancer: <http://clinicaltrials.targetovariancancer.org.uk>

NIH - database of privately and publicly funded clinical studies conducted around the world: [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov)



Ico Toth,  
Co-présidente d'ENGAGE

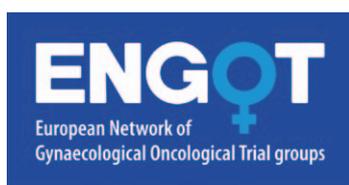
*Les essais cliniques sont des études de recherche destinées à évaluer la sécurité et l'efficacité de nouveaux traitements ou types de thérapies.*

*Cette brochure a été spécifiquement réalisée comme un outil pédagogique pour les patientes et leurs familles, en leur fournissant un éclairage sur la façon dont les essais cliniques fonctionnent. C'est une base pour ceux qui comptent se porter volontaires pour participer à un essai clinique, sur le conseil de leur médecin.*

*ENGAGE travaille avec des professionnels de santé, des responsables politiques et les patientes elles-mêmes, pour mieux comprendre le rôle des patientes et leur contribution à la conception des essais cliniques et les obstacles actuels à leur participation à la recherche.*

*Les patientes ont une connaissance unique de leur maladie, de leur traitement et de leur qualité de vie. Ces informations ont une grande valeur pour les chercheurs et les responsables politiques, quand des priorités doivent être établies.*

La **Société européenne d'oncologie gynécologique (ESGO)** est une organisation éducative professionnelle et la principale société européenne d'oncologie gynécologique contribuant à l'étude, à la prévention et au traitement des cancers gynécologiques. Aujourd'hui, l'ESGO compte plus de 1800 membres dans plus de 40 pays d'Europe et s'efforce d'améliorer la santé et le bien-être des femmes européennes atteintes d'un cancer gynécologique (génital et du sein) par la prévention, l'excellence dans les soins, la recherche et l'éducation de haute qualité.



Le **réseau européen des groupes d'essais gynécologiques oncologiques (ENGOT)** est un réseau d'études européennes de l'ESGO et une plate-forme qui garantit que l'esprit et la culture européenne sont intégrés dans le progrès, en particulier dans la recherche sur les cancers gynécologiques, et que tous les patients et pays européens peuvent participer de manière active dans la recherche clinique et le progrès. L'objectif d'ENGOT est d'apporter le meilleur traitement à toutes les patientes atteintes d'un cancer gynécologique et permettre à chaque patiente de chaque pays européen d'accéder à un essai clinique. Le réseau ENGOT comprend 21 groupes d'essai de 25 pays européens. Ces groupes d'essai coordonnent le développement de nouveaux traitements contre le cancer, mais apprennent aussi de la recherche fondamentale dans le domaine de la recherche gynécologique sur le cancer.



Créé par l'ESGO en 2012, le **réseau européen des associations de défense dans les cancers gynécologiques. (ENGAGe)** est un réseau d'associations européennes de défense des patientes représentant tous les cancers gynécologiques, y compris cancers de l'ovaire, de l'endomètre, du col de l'utérus, de la vulve et gynécologiques plus rares sous l'égide d'ESGO. Il y a de grandes variations entre les soins aux patientes à travers l'Europe, et les patientes ne sont pas suffisamment informées sur les cancers et leur gestion. Le soutien psychosocial tout au long du parcours n'est parfois pas idéal.

Les objectifs d'ENGAGe sont:

- Faciliter le développement d'associations de patientes atteintes de cancers gynécologiques en Europe et faciliter la mise en réseau et la collaboration entre eux.
- Diffuser des informations et partager les meilleures pratiques auprès des associations de patientes et ainsi améliorer la qualité des soins à travers l'Europe.
- Accroître la représentation des patientes dans les activités de l'ESGO par l'éducation sur la recherche actuelle et la politique de santé.
- Promouvoir les politiques, les pratiques de soins aux patientes et l'accès à des soins appropriés aux niveaux national et européen.
- Éduquer les groupes de patientes, les professionnels de la santé, le public et les décideurs de la santé.

# Remerciements

---

*ENGAGE souhaite remercier les auteurs, les contributeurs, les membres du Groupe Exécutif d'ENGAGE ainsi que les responsables d'ENGOT pour leur travail et leur disponibilité constante.*

---

L'information contenue dans ce guide ne peut être considérée comme un avis médical ou légal, ou comme un substitut à une consultation avec un médecin ou tout autre professionnel de santé. Les patientes qui ont des questions sur leur état de santé doivent appeler ou consulter leur médecin rapidement, et ne doivent pas ignorer l'avis des professionnels ou retarder une consultation en raison des informations lues dans ce guide. La mention de quelque produit, service ou traitement ne peut pas être interprétée comme ayant reçu l'approbation de l'ESGO.