

LES ETUDES CLINIQUES



Brochure d'information destinée
aux malades et à leurs proches

Remerciements

L'EORTC remercie la "Fondation Cancer" pour son soutien financier qui a permis la publication de cette brochure.



LES ETUDES CLINIQUES

Ce texte a été adapté par l'EORTC sur base d'une brochure d'information publiée par l'Institut National du Cancer (NCI) des Etats-Unis.



Pour plus d'informations, veuillez contacter:

Françoise Meunier, MD, PhD, FRCP
Directeur Général de l'EORTC
Avenue E. Mounier, 83, bte 11
B-1200 Bruxelles, Belgique
Tél: +32 2 774 16 30
Fax: +32 2 771 20 04
E-mail: fme@eortc.be

Samantha Christey
Responsable de la Communication
Avenue E. Mounier, 83, bte 11
B-1200 Bruxelles, Belgique
Tél: +32 2 774 16 51
Fax: +32 2 772 62 33
E-mail: sch@eortc.be

EORTC: <http://www.eortc.be>

Table des matières

Informations générales sur les essais cliniques

	Page
1. Qu'est-ce qu'une étude clinique en cancérologie ?	4
2. Pourquoi les essais cliniques sont-ils si importants ?	5
3. Quel est l'intérêt, pour un malade, de participer à un essai clinique ?	5
4. Qu'est-ce que le consentement éclairé ?	7
5. Quels sont les risques ?	7
6. Pourquoi les traitements contre le cancer provoquent-ils des effets secondaires ?	8
7. Comment savoir quels essais sont disponibles pour votre type de cancer ?	9
8. Quel est le bon choix pour vous ?	9
9. Quelles sont les questions importantes à poser ?	10
10. Comment entrer dans une étude clinique ?	11
11. Quel est exactement le rôle du malade dans une étude clinique ?	11
12. Peut-on quitter une étude en cours ?	12
13. De quelle protection bénéficie le malade dans un essai clinique ?	12
14. Quels sont les différents types d'études cliniques ?	13
Les différentes phases des études cliniques : Phase I, Phase II, Phase III Comment sont effectuées les études cliniques ?	
15. Le programme des recherches effectuées par l'EORTC	17
Lexique	20

Informations générales sur les essais cliniques

Vous souffrez d'un cancer et votre médecin ou l'un de vos proches a évoqué avec vous la possibilité de participer à une étude clinique parce qu'il est convaincu que cela vous serait utile, notamment, en vous faisant bénéficier d'un suivi particulièrement attentif, ce qui a toujours des effets positifs sur le traitement.

Vous devez tout d'abord savoir que, aujourd'hui, environ 50% des malades qui ont eu un cancer sont guéris.

Ces résultats spectaculaires sont encourageants, mais il reste encore de nombreux progrès à faire.

L'amélioration progressive de la survie et de la qualité de vie des malades ne peut se faire que grâce à la recherche clinique, c'est-à-dire la comparaison rigoureuse et objective, chez des malades, du meilleur traitement connu avec de nouveaux traitements qui semblent plus prometteurs encore.

La première étape de cette recherche est dénommée "Recherche Préclinique" parce qu'elle est effectuée en laboratoires, puis testée sur des animaux par des universités, des institutions de recherche privées ou des firmes pharmaceutiques.

Lorsqu'il apparaît à ces spécialistes de la recherche qu'ils ont découvert un nouveau traitement qui semble plus efficace et/ou moins toxique que le meilleur traitement connu, ils passent à l'étape suivante dénommée "Etude Clinique" parce qu'elle est effectuée avec des malades.

C'est pour établir avec précision les effets bénéfiques et, éventuellement les effets secondaires, de ces nouveaux traitements plus prometteurs que vous ferez l'objet d'une surveillance toute particulière si vous participez à une de ces études cliniques.

En outre, vous serez sûr d'être parmi les premiers à bénéficier des derniers progrès de la médecine.

Soyez sans crainte: il ne s'agit jamais pour le médecin qui vous soigne de jouer à l'apprenti sorcier ! Toutes les modalités de prise en charge d'un patient qui entre dans un essai clinique sont définies avec précision et soumises à diverses réglementations (nationales et internationales) et à des organes de contrôle très rigoureux.

Les études cliniques doivent être menées sur un grand nombre de malades, dont les données doivent pouvoir être comparées (type de tumeur, condition physique, ... etc.), afin de pouvoir démontrer que le nouveau traitement est meilleur et/ou moins toxique que le traitement standard (appelé aussi "traitement de référence").

On n'entre pas dans une étude clinique sans y avoir bien réfléchi; votre médecin et le personnel soignant sont là pour vous aider à prendre votre décision en toute connaissance de cause. Vous avez le droit de poser toutes les questions que vous souhaitez et de recevoir un maximum d'informations avant de donner votre accord et de signer la "déclaration de consentement éclairé" qui est le préalable nécessaire à votre entrée dans une étude clinique appropriée à votre maladie.

A tout moment, vous pourrez ensuite décider d'en sortir et de revenir à un autre traitement; en effet, il est essentiel que le malade adhère pleinement et en toute confiance au programme dans lequel il s'engage.

Cette brochure a été rédigée pour vous aider ainsi que votre entourage à comprendre en quoi consistent les études cliniques et à dissiper le mystère qui les recouvre parfois; elle vous aidera à voir clair dans les questions que vous vous posez et que vous ne manquerez pas de poser au médecin qui vous a proposé de participer à une étude clinique et au personnel qui prend soin de vous.



Qu'est-ce qu'une étude clinique en cancérologie ?

C'est une étude menée avec des malades atteints de cancer pour évaluer un nouveau traitement. Celui-ci a d'abord été très méticuleusement mis au point en laboratoire, puis testé sur des animaux. Ses effets positifs sur la maladie ont donc déjà été constatés et la manière la plus efficace de le mettre en oeuvre a aussi été déterminée.

Lorsque ces résultats préliminaires se révèlent concluants, les spécialistes abordent l'étape suivante, dans laquelle il s'agit d'évaluer le traitement sur des malades atteints de cancer. L'espoir est que de nouveaux traitements plus efficaces et moins toxiques puissent être mis au point.

Les essais cliniques ont pour but de déterminer si un nouveau traitement, qui s'est avéré prometteur en laboratoire et sur l'animal, est efficace et sans danger pour les malades atteints de cancer, mais aussi s'il est supérieur au traitement standard qui sert de référence.

Il est bien entendu que seuls les malades qui le désirent participent à un essai clinique. Si cela vous intéresse ou si votre médecin vous l'a proposé, n'hésitez pas à lui demander tous les renseignements utiles avant de prendre votre décision.



Pourquoi les essais cliniques sont-ils si importants ?

Les progrès réalisés en médecine sont le fruit des recherches précliniques et cliniques, longues, fastidieuses, qui se complètent l'une l'autre.

Comme tous les traitements existants, chaque nouveau traitement peut comporter à la fois des avantages et des inconvénients. Il est indispensable, avant de l'intégrer dans la pratique courante, de démontrer que ce nouveau traitement est bien sans danger pour le malade et qu'il est supérieur aux traitements qui existent déjà et servent de référence.

Les études se font avec des malades volontaires. Aucun nouveau traitement du cancer n'est mis à la disposition de tous les malades s'il n'a, au préalable, fait ses preuves dans le cadre d'études cliniques rigoureuses.

Les progrès dans les traitements des cancers passent donc nécessairement par la recherche clinique.

Quel est l'intérêt, pour un malade, de participer à un essai clinique ?

De nombreux malades atteints de cancer sont guéris et beaucoup d'autres vivent aujourd'hui plus longtemps grâce à la plus grande efficacité des traitements disponibles.

Pour chaque type de cancer, de nombreuses modalités thérapeutiques peuvent être appliquées, ensemble ou séparément; elles comprennent la chirurgie, la radiothérapie, la chimiothérapie, l'hormonothérapie, l'immunothérapie, etc...

Il y a de nombreuses raisons, pour les malades, de participer aux essais cliniques.

D'abord, ils en espèrent un bénéfice direct tel que la guérison ou une espérance de vie plus longue ou encore une amélioration sensible de leur qualité de vie. Ils savent aussi qu'ils contribuent à l'effort de recherche qui permettra de faire progresser les thérapies et d'aider d'autres malades.

Les malades bénéficient ainsi d'une expertise multidisciplinaire et souvent internationale, car de plus en plus d'hôpitaux et de médecins contribuent à ces études cliniques.



Les études cliniques de qualité sont effectuées par des spécialistes reconnus et soumis au contrôle de leur pairs. Pour chaque type de cancer, les plus grands oncologues du monde se mettent d'accord périodiquement pour déterminer le meilleur traitement appelé traitement de référence ou traitement standard.

Le médecin qui vous propose de participer à une étude clinique vous donnera une information très complète sur les traitements qui seront testés. Il vous présentera un document où les risques et les résultats espérés sont décrits. Si vous êtes d'accord, il vous demandera de signer un formulaire appelé "Déclaration de consentement éclairé".

N'hésitez pas à demander que l'on vous explique tout ce qui ne vous paraît pas clair. Et si, finalement, vous ne voulez pas participer à une étude clinique, vous êtes tout à fait en droit de refuser; cela ne réduira en rien le dévouement de votre médecin et du personnel soignant.

Dans la pratique, un essai clinique est élaboré par des médecins-chercheurs sur la base des résultats d'études menées en laboratoire et sur l'animal, puis à partir d'études cliniques préliminaires et en tenant compte des traitements de référence existants.

Les malades qui prennent part à des études cliniques sont les premiers à bénéficier de nouveaux traitements. Ils sont suivis avec attention pendant toute la durée de l'essai clinique, mais aussi après la fin du traitement. En effet, tous les médecins et les infirmières qui collaborent à un essai clinique sont tenus à une surveillance permanente du patient afin de vérifier les bénéfices escomptés et d'intervenir immédiatement si le moindre effet secondaire apparaissait.

Les réactions au traitement des malades sont enregistrées et transmises à une centre de spécialistes qui les analyse.

Grâce à cette collaboration, tous les médecins concernés confrontent leurs idées et leurs expériences afin de suivre l'évolution des résultats; cette collaboration permet également de partager et de diffuser les connaissances des plus grands spécialistes dans le traitement du cancer, qu'ils soient chirurgiens, radiothérapeutes ou chimiothérapeutes.



Qu'est-ce que le consentement éclairé ?

Le formulaire de consentement éclairé vous est obligatoirement remis afin que vous en preniez connaissance et que vous réfléchissiez à l'intérêt pour vous de participer à une étude clinique.

Le « consentement éclairé » implique que le patient qui « consent » à entrer dans une étude clinique a été au préalable suffisamment « éclairé » sur ce que cela signifie. C'est à dire qu'il a bien reçu toutes les informations nécessaires pour comprendre l'essai, y compris sur les bénéfices qu'il peut en tirer et sur les risques potentiels.

Les médecins continuent tout au long de l'étude à fournir au malade toutes les explications utiles sur la nature de son traitement.

Quels sont les risques ?

Comme pour tout traitement expérimental ou non, les traitements utilisés dans les essais cliniques peuvent entraîner des risques qui ne sont pas toujours connus, même si des études approfondies ont déjà été effectuées avant que ces essais ne soient menés sur l'homme.

Les effets secondaires varient d'un patient à l'autre; ils sont, en général, comparables à ceux observés avec les traitements de référence; ils sont pour la plupart temporaires et disparaissent une fois le traitement terminé.

Certains médicaments de référence, déjà commercialisés, tout comme certains médicaments expérimentaux peuvent provoquer une chute des cheveux et des nausées. Pendant le traitement, le nombre des globules blancs peut diminuer; c'est pourquoi il est vérifié régulièrement. D'autres effets secondaires peuvent apparaître tardivement et endommager des organes tels que le cœur, les poumons, les reins, les ovaires ou les testicules et avoir une incidence sur la fertilité.

Les médecins-chercheurs sont évidemment conscients de ces risques et cherchent à les prévenir par une surveillance attentive pendant et après le traitement; ils répondront à toutes les questions que vous leur poserez avant ou pendant votre traitement.



Pourquoi les traitements contre le cancer provoquent-ils des effets secondaires?

Tout traitement médical (expérimental ou non) peut provoquer des effets secondaires.

Les traitements utilisés contre le cancer sont particulièrement puissants, parce qu'ils sont conçus pour détruire les cellules cancéreuses. Malheureusement, ces traitements peuvent également détruire les cellules saines et entraîner des effets secondaires. La chirurgie ou la radiothérapie sont également employées pour éliminer les tumeurs. Les médecins-chercheurs tentent de découvrir des traitements qui empêchent la destruction de cellules saines tout en prolongeant la survie et la qualité de vie du malade et en diminuant les effets secondaires de ces traitements.

Les résultats de tels efforts incluent :

- Des nouveaux médicaments anti-cancéreux mieux tolérés.
- Des médicaments anti-émétiques (qui empêchent la nausée et les vomissements).
- Des anti-douleurs.
- Des périodes de traitement moins longues.
- Des moyens plus adaptés pour protéger les tissus normaux pendant la radiothérapie.
- Des nouvelles méthodes de chirurgie (moins invasive ou moins mutilante).
- L'accès aux programmes d'aides psychologiques. Ceux-ci sont disponibles pour vous aider à faire face à ces périodes difficiles. Les spécialistes savent qu'il est important de soutenir les malades pendant et après le traitement.
- L'évaluation et le maintien de "la qualité de vie": un nouveau souci principal pour les médecins-chercheurs.



Comment savoir quels essais sont disponibles pour votre type de cancer ?

Les études cliniques sont menées dans des centres hospitaliers et universitaires ou dans des centres de lutte contre le cancer et les hôpitaux qui en dépendent. Parlez-en donc à votre médecin et demandez l'avis d'un oncologue.

L'EORTC (Organisation Européenne pour la Recherche et le Traitement du Cancer) coordonne des études cliniques dans toute l'Europe et détient les données les plus récentes sur les essais cliniques en cours pour chaque type de cancer, ainsi que les hôpitaux ou les médecins qui y participent.

Vous trouverez des explications sur l'EORTC et des renseignements complémentaires en fin de brochure et sur le site internet: <http://www.eortc.be>.

Quel est le bon choix pour vous ?

Il est peut-être difficile pour vous d'évaluer les diverses procédures de traitement et de prendre la décision qui s'impose. Vous êtes une personne avec ses spécificités; il est compréhensible que vous soyez troublé par ces questions.

Si vous êtes le parent d'un enfant atteint de cancer, il est certain que votre préoccupation majeure est de prendre la meilleure décision quant aux soins à lui apporter. Le mieux est de discuter des différentes méthodes de traitement avec votre médecin et avec vos proches pour être guidé dans votre choix.

Posez les questions sur les problèmes auxquels vous êtes confronté. Rien n'empêche que vous fassiez participer un membre de votre famille ou un ami aux entretiens que vous aurez avec votre médecin au sujet de votre maladie.

Et qu'il s'agisse d'un essai clinique ou du traitement de référence, rappelez-vous que vous n'êtes pas seul(e) : médecins, infirmières, assistants sociaux et autres spécialistes sont là pour vous aider.



Quelles sont les questions importantes à poser ?

- Quel est le but de l'étude ?
- Qui est le coordinateur responsable de l'étude ?
- Quelles sont les différentes sortes de tests et de traitements ? Renseignez-vous sur ce qui est fait et comment c'est fait.
- Qu'est-ce qui peut arriver dans mon cas avec ce nouveau traitement? Et sans lui ? Comment réagira mon cancer et comment vais-je réagir au traitement ?
- Comment cette étude peut-elle influencer sur ma vie quotidienne ?
- Quels sont les effets secondaires auxquels je peux m'attendre ? Le traitement de référence et la maladie peuvent également provoquer des effets secondaires ; demandez lesquels ?
- Combien de temps durera l'étude ? Va-t-elle nécessiter un investissement supplémentaire en temps de ma part ?
- Dois-je être hospitalisé ? Si oui, combien de fois et pour combien de temps ?
- Mes frais de traitement seront-ils différents ?
- Si j'ai des effets secondaires, à quels traitements aurai-je droit ?

- Quels soins à long terme font partie de l'étude ?
- Comment sont contrôlées les données de l'étude et la sécurité du patient ?
- Où vont les informations ainsi obtenues ?

En ce qui concerne les études coordonnées par l'EORTC, ces données sont acheminées vers un centre d'analyse où les informations sont traitées par des médecins, des statisticiens et d'autres scientifiques spécialisés en recherche clinique.

Il peut vous être utile, autant qu'à votre médecin, d'inscrire vos questions avant l'entrevue.

Comment entrer dans une étude clinique ?

Chaque étude est conçue pour des malades présentant certains types de cancer à certains stades de la maladie. Pour que l'essai qui compare deux ou plusieurs traitements puisse fournir des réponses valables, il faut que tous les malades inclus présentent les mêmes caractéristiques : même condition physique, même stade de développement de la maladie.

Avant de décider avec votre médecin du choix de votre traitement, l'extension de votre maladie sera donc établie avec précision. Et c'est à la condition que vous répondiez aux critères de sélection que vous pourrez être admis dans une étude clinique.

En outre, vous devez comprendre les objectifs et les procédures de l'étude pour y participer librement.

Quel est exactement le rôle du malade dans une étude clinique ?

Les malades qui acceptent de participer à une étude clinique reçoivent leurs soins dans des centres de cancérologie, des hôpitaux, des cliniques ou des cabinets de consultation, c'est-à-dire dans les mêmes endroits que ceux où sont traités les malades recevant les traitements de référence.

La différence réside dans la surveillance extrêmement vigilante à laquelle sont soumis les malades inclus dans une étude clinique, parce que les médecins et les infirmières responsables de cette étude doivent suivre attentivement et en permanence les effets du traitement et enregistrer soigneusement les résultats afin qu'ils puissent ensuite être analysés et comparés scientifiquement. Grâce au nombre croissant de spécialistes en cancérologie, la plupart des cancers peuvent être soignés à proximité de votre domicile. Des médecins, infirmiers, assistants sociaux et autres professionnels de différentes spécialités vous apporteront leur concours.

Et s'il devait s'avérer que le traitement choisi n'est pas bénéfique, vous pourriez sortir de cet essai et examiner avec votre médecin les autres options de traitements.



Peut-on quitter une étude en cours ?

Au même titre que vous pouvez refuser tout traitement proposé par le médecin qui vous prend en charge, vous pouvez quitter une étude clinique à tout moment.

De quelle protection bénéficie le malade dans un essai clinique ?

La déontologie (les règles morales et professionnelles spécifiques aux médecins) et la législation qui gouvernent les pratiques médicales s'appliquent évidemment aux essais cliniques; mais, en plus, les recherches cliniques sont obligatoirement conduites selon les législations nationales et internationales mises en vigueur par les ministères nationaux de la santé et par les institutions européennes. Toutes les études cliniques menées par l'EORTC respectent les "Bonnes Pratiques Cliniques" (Guidelines for Good Clinical Practice) - approuvées par la Conférence Internationale sur l'Harmonisation et par la Déclaration d'Helsinki. Ainsi, les malades inclus dans un essai clinique bénéficient de mesures spéciales de protection; elles comprennent notamment la révision régulière des protocoles (les plans de l'étude) et de l'avancement des études faites par des chercheurs dans les différents centres. Les contrôles effectués dans le cadre d'études cliniques sont donc beaucoup plus stricts que dans le cadre de la pratique médicale habituelle.

Les essais cliniques doivent être approuvés par un comité d'éthique, qui a pour rôle de protéger les malades. Il est composé notamment de médecins, mais aussi de scientifiques, d'infirmiers et de représentants des malades, qui vérifient ensemble si l'étude est bien conçue et si les risques encourus par les malades ne sont pas disproportionnés par rapport aux bénéfices espérés.

A la fin de l'étude, les médecins communiquent les résultats de l'essai clinique au cours de conférences scientifiques et de congrès; ils publient les conclusions de leurs essais dans des journaux médicaux, après approbation par un comité de lecture indépendant.

Le nouveau traitement peut alors devenir le traitement de référence pour l'ensemble des malades atteints du même cancer, ce qui permet d'améliorer leur survie et/ou leur qualité de vie.

Quels sont les différents types d'études cliniques ?

Il existe différents types d'essais cliniques pour mettre au point de meilleurs traitements du cancer.

Les essais cliniques comprennent aussi des études sur l'impact psychologique de la maladie et sur les moyens d'améliorer la qualité de vie du malade, y compris le traitement de la douleur ou des complications infectieuses par exemple.

La majorité des essais cliniques en cancérologie concernent des nouveaux traitements qui impliquent souvent la chirurgie, la radiothérapie (utilisation de rayons X ou d'autres types de radiations permettant la destruction des cellules tumorales), la chimiothérapie (utilisation de médicaments anticancéreux), l'hormonothérapie, l'immunothérapie, etc...

Employées seules ou en association, ces modalités thérapeutiques peuvent guérir de nombreux malades atteints de cancer et prolonger la vie de beaucoup d'autres en maintenant une qualité de vie acceptable.

Les différentes phases des études cliniques ?

La recherche clinique est de plus en plus complexe. Pour garantir la sécurité des malades et la rigueur scientifique, les études cliniques comprennent plusieurs étapes ou phases, qui sont chacune conçues pour recueillir des informations spécifiques sur un nouveau traitement. Un malade peut être éligible pour certaines études d'après son état général, le type de tumeur qui l'affecte et le stade de développement de cette tumeur.



a) Etude de Phase I :

Lors des études dites de Phase I, un nouveau traitement expérimental est administré à un petit nombre de malades (de 10 à 40). Il a été testé auparavant en laboratoire (sur des cultures cellulaires) et sur les animaux, mais personne ne sait encore comment réagiront les malades. Les médecins-chercheurs, qui cherchent le meilleur moyen d'administrer ce nouveau traitement en toute sécurité pour le malade, le surveillent attentivement pour intervenir immédiatement si des effets secondaires indésirables apparaissent. Une étude de Phase I peut comporter certains risques; elle n'est proposée qu'aux malades dont le cancer est avancé et pour lesquels aucun autre traitement connu n'est efficace. Il arrive que des traitements de Phase I produisent des effets anticancéreux grâce auxquels des malades ont pu être secourus.

b) Etude de Phase II:

Quand la dose maximale tolérée du nouveau traitement a été établie par une étude de Phase I, les médecins-chercheurs réalisent ensuite des études de Phase II, dans lesquelles l'efficacité du traitement expérimental est testée sur différents types de cancer. La Phase II nécessite en général l'inclusion de 40 à 80 malades.

c) Etude de Phase III :

Si un traitement a démontré une activité anticancéreuse par une étude de Phase II, il convient alors de réaliser des études de Phase III. A ce stade, l'efficacité du nouveau traitement est comparée à celle du meilleur traitement connu c'est-à-dire au traitement de référence. Les études de Phase III sont de grande envergure (plusieurs centaines ou milliers de malades) parce qu'elles nécessitent un très grand nombre de malades pour établir une différence (une plus grande efficacité ou une diminution de la toxicité). Même une petite différence d'efficacité revêt une grande signification, compte tenu du nombre de malades souffrant de cancer. Aussi dérisoire qu'elle puisse paraître, une amélioration de seulement 5% de la survie représente plusieurs milliers de vies humaines rien qu'en Europe.

Il s'agit d'une étape cruciale de la recherche clinique, qui précède la commercialisation et la mise à disposition pour tous les malades de nouveaux traitements plus efficaces et/ou moins toxiques que ceux utilisés jusqu'alors.

Un nouveau médicament, qui a démontré son efficacité lors d'un essai clinique de Phase III, pourra aussi être utilisé conjointement soit avec d'autres médicaments, soit avec la chirurgie et/ou la radiothérapie, pour déterminer de nouvelles procédures thérapeutiques qui amélioreront encore la survie et/ou la qualité de vie des malades atteints de cancer.

Comment sont effectuées les études cliniques ?

Les médecins qui effectuent un essai clinique suivent scrupuleusement un plan thérapeutique appelé "protocole". Ce plan définit tout ce qui va se faire et pourquoi.

Les études sont élaborées de façon à sauvegarder la santé physique et psychique des malades, tout autant que pour répondre aux questions qui se posent aux médecins-chercheurs.

Les études de Phase III comparent toujours des traitements administrés à des groupes de malades identiques.

Le "groupe contrôle" est celui qui reçoit le traitement de référence (c'est-à-dire le meilleur traitement connu à ce jour); il est suivi avec autant de soins que le groupe des malades qui reçoivent le "nouveau traitement" et qui expérimente un nouveau produit ou une nouvelle procédure d'utilisation (chimiothérapie, radiothérapie).

Par exemple, un "groupe contrôle" de malades peut recevoir le traitement chirurgical usuel pour un certain cancer, alors qu'un autre groupe de malades présentant le même cancer reçoit le traitement chirurgical associé à une radiothérapie ; les médecins-chercheurs vérifient si cette dernière procédure est plus efficace pour traiter la maladie.

Parfois, pour certains types de tumeur, il n'existe aucun traitement de



référence. Dans ce cas, un groupe de malades peut recevoir un nouveau médicament prometteur et le groupe contrôle n'en reçoit aucun. Il faut insister sur le fait qu'aucun malade n'est inclus dans un "groupe contrôle" sans recevoir de traitement, s'il existe un traitement connu pour sa maladie.

Afin d'empêcher qu'un préjugé du malade ou du médecin influence les résultats de l'étude, une procédure appelée "randomisation" détermine si ce malade recevra le traitement standard ou le nouveau traitement testé.

Cette procédure se fait au moyen d'un ordinateur afin de garantir la rigueur scientifique du choix. En toutes hypothèses, chacun des traitements est susceptible d'apporter un bénéfice au malade.

Si le traitement administré dans le cadre d'un essai clinique n'aide pas le malade, le médecin peut décider de le retirer de l'étude et lui proposer un autre traitement. Le malade peut également demander à tout moment de quitter une étude clinique.

La mise à jour des résultats obtenus dans un essai clinique est effectuée régulièrement et les informations sont diffusées immédiatement aux médecins et chercheurs qui y participent. C'est important car, si un traitement s'avère nuisible ou inefficace, il est arrêté. A l'inverse, dès qu'il apparaît de manière évidente qu'un nouveau traitement ou une procédure expérimentale est plus efficace que le traitement standard, l'essai est interrompu pour que tous les malades des deux groupes bénéficient du meilleur traitement.

Pendant une étude clinique, le médecin traitant du malade est tenu informé des progrès obtenus. Les malades sont encouragés à rester en contact avec leur médecin de famille.

Le programme des recherches effectuées par l'EORTC

L'EORTC (*European Organisation for Research and Treatment of Cancer*, - en français: Organisation Européenne pour la Recherche et le Traitement du Cancer) est une association internationale sans but lucratif, sous la loi Belge, qui coordonne, depuis 1962, des recherches cliniques en cancérologie à l'échelle européenne. Son objectif est d'améliorer le traitement des malades atteints de cancer et de faciliter la transition entre les découvertes expérimentales et l'application des meilleurs traitements à tous les malades atteints de cancer. Il résulte de son programme de recherche qu'un plus grand nombre de malades guérissent et que beaucoup d'autres vivent plus longtemps avec la perspective d'une qualité de vie meilleure.

L'EORTC est une association unique qui regroupe plus de 2 500 spécialistes en cancérologie travaillant dans plus de 350 hôpitaux en Europe; ces médecins traitent chaque année plus de 6.500 malades dans les études cliniques effectuées sous le contrôle de l'EORTC.

Des groupes de spécialistes (comprenant des centaines de médecins-chercheurs) travaillent ensemble afin de découvrir de meilleurs traitements et d'utiliser leurs connaissances pour le plus grand profit des malades atteints de cancer. Ces groupes de recherche sont multidisciplinaires et incluent des chirurgiens, des radiothérapeutes, des oncologues médicaux (chimiothérapeutes), des hématologistes, des pathologistes, des immunologistes et bien d'autres spécialistes (pneumologues, gastroentérologues, urologues, etc...).

Les connaissances acquises lors des essais cliniques sont indispensables pour faire progresser la lutte contre le cancer. Ces études ont permis, par exemple, de guérir des malades atteints de cancer du testicule (90%), des enfants atteints de leucémie (75%), mais aussi d'augmenter la survie de très nombreux malades atteints de la maladie de Hodgkin (80%), du cancer du sein (70%), du cancer de l'utérus, du cancer de la vessie, du cancer du colon et de bien d'autres cancers plus rares.



Les études cliniques continuent chaque jour de jouer un rôle essentiel pour faire progresser la lutte contre le cancer.

Outre l'approbation du comité d'éthique et le respect des lois nationales et internationales en matière de recherche clinique, les études cliniques conduites par l'EORTC sont consciencieusement revues par un autre comité scientifique, le Comité de Révision des Protocoles ("Protocol Review Committee") de l'EORTC, qui veille à la fois à la sécurité du patient et à la justification scientifique de l'étude. Avant de pouvoir être commencée, chaque étude doit prévoir les modalités de contrôle des résultats recueillis et garantir la plus grande sécurité pour les malades.

L'EORTC a également comme objectif d'améliorer la qualité des recherches cliniques. Le Comité d'Assurance Qualité ("Quality Assurance Committee"), et l'unité "Assurance Qualité", située au siège de l'EORTC, contrôlent les différentes étapes et la collecte des données pour tous les essais cliniques menés par l'EORTC.

En outre, l'EORTC a également créé un "Comité de Surveillance Indépendant" ("Independent Data Monitoring Committee") qui évalue selon les modalités pratiques prédéfinies les études cliniques en cours pour faire des recommandations aux médecins investigateurs quant à la sûreté et à l'efficacité des traitements testés.

Aujourd'hui, des découvertes scientifiques importantes effectuées en laboratoires bouleversent les connaissances et mènent vers de nouvelles approches prometteuses dans la lutte contre le cancer.

Les essais cliniques restent le maillon essentiel entre la recherche fondamentale et l'application des résultats de ces recherches chez tous les malades.

L'objectif de la recherche clinique est de transposer le plus vite possible les découvertes de la recherche médicale et de les mettre à la disposition de tous les malades atteints du cancer.

L'EORTC ne donne aucun diagnostic et ne recommande pas de traitement spécifique à des malades. Elle est un support scientifique et logistique à la recherche en matière de cancer effectuée en Europe. Mais, à ce titre, elle peut fournir un accès aux plus grands experts en cancérologie, ainsi qu'aux informations les plus récentes sur le traitement du cancer ; elle peut dès lors indiquer le nom de médecins ou d'hôpitaux spécialisés dans des essais cliniques pour chaque type de tumeur dans toute l'Europe.

Des informations complémentaires sur l'EORTC peuvent être obtenues auprès du Professeur Françoise Meunier, directeur général de l'EORTC

EORTC Central Office

83 avenue E. Mounier, bte 11

B - 1200 Bruxelles

Tél : 02/ 774.16.30 - Fax : 02/ 771.20.04

e-mail: fme@eortc.be

Lexique

Adjuvant : qui renforce ou complète l'action d'un autre traitement.

Anticorps : protéine produite par les lymphocytes circulants. Un anticorps se lie à un antigène spécifique qui a stimulé le système immunitaire. Une fois lié, l'antigène peut être détruit par d'autres cellules du système immunitaire. Voir **Système immunitaire**.

Antigène : substance étrangère à l'organisme, qui stimule la production d'anticorps par le système immunitaire. Les antigènes comprennent les protéines extérieures, les bactéries, les virus, les pollens et autres.

Association de thérapies ou thérapie multimodale : utilisation d'au moins deux modes de traitement - chirurgie, radiothérapie, chimiothérapie, hormonothérapie, immunothérapie - **conjointement, alternativement ou ensemble**, pour obtenir des résultats optimaux contre le cancer.

Bilans : méthodes utilisées pour établir le stade de l'extension de la maladie du patient.

Bilan sanguin : dénombrement des globules rouges, des globules blancs et des plaquettes, ainsi que d'autres éléments compris dans un échantillon de sang.

Cancer : terme général qui reprend plus de 100 maladies caractérisées par la multiplication anormale et anarchique de cellules. La grosseur, ou tumeur, peut envahir et détruire les tissus voisins. Les cellules cancéreuses peuvent se propager par les vaisseaux sanguins ou lymphatiques et donner naissance, dans d'autres parties du corps, à d'autres localisations appelées métastases.

Cancer métastatique : cancer qui s'est propagé à partir de sa localisation initiale à d'autres parties du corps.

Cancérologue : médecin spécialiste du cancer ou oncologue.

Chimiothérapie : traitement par une ou plusieurs substances anticancéreuses.

Chimiothérapie adjuvante : un ou plusieurs médicaments anticancéreux utilisés après la chirurgie ou la radiothérapie comme complément au traitement du cancer. Adjuvant signifie « qui renforce l'action d'un traitement initial ».

Consentement éclairé : processus par lequel le malade apprend et comprend l'objet et les aspects d'une étude clinique pour accepter ou refuser d'y participer. Ce procédé d'information comporte un document définissant tout ce qu'un malade doit savoir sur les bénéfices potentiels et les risques afin de suivre le traitement en toute connaissance de cause.

Echantillonnage d'essai clinique : les malades présentant des similitudes (l'étendue de la maladie par exemple) sont sélectionnés au hasard afin d'être placés dans les différents groupes pour comparer les effets des traitements évalués. Comme aucun facteur extérieur ni aucune préférence n'intervient dans la répartition des malades, les groupes de traitement peuvent être considérés comme étant comparables, et les résultats des traitements utilisés dans les différents groupes peuvent donc être comparés. Il est impossible pour les chercheurs de savoir à l'avance quel traitement est le meilleur. Voir également **Essais cliniques**.

Effet indésirable : effet secondaire défavorable et inhabituel.

Essai clinique ou étude clinique : investigation systématique des effets des substances (médicaments) ou des méthodes de traitement (chirurgie, radiothérapie), selon un plan d'étude (protocole), dans une population humaine présentant une maladie spécifique ou une classe de maladies. En recherche cancérologique, un essai clinique concerne généralement l'évaluation de méthodes de traitement tels que la chirurgie, la radiothérapie, la chimiothérapie, l'hormonothérapie ou l'immunologie. Les moyens de prévention, de détection ou de diagnostic peuvent également être l'objet d'études cliniques.

Groupes de l'étude : les malades inclus dans les essais cliniques sont placés dans différents groupes dont les traitements sont comparés. Le groupe contrôle est un groupe de malades qui reçoit un traitement de référence, couramment utilisé et considéré comme efficace sur la base

d'études précédentes. Les résultats obtenus chez les malades recevant un nouveau traitement potentiel peuvent être comparés au groupe contrôle. Au cas où aucun traitement de référence n'existerait, le groupe contrôle ne recevrait aucun traitement.

ICH (International Conference on Harmonisation of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Use):

Conférence Internationale pour l'Harmonisation des Techniques d'Enregistrement pour les Médicaments à Usage Humain; il s'agit d'un projet unique qui permet aux autorités de l'Union Européenne, du Japon et des Etats-Unis de trouver des accords, avec des experts des industries pharmaceutiques de ces trois régions, sur les aspects scientifiques et techniques indispensables à l'enregistrement d'un médicament. "Les Bonnes Pratiques Cliniques" (Guidelines for Good Clinical Practice) sont le résultat d'un projet international tel que l'ICH. Ce document est un document de référence sur les considérations éthiques et sur la rigueur scientifique à prendre en compte quand on prépare, conduit, ou divulgue les résultats des essais cliniques au niveau international.

Investigateur : un investigateur est un médecin et aussi un chercheur expérimenté en recherche clinique qui prépare un protocole ou un plan de traitement dans le cadre d'un essai clinique et qui le réalise chez des malades.

Métastase : une métastase résulte de la propagation de cellules cancéreuses à partir de la tumeur initiale vers d'autres tissus, par le biais du sang et des vaisseaux lymphatiques.

Moelle osseuse : tissu spongieux situé au centre des os qui fabrique les éléments du sang.

Médicament expérimental : médicament pouvant être utilisé en recherche clinique, mais qui n'est pas encore approuvé pour la commercialisation.

Oncologue : médecin spécialisé en cancérologie

Placebo : substance inactive qui ressemble à un médicament.

Protocole : configuration ou plan de l'étude incluant les modalités d'utilisation d'une procédure ou d'un traitement expérimental ainsi que du traitement de référence.

Radiosensibilisants : médicaments étudiés pour tenter de renforcer l'effet de la radiothérapie.

Radiothérapie : traitement utilisant des rayons X, du cobalt, du radium, des neutrons ou tout autre type de rayonnement ionisant.

Ratio risque/bénéfice : rapport entre les risques et les bénéfices d'un traitement donné ou d'une procédure. Un comité d'éthique doit toujours déterminer si les risques inhérents à l'étude sont raisonnables en regard des bénéfices potentiels. Il appartient également au malade de décider s'il est judicieux pour lui de participer à cette étude.

Régression : diminution ou disparition des masses tumorales. Terme utilisé pour décrire l'atténuation ou la disparition d'un cancer.

Rémission : diminution ou disparition de l'évidence de la maladie ; également la période pendant laquelle ce phénomène est constaté.

Système immunitaire : réseau complexe d'organes, de cellules et de substances spécialisées, distribuées dans le corps pour le défendre contre des envahisseurs étrangers responsables d'infection ou de maladie.

Thérapeutique : qui est relatif au traitement.

Thérapie biologique : utilisation de substances biologiques (produites par nos propres cellules) ou modulateurs de la réponse biologique (substances qui modifient les défenses immunitaires des malades) utilisés dans le traitement du cancer.

Traitement de référence ou traitement standard : traitement ou autre intervention couramment utilisés et considérés comme étant efficaces sur la base d'études précédentes. Il s'agit du meilleur traitement connu.

