

# ESSAIS CLINIQUES: COMMENT Y PARTICIPER ?

Dr. Valentin Loser

Chef de clinique adjoint

Unité nerf-muscle, service de neurologie,  
CHUV

[Valentin.loser@chuv.ch](mailto:Valentin.loser@chuv.ch)



# ASRIMM

Association Suisse Romande Intervenant  
contre les Maladies neuro-Musculaires



Nationale Koordination Seltene Krankheiten  
Coordination nationale des maladies rares  
Coordinazione nazionale malattie rare



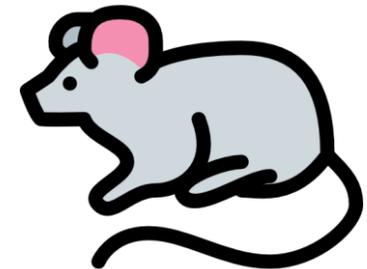
Centre hospitalier  
universitaire vaudois

# Plan de la présentation

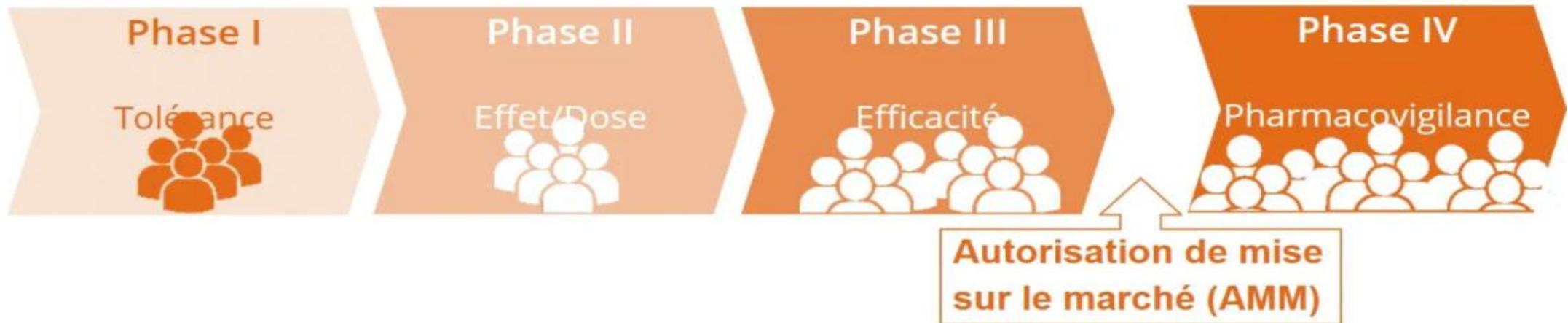
- Qu'est-ce qu'un essai clinique ?
- Comment participer à un essai clinique ?
- Ou puis-je m'informer sur les essais en cours ?

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

- **Définition:** évaluer chez **l'humain** un traitement potentiel (médicament, dispositif médical...) dans une maladie afin de s'assurer qu'il est **bien toléré et efficace**
- Préambule à la mise sur le marché d'un nouveau traitement
- Fait suite à des études précliniques (*in vitro* ou *in vivo*)



# Un développement en plusieurs phases



petit groupe  
de volontaires  
sains

petit groupe de  
personnes  
malades

grand groupe de  
malades (vs  
placebo/ttt  
standard)

Population  
post marketing

# Structure d'un essai clinique (ex: phase III)



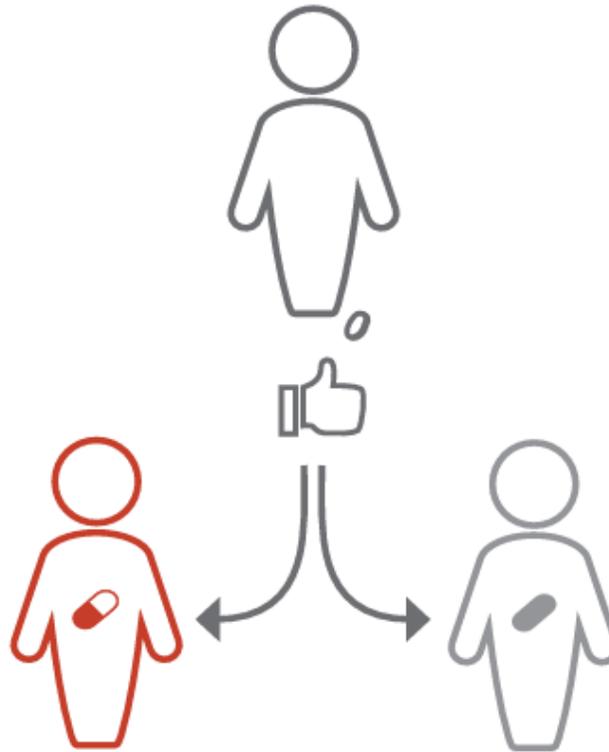
VS



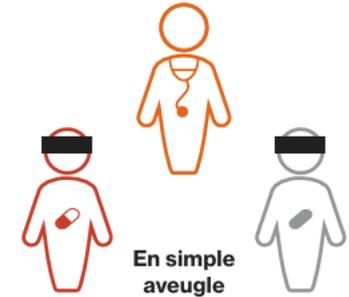
Placebo



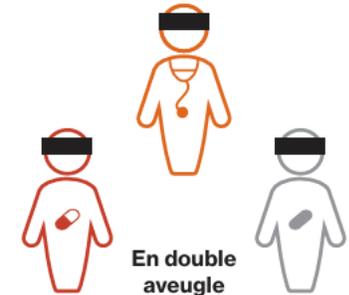
Comparateur actif



Randomisation



En simple aveugle



En double aveugle

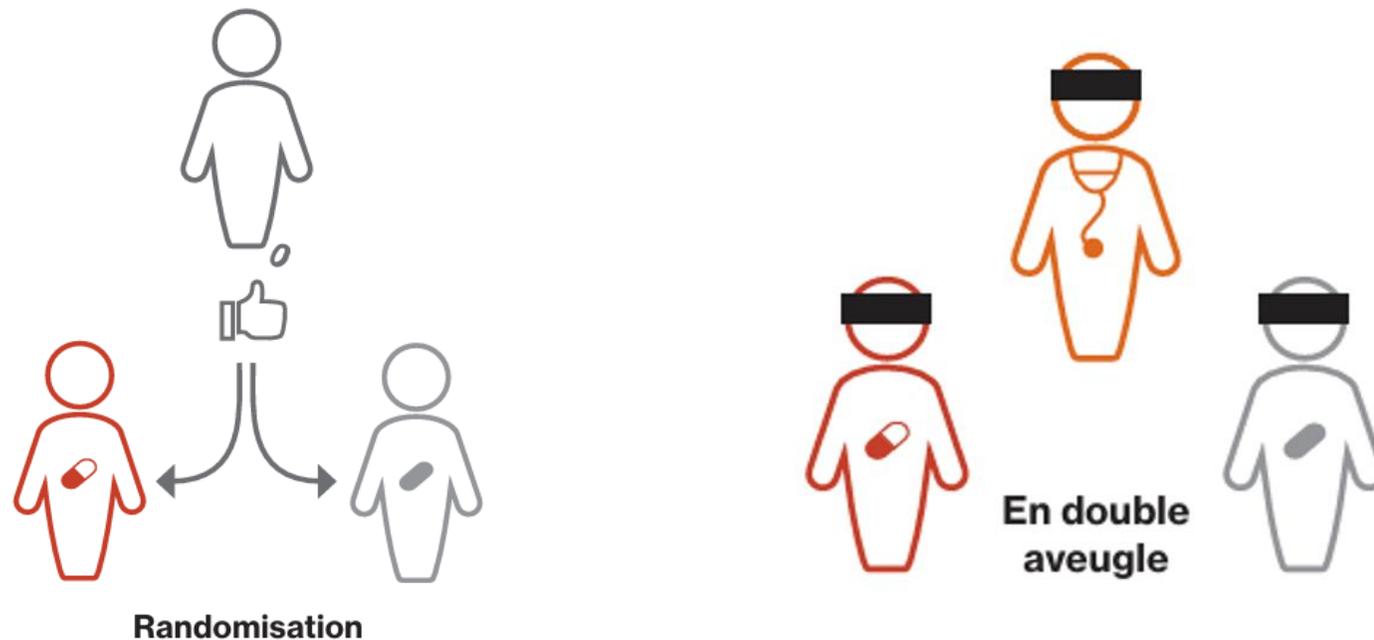


En ouvert

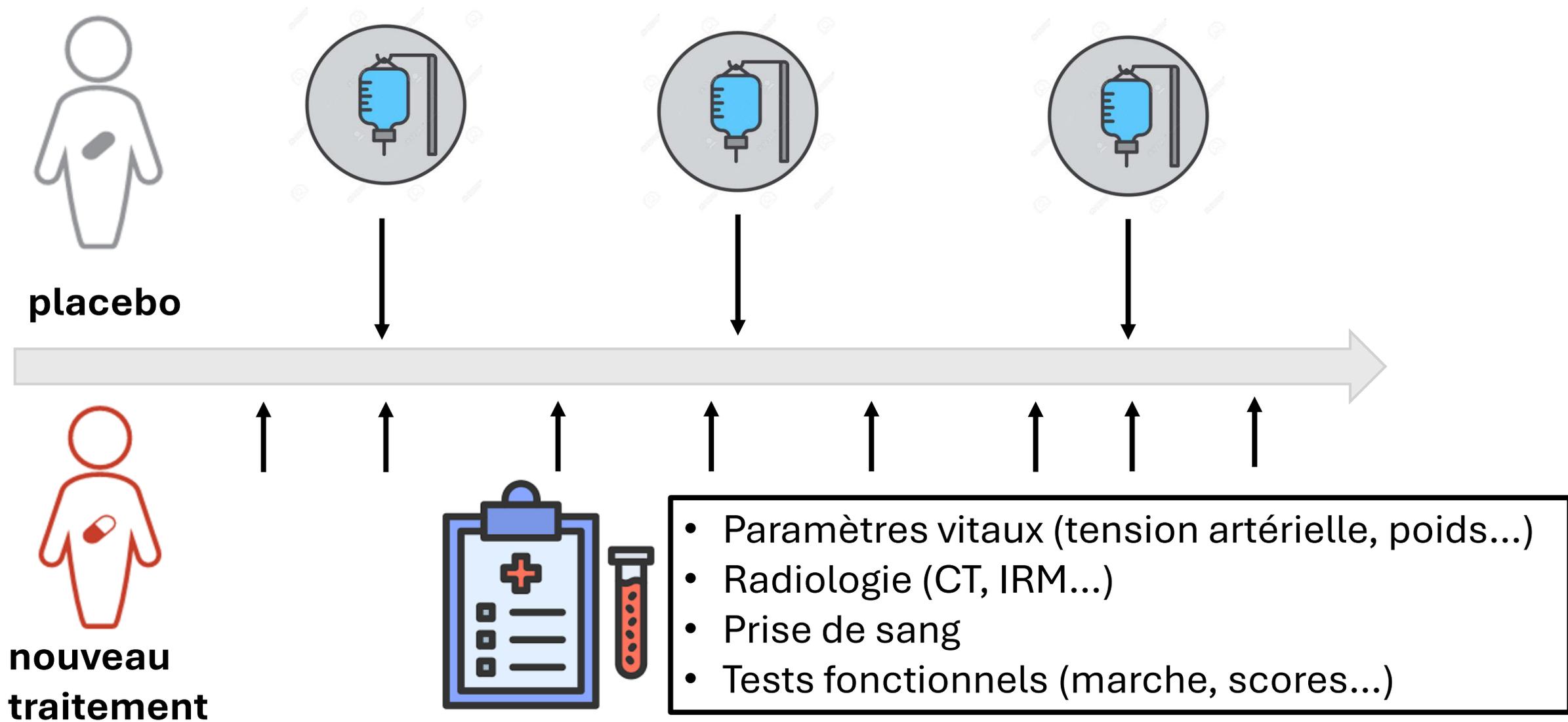
# Exemple: essai clinique ADAPT

Safety, efficacy, and tolerability of efgartigimod in patients with generalised myasthenia gravis (ADAPT): a multicentre, **randomised, placebo-controlled, phase 3 trial**

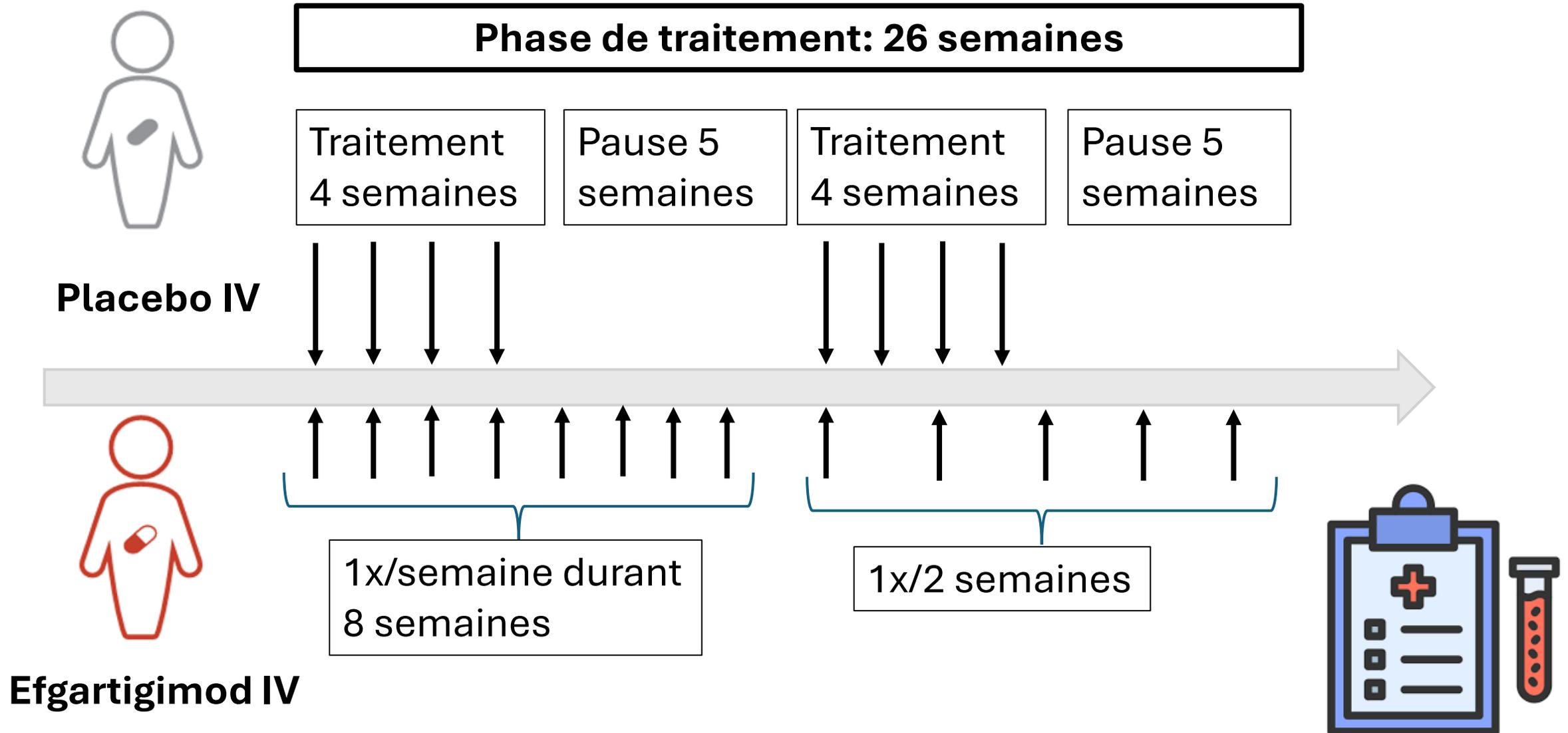
[Prof James F Howard, Jr, MD <sup>a</sup> !\[\]\(5eb1325dfdc3f1cad8426726c0db51cd\_img.jpg\)](#) · [Vera Bril, MD <sup>b</sup>](#) · [Prof Tuan Vu, MD <sup>c</sup>](#) · [Chafic Karam, MD <sup>d</sup>](#) · [Stojan Peric, MD <sup>e</sup>](#) · [Temur Margania, MD <sup>f</sup>](#) et al. [Show more](#)



# Modalité de suivis lors d'un essai clinique



# Exemple: essai clinique ADAPT



# Encadrement d'un essai clinique

**Lois internationales:** convention européenne des droits de l'homme, convention sur les droits de l'homme et la biomédecine, déclaration d'Helsinki de l'OMS

**Lois Suisses:** loi relative à la recherche sur l'être humain (LRH)

**Organismes de contrôle:**

- **Swissmedic:** institut suisse des produits thérapeutiques
- **Commission d'éthique cantonale**



  
SWISSmedic



**CER-VD**  
Commission cantonale  
d'éthique de la recherche  
sur l'être humain

# Droits du participant



La participation à l'essai est-elle libre ?	<b>OUI</b> , je dois être informé et signer un consentement
Puis-je me retirer de l'essai quand je veux ?	<b>OUI</b> , à tout moment, sans aucune justification
Est-ce que la participation à l'essai est gratuite ?	<b>OUI</b> , tous les frais sont pris en charge
Est-ce que mes informations personnelles sont protégées ?	<b>OUI</b> , les informations sont anonymisées et codées

# Informations transmises

## swissethics

Objectifs de l'étude	Autres possibilités de traitement
Sélection des personnes pouvant participer à l'étude	Découvertes pendant l'étude
Informations générales sur l'étude	Confidentialité des données et des échantillons
Déroulement pour les participants	Retrait de l'étude
Bénéfices pour les participants	Compensation des participants
Droits des participants	Réparation des dommages subis
Obligations des participants	Financement de l'étude
Risques et contraintes pour les participants	Interlocuteur(s)

- Ces informations vous sont transmises dans la «Feuille d'information et de consentement»

1 Demande de participation à un projet de recherche médical :

4 **Taux sérique de Neurofilament et corrélation avec l'atteinte neuropathie amyloïde familiale à transthyréine PREDICT ATTR 2**

9 Madame, Monsieur

11 Nous vous proposons de participer à notre projet de recherche.

13 Votre participation est entièrement libre. Toutes les données collectées sont soumises à des règles strictes en matière de protection des données.

15 Le projet de recherche est mené par PD Dre Marie Théaudin, département de neurologie, unité de pathologies neuromusculaires, centre hospitalier 1011 Lausanne. Nous vous en communiquerons les résultats si vous acceptez de participer.

17 Lors d'un entretien, nous vous présenterons les éléments essentiels de ce projet. Vous trouverez à la suite des informations complémentaires plus en détail.

23 **Pourquoi menons-nous ce projet de recherche ?**

- En présence d'une amylose héréditaire à transthyréine, la mesure régulière de l'évolution de l'atteinte des nerfs périphériques (scores, Électroneurographie), dans le but de détecter plus tôt et suivre l'effet du traitement.
- Notre projet de recherche vise à déterminer si un dosage dans la prise de sang pourrait aider au suivi en détectant les changements que le suivi classique. Nous prévoyons également de prélever d'autres biomarqueurs biologiques pendant le suivi des biomarqueurs génétiques.

33 **Que dois-je faire si j'accepte de participer ? – Que se passe-t-il lors de la participation ?**

- Forme de la participation : Si vous acceptez de participer, vous devrez faire une prise de sang à l'inclusion et chaque fois que vous serez inclus(e) dans l'étude, à l'occasion de votre consultation. Vous serez également examiné(e) selon le protocole habituel de la maladie (examen clinique complet, scores fonctionnels, ElectroNeuroMyographie).
- Déroulement pour les participants : Si vous participez à notre projet de recherche, vous serez inclus(e) dans l'étude pendant votre consultation de suivi habituelle. Lors de la prise de sang réalisée à chaque consultation, nous préleverons un échantillon de sang.

44 **Quels sont les bénéfices et les risques liés à la participation ?**

45 **Bénéfices**

7 **Information détaillée**

8 **1. Objectif du projet et sélection des participants**

9 Dans cette feuille d'information, notre projet de recherche est décrit en détail. Si vous acceptez d'y prendre part, nous vous remercions.

11 Ce projet doit nous permettre d'examiner si le taux de neurofilament sérique est corrélé à la sévérité de votre neuropathie. Nous souhaitons constituer une biobanque FOLLOW\_NM (biobanque pour l'amylose héréditaire à transthyréine) de biomarqueurs biologiques de cette maladie. Nous incluons toutes les personnes qui sont porteuses d'une maladie à l'amylose héréditaire à transthyréine.

19 **2. Informations générales sur le projet**

20 Ce projet monocentrique (CHUV) vise à étudier le taux de neurofilament et d'autres biomarqueurs et l'atteinte clinique afin de voir si ce test sanguin pourrait être un biomarqueur. Les patients inclus dans l'étude auront une prise de sang à l'inclusion dans l'étude, à l'occasion de leur consultation, et également examinés selon le protocole habituel (examen clinique complet, scores fonctionnels et ENMG). Il est prévu de suivre chaque patient pendant 10 ans, donc de 2023 à 2033 (inclusion des patients jusqu'à la fin de l'année dernière). Nous prévoyons d'inclure jusqu'à 100 patients. Nous effectuons ce projet dans le respect des principes de la loi fédérale d'éthique compétente a contrôlé et autorisé ce projet.

22 Ce projet est réalisé dans le respect des principes de la loi fédérale d'éthique compétente a examiné et autorisé ce projet.

27 **3. Déroulement du projet**

28 Dans le cadre de ce projet, vous aurez le jour de votre inclusion, en plus de votre suivi habituel :

- une prise de sang

30 L'étude durera 10 ans.

- La mesure du taux sanguin de neurofilament et d'autres biomarqueurs sera effectuée à l'inclusion et à l'occasion de votre consultation.
- En vue d'études ultérieures sur d'autres biomarqueurs, un échantillon de sang sera prélevé et stocké en biobanque.

35 **4. Bénéfices**

36 Votre participation au projet ne vous apportera aucun bénéfice direct. Les résultats de ces recherches pourraient servir à améliorer le traitement de la maladie.

38 **5. Caractère facultatif de la participation et de la biobanque**

39 Votre participation est entièrement libre. Si vous acceptez de participer à notre projet de recherche, vous serez inclus(e) dans l'étude pendant votre consultation de suivi habituelle. Cette décision n'aura pas de répercussions sur votre charge médicale.

10 Si vous choisissez de participer à ce projet de recherche, vous devrez :

- de suivre les instructions et de remplir les questionnaires.

16 **6. Risques et contraintes**

17 En participant au projet, vous ne serez exposé(e) à aucun risque de sang.

21 **7. Alternatives**

22 Si vous ne souhaitez pas participer à ce projet de recherche, vous pouvez toujours participer à d'autres projets de recherche de votre médecin-investigateur.

25 **8. Résultats**

26 Le projet permet d'obtenir différents résultats :

1. des résultats individuels qui vous concernent
2. les résultats définitifs objectifs du projet de recherche.

28 1. La médecin-investigatrice vous avisera par écrit de l'importance de votre participation. Vous serez informé(e) de la suite à nouveau décider si vous souhaitez participer.

30 2. La médecin-investigatrice peut vous faire part de résultats globaux.

34 **9. Confidentialité des données et des échantillons**

35 **9.1. Traitement et codage des données**

36 Dans le cadre de ce projet de recherche, des données sont recueillies et traitées, en partie de manière anonyme (date de naissance, etc.) sont remplacées par votre personne sans le code, qui reste en possession de la CHUV. Seul un nombre limité de personnes peut accéder à ces données exclusivement afin de pouvoir accomplir des tâches de recherche. Les personnes sont tenues au secret professionnel et le droit de consulter vos données.

39 **9.2. Protection des données et des échantillons**

40 Toutes les directives relatives à la protection des données sont respectées. Il est possible que vos données doivent être transmises à l'étranger. Lorsque des données relatives à la recherche sont conservées sur place, ils constituent une banque de données de recherche.

42 **9.3. Protection des données en cas de décès**

43 Vos données et échantillons pourraient être utilisés pour d'autres questionnements et/ou être envoyés à l'étranger pour être aussi exploités. Cette banque de données/biobanque doit toujours être conservée dans la banque de données/biobanque du présent projet.

11 Pour cette réutilisation, nous vous prions de signer une déclaration de consentement séparée à la fin de cette feuille d'information. Ce deuxième consentement est indépendant de la participation au projet.

21 **9.4. Protection des données en cas d'analyses génétiques**

22 Dès lors que l'on procède à un relevé, un enregistrement ou une transmission de données issues de vos échantillons dans le cadre de la recherche génétique, il existe des risques liés à la confidentialité (p. ex., la possibilité de vous identifier), en particulier concernant les informations sur votre matériel génétique. Ces risques ne peuvent pas être totalement exclus et augmentent avec la quantité de données pouvant être appariées, notamment si vous publiez vous-même des données génétiques sur Internet (p. ex. à des fins de recherche généalogique). Les informations relatives à votre matériel génétique peuvent également être importantes pour les membres de votre famille ou votre planification familiale. Le promoteur prend toutes les mesures nécessaires pour réduire le plus possible les risques liés à la confidentialité.

25 **9.5. Droit de consultation dans le cadre d'inspections**

26 Le projet peut faire l'objet d'inspections. Celles-ci peuvent être effectuées par la commission d'éthique compétente (CER Vd) ou par le promoteur qui a initié le projet. La médecin-investigatrice doit alors communiquer vos données pour les besoins de ces inspections. Toutes les personnes impliquées sont tenues au plus strict secret professionnel.

30 **10. Retrait du projet**

31 Vous pouvez à tout moment vous retirer du projet si vous le souhaitez. Cependant, les données médicales et le matériel biologique recueillis jusque-là pourront encore être analysés sous forme codée. En cas de retrait, vos données et vos échantillons continuent de figurer sous forme codée dans les documents du projet, en premier lieu pour assurer la sécurité médicale. Vous devez donc être d'accord avec cela avant de donner votre consentement.

35 **11. Rémunération**

36 Vous ne percevrez aucune rémunération pour votre participation à ce projet de recherche.

39 **12. Responsabilité**

40 Le CHUV qui a initié le projet de recherche et est chargé de sa réalisation est responsable des dommages que vous pourriez subir en relation avec le projet. Les conditions et la procédure sont fixées par la loi. Si vous subissiez un dommage du fait de votre participation au projet, il vous faudrait vous adresser à la responsable / au responsable du projet.

43 **13. Financement**

44 Le financement de l'étude est principalement assuré par le service de neurologie du CHUV et a reçu un financement partiel par l'Association Suisse Romande Intervenant contre les Maladies neuro-Musculaires (ASRIMM) et la firme pharmaceutique Pfizer.

47 **14. Interlocuteur(s)**

48 Vous pouvez à tout moment poser des questions au sujet du projet. En cas d'incertitudes pendant ou après le projet, vous pouvez vous adresser à :

49 Dre Marie Théaudin

BH07.469

Rue du Bugnon 46

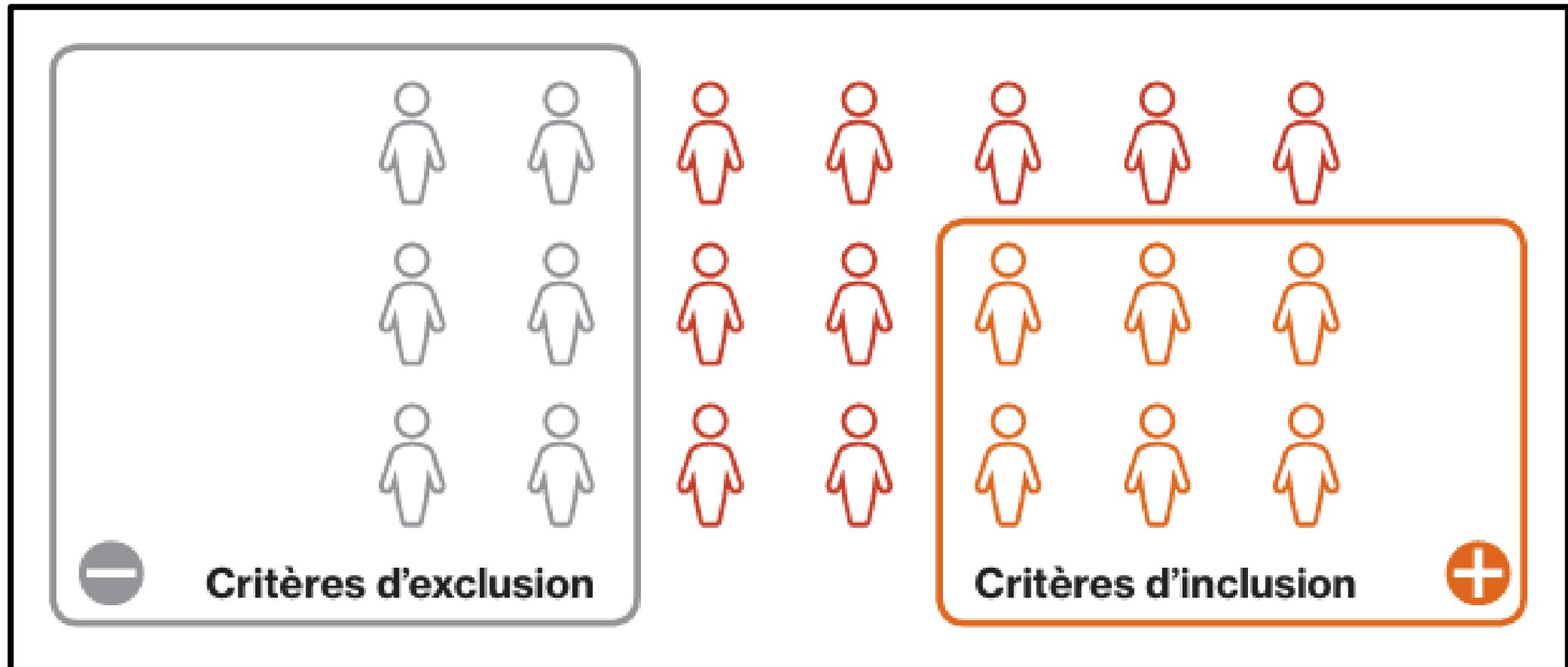
1011 Lausanne

0795564210

[marie.theaudin@chuv.ch](mailto:marie.theaudin@chuv.ch)

# Suis-je éligible à l'essai ?

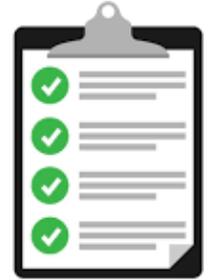
- Critères d'inclusion/exclusion



## 2. Comment entrer dans un essai clinique ?

### Qui peut y participer ?

- Toute personne peut être volontaire, mais
- Critères d'inclusion/exclusion à respecter !



### Être prêt à s'engager dans l'essai

- Se poser des questions
- Pas forcément de bénéfice individuel
- En discuter avec son médecin/neurologue



### Entrer dans un essai

- Entrer en contact avec le centre investigateur

### 3. S'informer sur les essais cliniques en cours

#### Suisse:

- <http://k>

#### France:

- <https://>

#### Internati

- <https://>



Demandez à votre  
neurologue !

Medicine  
Information



**HumRes**

Humanforschung Schweiz  
Recherche sur l'être humain en Suisse  
Ricerca umana in Svizzera  
Human Research Switzerland

Recherche sur l'être  
humain

propos de  
nous

Foire aux questions  
(FAQ)



## Recherche sur l'être humain

### Qu'est-ce que la recherche sur l'être humain ?

Où trouver des  
informations sur les  
études cliniques en  
cours et les études  
cliniques terminées?

Comment participer à  
un projet de recherche  
?

Qu'e  
rech  
hum

La recherche s  
de nouveaux t

## Recherche sur l'être humain

Qu'est-ce que la  
recherche sur l'être  
humain ?

Où trouver des  
informations sur les  
études cliniques en  
cours et les études  
cliniques terminées?

Comment participer à  
un projet de recherche  
?

Pourquoi participer à un  
projet de recherche?

### Comment me protégè- t-on si je participe à un projet de recherche ?

e la  
ur l'être

er les maladies de l'être humain, à développer  
rendre le corps humain.



 [Conseils d'utilisation](#)

15 résultat(s)

 sclér

DE [FR](#) IT EN

Catégorie

### Eine Studie zur Bewertung der Wirksamkeit, Sicherheit, Pharmakokinetik und Pharmakodynamik von ION363 bei Amyotropher Lateralsklerose

Es handelt sich um eine multizentrische, zweiteilige Studie mit ION363 mit bis zu 77 Teilnehmern. Teil 1 besteht aus Teilnehmern, die im Verhältnis 2:1 randomisiert werden und über einen Zeitraum von 61 Wochen eine Mehrfachdosis ION363 oder Placebo erhalten, gefolgt von Teil 2, in dem die Teilnehmer ION363 über...

État du recrutement: ● recrutement en cours    **Catégorie de maladie:** Maladies du système nerveux

Lieu de l'étude: St-Gall

Supprimer

[cher sur la carte](#)

commencé

## Maladies

11/02/2025

**Myasthénie : les essais et études cliniques en France**

Très active en France dans la myasthénie auto-immune, la recherche clinique permet de mieux connaître la maladie et d'évaluer de nouveaux traitements innovants, notamment pour les formes réfractaires aux médicaments plus anciens.

## Maladies

10/02/2025

**Maladie de Charcot-Marie-Tooth : les essais et études cliniques en France**

La France est à la pointe de la recherche clinique sur la maladie de Charcot-Marie-Tooth (CMT) avec des efforts concertés entre chercheurs, cliniciens et associations de malades pour trouver des traitements innovants. Il y a actuellement un essai en cours ciblant toutes les formes de CMT et une étude clinique dans la CMT 2A.

## Maladies

27/11/2024

**Dystrophies myotoniques : les essais et études cliniques en France**

Deux essais cliniques sont en cours en France dans la maladie de Steinert (ou dystrophie myotonique de type 1, DM1) et trois en préparation qui évaluent un médicament innovant à base d'ARN ou des médicaments pharmacologiques classiques. Le registre national DM-scope facilite la mise en place d'essais cliniques et le développement de nombreuses études cliniques afin de mieux caractériser les différentes atteintes de ces maladies et leur prise en charge respective.

Merci pour votre attention !

