

ESSAIS CLINIQUES

Pourquoi ils sont indispensables

Avec 920* essais cliniques réalisés en 2010, la France reste un grand pays de recherche et de développement du médicament.

► **Les essais cliniques sont la phase «pivot» du développement d'un médicament** : après les phases de recherche en laboratoire et sur les animaux (phase préclinique), qui permettent d'évaluer l'activité d'un produit et sa toxicité, des études cliniques, c'est-à-dire réalisées chez l'homme sont organisées : pour évaluer et préciser la sécurité d'emploi (phase 1), le devenir du produit dans l'organisme et confirmer l'efficacité thérapeutique de la molécule sur une maladie donnée (phases 2 et 3).

► **Les trois phases d'essais sont des étapes incontournables car leurs résultats conditionnent la mise sur le marché du nouveau médicament.** Elles sont complétées d'études dites «post-AMM», car intervenant

après la mise sur le marché du médicament, qui évaluent le médicament dans la «vraie vie», c'est-à-dire lorsqu'il est prescrit à grande échelle.

► **Les essais construisent le «disque dur» du nouveau médicament** : parce qu'ils sont réalisés sur l'homme, ils contribuent à créer un médicament, efficace et sûr, à partir des données accumulées dans cette étape d'apprentissage.

► **Conduits sur le sol français, ils y maintiennent la chaîne d'expertise de la R&D pharmaceutique et font ainsi profiter les patients des soins les plus prometteurs le plus tôt possible.**

Les phases successives de recherche et de développement d'un médicament

	Objectif	Durée	Effectifs	Résultat
Phase 1	<ul style="list-style-type: none">• Sécurité du médicament• Étude du devenir dans l'organisme (PK)	Quelques jours/mois	Petit nombre de volontaires	70 % des produits expérimentés franchissent le cap des essais de phase 1
Phase 2	<ul style="list-style-type: none">• Efficacité du produit• Déterminer la posologie optimale	Quelques mois à 2 ans	Petits groupes homogènes de patients (10 à 40)	Un tiers des produits testés franchissent le cap des essais de phases 1 et 2
Phase 3	<ul style="list-style-type: none">• Étudier le rapport bénéfice/risque• Comparaison (SMR)	1 année ou +	Plusieurs centaines de malades	70 à 90 % des médicaments entrant en phase 3 sont retenus pour une demande d'AMM

À l'issue de la phase 3, les résultats peuvent être soumis aux autorités européennes de santé (EMA) pour l'obtention de l'**autorisation de mise sur le marché (AMM)**

Phase 4	Essais réalisés une fois le médicament commercialisé, sur un nombre de patients souvent très important (jusqu'à plusieurs dizaines de milliers de personnes). <ul style="list-style-type: none">• Meilleure connaissance du médicament• Évaluation de tolérance à grande échelle : détecter des effets indésirables très rares non détectés en phase d'essai
---------	--

*Afssaps, rapport 2010.

La course à l'innovation santé fait de la recherche clinique un enjeu de compétition mondiale

► **La France est bien placée dans cette compétition mondiale:** elle représente 8 % des patients recrutés dans les essais cliniques internationaux. Elle participe à près de 10 % des études de phase 1 (dites précoces) réalisées dans le monde et à plus de 20 % de celles réalisées en Europe.

► **Elle est réputée pour son expertise dans le domaine de la cancérologie** qui concentre 30 % des études réalisées en France, mais aussi dans le domaine des vaccins et du cardiovasculaire/métabolisme avec 50 % des patients recrutés pour ces deux axes de recherche.

► **La France recrute** un nombre de patients égal à la moyenne mondiale en oncologie et largement supérieur à cette même moyenne dans le champ des maladies rares. La France se distingue aussi dans ces deux aires thérapeutiques en termes de vitesse de recrutement, qui est bien supérieure aux moyennes mondiales.

► **Elle est reconnue pour la qualité de sa prise en charge médicale et de ses infrastructures hospitalières, «terreau» favorable à la réalisation d'essais.**

► **Cependant, sa position s'érode au fil des ans:** les pays de l'Est émergent désormais en tête de peloton en termes de productivité globale. Globalement, la France progresse moins vite que ses concurrents d'Asie ou d'Amérique latine.

Les entreprises du médicament sont conscientes de l'importance des essais cliniques pour l'attractivité du territoire français

► **La création du Centre national de gestion des essais cliniques des produits de santé (CeNGEPS)** a été l'une des décisions phares des réunions du Conseil stratégique des industries de santé (2005).

► **Il est financé par les industriels depuis sa mise en place en 2007, avec pour objectif de maintenir l'attractivité du territoire français** pour la réalisation d'essais cliniques industriels, leur professionnalisation et leur bonne gestion administrative.

► **Le CeNGEPS est la concrétisation de l'engagement des industriels aux côtés des hospitaliers** pour «recruter plus de patients, plus vite et mieux» dans les essais cliniques.

► **Il constitue un modèle réussi de partenariat public-privé,** indispensable à la construction d'un système de santé novateur, efficient et attractif. Le CeNGEPS a été reconduit jusqu'en 2015.

► **Les industriels explorent d'autres voies pour intensifier les partenariats** avec les acteurs de la recherche clinique en travaillant sur l'identification de centres d'excellence français ainsi que les facteurs qui ont contribué à leur succès ou sur la standardisation des contrats hospitaliers.

► **C'est un chantier majeur pour les industriels qui savent que ce sont les essais cliniques qui font le médicament.**



Tous les chiffres cités sont issus de l'enquête Leem sur les essais cliniques, recensant les études internationales avec une participation française initiées entre 2008 et 2009 par les entreprises du médicament.

L'enquête 2010 du Leem «attractivité de la France pour les essais cliniques» est disponible et téléchargeable sur www.leem.org

LES ESSENTIELS DU MÉDICAMENT, mieux comprendre le médicament et ceux qui le font
Direction de la communication du Leem, édition mai 2011