

## Quel est le rôle de la recherche clinique ?

La recherche clinique est une étape clé du développement du médicament qui doit être testé sur l'homme.

Pratiquée en partenariat avec les hôpitaux, elle contribue au niveau élevé d'expertise médicale des professionnels hospitaliers en France.

(Maj : 12.05.2022)

### QUEL EST LE RÔLE DE LA RECHERCHE CLINIQUE ?

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 » (phase IV), car intervenant après la mise sur le marché du médicament. Elles évaluent le médicament dans la vraie vie, c'est-à-dire lorsqu'il est prescrit à grande échelle.



	OBJECTIFS	DURÉE	EFFECTIFS	RÉSULTATS
<b>PHASE I</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Sécurité du médicament</li> <li>• Etude du devenir dans l'organisme</li> </ul>	De quelques jours à quelques mois	Petit nombre de volontaires	70 % des produits expérimentés franchissent le cap des essais de phase I
<b>PHASE II</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Efficacité du produit</li> <li>• Détermination de la posologie optimale</li> </ul>	De quelques mois à 2 ans	Petits groupes homogènes de patients (de 10 à 40)	1/3 des produits testés franchissent le cap des essais de phases I et II
<b>PHASE III</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Etude du rapport bénéfice/risque</li> <li>• Comparaison avec les traitements existants s'ils existent</li> </ul>	1 an ou plus	Plusieurs centaines de malades	De 70 à 90 % des médicaments entrant en phase III sont retenus pour une demande d'AMM
<b>PHASE IV</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Essais réalisés une fois le médicament autorisé</li> <li>• Meilleure tolérance du médicament</li> </ul>		Nombre de patients souvent important (jusqu'à plusieurs dizaines de milliers de personnes)	Evaluation de la tolérance à grande échelle : détection d'effets indésirables très rares, non détectés en phase d'essais

Source : Leem

### Chiffres

**809 (1)**

(1) c'est le nombre d'essais cliniques pour des médicaments autorisés par l'ANSM en 2020 (2).

## Contexte

- 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 de déterminer l'activité d'un produit et sa toxicité, des études cliniques, c'est-à-dire réalisées chez l'homme, sont organisées.

**Leurs objectifs** : évaluer et préciser la sécurité d'emploi (phase I), le devenir du produit dans l'organisme et confirmer l'efficacité thérapeutique de la molécule sur une maladie donnée (phases II et III).

- Les essais cliniques sont conduits après avis favorable d'un comité d'éthique, appelé Comité de protection des personnes (CPP), et une autorisation de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM).

- Le patient est au cœur de l'essai : l'information des sujets ou des patients que l'on se propose d'inclure dans les essais est un élément capital de la protection de ces personnes, validée par le CPP.

Tout patient susceptible de s'engager dans un protocole d'essai clinique doit signer un document dit de « consentement éclairé » garantissant qu'il a reçu de la part du médecin investigateur (ou de son représentant) toutes les informations concernant :

- o les bénéfices attendus de la recherche ;
- o les contraintes et les risques prévisibles, y compris en cas d'arrêt de la recherche avant son terme ;
- o le droit au refus de participer ;
- o la possibilité de retrait de son consentement à tout moment sans encourir aucune responsabilité ni aucun préjudice.

- Le patient participe à l'évaluation de son traitement et a le droit de l'interrompre à tout moment.

## Enjeux

- La recherche clinique est une étape clé du progrès médical.

- Les essais cliniques 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, les essais cliniques 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.

## Nos Actions

- Les entreprises du médicament participent à l'encadrement et à la sécurité des essais cliniques sur le territoire français : tous les essais sont soumis au respect des bonnes pratiques cliniques (BPC). En application de ces dernières, toute recherche biomédicale doit faire l'objet de contrôles de qualité réalisés en début et en cours d'essai sous la responsabilité du promoteur de la recherche. Cette fonction est en général assurée par les assistants de recherche clinique (ARC) du promoteur.

- Les entreprises du médicament s'adaptent aux modifications entraînées par le règlement européen sur les essais cliniques (CTR), qui est entré en vigueur en janvier 2022.

- Les entreprises du médicament veillent à la bonne information du grand public sur la recherche clinique grâce au site régulièrement actualisé [notre-recherche-clinique.fr](http://notre-recherche-clinique.fr)

(1). Source : Rapport d'activité de l'ANSM 2018.

(2). ANSM : Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé.