



GLOSSAIRE

Termes courants en recherche clinique

Comprendre le langage des essais cliniques

**BREAKING
BARRIERS**

Pourquoi est-ce important ?

Reconnaître et comprendre le langage utilisé dans la recherche clinique est essentiel pour accroître la participation et l'adhésion aux études.

Dans ce glossaire, nous avons rassemblé des informations sur la recherche clinique et une liste de termes qui sont souvent utilisés mais qui peuvent ne pas être bien compris par le grand public et, surtout, par les personnes susceptibles de participer à l'étude.

Ce document vous aidera à comprendre les caractéristiques des essais, la manière dont ils sont planifiés, le langage utilisé et ce que l'on peut vous demander en tant que participant(e) potentiel(le) à un essai.

Le cycle de vie d'une étude clinique comprend généralement les étapes suivantes :

1

Conception et
enregistrement
des études

2

Inscription des
participants

3

Clôture de l'étude

4

Publication

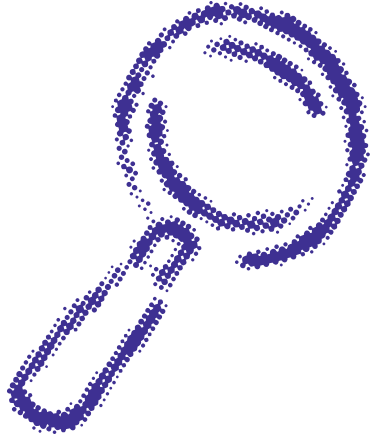
5

Demande
d'autorisation

Dans ce document, nous suivrons cette structure pour présenter les différents concepts et termes.



Étude observationnelle



Ce type d'étude n'implique aucune intervention active, telle qu'un traitement ou un changement de mode de vie. Les participants à l'étude sont suivis sur une certaine période afin de voir comment leur santé évolue naturellement (ou non) au fil du temps.

Études de cohorte

Le type d'étude observationnelle le plus simple. Les cohortes, ou groupes de personnes, sont suivies au fil du temps pour observer un résultat spécifique. Dans ce type d'étude, la cohorte peut être divisée en groupes en fonction de certaines caractéristiques et ces groupes sont comparés dans le temps.

Les études de cohorte peuvent être rétrospectives ou prospectives.

Exemple d'étude prospective : recrute un groupe de personnes en bonne santé selon des critères spécifiques, documente les événements médicaux et observe combien d'entre elles développent un psoriasis au fil du temps.

Exemple d'étude rétrospective : identifie les personnes atteintes d'arthrite psoriasique qui ont subi un infarctus du myocarde, les compare à des personnes souffrant d'arthrite psoriasique sans antécédents cardiaques et examine tous les antécédents médicaux afin d'identifier les facteurs possibles de corrélation avec l'infarctus du myocarde.

Études cas-témoins

Deux cohortes sont créées : l'une est le cas et l'autre le témoin, et toutes deux sont étudiées. Ce type d'étude est réalisé à un moment précis et vise à identifier des informations sur la santé qui sont communes à un groupe de participants et différentes de celles d'un groupe témoin.

Exemple : évalue l'impact du milieu géographique sur la gravité du psoriasis en comparant deux populations, l'une vivant en bord de mer et l'autre à la montagne. Cette étude permettrait de comprendre si les facteurs environnementaux sont associés à la gravité du psoriasis.

Études transversales

Réalisées à un moment précis, elles visent à identifier des informations sur la santé qui sont communes à un groupe de participants et différentes de celles d'un groupe témoin. Les participants ne sont pas suivis dans le temps.

Exemple : étudie la prévalence des comorbidités dans un groupe de personnes atteintes de psoriasis par rapport à un groupe de personnes non atteintes. Ce type d'étude évalue si le psoriasis affecte la susceptibilité de développer des comorbidités.

Études longitudinales

Ce type d'étude suit les participants sur de longues périodes : des années, voire des décennies, avec des contrôles répétés au cours de l'étude.

Registres

Les registres sont des cohortes prospectives d'observation à long terme créées pour aider les chercheurs à apprendre comment, par exemple, un traitement s'est déroulé dans des conditions réelles au fil du temps.

Exemple de registres :

- **BADBIR** : registre du Royaume-Uni et de l'Irlande
- **PsoBest** : registre de l'Allemagne
- **PSOLAR** : registre multinational
- **PURE** : registre du Canada et de l'Amérique latine
- **KPR** : registre kenyan du psoriasis
- **WJPR** : registre du Japon occidental
- **ADR** : registre australien de dermatologie (pour plusieurs maladies dermatologiques)

Interventionnelle



Ce type d'étude est associé à une intervention ou un traitement particulier.

Études pilotes

Une étude à plus petite échelle avec un nombre limité de participants, parfois menée avant un essai de grande envergure. Ces études peuvent répondre à différentes questions, telles que la possibilité de mener l'étude à grande échelle, la pertinence du protocole ou la nécessité de le modifier, et l'adéquation des résultats mesurés, entre autres.

Études de traitement

Communément appelées « essais cliniques ». Conçues pour comparer les éléments suivants :

Intervention et témoin : Nouveau(x) traitement(s) comparé(s) à l'absence de traitement (ou à un placebo).

Intervention et intervention : Lorsque tous les groupes de l'étude reçoivent une forme de traitement (le témoin n'est pas un placebo).

Quelques exemples : *Un nouveau traitement ou une nouvelle combinaison de traitements par rapport à un traitement déjà établi ; une posologie ou une fréquence d'administration différente par rapport au protocole standard ; une habitude de vie par rapport à une autre habitude de vie, telle qu'un régime hypocalorique par rapport à un régime hypercalorique.*

La recherche clinique se divise généralement en deux types d'études qui peuvent se chevaucher :

Étude quantitative : étude dans laquelle les résultats ou les paramètres mesurés sont numériques et bien définis, par exemple oui/non, score PASI (Psoriasis Area and Severity Index, indice d'étendue et de gravité du psoriasis), tension artérielle, taux de glucose.

Étude qualitative : étude qui vise à comprendre les significations, les expériences et les perspectives par le biais de descriptions. Ce type d'étude vise à comprendre l'expérience des patients. Pour ce faire, on réalise des enquêtes auprès des patients ou des entretiens individuels, par exemple.

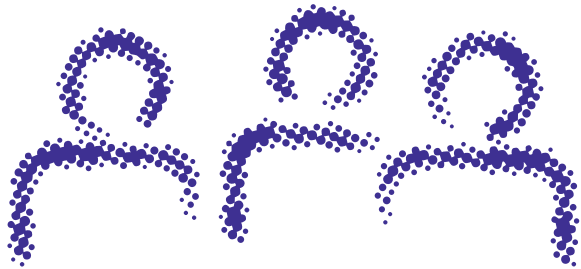


Qu'est-ce qu'une intervention ?

Une intervention est un traitement, une action ou une approche testés pour déterminer s'ils sont sûrs et s'ils améliorent la santé.

Groupes d'essais cliniques

Les différents groupes des essais peuvent également être appelés « **bras** » et une même étude peut compter plusieurs bras.



Chaque étude contient au moins un groupe interventionnel et un groupe témoin ou placebo, et les deux sont comparés.

L'**intervention** est la modification ou le traitement spécifique administré au participant, dont l'effectivité et la sécurité sont testées.

Le **groupe témoin** peut être, par exemple, un placebo (aucun traitement) ou un traitement précédemment approuvé.

Un **placebo** signifie qu'aucun traitement actif n'est administré. Si l'étude teste un nouveau comprimé, le placebo peut être un comprimé de sucre dont l'apparence et la forme sont semblables à celles du comprimé de médicament ; si le traitement est un nouveau produit injectable, le placebo peut être une injection de sérum physiologique (qui ne contient aucun ingrédient actif). Le placebo permet d'établir l'évolution naturelle de la maladie étudiée en dehors de toute intervention.

Phases de l'essai clinique

Les essais cliniques se déroulent en quatre phases, et ce n'est que si la phase précédente donne des résultats positifs que l'étude peut passer à la phase suivante.

Phase

I

Un petit nombre de participants en bonne santé sont recrutés pour tester la sécurité d'un nouveau médicament. La sécurité signifie que le produit n'est pas nocif.

Phase

II

Un plus grand nombre de personnes atteintes de la maladie sont invitées à participer à l'étude afin de confirmer la dose optimale et de détecter d'éventuels effets indésirables liés au médicament testé.

Phase

III

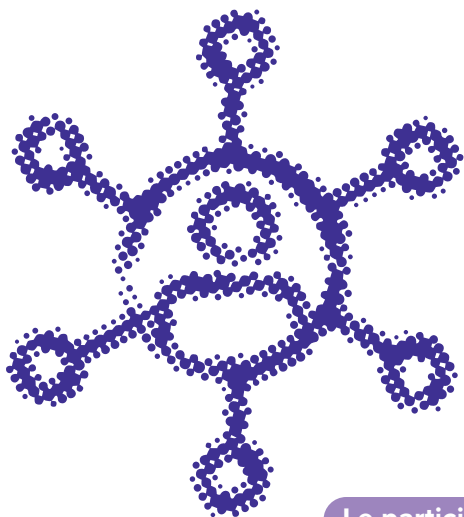
Des centaines voire des milliers de participants sont recrutés dans chaque bras de l'étude. Cette phase est destinée à confirmer l'efficacité et l'effectivité du médicament par rapport aux options thérapeutiques actuelles ou à l'absence de traitement, selon l'étude. Si les résultats sont positifs, une demande d'autorisation est soumise aux agences réglementaires.

Phase

IV

Cette phase est menée après l'autorisation du médicament. Participation continue des patients et surveillance de la sécurité et de l'efficacité à long terme du médicament dans la pratique clinique courante. C'est ce que l'on appelle aussi les données probantes du monde réel.

Principaux acteurs des essais cliniques



Le participant

La personne qui participe à l'étude. Le participant est parfois appelé « sujet d'étude ».

Le centre d'étude

Le ou les lieux où se déroule l'essai, souvent un hôpital ou une clinique.

L'équipe du centre d'étude

Les personnes impliquées dans la planification, la conduite et le rapport final des résultats de l'étude. Il s'agit de professionnels qualifiés ayant de l'expérience dans la conduite d'études cliniques. L'équipe est pluridisciplinaire et peut varier en fonction des études.

Le bailleur de fonds ou le promoteur

Le groupe, l'agence ou l'entreprise qui lance, surveille et finance l'essai clinique. Cette entité est chargée d'assurer la sécurité de l'étude, y compris des traitements, et de rendre compte de ses résultats.

Qui fait partie de l'équipe du centre d'étude ?

- **Investigateur principal**
Le responsable de l'équipe
- **Investigateurs secondaires**
Par exemple, les médecins qui effectuent les activités de l'essai.
- **Coordinateur de la recherche clinique**
Supervise la logistique de l'essai et s'assure que les exigences en matière de documentation sont respectées.
- **Infirmière de recherche ou d'étude**
Effectue la plupart des tâches en contact avec les participants.

Comité d'éthique ou comité de protection des personnes

Groupe de personnes possédant les compétences nécessaires pour s'assurer que l'étude proposée peut être réalisée en toute sécurité. Les experts sont indépendants et ne participent pas à l'étude proprement dite. Le protocole de l'étude est évalué pour s'assurer qu'il respecte les bonnes pratiques cliniques, qu'il protège les droits et la sécurité des participants et que les résultats sont scientifiquement et/ou médicalement valables.

Agence de réglementation

Organisme gouvernemental officiel qui réglemente et approuve, par exemple, les nouveaux médicaments destinés à traiter des symptômes ou des maladies spécifiques. L'autorisation est accordée lorsque les études menées sur le médicament démontrent clairement les bénéfices pour la santé et la sécurité des personnes qui le prennent. L'autorisation est accordée après que les essais de phase III ont été menés à bien. L'agence continue de surveiller la sécurité après l'autorisation et a le pouvoir de rappeler ou d'arrêter la prescription du médicament si de nouveaux risques sont découverts.

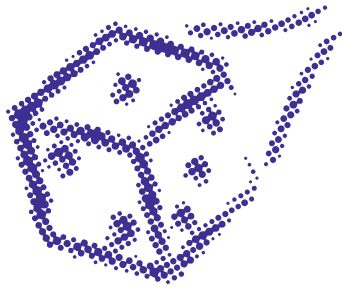
Exemples d'agences de réglementation :

- **FDA** : Food and Drug Administration, aux États-Unis
- **EMA** : Agence européenne des médicaments, dans l'Union européenne

Caractéristiques des essais cliniques

Randomisation

La randomisation permet de s'assurer que les personnes participant à un essai clinique sont placées dans des groupes de traitement différents de façon aléatoire, comme si l'on tirait à pile ou face. Cela permet de s'assurer que les résultats ne sont pas biaisés. Pour que les groupes soient équilibrés, les chercheurs veillent à ce que les facteurs importants, tels que l'âge, le sexe, la gravité de la maladie ou les traitements antérieurs, soient représentés de manière égale dans chaque groupe. La randomisation est une condition importante des essais de phase III et aide les chercheurs à comprendre si un traitement est réellement efficace et sûr.



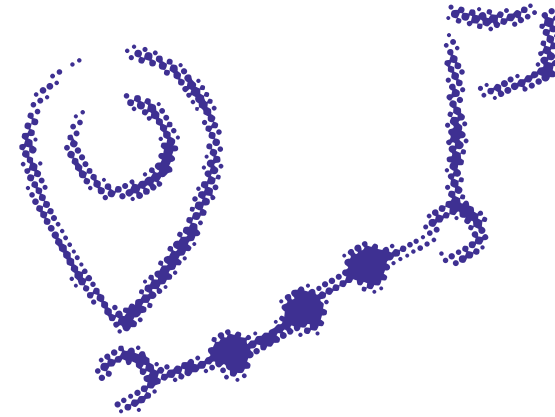
Mise en aveugle (parfois appelée « mise en insu »)

La mise en aveugle d'un essai signifie que la ou les personnes impliquées ne savent pas à quel bras de l'étude elles sont affectées. Les études sont en simple aveugle lorsque seuls les participants ne savent pas à quel bras ils appartiennent. Les études peuvent également être menées en double aveugle lorsque le participant et l'équipe de l'étude (chercheurs, professionnels de santé) ne savent pas à quel bras de l'étude les participants appartiennent. Les informations sur les bras ne sont divulguées qu'à la fin de l'étude, lors de l'analyse des résultats.



Inclusion

Le point de départ de l'étude. Il s'agit souvent des mesures médicales du participant effectuées au début de l'étude. Ces informations sont comparées à celles obtenues à différents moments de l'étude, par exemple 12 semaines après le recrutement dans l'étude. Parmi les caractéristiques à l'inclusion figurent les données démographiques (âge, sexe, poids corporel), la surface corporelle et le score PASI (Psoriasis Area and Severity Index), les comorbidités, la durée de la maladie, les antécédents de traitement, etc. Les caractéristiques et les questionnaires de mesure des résultats rapportés par le patient (PROM) utilisés dans les critères d'évaluation seront également évalués avant le début de l'étude.



Caractéristiques des essais cliniques

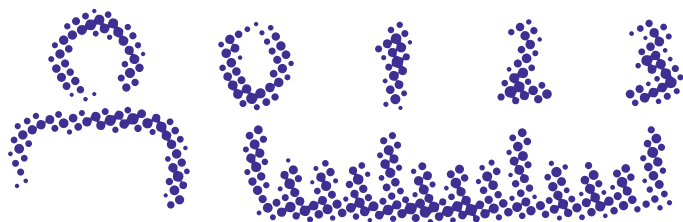
Protocole d'étude

Le protocole est une explication détaillée de la manière dont l'étude sera menée.



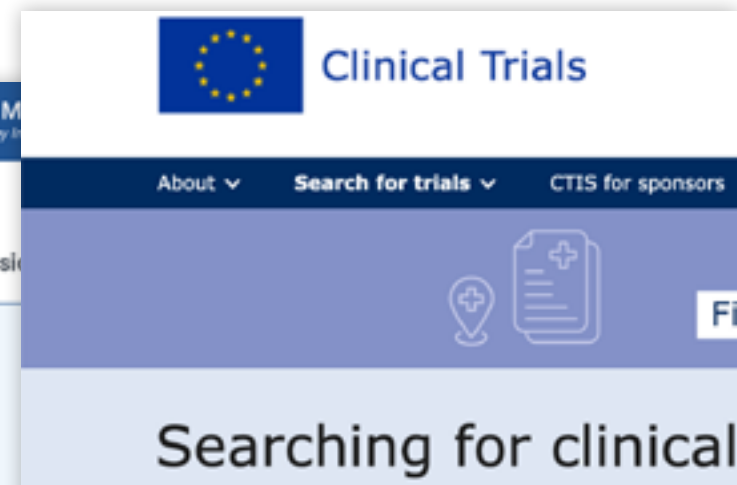
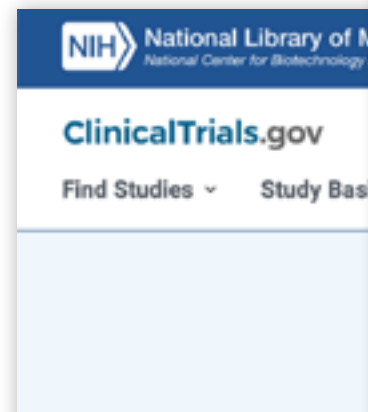
Taille de l'échantillon

Lors de la planification de l'étude, l'équipe de recherche détermine le nombre de participants à recruter. Une taille d'échantillon adéquate garantit la validité clinique et statistique de l'étude, tout en évitant un recrutement excessif. Il est important d'éviter les recrutements inutiles, car il serait contraire à l'éthique d'exposer plus de personnes que nécessaire au médicament étudié.



Registre des essais cliniques

Une base de données accessible au public qui répertorie les études cliniques planifiées, en cours et terminées. Il fournit des informations clés sur chaque étude, y compris les objectifs de l'étude, le promoteur ou l'investigateur principal, les critères d'éligibilité, la conception et les résultats des études, ainsi que la documentation à l'appui. Les essais cliniques doivent être consignés dans un registre avant le début du recrutement. Parmi ces registres, on peut citer clinicaltrials.gov et euclinicaltrials.eu.



Recrutement

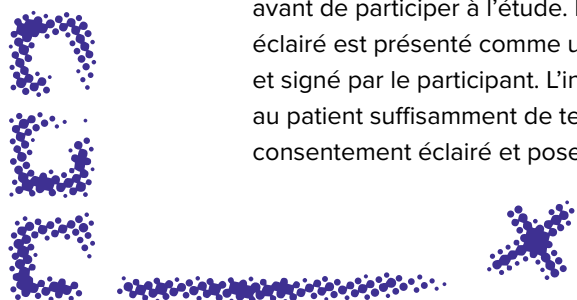
Processus par lequel les participants à l'étude sont inscrits ou acceptés dans l'étude.

Il s'agit d'identifier les personnes susceptibles de participer à l'étude, de les informer des objectifs de l'étude, d'évaluer si les critères d'éligibilité sont remplis, de présenter et d'obtenir le consentement éclairé. Une personne est considérée comme faisant partie de l'étude une fois qu'elle a signé le formulaire de consentement.



Consentement

Consentement éclairé : Autorisation donnée par le participant avant de participer à l'étude. Le formulaire de consentement éclairé est présenté comme un document qui doit être compris et signé par le participant. L'investigateur de l'étude doit donner au patient suffisamment de temps pour consulter le formulaire de consentement éclairé et poser des questions.



Que contient un formulaire de consentement éclairé ?

Le formulaire de consentement comprend toutes les informations importantes concernant la participation à l'étude :

- L'objectif de l'étude
- Les caractéristiques de l'étude, par exemple : quel est le nouveau traitement étudié et comment sera-t-il testé ?
- Ce qui est demandé aux participants à l'étude, par exemple : le temps à consacrer, le nombre de visites au centre d'étude, les types de tests et d'échantillons nécessaires et le moment où ils seront prélevés, la nécessité ou non de changer de médicaments ou de mode de vie, etc.
- La durée de l'étude
- Les risques liés à la participation à l'étude, y compris les éventuels effets secondaires (allant de fréquents à rares) et leur probabilité d'apparition, ainsi que les risques liés aux interventions à effectuer, telles que les biopsies ou autres examens invasifs.
- Quels sont les avantages de la participation à l'étude ?
- Compensation financière, le cas échéant
- Des informations confidentielles, par exemple des informations sur le patient (nom, adresse, coordonnées et toute information identifiable) sont collectées, mais un code patient est créé et utilisé dans l'étude à leur place. Avant la publication de l'étude, toute information personnelle appartenant aux participants est supprimée ou transformée afin de protéger leur vie privée.
- Les droits des participants, par exemple le droit de se retirer de l'étude à tout moment
- Les informations personnelles qui seront collectées et comment elles seront utilisées et sauvegardées
- Les coordonnées des recruteurs de l'étude





Sélection

Pour qu'une personne puisse participer à une étude, une évaluation détaillée est effectuée.

Critères d'éligibilité : règles qui déterminent qui peut participer à l'étude. Il s'agit généralement d'une liste de critères d'inclusion et d'exclusion, ou de caractéristiques des participants qui déterminent si le candidat peut ou non participer à l'étude. Quelques exemples de critères : l'âge, le sexe, la grossesse, les caractéristiques de la maladie, les antécédents de traitement, les comorbidités, l'origine ethnique, le mode de vie, etc.

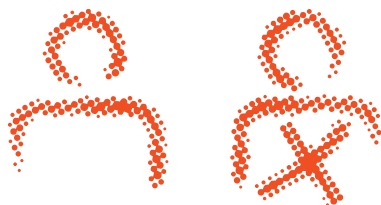
Critères d'inclusion : informations qui font d'une personne un bon candidat pour participer à l'étude.

Critères d'exclusion : informations concernant une personne qui l'empêchent de participer à l'étude.

Maintien ou retrait

Maintien : capacité de maintenir les participants dans l'étude jusqu'à son terme.

Retrait : lorsqu'un participant quitte l'étude avant qu'elle ne soit terminée. Il est important de noter que les participants peuvent se retirer de l'étude à tout moment, même immédiatement après avoir signé le formulaire de consentement. Le retrait peut également se produire si les conditions requises pour le recrutement ne sont pas remplies ou si le taux de maintien des participants est faible. L'organisateur de l'étude peut retirer le participant avant le début de l'étude.



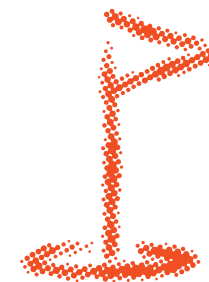
Suivi

Conformément au protocole de l'étude et au formulaire de consentement éclairé, les participants sont tenus de se rendre au centre de l'essai clinique afin de faire l'objet d'un suivi médical régulier. Cela peut se faire par le biais d'une combinaison d'examen menés par un professionnel de santé, de questionnaires ou d'enquêtes à remplir, ainsi que d'autres méthodes.



Fin de l'étude

Les essais cliniques ont une date de clôture estimée. Cette date correspond au moment où le dernier participant a été évalué selon les mesures des résultats, les critères d'évaluation principaux et secondaires ainsi que les événements indésirables définis dans le protocole de l'étude.



Résultats

Les résultats sont les effets mesurables qui permettent d'évaluer si une intervention est efficace et sûre. Par exemple, un nouveau traitement contre le psoriasis peut être considéré comme efficace s'il fait disparaître les poussées cutanées et atténue les démangeaisons.



Mesures des résultats rapportés par les patients (PROM)

Il s'agit de formulaires ou de questionnaires standardisés que le patient remplit pour donner des informations sur son état de santé. Les PROM permettent de recueillir le témoignage du patient, notamment sur ses symptômes, ses sensations, sa qualité de vie liée à la santé et son avis sur le traitement. Ils peuvent être spécifiques à une maladie, comme le PDI (Psoriasis Disability Index) ou le questionnaire sur la qualité de vie des personnes atteintes de psoriasis, ou plus généraux, conçus pour évaluer l'état de santé et le bien-être globaux et applicables à différentes maladies, comme le questionnaire SF-36 (Short Form Health Survey 36) ou d'autres questionnaires sur la qualité de vie liée à la santé.

Effet indésirable ou effet indésirable grave

Un événement indésirable sur le plan médical survenant au cours de l'étude. Il peut être dû ou non au traitement à l'étude. Les effets indésirables graves peuvent nécessiter une hospitalisation, voire entraîner le décès. Ces événements sont signalés dans l'étude, au promoteur de l'étude, au comité d'éthique et dans toute publication découlant de l'étude. Si un événement est imputable au traitement à l'étude, il peut s'avérer nécessaire de réviser le protocole de l'étude, voire d'interrompre celle-ci.



Résultats

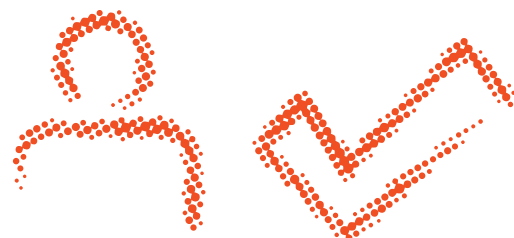
Critère d'évaluation

Un résultat que vise à obtenir une étude. Les études peuvent comporter un *critère d'évaluation principal* et un ou plusieurs *critères d'évaluation secondaires*. Les critères d'évaluation secondaires sont des résultats supplémentaires qui s'ajoutent au critère d'évaluation principal. Dans le cas du psoriasis, un critère d'évaluation principal courant est le score PASI 75/90, ce qui signifie que les lésions disparaissent d'au moins 75 % ou 90 % de la peau grâce au traitement par rapport à l'inclusion dans l'étude. Les critères d'évaluation secondaires peuvent inclure une amélioration de la qualité de vie, une diminution des démangeaisons ou de la douleur, ainsi que la disparition des lésions dans des zones spécifiques, comme le cuir chevelu.



Efficacité

Si une intervention ou un traitement produit le résultat escompté dans des conditions idéales, on dit que ce traitement est efficace.



Effectivité

Ce critère évalue dans quelle mesure une intervention ou un traitement produit l'effet escompté, souvent dans le cadre de la pratique clinique courante. Si le traitement permet d'atteindre cet objectif, on dit qu'il est effectif.



Signification statistique

Une méthode mathématique permettant de démontrer que les différences observées entre les groupes de l'étude (groupe d'intervention par rapport au groupe témoin) ne sont probablement pas dues au hasard. Dans une étude visant à tester un nouveau traitement contre le psoriasis et à évaluer la disparition des lésions cutanées, une différence statistiquement significative entre le groupe de traitement et le groupe témoin signifie que le traitement est, avec une très forte probabilité, à l'origine des différences observées entre les deux groupes.

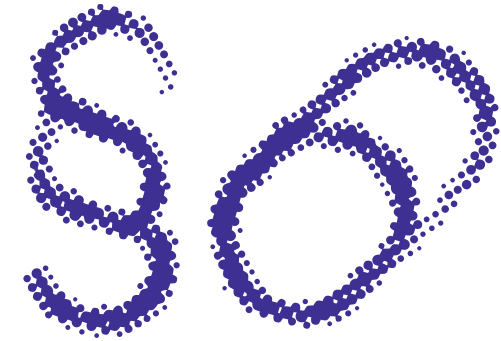


Après la clôture de l'étude



Publication

Les résultats des essais cliniques sont diffusés auprès du grand public par le biais de publications. Les études, telles que les essais cliniques, sont publiées sous forme d'articles scientifiques. Le processus de publication scientifique implique que d'autres chercheurs évaluent l'étude et ses conclusions afin de garantir la qualité et la validité de la recherche. Les communiqués de presse servent souvent à diffuser ces résultats auprès d'un public plus large.



Demande d'autorisation

Pour les nouveaux médicaments, les agences réglementaires gouvernementales telles que la FDA (États-Unis) ou l'EMA (Europe) sont tenues d'examiner les résultats des essais cliniques. Ces organismes évaluent si le médicament apporte un bénéfice significatif aux patients et au système de santé, puis décident s'il doit être autorisé.



L'IFPA en bref

L'IFPA est convaincue que le meilleur moyen de trouver des informations et des ressources supplémentaires est de se mettre en relation avec une association de patients. Notre priorité est de mettre en contact les membres de l'IFPA dans le monde entier. Pour obtenir la liste des associations membres, visitez la page des membres de l'IFPA à l'adresse : ifpa-pso.com.

Nous vous encourageons à contacter les associations locales pour obtenir du soutien si vous souffrez de psoriasis. L'IFPA ne cesse de souligner l'importance de la relation patient/prestataire de soins lors de la prise de décisions thérapeutiques, le patient devant rester au centre des processus de prise de décision. La décision de changer de traitement doit être prise au cas par cas et uniquement avec le consentement total et éclairé du patient et du prestataire de soins.

L'IFPA est une organisation à but non lucratif qui regroupe des associations nationales et régionales du monde entier.

À l'IFPA, nous aspirons à un monde débarrassé de la souffrance liée au psoriasis. Pour y parvenir, nous donnons toutes les clés à nos membres, nous améliorons les conditions de vie des personnes atteintes de psoriasis et nous menons des efforts de sensibilisation.

Rendez-vous sur le site : ifpa-pso.com



Briser les barrières

Comblers les lacunes et lutter contre la stigmatisation et la sous-représentation dans la recherche clinique sur le psoriasis

La diversité est essentielle dans la recherche sur le psoriasis, mais de nombreux groupes restent sous-représentés dans les essais cliniques. L'initiative « Briser les barrières » (Breaking Barriers) est le nouveau projet mondial de l'IFPA, pour identifier les raisons pour lesquelles les écarts de participation persistent et les moyens de les combler. Grâce à la collaboration entre les personnes atteintes de psoriasis, les chercheurs et les professionnels de santé, nous souhaitons identifier les obstacles sociaux, culturels et structurels qui entravent la participation à la recherche clinique et contribuer à les éliminer. Dans le cadre de ce projet, nous avons élaboré des supports pédagogiques accessibles sur la recherche clinique et l'inclusion. Scannez le code QR pour en savoir plus.





www.ifpa-pso.com | info@ifpa-pso.com

**BREAKING
BARRIERS**