


# Essais cliniques : renseignements et options à l'intention des personnes atteintes de fibrose kystique



Fibrose kystique  
Canada

*Donnez le souffle de vie<sup>MD</sup>*



« Je suis reconnaissante que mon fils ait pu participer à une étude clinique et j'espère qu'il pourra collaborer à d'autres dans l'avenir. Les progrès de la recherche effectuée maintenant nous rapprochent d'un traitement curatif. »

*Joanne Lovell,  
mère de Liam, bénévole  
pour des études cliniques*

De nombreux progrès ont été accomplis dans le domaine de la recherche et des soins associés à la fibrose kystique (FK). Toutefois, il faut plus que jamais accélérer la mise aux point de nouveaux traitements afin que de jeunes vies ne soient plus fauchées par la FK.

L'implication de toute la communauté fibro-kystique sera nécessaire pour encourager la recherche clinique. En fait, un soutien de votre part sera essentiel. En participant à des essais cliniques - qu'il s'agisse de remplir un questionnaire, de fournir un échantillon de sang ou de crachat, ou de vous inscrire à une étude sur un médicament expérimental - vous pouvez jouer un rôle clé dans la recherche de nouveaux traitements et de moyens de guérir la maladie.

La présente brochure vous renseignera sur le déroulement des essais cliniques au Canada. Si vous songez à participer à un essai, discutez-en avec l'équipe de votre clinique de FK.

---

## **En quoi consiste un essai clinique?**

Les essais cliniques permettent d'étudier de nouveaux médicaments, traitements et appareils pour en évaluer les résultats et estimer s'ils offrent des avantages par rapport aux thérapies actuelles.

---

## Qui peut participer à un essai clinique?

Avant de pouvoir participer à un essai clinique, une personne doit répondre aux exigences de l'étude. Les cliniciens utilisent des critères d'inclusion et d'exclusion pour déterminer quelles personnes sont admissibles à un essai spécifique. Ces critères permettent d'assurer la sécurité des participants ainsi que l'exactitude et l'utilité des résultats de l'étude.

Dès la mise sur pied de l'essai, on évaluera chaque personne pour vérifier son admissibilité. Les chercheurs vous donneront les détails de l'étude et répondront à toutes vos questions. Si vous êtes jugé admissible à l'essai et acceptez d'y participer, on vous demandera de signer un formulaire de consentement éclairé, indiquant que vous êtes au courant des principaux points concernant l'essai avant de vous engager.

L'âge d'admissibilité des personnes fibrokystiques variera en fonction de l'essai.

---

## L'équipe de ma clinique de fibrose kystique continuera-t-elle à me prodiguer des soins?

Oui, si vous vous inscrivez à un essai clinique, l'équipe continuera de s'occuper de vos soins cliniques.

---

## Que veulent dire les termes protocole, placebo, étude randomisée et étude comparative?

Un protocole est un plan soigneusement structuré qui est élaboré avant le début de l'essai. Il indique :

- le ou les objectifs de la recherche;
- les conditions de participation (critères d'inclusion et d'exclusion);
- une description des examens, des méthodes, des médicaments et de leur posologie;
- la durée de l'essai.

Un placebo est un comprimé – souvent une pilule de sucre – ou un traitement qui est conçu pour n’avoir aucun effet sur la personne qui le prend. Durant les essais cliniques, on établit souvent une comparaison entre les participants qui prennent le médicament expérimental et ceux qui prennent le placebo, afin de savoir si le médicament à l’étude est vraiment efficace.

Dans un essai randomisé, les participants sont répartis au hasard dans l’un des groupes de traitement. Chaque participant est susceptible de recevoir soit le médicament à l’étude, soit le placebo. Après la répartition au hasard, les deux groupes (ou plus) de l’étude sont suivis exactement de la même façon.

Les études comparatives sont des essais au cours desquels un groupe de participants reçoit le traitement expérimental, tandis que l’autre groupe reçoit soit un traitement standard, soit un placebo. Durant certains essais comparatifs, on examinera à la fois le traitement expérimental, le traitement standard et le placebo.

La conception de l’essai comparatif randomisé (ECR) permet de garantir que les résultats ne sont pas biaisés.

---

## **Quels sont les avantages et les risques liés à la participation à des essais cliniques?**

Explorez les risques et les avantages associés tant aux traitements standards qu’aux traitements potentiels avant de prendre la décision de participer à un essai clinique.

Bénéfices possibles :

- jouer un rôle actif dans vos soins de santé;
- accéder à de nouveaux traitements qui ne sont pas encore offerts à la population;
- aider les autres en contribuant à la recherche médicale;
- recevoir un traitement qui pourrait vous être utile.

« Participer aux études cliniques me permet de bénéficier des effets positifs des médicaments bien avant qu'ils soient disponibles en pharmacie! »

*Julie Gagnon, 34 ans*



- Le fait de participer à un essai clinique signifie que vous serez suivi étroitement et soigneusement par les membres de votre équipe soignante, et que vous pourrez les joindre rapidement en cas de problème.
- On a constaté que les personnes engagées dans des essais cliniques en retiraient des bénéfices globaux pour leur santé, même si elles recevaient un placebo! De nombreuses études ont montré que les patients qui participaient à des essais cliniques obtenaient de meilleurs résultats cliniques généraux que ceux qui ne participaient pas à des essais.

Risques possibles :

- éprouver des effets ou des réactions indésirables aux médicaments ou aux traitements;
- recevoir un traitement qui ne vous apporte pas de bons résultats;
- devoir vous rendre au site de l'étude, recevoir des traitements, rester à l'hôpital ou vous conformer à des instructions complexes sur les posologies.

---

## **Jusqu'à quel point les essais sont-ils sécuritaires?**

Les codes éthiques et juridiques qui régissent la pratique médicale au Canada s'appliquent également aux essais cliniques. Une évaluation continue par un comité d'éthique de la recherche et un comité de contrôle de la sécurité aide à protéger les personnes qui décident de participer à des essais.

---

## **Puis-je me retirer d'un essai clinique une fois que le traitement est commencé?**

OUI. Vous pouvez quitter l'essai à tout moment ou pour une raison quelconque, même si vous avez signé le formulaire de consentement. Si vous décidez de vous retirer d'un essai clinique, vous devez en informer l'équipe de recherche. On vous demandera peut-être de vous présenter à une dernière visite.

---

## **Quels sont les principaux défis associés à la lutte contre la fibrose kystique?**

Hormis la collecte de fonds destinés à la recherche, le recrutement de personnes susceptibles de participer à des essais cliniques représente l'un des plus grands défis. De nombreux traitements potentiels se montrent efficaces en laboratoire, mais doivent être minutieusement examinés dans des essais cliniques pour que leur sécurité et leur efficacité soient prouvées. Votre participation peut contribuer à hâter l'offre de traitements à la communauté fibro-kystique.

« Les études cliniques ont accru notre compréhension du diabète associé à la fibrose kystique, du traitement et des soins. Ces études offrent une occasion unique d'évaluer de nombreux marqueurs cliniques et biologiques chez les personnes fibro-kystiques. Cela aurait été impossible sans la participation de la communauté fibro-kystique. »

*Dr Rémi Rabasa-Lhoret,  
clinicien et chercheur en  
fibrose kystique (IRCM,  
Université de Montréal)*



---

## Comment puis-je m'informer à propos des essais cliniques sur la fibrose kystique effectués dans ma région?

Visitez la section [Trouver un essai clinique](#) de notre site Web pour connaître les essais en cours. Si vous voulez en apprendre davantage sur la participation aux essais, veuillez discuter de votre admissibilité avec l'équipe de votre clinique de fibrose kystique.

Gardez à l'esprit que les cliniques plus importantes ont un taux élevé de fréquentation et peuvent donc recruter plus facilement des patients pour les essais cliniques. Ces cliniques peuvent aussi compter sur des coordonnateurs de recherche qui aident au recrutement des participants. Les cliniques de moindre taille sont limitées quant au nombre de patients et aux ressources qui leur sont consacrées, et elles ne sont souvent pas en mesure d'effectuer des essais.

---

### Questions à poser :

Lorsque vous discuterez de votre participation à un essai clinique avec l'équipe de votre clinique, pensez à poser les questions suivantes :

- Quel est l'objectif de l'étude?
- Comment l'étude pourrait-elle gêner ma vie quotidienne?
- Quel sera mon rôle dans l'étude?
- Qui sera responsable de mes soins?
- Quels seront les avantages de l'étude pour moi et les autres?
- Pourquoi les chercheurs pensent-ils que le traitement expérimental pourrait être efficace?
- Quels types de tests et de traitements expérimentaux sont compris dans l'essai?
- Comment les risques, les effets indésirables et les avantages potentiels se comparent-ils à mon traitement actuel?
- Quelle sera la durée de l'essai?
- Vais-je devoir subir une hospitalisation ou me présenter à des visites cliniques additionnelles?

- Qui va payer pour ma participation à l'étude?
- Vais-je être remboursé pour certains frais associés à l'essai?
- Comment vais-je savoir si le traitement expérimental est efficace?
- Les résultats de l'essai vont-ils m'être transmis?
- Quels types de soins de suivi à long terme seront nécessaires?

« En tant que personne fibro-kystique, je crois que c'est un privilège et un devoir de participer aux essais cliniques. Le fait de m'impliquer me donne l'impression de jouer un rôle dans l'avancement de la recherche, ce qui est très valorisant. De plus, ces études sont sécuritaires et me permettent de bénéficier de nouveaux traitements qui sont parfois très efficaces. Je suis gagnante sur toute la ligne! »

*Caroline Guillotte, 31 ans*



---

## **Qu'est-ce que Fibrose kystique Canada?**

Créé en 1960, Fibrose kystique Canada (anciennement la Fondation canadienne de la fibrose kystique) est un organisme de bienfaisance pancanadien qui œuvre dans le domaine de la santé et qui compte plus de 50 sections menées par des bénévoles à travers le Canada.

Fibrose kystique Canada a pour mission d'aider les personnes atteintes de fibrose kystique en subventionnant la recherche dans le but de trouver un moyen de guérir ou de maîtriser efficacement la maladie, en soutenant des soins de haute qualité, en sensibilisant le public et en recueillant et allouant des fonds aux fins précitées.

---

## Comment Fibrose kystique Canada soutient-il la recherche clinique?

Outre ses programmes de recherche réguliers et sa contribution financière aux soins cliniques et aux soins entourant les transplantations, Fibrose kystique Canada soutient également des études cliniques par le biais de subventions aux projets cliniques, du Registre canadien de données sur les patients (RCDP) et du Consortium canadien d'études cliniques sur la FK.



« La recherche sur la fibrose kystique au Canada nous a amenés à de nouvelles découvertes et inventions. Ces traitements potentiels peuvent devenir une réalité dans les cliniques seulement si on effectue des études cliniques auprès des patients. Par conséquent, la participation aux études cliniques est cruciale pour améliorer la qualité des soins prodigués non seulement aux patients, mais également à la communauté fibro-kystique en général. »

*Dr Felix Ratjen, clinicien et chercheur en fibrose kystique (The Hospital for Sick Children, Toronto) et membre du CCM/S de Fibrose kystique Canada*

---

## Ressources

U.S. National Library of Medicine,  
[www.nlm.nih.gov](http://www.nlm.nih.gov)

ClinicalTrials.gov,  
[www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

---

## Remerciements

*Fibrose kystique Canada remercie les D<sup>rs</sup> Yves Berthiaume, Shawn Aaron, Felix Ratjen et Rémi Rabasa-Lhoret pour leur apport capital à la création du présent document, ainsi que Julie Gagnon, Caroline Guillotte et Joanne Lovell.*

---

## Notes

Pour obtenir plus de renseignements sur la fibrose kystique, veuillez communiquer avec votre section locale ou avec :



## Fibrose kystique Canada

2221, rue Yonge, porte 601  
Toronto (Ontario) M4S 2B4

416-485-9149 | 1-800-378-2233

[info@cysticfibrosis.ca](mailto:info@cysticfibrosis.ca)

[www.fibrosekystique.ca](http://www.fibrosekystique.ca)

Au Québec, vous pouvez vous adresser à :



## Fibrose kystique Québec

425, avenue Viger Ouest, bureau 510  
Montréal (Québec) H2Z 1X2

514-877-6161 | 1-800-363-7711

Bureau de Québec : 1-877-653-2086

[info@fibrosekystiquequebec.ca](mailto:info@fibrosekystiquequebec.ca)

[www.fibrosekystiquequebec.ca](http://www.fibrosekystiquequebec.ca)

Fibrose kystique Québec est une association provinciale de Fibrose kystique Canada.



Fibrose kystique  
Canada

*Donnez le souffle de vie<sup>MD</sup>*

[www.fibrosekystique.ca](http://www.fibrosekystique.ca)

*N° d'enregistrement d'organisme de bienfaisance :  
10684 5100 RR0001*

*2011-03 | This publication is also available in English.*