

La réalisation d'un essai clinique nécessite le respect de trois phases très strictement encadrées pour garantir au patient un minimum de risques et au traitement un maximum d'efficacité.

LES ESSAIS THÉRAPEUTIQUES

PRISE DE RISQUE

INTERDITE



Un médicament que l'on s'apprête à tester pour la première fois sur l'homme n'est pas une molécule choisie sur une inspiration subite. Une telle décision n'est prise qu'à l'issue de plusieurs années d'expériences *in vitro*, c'est-à-dire sur des cellules, en éprouvette et sur l'animal. Lorsque des chercheurs ont ainsi accumulé assez de données convergentes pour se convaincre qu'ils ont trouvé une substance qui pourrait avoir un effet thérapeutique intéressant pour une catégorie de patients, il ne reste plus qu'à le prouver.

L'intérêt du malade prime

Des lois, des décrets et des structures existent pour que les essais cliniques se déroulent de manière très encadrée et précautionneuse. L'éthique contemporaine exige que le besoin de faire avancer la science passe après l'intérêt et le bien-être de chaque patient. C'est pourquoi la nouvelle molécule n'est proposée que si le patient peut en retirer certains bénéfices. Cette réglementation ne s'applique d'ailleurs pas qu'aux seuls médicaments, on la retrouve dans le cas d'autres innovations thérapeutiques : radiothérapies, techniques chirurgicales, combinaisons de thérapies, ainsi que dans toutes sortes de modulations (fractionne-

ment des doses, chronologie, etc.) susceptibles d'améliorer une démarche thérapeutique.

Pour passer du stade de l'hypothèse à la pratique courante, une nouvelle thérapie doit suivre un véritable parcours du combattant, qui se décompose en trois phases essentielles. Chacune permet de mieux cerner les possibilités de la thérapie candidate, en prenant le minimum de risques et en préparant le terrain pour la phase suivante.

Lorsqu'un résultat jugé contraire est enregistré, le processus est interrompu, parfois au beau milieu de l'essai. Pour chaque phase, les critères de recrutement sont très précisément définis à l'avance.

Des essais en trois phases

Les essais dits de phase 1 ont pour but de déterminer la tolérance de l'organisme au traitement envisagé et la dose efficace. « Dans le cas du cancer, les volontaires sont généralement recrutés parmi des patients

LE BESOIN DE FAIRE AVANCER LA SCIENCE PASSE PARFOIS APRÈS LE BIEN-ÊTRE ET L'INTÉRÊT DU PATIENT.

40%
environ des molécules étudiées ne dépassent pas la phase 1 d'un essai



“ LES VOLONTAIRES SONT RECRUTÉS PARMIS DES PATIENTS EN IMPASSE THÉRAPEUTIQUE ”

en impasse thérapeutique, pour lesquels on ne dispose plus de traitement efficace », explique Chantal Bélorgey, chef du département des essais cliniques de médicaments à l'Afssaps (Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé). « On commence en délivrant une dose infime du traitement à un premier volontaire, puis une plus importante à un second... En général, chacun reçoit une dose différente et une seule. » Ces essais impliquent un



petit nombre de volontaires. Dans le cas d'un médicament, des prises de sang sont effectuées afin d'étudier sa cinétique, c'est-à-dire la vitesse à laquelle sa concentration dans le sang augmente puis décroît au fur et à mesure de son élimination. Si, au cours de cette première phase, des effets secondaires trop importants sont constatés, le produit est abandonné. Environ 40% des molécules étudiées ne dépassent pas ce stade de phase 1.

La phase 2 consiste, elle, à étudier l'efficacité d'un traitement sur l'évolution de la maladie. Les doutes sur le dosage étant levés avec la phase 1, la molécule est administrée à des patients dont les conditions répondent aux indications prévues. Cette proposition prend en considération les connaissances accumulées permettant de penser que le patient devrait tirer un bénéfice personnel de cette expérience. Le traitement est ensuite étudié sur une période

assez longue afin d'en mesurer l'efficacité en termes d'évolution du cancer.

Comparer le nouveau et l'ancien traitement

Une proportion non négligeable des nouveaux traitements ne dépasse pas les tests de phase 2. Il est envisagé de passer à la phase 3 si, et seulement si, une thérapeutique expérimentale semble présenter un avantage par rapport à l'arsenal existant. ▶▶

►► Il s'agit, cette fois, de comparer la nouveauté au traitement standard en vigueur. Pour ce faire, le groupe de volontaires est divisé en deux sous-groupes par tirage au sort. L'un recevra le traitement standard, l'autre celui qui est à l'étude. Dans certains cas, le nouveau traitement inclut l'ancien et l'on compare par exemple l'effet conjugué des molécules A et B à celui de la molécule A seule. Parfois, ce sont de nouvelles séquences que l'on étudie. Ou un fractionnement différent. Le fait d'ignorer si l'on reçoit l'ancien ou le nouveau traitement peut s'avérer troublant pour le patient. L'intru-

sion de ce qu'il peut estimer être une expérimentation hasardeuse peut être mal perçue. Pourtant, cette randomisation pratiquée « en aveugle » est tout à fait nécessaire pour permettre des comparaisons fiables, pour s'assurer que les précieuses informations récoltées au cours de

l'essai le soient en toute neutralité, à l'abri de toute subjectivité, des soignants comme des soignés. Si le nouveau traitement démontre rapidement sa supériorité, il est proposé sans délai aux patients qui bénéficieraient du traitement standard. ■
XAVIER TOURNIER

LES ESSAIS THÉRAPEUTIQUES SE DÉROULENT DE MANIÈRE TRÈS ENCADRÉE ET PRÉCAUTIONNEUSE.



QU'EST-CE QUE LE CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ ?

La fameuse loi Huriet, qui régit en France l'organisation des essais cliniques, stipule que l'on doit obtenir des volontaires leur consentement.

Ils doivent avoir été informés dans des termes suffisamment clairs sur tous les aspects de l'expérience à laquelle ils se prêtent : objectifs, espoirs et risques. Après les explications

orales, le médecin investigateur fournit une fiche explicative. Le volontaire donne son accord par écrit après un délai de réflexion. Il peut cependant faire marche arrière à tout moment.





LA REPRÉSENTATION DES MALADES
DANS LE SYSTÈME DE SANTÉ

NE PAS ÊTRE SEUL
FACE À LA
MALADIE

Dans certains établissements de soins, il est parfois difficile de se faire entendre. Pour ne plus être un patient parmi d'autres, vous pouvez faire appel au représentant officiel des usagers, désigné par une association agréée.

Droit à la dignité, au respect de la vie privée, à l'accès au dossier médical... tout patient a des droits. Encore faut-il les connaître et savoir comment les faire respecter. En 1999, les États Généraux de la santé, organisés par le gouvernement, ont été marqués par la forte revendication des usagers (terme qui désigne à la fois le patient et sa famille) à voir leurs droits revalorisés. De cette mobilisation sans précédent est née la loi du 4 mars 2002, relative aux droits des malades et à la qualité du système de santé. Pour mieux faire entendre la voix des patients et de leur famille, elle a notamment entériné le système des représentants des usagers, présents au sein des établissements médicaux depuis une ordonnance du 24 avril 1996.

“ Améliorer la qualité de l'accueil et du séjour des malades et de leurs proches ”

Un véritable porte-parole

Le représentant des usagers est le porte-parole officiel de ces derniers. Il siège dans des instances consultatives ou décisionnelles relatives aux hôpitaux. Il est chargé de faire le lien entre les patients et les profession-

nels de santé. « *Il défend les droits des malades. Mais attention, ce n'est pas un avocat*, prévient Chantal Hundzinger, responsable du service juridique de la Ligue nationale contre le cancer. *En cas de problème, il fait remonter l'information auprès des administrateurs de l'hôpital.* »

À l'écoute des usagers, il doit rendre compte des besoins et des manques exprimés dans tous les domaines : l'accueil, les soins, la disponibilité du personnel, l'environnement, le confort, l'accès au dossier médical... Même si son rôle est primordial, le représentant n'est pas un professionnel de santé. Il est membre, en revanche, d'une association reconnue de défense et de soutien des malades, telle que la Ligue contre le cancer. Exigence de la loi du 4 mars 2002, « *la structure hospitalière doit*



désormais vérifier que l'association proposant un représentant est agréée», expose Chantal Hundzinger. Toutes celles qui souhaitent voir un de leurs membres devenir éligible au poste de représentant doivent donc engager une procédure dite d'agrément. « La représentation, qui existait déjà de fait, est désormais mieux légiférée », constate Chantal Hundzinger. Le représentant dispose désormais d'un réel statut, lui garantissant des missions prépondérantes. D'où l'importance de s'adresser à lui en cas de litige avec l'hôpital.

« Son champ d'intervention est très varié et est déterminé en fonction des besoins de l'établissement de soins où il intervient, explique Colette Lanusse, secrétaire générale du Comité départemental des Pyrénées-Atlantiques. Il peut, par exemple, travailler à la rédaction d'un livret d'accueil pour les malades, réfléchir sur les dispositions du règlement intérieur de l'hôpital ou encore endosser un rôle de conciliateur en cas de dépôt de plainte d'un patient ou de sa famille. »

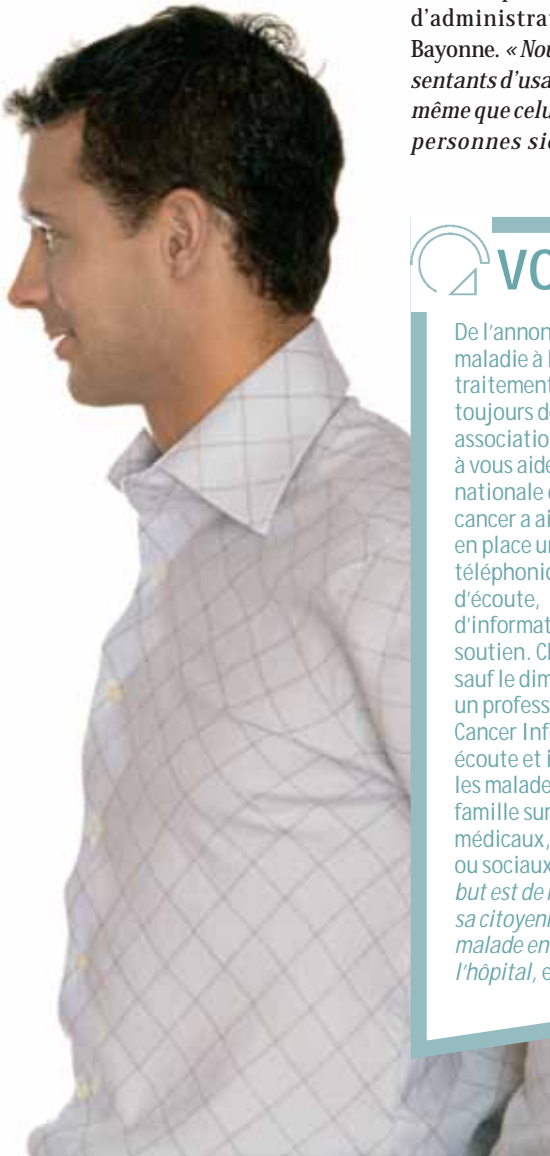
En plus de ses fonctions au sein de la Ligue, Colette Lanusse est elle-même représentante au conseil d'administration de l'hôpital de Bayonne. « Nous sommes trois représentants d'usagers. Notre rôle est le même que celui de toutes les autres personnes siégeant à ce conseil

(médecins, représentant de la ville, etc.). En l'occurrence, c'est très administratif : vote des budgets, recrutement du personnel médical, organisation du quotidien, enquête de satisfaction auprès des patients... »

Des représentants à tous les niveaux

Les représentants sont présents dans différentes instances de l'établissement. Vous pouvez les trouver au sein :

- du conseil d'administration, la principale instance de décision d'un hôpital où siègent désormais trois représentants ;
- dans les Commissions des relations avec les usagers et de la qualité de la prise en charge (CRUQ). Leur rôle est de veiller au respect des droits des usagers et de contribuer à l'amélioration de la qualité de



VOUS N'ÊTES PAS SEULS !

De l'annonce de la maladie à l'après-traitement, il y a toujours des associations prêtes à vous aider. La Ligue nationale contre le cancer a ainsi mis en place un service téléphonique d'écoute, d'information et de soutien. Chaque jour, sauf le dimanche, un professionnel de Cancer Info Service écoute et informe les malades ou leur famille sur des points médicaux, juridiques ou sociaux. « Notre but est de rendre sa citoyenneté au malade en dehors de l'hôpital, explique

Marc Keller, médecin oncologue et coordinateur national de ce service. Nous prodiguons une écoute active pour permettre aux gens de verbaliser leurs sentiments et leurs doutes. C'est une prise en charge globale des questions posées par les appelants : le téléphone, l'anonymat et la garantie de confidentialité autorisant une parole plus libre. » La Ligue contre le cancer a également été à l'initiative de la

création des Espaces Rencontres Information (ERI) dans certains hôpitaux parisiens et de province. Des informations sur la maladie et les traitements y sont dispensées. Enfin, les Comités de patients, qui se mettent tout juste en place dans les hôpitaux, peuvent aussi permettre aux personnes atteintes d'un cancer d'échanger sur la prise en charge et sur la vie quotidienne dans les services de soins.



l'accueil et du séjour des malades et de leurs proches. Deux représentants y siègent et leur action est surtout collective ;

- des Comités de lutte contre les infections nosocomiales (CLIN). Les représentants siégeant au conseil d'administration de l'hôpital doivent, en effet, être aussi présents dans les CLIN ;
- des Conseils régionaux de santé⁽¹⁾, qui doivent contribuer à la définition et à la mise en œuvre des politiques régionales de santé : organisation des soins, prévention, évaluation des conditions dans lesquelles les personnes sont soignées ;
- des Commissions régionales de conciliation et d'indemnisation des accidents médicaux, des infections iatrogènes et des infections nosocomiales, qui visent à indemniser

les patients victimes d'accidents médicaux ou d'infections. Elles sont compétentes pour conduire des conciliations entre les patients et les professionnels de santé ;

- des réseaux de santé⁽²⁾. Instaurés par la loi du 4 mars 2002, ils ont pour mission de favoriser l'accès

aux soins, la coordination et la continuité des prises en charge, mais, en pratique, leur installation est encore balbutiante.

Dans chaque hôpital, « la liste des représentants est inscrite en annexe de la Charte du patient hospitalisé, laquelle est obligatoirement affichée dans les hôpitaux et les cliniques », précise Chantal Hundzinger. De plus, les établissements de soins sont soumis par la loi à un devoir d'information. Si vous leur demandez de vous indiquer le nom des représentants exerçant chez eux, ils ne peuvent normalement pas refuser de vous renseigner. ■ SANDRA STRASSER

EN SAVOIR +

Liste des associations de représentants consultable sur : www.ligue-cancer.net/article.php3?id_article=75

Cancer Info Service : 0810 810 821 (prix d'un appel local), du lundi au samedi de 8 h à 20 h.

⁽¹⁾ Article L1411-3 du code de la santé publique.

⁽²⁾ Annuaire sur www.cnr.asso.fr