

# Les défis de la médecine personnalisée

La médecine personnalisée nécessitera des médicaments ciblés.

Pour que la médecine personnalisée puisse se développer, les avancées de la recherche moléculaire et les nouvelles technologies (se terminant notamment par « -omiques ») devront être adaptées au développement pharmaceutique et aux thérapies approuvées.

Un des avantages du développement de médicaments ciblés est toutefois l'augmentation de l'efficacité des essais cliniques. Les échecs des nouveaux médicaments seront moins nombreux à chaque stade du processus de développement s'ils ciblent une cause connue de la maladie et l'usage de marqueurs biologiques jouera un rôle primordial dans la médecine personnalisée. L'utilisation des marqueurs biologiques comme outils uniques de prédiction du résultat d'un traitement doit être validée pour que les médicaments mis au point de cette façon puissent être autorisés.

## Diagnostiques compagnons

Les nouveaux médicaments sont souvent autorisés avec un test diagnostique associé visant à assurer que le médicament est approprié au cas du patient. Si un test diagnostique n'est pas correctement validé, il est possible que le médicament n'agisse pas ou provoque des effets secondaires. La conception et la validation du test diagnostique doivent par conséquent être adaptées pour que le médicament donne des résultats optimaux chez le patient.

Les diagnostics compagnons visent à sélectionner les patients avant l'administration d'un médicament. Ils permettent :

- de mettre en évidence les patients pouvant réagir au médicament (« répondeurs » et « non-répondeurs »)
- d'identifier les patients à haut risque de réactions indésirables
- d'aider le médecin à sélectionner la posologie adéquate, sûre et efficace.

Les diagnostics compagnons peuvent être des examens directs, comme l'électrocardiogramme (ECG), ou des examens d'imagerie, comme l'IRM. Les examens réalisés sur les prélèvements biologiques d'un patient (analyses de l'ADN par exemple) sont généralement considérés comme les plus fiables par les autorités réglementaires.

Les diagnostics compagnons doivent avoir une ou plusieurs indications. Le terme générique d'« indication thérapeutique » est souvent utilisé. Les éléments suivants doivent être précisés :

- population ciblée par le test (notamment les individus possédant un génotype [patrimoine génétique] ou des phénotypes [caractéristiques] particuliers)
- motif de l'examen, c'est-à-dire « objectif clinique » (confirmation du diagnostic, estimation de l'évolution possible de la maladie [pronostic] et surveillance)
- objet de l'analyse, de la recherche ou du dépistage (gène ou protéine spécifique, par exemple)
- type d'analyse ; s'agit-il d'un test qualitatif (portant sur des observations et des descriptions) ou semi-quantitatif et quantitatif (portant sur des valeurs numériques)
- type de prélèvement nécessaire et site de prélèvement (par exemple, sang total, liquide céphalo-rachidien)
- contexte d'utilisation du dispositif diagnostique (au laboratoire ou au chevet du patient) et type d'équipement nécessaire
- maladie ciblée (maladie spécifique, stade d'une maladie,

état de santé ou toute autre situation ou événement identifiable)

## Les défis

Les chercheurs qui travaillent sur des données génétiques et génomiques doivent faire face à des défis particuliers d'ordre éthique. Ils doivent respecter la vie privée des patients et la confidentialité des données, et s'assurer que les participants des essais cliniques comprennent ce à quoi ils consentent (consentement éclairé).

Même si un médicament cible une sous-population spécifique de patients, il pourra néanmoins être prescrit à des patients atteints de la « même maladie » mais appartenant à d'autres sous-groupes. Ceci peut donner lieu à :

- une absence de réponse au traitement
- un retard dans l'administration d'un autre traitement plus approprié
- un gaspillage du médicament prescrit à tort
- une réaction indésirable qui aurait pu être évitée.

## Vécu du patient

La médecine personnalisée peut fournir un plus grand nombre d'informations sur la santé d'un individu, susceptibles d'avoir des implications personnelles et d'entraîner un changement du mode de vie. Les patients sont-ils prêts ? Les professionnels de santé sont-ils suffisamment qualifiés et disposés à en parler avec leurs patients ?

Dans le cadre de la médecine personnalisée, l'individu malade doit recevoir des informations plus rassurantes avant le traitement :

- sur le fait qu'un médicament sera probablement efficace dans son cas

- et qu'il n'aura probablement pas d'effets secondaires liés à un traitement particulier.

Si les effets secondaires sont inévitables, le fait de mieux connaître leur nature et leur degré de gravité devrait aider le patient à accepter et planifier le traitement, et à l'intégrer dans sa vie quotidienne.

## **Communication entre patient et médecin**

Dans le contexte d'une médecine personnalisée, le patient et le médecin doivent généralement échanger davantage et de façon différente sur les options thérapeutiques disponibles. Les patients qui rencontrent des difficultés à ce stade devront être aidés par leur médecin.

Pour être en mesure de proposer une médecine personnalisée, des examens supplémentaires pourront être nécessaires en plus des examens habituels. Les analyses de sang sont généralement considérées comme des examens de routine, mais les biopsies (prélèvements d'échantillons de tissu) nécessitent une anesthésie et leur analyse peut demander davantage de temps. Les patients et leur médecin devront évaluer les avantages et les inconvénients avant de prendre une décision concernant les tests.

Lorsqu'un test indique le degré de probabilité de réponse à un médicament, le résultat pourra être exprimé en « chances » (1 chance sur 3) ou en pourcentage (33 %). Les personnes interprètent les risques de façons différentes et les médecins doivent les aider.

## **Ressources complémentaires**

- Genomics England
- Nuffield Council on Bioethics (2010). Medical profiling

and online medicine: the ethics of 'personalised healthcare' in a consumer age.

- Corpet, A. & Almouzni, G. (Dec 2006-Jan 2007). *Sciences et Avenir*, 149

A2-1.08.4-V1.4