

# Participation de patients à la méthodologie d'essais cliniques

## Introduction

Exemple de participation de patients et d'associations de patients à la méthodologie d'un essai clinique relatif à la maladie de Cushing. Les consultations ont eu lieu entre Novartis et des infirmiers et infirmières de diverses équipes (États-Unis, Canada et Brésil), des patients atteints de la maladie de Cushing

(États-Unis), des soignants et des représentants d'associations de patients.

## Description de l'étude

Les objectifs de cette étude étaient les suivants :

- Obtenir auprès des patients, soignants, défenseurs et coordonnateurs de l'étude de recherche des commentaires précis sur des parties d'un protocole provisoire de développement d'essais cliniques relatifs à la maladie de Cushing.
- Relever d'éventuels domaines d'inquiétude pour les communautés de patients et de la recherche pouvant avoir des répercussions à l'avenir sur le processus continu d'essais relatifs à la maladie de Cushing.
- Déterminer des façons dont Novartis pourrait contribuer au développement de nouveaux produits avec les outils et le matériel éducatifs associés, auprès des patients atteints de la maladie de Cushing.

# Types de patients (défenseurs des patients) impliqués

- Patients ayant une expérience personnelle de la pathologie
- Patients/défenseurs de patients experts ayant une bonne connaissance de la pathologie, mais peu d'expérience en recherche et développement.
- Patients/défenseurs de patients experts ayant une bonne connaissance de la pathologie et une bonne expérience en recherche et développement.

# Bénéfices de la participation des patients

Les sujets suivants ont été discutés, puis transmis à l'équipe de développement :

- Multiples problèmes à prendre en compte lors de la conception d'un essai relatif à une maladie rare, notamment la communication entre le patient et l'investigateur, le recrutement, l'éducation, le soutien psycho-social, l'accès, la collecte de données, la production de rapports et le suivi.
- La durée de l'étude, le transport et le calendrier des visites ont été mentionnés parmi les principaux obstacles pour les patients.
- La collaboration avec des groupes de défense des intérêts des patients est essentiel aux essais cliniques. Les groupes de défense des intérêts des patients devraient être utilisés pour annoncer et disséminer l'information relative aux essais afin de stimuler la participation.
- Prendre en compte la preuve de concept et l'éventuelle importance du médicament étudié pour les patients.

## Résultats

- La méthodologie de l'essai a été mieux adaptée aux besoins des patients.
- Des points de vue et idées différents ont permis le développement d'une meilleure méthodologie d'étude.

## Obstacles et limites

Aucun obstacle particulier n'a été rencontré.

## Enseignements

La nécessité de mieux préparer les défenseurs des intérêts des patients à la discussion, notamment sur les points suivants :

- Qu'est-ce qu'un essai clinique ?
- Pourquoi un essai clinique est-il important ?
- Qu'attendre d'un essai clinique et quelle sera la durée de l'engagement ?
- Pourquoi certains tests d'essais cliniques sont-ils essentiels, fournissant éventuellement des informations facilitant la gestion de ces essais ?
- Qu'est-ce qu'un essai de type cross-over et pourquoi est-il nécessaire ?

## Annexes