

Traitements expérimentaux des lésions médullaires :



ce qu'il faut savoir
si vous envisagez de participer
à un essai clinique.

Un résumé pour les personnes atteintes de lésions médullaires,
leurs familles, leurs amis et leurs soignants.

Fourni par

ICCP
International Campaign for Cure of spinal cord injury Paralysis

L'ICCP se compose des organisations membres suivantes :

Christopher and Dana Reeve Foundation (USA) • Institut pour la Recherche sur la Moëlle épinière et l'Encéphale (France) • International Spinal Research Trust (UK) • Fondation internationale pour la recherche en paraplégie (Switzerland) • Japan Spinal Cord Foundation • Miami Project to Cure Paralysis (USA) • Neil Sachse Foundation (Australia) • Paralyzed Veterans of America (USA) • Rick Hansen Foundation (Canada) • Neil Sachse Foundation (Australia) • Wings for Life (Austria)



Auteurs

John D Steeves,^a James W Fawcett,^b Mark H Tuszynski,^c Daniel Lammertse,^d Armin EP Curt,^a John F Ditunno,^e Peter H Ellaway,^f Michael G Fehlings,^g James D Guest,^h Naomi Kleitman,ⁱ Perry F Bartlett,^j Andrew R Blight,^k Volker Dietz,^l Bruce H Dobkin,^m Leif A Havton,^m Robert Grossman,ⁿ Deborah J Short,^o Masaya Nakamura,^p Hiroyuki Katoh,^p William P Coleman,^q Manuel Gaviria,^r Alain Privat,^r Michael W Kalichman,^s Cynthia Rask^t

- ICORD, University of British Columbia & Vancouver Coastal Health Research Inst., 2469-6270, boulevard University Vancouver (Colombie-Britannique) V6T 1Z4, Canada
- Cambridge University Centre for Brain Repair, Robinson Way, Cambridge CB2 2PY, Royaume-Uni
- Center for Neural Repair, University of California at San Diego, La Jolla, Californie 92093, États-Unis
- Craig Hospital, 3425 South Clarkson Street, Englewood, Colorado 80113-2811, États-Unis
- Jefferson Medical College, Thomas Jefferson University, 132 South 10th Street, Philadelphie, Pennsylvanie 19107 États-Unis
- Department of Movement & Balance, Div. of Neuroscience & Mental Health, Imperial College London, Charing Cross Campus, St Dunstan's Road, Londres W6 8RP, Royaume-Uni
- Université de Toronto, Krembil Neuroscience Center, Head Spine and Spinal Cord Injury Program, Toronto Western Hospital, 399, rue Bathurst, Toronto (Ontario) M5T 2S8, Canada
- Department of Neurological Surgery and the Miami Project to Cure Paralysis, Lois Pope LIFE Center, 1095 NW 14th, Miami, Floride, 33136, États-Unis
- National Institute of Neurological Disorders and Stroke, NIH, 6001 Executive Blvd, Bethesda Maryland 20892-9525, États-Unis
- Queensland Brain Institute, Ritchie Bldg 64A, Univ of Queensland, St Lucia, Terre de la Reine 4072, Australie
- Acorda Therapeutics, 15 Skyline Drive, Hawthorne, New York 10532, États-Unis
- Spinal Cord Injury Center, Balgrist University Hospital, rue Forchstrasse 340, CH-8008 Zurich, Suisse
- Department of Neurology, University of California Los Angeles, Geffen School of Medicine, Neurologic Rehabilitation and Research Program, 710 Westwood Plaza, Los Angeles, Californie 90095-1769, États-Unis
- Baylor College of Medicine, Department of Neurosurgery, One Baylor Plaza, Houston Texas 77030, États-Unis
- Midlands Centre for Spinal Injuries, Robert Jones & Agnes Hunt Orthopaedic and District Hospital NHS Trust, Oswestry, Shropshire SY10 7AG, Royaume-Uni
- Keio University, School of Medicine, Dept Orthopaedic Surgery, 35 Shinanomachi Shinjuku-Ku, Tokyo 160-8582, Japon
- WPCMath 703 West Ferry St., C-20, Buffalo, New York, 14222, États-Unis
- Institut des Neurosciences - CHU St-Eloi, INSERM U-583, 80, rue Augustin-Fliche, 4295 Montpellier Cedex 05, France
- Research Ethics Program and Dept. of Pathology, University of California - San Diego, La Jolla, Californie, États-Unis
- Institute for OneWorld Health, San Francisco, Californie, États-Unis

Adresse de correspondance :

Dr John Steeves, ICORD, 818 West 10th Avenue, Vancouver, BC Canada V5Z1M9
© International Campaign for Cures of spinal cord Injury Paralysis (ICCP) March 2009



Traitements expérimentaux des lésions médullaires : ce qu'il faut savoir si vous envisagez de participer à un essai clinique

Après avoir été atteints d'une lésion médullaire, les patients sont souvent informés qu'il n'existe aucun traitement pouvant réparer les dommages subis. C'est toujours une réalité, et on conseille au personnel soignant de persuader les patients de se concentrer sur leur réadaptation plutôt que d'espérer un traitement miraculeux. Cependant, de grands progrès ont été accomplis dans le domaine de la réparation des lésions médullaires, et on voit l'arrivée de traitements qui peuvent améliorer les fonctions des personnes ayant subi une lésion médullaire, bien qu'une guérison complète reste encore hors de question (une liste d'approches potentielles actuellement à l'étude figure dans la brochure complète).

Lorsque ces nouveaux traitements passent du laboratoire à la clinique, ils doivent faire l'objet d'essais cliniques. Cette brochure vous offre des conseils en ce qui concerne votre participation éventuelle à un de ces essais.

Elle constitue le résumé d'un document plus complet. Ces deux documents ont été rédigés par un groupe d'experts scientifiques et cliniques internationaux sponsorisé par l'ICCP (International Campaign for Cures of spinal cord injury Paralysis), une confédération des organisations à but non lucratif du monde entier s'occupant de lésions médullaires. Le document complet est disponible sur le site Web de l'ICCP website, www.campaignforcure.org, et auprès des organisations membres de l'ICCP.



Pourquoi les essais cliniques sont-ils nécessaires?

Il peut être étonnamment difficile de découvrir si un traitement est sans danger et vraiment efficace. Les patients croient souvent qu'ils vont mieux à la suite d'un traitement, mais il est possible que cette amélioration n'ait pas vraiment été causée par le traitement. Deux problèmes principaux se posent.

L'effet placebo. Les personnes ayant subi une lésion médullaire veulent désespérément aller mieux. Après avoir subi un traitement, leur conviction et leur espoir les portent souvent à signaler une amélioration apparente. Lors des essais cliniques, les patients qui reçoivent un placebo ou un traitement fictif signalent généralement une amélioration considérable de leur état, et cette amélioration peut être tout aussi importante que celle que signalent les patients recevant le traitement expérimental (que l'on appelle quelquefois actif).

La guérison spontanée. Immédiatement après avoir subi une lésion médullaire, les patients sont souvent complètement paralysés. La plupart d'entre eux guériront dans une certaine mesure sans traitement, et quelques personnes ont la chance de guérir presque complètement. Le taux de guérison est plus important dans les trois premiers mois, mais le processus de guérison continue pendant au moins encore une année. Il est très difficile de découvrir si la guérison d'un patient est due à la guérison spontanée ou aux effets d'un traitement, en particulier si le traitement est administré peu après que le patient a subi la lésion.

Il existe un réel danger que des traitements qui ne sont pas vraiment efficaces ou qui peuvent même être défavorables passent dans la pratique médicale normale parce qu'ils n'ont pas fait l'objet d'un essai clinique approprié.

Pourquoi devriez-vous bien réfléchir avant de vous inscrire à un essai clinique?

Il est bien compréhensible que les personnes ayant subi une lésion médullaire désirent désespérément aller mieux. Les scientifiques ont travaillé d'arrache-pied pour mettre au point de nouveaux traitements, et ils ne désirent rien d'autre que de voir leurs traitements aider les personnes ayant subi une lésion médullaire aussi rapidement que possible. Les scientifiques comme les patients ont donc une forte envie de prendre des raccourcis. La majorité des essais cliniques sont bien planifiés et menés avec minutie. Cependant, quelques-uns devraient être évités. Cette brochure, ainsi que le document plus complet de l'ICCP qui y est associé, vise à vous aider à reconnaître les bons essais cliniques.

Un bon essai clinique met à l'étude un traitement qui a déjà fait l'objet de nombreuses recherches sur les animaux et qui a démontré un effet important et que l'on peut répéter. L'essai clinique est soigneusement conçu de manière à comparer un groupe de patients qui reçoivent le traitement expérimental à un groupe de patients qui ne reçoivent aucun traitement ou qui reçoivent un placebo.

Traitements expérimentaux offerts sans avoir été l'objet d'un essai. Certains traitements possibles peuvent être offerts aux patients, généralement par un médecin qui croit fortement à leur efficacité. En l'absence d'un

essai clinique lors duquel les effets du traitement sont comparés aux effets signalés par le groupe témoin recevant un traitement fictif, il est presque impossible de déterminer si le traitement est vraiment efficace.

Traitements offerts contre rémunération financière. Malheureusement, lorsque les patients ayant subi une lésion médullaire désirent désespérément guérir, certaines organisations peu scrupuleuses en profitent pour offrir des traitements non éprouvés à ceux qui peuvent se les payer. Vous ne devriez payer aucune procédure spécifiquement associée à un programme d'essai clinique, mais il est possible que vous deviez payer les soins médicaux standard en vigueur, ou que votre assurance-maladie ait à le faire.



Le développement de nouveaux traitements pour les patients ayant subi une lésion médullaire est probablement la tâche la plus difficile jamais entreprise par la science médicale. Il existe une probabilité infime qu'un traitement offert prématurément avant d'avoir été l'objet d'un essai clinique approprié soit efficace; il est bien plus probable qu'il soit inefficace ou même dangereux. Nous vous recommandons vivement de ne participer qu'aux essais cliniques correctement conçus et menés et pour lesquels il existe des preuves irréfutables d'efficacité chez les animaux.

Quelle est la structure des essais cliniques?

Un traitement effectué chez l'homme nécessite trois étapes cliniques, ou phases, pour se qualifier comme tel.

La phase 1 sert à déterminer si le traitement est sans danger. Un petit groupe de patients, généralement entre 20 et 80, reçoit le traitement, d'habitude à une dose initiale faible, pour voir s'il génère des effets secondaires.

La phase 2 sert à rechercher les effets positifs du traitement grâce à la comparaison des patients recevant le traitement et d'un groupe témoin.

Si l'on constate un effet positif lors de la phase 2, l'essai se poursuit par **la phase 3**. Un grand nombre de patients, généralement dans plusieurs cliniques, reçoivent le traitement actif ou un traitement témoin. Si le traitement démontre un effet positif évident et ne comporte pas d'effets secondaires graves, généralement en deux essais de phase 3, il

est approuvé par les organismes de réglementation nationaux pour être utilisé en clinique.

Conception des essais cliniques :

La caractéristique principale de la plupart des essais cliniques consiste en la comparaison d'un groupe de patients recevant le traitement actif (expérimental) avec un groupe témoin, soit qui ne reçoit aucun traitement, soit qui reçoit un traitement placebo inactif. Le seul type d'essai pour lequel ce principe ne s'applique pas est celui dans lequel l'état des patients est très stable (ce qui implique des patients qui sont victimes d'une lésion médullaire depuis une année au moins), et ceux-ci font office de groupe témoin et reçoivent un traitement pour voir si leur état s'améliore par comparaison avec leurs aptitudes précédentes. Lorsque l'effet d'un traitement chez le groupe expérimental est comparé aux résultats du

groupe témoin, il convient de prendre des mesures pour s'assurer que les personnes qui effectuent les évaluations ne savent pas si les patients ont reçu un traitement actif ou un traitement placebo (ce qui s'appelle l'insu). Dans de nombreux essais, les patients eux-mêmes ne savent pas à quel groupe ils ont été affectés, bien que ce genre d'insu soit quelquefois difficile à réaliser lorsqu'une lésion médullaire nécessite une intervention chirurgicale.

Quelles seront les conséquences de votre participation à un essai clinique? Toute personne doit donner son consentement éclairé avant de s'inscrire à un essai. Si le traitement doit être administré immédiatement après une lésion médullaire, il se peut que les patients ne soient pas entièrement conscients, et leur famille peut alors accorder son consentement en leur nom. Tous les patients ne sont pas admissibles à un essai, car la plupart des essais choisissent un groupe particulier de patients ayant subi un type de lésion spécifique. Tous les essais comportent des critères d'éligibilité. Si les patients sont trop différents les uns des autres, il pourrait être impossible de déterminer si le traitement est efficace. Après s'être inscrits, les patients sont affectés au hasard au groupe expérimental ou au groupe témoin. Au cours du traitement ou après ce dernier, les patients doivent passer de nombreuses visites de suivi, pour lesquelles il leur faut se rendre à la clinique. Ces examens de suivi peuvent comprendre un examen clinique complet, des analyses de sang et des tests de la capacité à effectuer des tâches de la vie quotidienne afin d'évaluer les fonctions de la colonne vertébrale. Vous ne devriez pas payer pour ces visites.

Que se passe-t-il si vous êtes affecté au groupe témoin? La plupart des patients

préfèreraient évidemment recevoir le traitement actif. Cependant, comme nous l'avons expliqué plus haut, il est impossible de déterminer si un traitement est vraiment efficace à moins que l'on n'ait des patients témoins avec lesquels on peut comparer les patients ayant reçu le traitement expérimental. Si par malheur le traitement comporte un effet secondaire indésirable, il est avantageux de faire partie du groupe témoin. Les patients qui prennent part à un essai doivent tous bénéficier des meilleurs soins médicaux en vigueur. Les experts cliniques de l'essai auront établi une politique concernant les offres de traitement dont peuvent bénéficier les patients du groupe témoin à la fin de l'essai. Il est quelquefois possible de s'inscrire rapidement à un second essai, ou de recevoir une forme de traitement approuvée. Si cela n'est pas clair, il est possible que vous deviez vous informer.

À quoi pouvez-vous vous attendre après un essai clinique? Il est improbable que vous soyez complètement guéri à la fin de l'essai. Pouvez-vous dès lors obtenir un autre traitement dans le cadre d'un essai différent? Les critères d'inscription de certains essais excluent les patients qui ont déjà reçu certains types de traitement expérimental. Les responsables de l'essai auront établi une politique indiquant ce qu'ils offrent aux patients à la fin de l'essai. De plus amples renseignements à ce sujet figurent dans le document complet, et vous pouvez en discuter avec les experts cliniques responsables de l'essai clinique.



Vous avez été invité à participer à un essai clinique. Comment prenez-vous votre décision?

Avant de vous inscrire à un essai, vous ou votre famille devez accorder votre consentement éclairé. Voici quelques points qui doivent être satisfaits.

Données expérimentales probantes indiquant que le traitement est efficace. Tout traitement qui atteint la phase des essais cliniques doit avoir été testé sur des animaux ayant subi des lésions médullaires et doit avoir produit une amélioration évidente sans effet secondaire nuisible. Il est important que ces résultats positifs aient été publiés et revus par d'autres scientifiques, et qu'ils aient été reproduits plusieurs fois avec divers types de lésion médullaire

expérimentale et dans plus d'un laboratoire. Si vous vous informez à ce sujet, vous devriez recevoir des renseignements détaillés sur ces travaux.

Données probantes indiquant que le traitement est sans danger. Avant d'être appliqué à l'homme, un traitement doit avoir passé par une série de tests d'innocuité. Le traitement peut déjà avoir été testé lors de la phase 1 ou de la phase 2.

Conception de l'essai. Vous devriez savoir si vous vous inscrivez dans un essai de phase 1, 2 ou 3. L'essai doit être inscrit auprès d'un organisme de réglementation gouvernemental approprié. Un essai de phase 2 ou 3



bien mené se divise en un groupe de traitement et un groupe témoin, et les patients sont affectés au hasard à l'un ou l'autre groupe. Il convient de prendre des mesures pour que les évaluateurs ne sachent pas à quel groupe

appartiennent les patients. Plusieurs examens de suivi, souvent sur une période pouvant aller jusqu'à un an après le traitement, doivent être passés à la clinique appropriée. Vous ne devriez pas payer pour ces visites. À la fin de l'essai, une politique claire doit indiquer quelles sont les offres faites aux patients du groupe expérimental et du groupe témoin.

Où pouvez-vous demander des conseils?

Vous avez le choix entre plusieurs options.

- Il existe plusieurs bons sites Web gérés par diverses organisations pour les lésions médullaires membres de l'ICCP (voir ci-dessous). Vous pouvez prendre contact directement avec les fondations et demander des conseils. De nombreuses organisations de ce genre emploient des membres du personnel ayant eux-mêmes subis une lésion médullaire. Certains organismes gouvernementaux de recherche offrent également des renseignements utiles sur leur site Web (par exemple, les National Institutes for Health aux États-Unis).
- Les chercheurs en lésion médullaire sont généralement heureux d'offrir leurs conseils lorsqu'on les leur demande; le mieux est de le faire par courriel. Vous pouvez obtenir le nom des chercheurs par l'intermédiaire des fondations.
- La plupart des patients ont un médecin traitant, qui est prêt à leur offrir ses conseils ou à les renvoyer à la personne la plus appropriée.
- Lisez le document complet (disponible sur le site Web de l'ICCP) : il contient bien plus de renseignements

sur les sujets abordés dans le présent résumé.

Nous commençons par un aperçu de l'échelle d'anomalie ASIA et de la guérison spontanée, puis nous passons aux risques que présentent les traitements non approuvés. Nous examinons en détail l'anatomie d'un essai clinique, de la phase 1 à la phase 4, ainsi que les principes de base de la conception de l'essai et des études pré-cliniques. Nous étudions les principes d'éthique des essais cliniques, les distorsions, les témoins et l'importance du consentement éclairé. Nous passons en revue quelques échelles utilisées pour évaluer les bienfaits fonctionnels des traitements et décrivons en grandes lignes certaines préoccupations pouvant survenir en ce qui concerne la participation possible à un essai clinique ultérieur après avoir pris part à un premier essai. Nous vous présentons quelques-unes des approches de traitement expérimental des lésions médullaires actuellement à l'étude. Enfin, nous vous fournissons une liste de questions à poser au chercheur qui vous invite à participer à un essai effectué sur l'homme. Cet aide-mémoire peut vous aider à décider si vous voulez participer ou non.

Site Web de l'ICCP : www.campaignforcure.org

Sites Web des organisations membres de l'ICCP :

Christopher and Dana Reeve Foundation : www.christopherreeve.org

Institut pour la Recherche sur la Moëlle épinière et l'Encéphale : www.irme.org

International Spinal Research Trust : www.spinal-research.org

Fondation internationale pour la recherche en paraplégie : www.irp.ch

Japan Spinal Cord Foundation : www.jsfcf.org

Miami Project to Cure Paralysis : www.themiamiproject.org

Neil Sachse Foundation : www.nsf.org.au

Paralyzed Veterans of America : www.pva.org

Rick Hansen Foundation : www.rickhansen.com

Spinal Cure Australia : www.spinalcure.org.au

Wings for Life : www.wingsforlife.com

Quelles questions devez-vous poser avant d'accepter de participer à un essai clinique?

(votre aide-mémoire de participation) Voici quelques-unes des questions à poser au chercheur qui vous invite à participer à une étude effectuée sur l'homme. Cet aide-mémoire peut vous aider à décider si vous voulez participer ou non.

1. Innocuité	Oui	Non	Autres renseignements plus détaillés
a. Ce traitement expérimental comporte-t-il des risques?			
b. Mon état de santé pourrait-il empirer après ce traitement expérimental?			
c. Dans l'affirmative, pouvez-vous me décrire les risques associés à ce traitement expérimental?			
2. Bienfaits potentiels			
a. Pouvez-vous décrire les bienfaits potentiels spécifiques de ce traitement expérimental?			
b. Pouvez-vous me décrire le plus haut degré de guérison que je puisse espérer après ce traitement?			
c. Pouvez-vous me décrire la manière dont les bienfaits potentiels de ce traitement seront évalués?			
d. Ce critère d'évaluation est-il un outil d'évaluation exact et sensible?			
3. Données probantes précliniques			
a. Pouvez-vous décrire les données probantes précliniques qui indiquent que ce traitement expérimental est bénéfique (chez les animaux atteints de lésions médullaires, par exemple)?			
b. Ces mêmes résultats ont-ils été obtenus lors d'études parallèles indépendantes?			
c. Si c'est le cas, existe-t-il un consensus parmi les scientifiques affirmant que ce traitement vise une cible thérapeutique valable dans le cadre de l'amélioration de mes capacités fonctionnelles?			
d. Existe-t-il des opinions dissidentes, et leurs arguments ont-ils une validité quelconque en faveur de mon refus de participer à ce traitement?			

4. Protocole de l'essai clinique	Oui	Non	Autres renseignements plus détaillés
a. Cette étude effectuée sur l'homme est-elle inscrite comme essai clinique auprès d'un organisme de réglementation qualifié?			
b. Pouvez-vous décrire dans quelle phase d'essai clinique cette étude effectuée sur l'homme s'inscrit?			
c. Cette étude comporte-t-elle un groupe témoin?			
d. Est-il possible que je sois aléatoirement affecté au groupe témoin?			
e. Pouvez-vous m'indiquer la durée de la période d'évaluation des changements de mon état de santé à la suite du traitement?			
f. Est-ce que je saurai si j'ai reçu le traitement témoin ou le traitement expérimental?			
g. Les experts cliniques sauront-ils si j'ai reçu le traitement témoin ou le traitement expérimental?			
5. Participation à d'autres essais			
a. Ma participation à cet essai clinique limite-t-elle ma participation à d'autres essais cliniques sur les lésions médullaires?			
b. Si je suis affecté au groupe témoin et que ce programme d'essai clinique prouve par la suite que le traitement expérimental est un traitement efficace pour mon type de lésion médullaire, pourrai-je ultérieurement recevoir ce traitement ?			
6. Paiements et coûts			
a. Dois-je payer pour ce traitement?			
b. Ma participation à cette étude engendre-t-elle d'autres coûts?			
c. Les dépenses associées à ma participation à l'étude seront-elles remboursées (par exemple, les frais de déplacement au centre pour l'évaluation de suivi)?			
7. Évaluation indépendante du traitement et de l'expert clinique			
a. Pouvez-vous me procurer plusieurs noms de scientifiques et de cliniciens (qui ne sont pas impliqués dans cette étude) qui peuvent me donner des conseils indépendants au sujet de ce traitement et de votre réputation?			

Alors, quelles réponses devriez-vous recevoir?

À notre avis, celui des auteurs, quelles devraient être les réponses générales à ces questions? Veuillez lire ce qui suit; cependant, quelle que soit notre opinion, il s'agit d'une décision personnelle pour laquelle la personne atteinte d'une lésion médullaire doit peser les bienfaits potentiels et les risques afin de déterminer quelle est la voie à suivre.

1. Innocuité

a. Ce traitement expérimental comporte-t-il des risques?

Réponse : la réponse devrait être affirmative. Personne ne peut garantir une innocuité totale; il est probable que ces risques aient été documentés dans des études précliniques ou dans des études cliniques de phase antérieure.

b. Mon état de santé pourrait-il empirer après ce traitement expérimental?

Réponse : la réponse devrait également être affirmative. Si l'on vous dit qu'il n'existe qu'un faible risque, ou que les risques sont inexistant, méfiez-vous.

c. Dans l'affirmative, pouvez-vous me décrire les risques associés à ce traitement expérimental?

Réponse : l'expert clinique doit être en mesure de discuter avec vous en détail des risques associés à cette étude effectuée sur l'homme.

2. Bienfaits potentiels

a. Pouvez-vous décrire les bienfaits potentiels spécifiques de ce traitement expérimental?

Réponse : l'expert clinique doit vous décrire divers bienfaits allant de bienfaits très minimes à de modestes améliorations fonctionnelles.

b. Pouvez-vous me décrire le plus haut degré de guérison que je puisse espérer après ce traitement?

Réponse : il faut éviter toute personne qui prétend que vous allez guérir et retrouver la plupart de vos fonctions, car il n'existe aucune preuve qu'un traitement a un résultat si frappant, même dans les études précliniques effectuées sur les animaux.

c. Pouvez-vous me décrire la manière dont les bienfaits potentiels de ce traitement seront évalués?

Réponse : l'expert clinique doit être en mesure de vous décrire quelques-uns des critères d'évaluation qui seront utilisés pour évaluer vos progrès après le traitement.

d. Ce critère d'évaluation est-il un outil d'évaluation exact et sensible?

Réponse : l'expert clinique doit être en mesure de décrire les points forts et les points faibles des procédures d'évaluation. Une fois encore, rien n'est parfait.

3. Données probantes précliniques

a. Pouvez-vous décrire les données probantes précliniques qui indiquent que ce traitement expérimental est bénéfique (chez les animaux atteints de lésions médullaires, par exemple)?

Réponse : l'expert clinique doit être en mesure de

décrire en grandes lignes les données probantes de cette approche thérapeutique, y compris ses points forts et ses points faibles.

b. Ces mêmes résultats ont-ils été obtenus lors d'études parallèles indépendantes?

Réponse : elle peut être affirmative ou négative, mais il devrait exister des données probantes indiquant que d'autres scientifiques ont obtenu des résultats similaires lors de l'étude de cette cible ou de cette approche thérapeutique.

c. Si c'est le cas, existe-t-il un consensus parmi les scientifiques affirmant que ce traitement vise un objectif thérapeutique valable dans le cadre de l'amélioration de mes capacités fonctionnelles?

Réponse : ici encore, la réponse peut être affirmative ou négative, mais il devrait exister une analyse publiée (c'est-à-dire une revue) indiquant que le traitement expérimental que vous envisagez pourrait avoir un effet sur un objectif valable d'amélioration des fonctions après avoir reçu une lésion médullaire.

d. Existe-t-il des opinions dissidentes, et leurs arguments ont-ils une validité quelconque en faveur de mon refus de participer à ce traitement?

Réponses : l'expert clinique doit être en mesure de vous fournir un sommaire des avantages et des inconvénients du traitement. Si ce n'est pas le cas, méfiez-vous de tout traitement qui prétend n'avoir aucun point faible; les scientifiques sont généralement très critiques les uns envers les autres. Servez-vous d'Internet pour rechercher les publications les plus récentes sur le traitement proposé (www.pubmed.gov est un bon départ). Si vous rencontrez des termes de médecine ou de biologie que vous ne comprenez pas, l'un de vos fournisseurs de soins de santé devrait pouvoir vous aider.

4. Protocole de l'essai clinique

a. Cette étude effectuée sur l'homme est-elle inscrite comme essai clinique auprès d'un organisme de réglementation qualifié?

Réponse : elle devrait être affirmative, et l'expert clinique doit être en mesure de vous procurer immédiatement tous les détails à ce sujet. Si la réponse à cette question est vague, méfiez-vous.

b. Pouvez-vous décrire dans quelle phase d'essai clinique cette étude effectuée sur l'homme s'inscrit?

Réponse : la réponse doit être immédiate et aussi approfondie que vous le désirez.

c. Cette étude comporte-t-elle un groupe témoin?

Réponse : elle doit être affirmative. Si elle est négative,

il doit alors s'agir d'une étude ouverte de Phase 1 (sur l'innocuité uniquement). Ou alors, cette étude effectuée sur l'homme n'est probablement pas un essai clinique, et il vaudrait mieux s'en méfier.

d. *Est-il possible que je sois aléatoirement affecté au groupe témoin?*
Réponse : elle doit être affirmative pour les essais de Phase 3; sinon, il ne s'agit sûrement pas d'un essai clinique valable.

e. *Pouvez-vous m'indiquer la durée de la période d'évaluation des changements de mon état de santé à la suite du traitement?*

Réponse : entre six mois au minimum à une année après le traitement. Il est possible que vous deviez initialement vous engager pour plusieurs semaines, ce qui peut comporter un séjour en hôpital comme malade hospitalisé. Il est possible que l'on vous demande par la suite de revenir à certaines dates précises pour des évaluations pendant les mois qui suivent. Une fois que vous avez accepté de participer, vous devez consentir à suivre le protocole de l'essai jusqu'au bout, même si vous pensez que vous n'en retirez aucun bienfait. Les participants qui se retirent d'une étude empêchent l'étude de se terminer à temps.

f. *Est-ce que je saurai si j'ai reçu le traitement témoin ou le traitement expérimental?*

Réponse : dans la mesure du possible, la réponse doit être affirmative. Sinon, il pourrait s'agir d'un essai de Phase 1. S'il ne s'agit pas d'un essai de Phase 1, vous devriez vous méfier, car il se pourrait que cet essai clinique ne soit pas valable. Vous ne pouvez quelquefois pas manquer de savoir dans quel groupe vous vous trouvez, mais on vous demandera de ne pas informer les examinateurs du groupe auquel vous appartenez jusqu'à ce que les données de l'essai aient été complètement analysées.

g. *Les experts cliniques sauront-ils si j'ai reçu le traitement témoin ou le traitement expérimental?*

Réponse : la réponse à cette question doit être affirmative, à moins qu'il ne s'agisse d'un essai de Phase 1. Sinon, l'essai clinique n'est pas valable, et vous devez vous en méfier.

5. Participation à d'autres essais

a. *Ma participation à cet essai clinique limite-t-elle ma*

participation à d'autres essais cliniques sur les lésions médullaires?

Réponse : elle doit être affirmative, c'est une possibilité. L'expert clinique doit être en mesure de décrire en grandes lignes de quel type d'essais vous pouvez être exclu à l'avenir.

b. *Si je suis affecté au groupe témoin et que ce programme d'essai clinique prouve par la suite que le traitement expérimental est un traitement efficace pour mon type de lésion médullaire, pourrai-je ultérieurement recevoir ce traitement ?*

Réponse : doit être affirmative, à moins que l'état de votre lésion médullaire ait changé ou que la période de traitement après avoir reçu une lésion médullaire soit limitée et qu'elle est échue. En général, une fois qu'un traitement expérimental a été approuvé à l'usage clinique par un organisme de réglementation, vous aurez la possibilité de le recevoir.

6. Paiements et coûts

a. *Dois-je payer pour ce traitement?*

Réponse : elle doit être négative. Si l'on vous répond oui, il ne s'agit pas d'un essai clinique valable, et il faut vous en méfier.

b. *Ma participation à cette étude engendre-t-elle d'autres coûts?*

Réponse : vous ne devriez payer aucune procédure spécifiquement associée à un programme d'essai clinique, mais il est possible que vous deviez payer les soins médicaux standard en vigueur, ou que votre assurance-maladie ait à le faire.

c. *Les dépenses associées à ma participation à l'étude seront-elles remboursées (par exemple, les frais de déplacement au centre pour l'évaluation de suivi)?*

Réponse : elle doit être affirmative.

7. Évaluation indépendante du traitement et de l'expert clinique

a. *Pouvez-vous me procurer plusieurs noms de scientifiques et de cliniciens (qui ne sont pas impliqués dans cette étude) qui peuvent me donner des conseils indépendants au sujet de ce traitement et de votre réputation?*

Réponse : elle doit être affirmative et vous devriez être en mesure de vérifier facilement la crédibilité de l'étude ainsi que les titres de compétence des experts cliniques sur Internet.

Remerciements :

Les auteurs remercient les représentants des organisations membres de l'ICCP de leurs commentaires perspicaces sur les versions préliminaires de ce document. La coordination et la préparation de ce document pour publication ont été effectuées par ICORD (International Collaboration On Repair Discoveries) à Vancouver, au Canada. www.icord.org

Conception et composition par Cheryl Niamath.