

# GUIDE PATIENT

---

Participer à un essai clinique

**Tout ce que vous  
voulez savoir sur  
les essais cliniques  
dans le domaine  
des maladies  
hémorragiques  
rares**



Association française  
des hémophiles



## EDITORIAL

L'Association française des hémophiles (AFH) est engagée depuis maintenant près de 2 ans dans le développement de la recherche dans le domaine des maladies hémorragiques rares. Avec la communauté des chercheurs, des médecins et des soignants, étape par étape, l'AFH informe ses adhérents et toute la communauté des malades et des personnes concernées sur ce qu'est la recherche, ce qu'est le travail des chercheurs et leurs travaux en cours.

Ce guide constitue une nouvelle étape.

L'objectif de ce guide est de vous accompagner dans une démarche qui n'est pas facile : choisir de participer ou non à un essai clinique quand un professionnel de santé vous le propose. Ce guide répond aux questions que vous pourriez vous poser, notamment dans le domaine des maladies hémorragiques rares. L'AFH souhaite être à vos côtés et vous aider pour réfléchir et prendre votre décision dans un choix qui vous appartient seul.

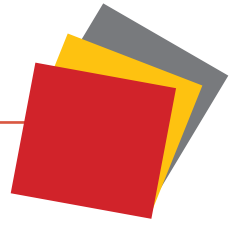
Ainsi informés et en confiance, patients et parents des patients, vous pourrez devenir, si vous le souhaitez, des acteurs éclairés de cette étape clé du processus de création et d'évaluation de nouveaux médicaments pour la maladie qui vous concerne.

Ce guide est uniquement dédié aux essais sur les nouveaux médicaments. Nous souhaitons, cependant, qu'il vous permette d'engager une réflexion plus large sur le rôle très important des patients dans la recherche en général : questions sociales, annonce et impact de la maladie, savoirs des malades et de leurs proches etc...

Il est certain que nous, les patients et leurs proches concernés par une maladie hémorragique rare, nous sommes peu nombreux, et nous sommes souvent sollicités pour participer à des programmes de recherche. Il est donc important d'avoir les outils qui nous permettent de décider en toute liberté.

**Thomas Sannié**  
Président de l'AFH

**Geneviève Piétu**  
Membre du Bureau  
Responsable du Groupe  
de Travail Recherche



- 4 Introduction
- 5 Qu'est-ce-qu'un essai clinique ?
- 6 Quels sont les objectifs des essais cliniques ?
- 7 Qui sont les acteurs-clés des essais cliniques ?
- 8 Comment se déroule un essai clinique ?
- 9 Quels sont les textes qui régissent les essais cliniques ?
- 10 Quels sont mes droits en tant que participant à un essai clinique ?
- 12 Si je participe à un essai clinique, quels sont les bénéfices attendus et les risques éventuels ?
- 13 Comment puis-je participer à un essai clinique ?
- 14 Pourquoi la participation des patients aux essais cliniques dans le domaine des maladies rares de l'hémostase est-elle unique ?
- 14 Que fait l'Association française des hémophiles ?
- 15 Pour en savoir plus : sites d'information internet



# Introduction

La médecine ne sait pas traiter ni guérir toutes les maladies. Pour progresser, elle a besoin que les découvertes en recherche fondamentale et clinique se traduisent par de nouveaux médicaments aussi appelés traitements innovants. Cependant, pour aboutir à de nouveaux traitements, une étape cruciale et indispensable doit être franchie, **les essais cliniques sur l'homme. Cette étape nécessite la participation de patients et de volontaires sains.** Il faut compter **12 ans en moyenne pour qu'une molécule qui est susceptible d'avoir un intérêt thérapeutique devienne un médicament.**

## LE SAVEZ-VOUS ?

Sur environ 100 000 médicaments potentiels, seul 1 deviendra un médicament disponible pour les patients !

Dans le domaine des maladies hémorragiques rares, les essais cliniques sont fondamentaux : ce sont eux qui ont permis de faire des progrès importants dans la prise en charge de ces maladies, notamment avec **la mise au point de traitements majeurs, dits de substitution car venant remplacer la protéine absente ou défaillante. Ils sont ainsi parvenus à améliorer considérablement la qualité de vie des patients et leur durée de vie.** Cependant, ces progrès restent insuffisants.

Aujourd'hui, les thérapies de substitution présentent **2 inconvénients majeurs** :

- ➔ Elles sont **très rapidement éliminées de l'organisme**, ce qui nécessite des injections intraveineuses fréquentes (en général, 2 à 3 fois par semaine) ;
- ➔ Mais surtout, elles entraînent chez certains patients (plus de 30% des hémophiles A sévères) **l'apparition d'anticorps (inhibiteurs)** dirigés contre le produit administré de substitution et qui alors l'empêchent d'agir. Il s'agit donc d'une complication très sérieuse.

Elles ont également leurs limites :

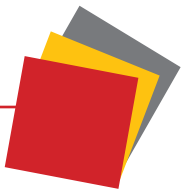
- ➔ Ce type de traitement reste encore **peu accessible** aujourd'hui à travers le monde ;
- ➔ Ces traitements **ne guérissent pas la maladie**, ils ne font que pallier l'existence de l'anomalie de coagulation.

## LE SAVEZ-VOUS ?

75% de la population mondiale ne bénéficie pas aujourd'hui des thérapies de substitution mises au point pour le traitement des maladies hémorragiques rares.

Des recherches sont donc encore nécessaires, impliquant médecins, chercheurs et industriels (voir les récentes brochures : "**L'état des lieux de la recherche sur les maladies hémorragiques rares**" et le "**Guide pour mieux comprendre les traitements actuels et faire le point sur les voies de recherche en cours**" sur le site de l'AFH - [www.afh.asso.fr](http://www.afh.asso.fr)) et qui nécessiteront de nombreux essais cliniques avant d'être disponibles pour les malades.

# Qu'est-ce-qu'un essai clinique ?



C'est une étude scientifique pratiquée sur **l'être humain** qui va permettre d'évaluer de nouveaux médicaments, de nouveaux schémas thérapeutiques, de nouvelles associations de traitements ... : elle vise essentiellement à **tester l'efficacité et la tolérance des traitements**.

## IMPORTANT

Les essais cliniques ne peuvent se faire qu'avec des individus participants volontaires sains ou malades.

schéma 1

### Déroulé de mise au point d'un nouveau traitement

#### Recherche fondamentale

- > Mieux comprendre les mécanismes d'une maladie
- > Proposer des nouvelles stratégies thérapeutiques
- > Découvrir un nouveau médicament

#### Expérimentations précliniques

- sur des cellules *in vitro* (en laboratoire)
- sur des modèles animaux reproduisant la maladie (quand ils existent)  
ex : souris dans le cas de l'hémophilie et de la maladie de Willebrand, puis sur le gros animal : chiens hémophiles et porcs atteints de la maladie de Willebrand.

#### Essais cliniques chez l'homme

Mise à la disposition sur le marché d'une molécule thérapeutique

#### LE SAVEZ-VOUS ?

- Autres termes pour désigner les essais cliniques :
- recherche clinique
  - recherche sur la personne humaine
  - essai thérapeutique
  - protocole ...

## IMPORTANT

Les essais cliniques chez l'homme ne constituent jamais la première étape d'évaluation du médicament. Ils interviennent après analyse préalable des niveaux de qualité et de sécurité des produits chez l'animal. **Seuls passeront en essais chez l'homme les traitements ayant été considérés comme potentiellement efficaces et non toxiques chez l'animal.**



# Quels sont les objectifs des essais cliniques ?

Ils sont variés selon le contexte :

- Le plus souvent, ils testent de nouveaux médicaments, en étudiant leur efficacité et leurs effets indésirables éventuels, en analysant leurs caractéristiques « techniques », appelées pharmacocinétiques (étude de ce que devient la molécule une fois absorbée dans le corps humain) ou pharmacodynamiques (étude de son mécanisme d'action notamment) ; pour cela, ils sont souvent comparés à un traitement déjà existant, dit de « référence », ou à un placebo (produit qui ne contient aucun autre principe actif, et qui est donc censé n'avoir aucun effet pharmacologique) ;
- Mais ils peuvent aussi tester de nouvelles combinaisons de médicaments existants ou de nouveaux dosages ;
- Ils peuvent également être utilisés dans un but de prévention de certains troubles ou pathologies, ou dans un but diagnostique ;
- Ils peuvent aussi viser à améliorer les soins ou les conditions de vie des patients.

## MALADIES HÉMORRAGIQUES RARES

Les **objectifs des essais cliniques** actuellement sont, PAR EXEMPLE :

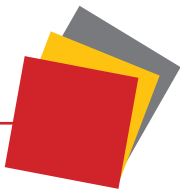
- **Pour l'hémophilie :**

- tester de nouveaux FVIII recombinants en particulier ceux avec le domaine B tronqué ou délété
- aboutir à la mise au point de facteurs de coagulation à action prolongée,
- tester des produits coagulants moins immunogènes, c'est-à-dire réduisant le risque d'apparition d'inhibiteurs,
- tester des traitements curatifs pour aller vers la guérison comme la thérapie génique.

- **Pour la maladie de Willebrand :**

- évaluation du score hémorragique

**Sans essai clinique, pas de nouvelle molécule, pas de nouveau médicament !**



# Qui sont les acteurs-clés des essais cliniques en France ?

➤ **Le promoteur** : personne physique ou morale qui prend l'initiative de l'essai clinique. Il peut s'agir de :

- un établissement de soins,
- une personne physique (ex. un médecin),
- un laboratoire pharmaceutique (français ou étranger),
- un prestataire de service,
- une association.

Il est le responsable de l'étude (lancement, gestion, financement, conformité légale).

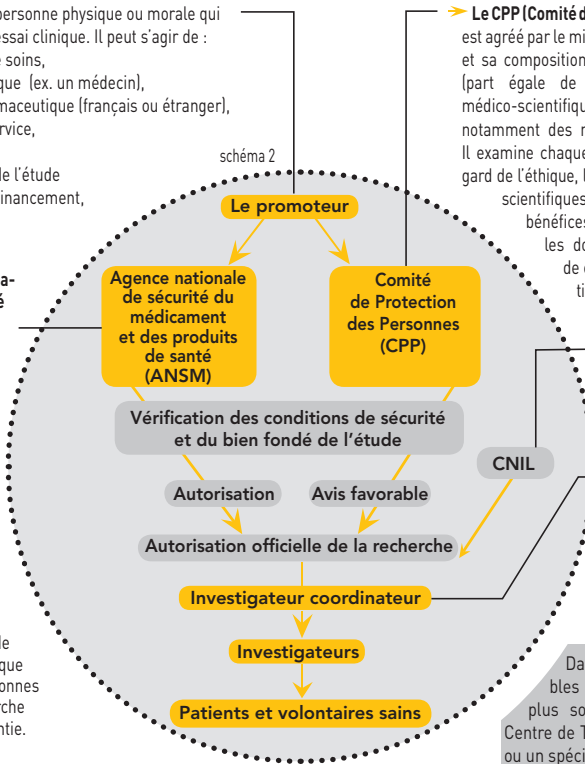
➤ **Le CPP (Comité de Protection des Personnes)** est agréé par le ministère en charge de la santé et sa composition garantit son indépendance (part égale de représentants du monde médico-scientifique et de la société civile, notamment des représentants des usagers). Il examine chaque projet pour évaluer au regard de l'éthique, la pertinence et les garanties scientifiques de la recherche, la balance bénéfices/risques attendue, ainsi que les documents d'informations et de consentements éclairés destinés à l'éventuel participant, patient ou volontaire sain.

➤ **L'ANSM (Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé)** examine la pertinence et les garanties scientifiques de la recherche, la balance bénéfices/risques attendue au regard de la sécurité. Elle évalue la qualité des produits utilisés au cours de la recherche, avec l'objectif de s'assurer également que la sécurité des personnes se prêtant à la recherche biomédicale est garantie.

➤ **La CNIL (Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés)** surveille la collecte des données.

➤ **L'investigateur coordinateur** est la personne qui dirige et surveille la réalisation de l'essai clinique. Il est médecin et doit justifier d'une expérience appropriée.

Dans le domaine des troubles hémorragiques, c'est le plus souvent le responsable du Centre de Traitement de l'Hémophilie ou un spécialiste de ces maladies.



## LE SAVEZ-VOUS ?

Le promoteur, l'investigateur coordinateur et les investigateurs portent la responsabilité pénale de l'étude régie par la Code de la Santé Publique.

**Patients et volontaires sains : acteurs-clés des essais cliniques .**  
**Sans eux, aucun essai n'est possible !**

## LE SAVEZ-VOUS ?

Les essais cliniques ne peuvent être entrepris qu'après avoir été approuvés par les deux autorités de santé compétentes (l'ANSM et le CPP) qui en assurent ensuite le contrôle.

## FOCUS ANSM

**L'ANSM** suit la sécurité d'un médicament tout au long de son cycle de vie, durant les essais mais aussi après son autorisation de mise sur le marché. Pendant toute la durée de l'essai, l'ANSM est tenue informée des effets indésirables graves (EIG) et inattendus pouvant être liés au médicament expérimental par le promoteur de l'essai, qui lui-même en a été informé par l'investigateur. Elle peut prendre toute décision concernant ces essais (suspension, interdiction) en cas de fait nouveau susceptible de remettre en cause la sécurité des personnes se prêtant à l'essai.

# Comment se déroule un essai clinique ?

Un essai clinique se déroule en plusieurs phases successives, et selon des critères stricts :

- nombre adapté de patients volontaires
- dans des centres d'investigation clinique (CIC), implantés au sein d'établissements hospitaliers ou dans des centres privés d'investigation.

Ces lieux sont autorisés et régulièrement inspectés. Les bonnes pratiques cliniques y sont respectées et contrôlées tout au long des différentes étapes de l'essai. Elles garantissent la qualité des résultats et le respect du droit des volontaires participants.

Lorsqu'il s'agit de l'évaluation d'une nouvelle thérapie, l'essai clinique comporte **4 phases distinctes** :

schéma 3

## PHASE I

ETUDE  
DIFFUSION-TOXICITÉ



### • 1<sup>er</sup> test chez l'homme

- Phase menée sur un petit nombre de personnes volontaires, non malades ou malades.
- Etudier la **toxicité** de la molécule, indépendamment de son effet thérapeutique.
- Analyser l'**évolution de la molécule** dans l'organisme en fonction du temps (pharmacocinétique) et ce qu'elle fait sur l'être humain (pharmacodynamique).

## PHASE II

ETUDE  
EFFICACITÉ-TOLÉRANCE



- Phase menée sur environ une centaine de patients volontaires.
- Rechercher la **plus petite dose efficace** (posologie)
- Observer d'éventuels **effets secondaires nocifs** en utilisant différentes doses.
- Les essais en phase II et au-delà impliquent une série de tests et des questionnaires à remplir qui vont permettre d'évaluer le traitement.

## PHASE III

ETUDE  
EFFICACITÉ COMPARATIVE



- Phase menée le plus souvent sur de larges populations de patients (plusieurs centaines à travers le monde). Dans le cas des maladies rares, le nombre de patients est plus restreint.

Confirmer l'**efficacité** du nouveau médicament déterminé en phase II.

**Comparer son efficacité** par rapport à un traitement de référence.

- Participants (patients) sélectionnés sur des critères précis afin de répondre à la question de l'efficacité et du bénéfice du médicament testé.
- Durée : parfois plusieurs années.

Au terme des 3 phases,  
si elles ont été réalisées avec succès  
et montré un rapport  
efficacité/tolérance satisfaisant  
**AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ  
DÉLIVRÉE PAR LES AUTORITÉS COMPÉTENTES**

Prescription possible du nouveau traitement

## PHASE IV

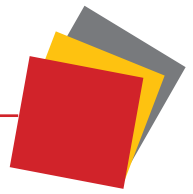
PHARMACOVIGILANCE



- Amélioration de la stratégie thérapeutique
  - Phase de suivi des médicaments
  - Identifier d'autres effets indésirables éventuels non mis en évidence préalablement
- Cible : un grand nombre de patients, dans les conditions normales d'utilisation.



# Quels sont les textes qui régissent les essais cliniques ?



Le dispositif législatif et réglementaire encadrant les essais cliniques est un dispositif complet s'appuyant sur une **réflexion éthique approfondie visant à protéger la personne participant à une recherche**, quelle que soit sa condition (mineur, majeur protégé, majeur, personne malade ou vulnérable, volontaire sain) ainsi que ses données à caractère personnel et ses prélèvements (sang, tissus, organes, ...)

- Depuis 1988, la réalisation des essais cliniques est encadrée en France par la **loi Huriet et Sérésclat** (Loi n° 88-1138), du nom des sénateurs qui en sont les auteurs.

Cette loi définit :

- l'ensemble des obligations (soumission aux autorités de santé et au comité d'éthique) s'imposant tant aux promoteurs qu'aux médecins investigateurs responsables de la réalisation des recherches,
- le droit des participants aux essais cliniques, leur consentement éclairé, l'appréciation du rapport bénéfice/risque et la protection des personnes.

- La loi de santé publique du 9 août 2004 complétée par le décret du 26 avril 2006, transpose la directive européenne n° 2001/20/CE dans le droit français afin d'harmoniser les règles en matière de vigilance des essais thérapeutiques entre les différents Etats membres de l'Union Européenne. **Cette harmonisation** a notamment mis en place le fait que les CPP deviennent obligatoires.

Et enfin, la loi énonce clairement les conditions dans lesquelles une recherche peut être effectuée et ses obligations.

- En 2014, suite à l'instruction N° DGOS/PF4/2014/195 du 17 juin 2014, il a été mis en place un contrat unique pour les recherches biomédicales à promotion industrielle dans les établissements publics de santé.

## FOCUS Article L.1121-2 du code de la santé publique

- **L'intérêt des personnes** qui se prêtent à une recherche clinique et en santé **prime toujours sur ceux de la science et de la société.**
- La recherche biomédicale doit être conçue de telle façon que soient réduits au minimum la douleur, les désagréments, la peur, et tout autre inconvénient prévisible lié à la maladie ou à la recherche, en tenant compte particulièrement du degré de maturité pour les mineurs et de la capacité de compréhension pour les majeurs hors d'état d'exprimer leur consentement.



## Quels sont mes droits en tant que participant à un essai clinique ?

La législation (voir page 9) met l'accent sur **le droit des participants et la protection des personnes**.

- Le médecin investigateur est tenu de vous **informer** de "façon loyale et exhaustive". Lorsqu'il vous propose de participer à l'étude, le déroulement de l'essai, les bénéfices et les contraintes de l'essai auquel vous allez participer doivent vous être présentés et les effets indésirables éventuels expliqués.

### LE SAVEZ-VOUS ?

La participation aux essais cliniques est assortie de précautions spécifiques destinées à en limiter les risques.

Avant de prendre votre décision, n'hésitez pas à noter à l'avance les questions que vous souhaitez poser à votre médecin et, au besoin, redemandez des explications si ce n'est pas clair pour vous ou si vous n'avez pas eu la réponse attendue.

- Un **suiti biologique, médical et clinique** est engagé durant toute l'étude vous assurant la plus grande sécurité possible.
- Vous ne pouvez participer à un essai que si vous êtes **volontaire**.
- Vous pouvez prendre **le temps de réfléchir**, avec vos proches et votre médecin traitant si vous le souhaitez, avant de décider de participer à un essai clinique.

### IMPORTANT

**Vous êtes libre** d'accepter ou de refuser de participer à un essai clinique. Si vous refusez, votre décision n'aura pas de conséquence sur la qualité de la prise en charge de votre maladie par l'équipe soignante.

- Votre **consentement libre et éclairé** suppose que vous ayez été parfaitement informé au préalable des modalités de l'étude, de son déroulement, des risques et des contraintes, et que vous en ayez saisi les implications. Votre consentement est donné **par écrit**, ou attesté par un tiers en cas d'impossibilité. C'est la loi.

Il ne dégage pas le médecin de sa responsabilité médicale et ne vous enlève aucun des droits prévus par la loi. Vous signerez un formulaire de consentement qui sera accompagné d'un document d'information résumant le déroulement de l'essai ainsi que les bénéfices attendus et les risques éventuels du traitement, les examens et les bilans que vous devrez faire au cours de l'essai.

### LE SAVEZ-VOUS ?

Pour les patients mineurs, le consentement des parents et de l'enfant si celui-ci est en âge de comprendre est nécessaire.

- Même si vous acceptez de participer à un essai, vous demeurez **libre de le quitter** à tout moment sans avoir à vous justifier, en le disant simplement au médecin de l'étude.

D'autre part, l'essai peut être arrêté par décision médicale si vous ne supportez pas le traitement ou par le promoteur si des faits nouveaux en terme de risque ou d'efficacité ne permettent pas de poursuivre la recherche.

- Vous **pouvez être indemnisé** dans certains contextes, conformément à la loi en compensation des contraintes subies (Article L.1121-11, de la loi du 9 août 2004 du code de la santé publique). **Les frais de déplacement peuvent parfois être pris en charge.**
- Vous **pouvez à tout moment vérifier et rectifier les données** vous concernant.
- Vous **pouvez vous opposer à la transmission des données** vous concernant.
- Vous **pouvez obtenir des dédommagements en cas de préjudice.**
- A la fin de l'essai, vous devez être tenu informé des **résultats globaux** de la recherche si vous le souhaitez (cf. Loi n° 2002-303 du 4 mars 2002 relative aux droits des malades et à la qualité du système de santé). Suivant l'article R.1123-60 du Code de la santé publique, il est prévu que soit établi sous la responsabilité de l'investigateur et du promoteur, un **rapport final un an** après le terme de la participation de la dernière personne qui se prête à la recherche ou, le cas échéant, le terme défini dans le protocole.

Les modalités de recueil des résultats globaux devront être signalées sur le document d'information destiné aux participants.

## Info CNIL

La CNIL vérifie que les données transmises ne soient pas identifiantes. Tout ce qui concerne la protection des données transmises est expliqué dans la fiche d'information qui vous est donnée, conformément aux exigences de la CNIL.



# Si je participe à un essai clinique, quels sont les bénéfices attendus et les risques éventuels ?

## ➔ Les bénéfices attendus :

- Si le traitement proposé est potentiellement plus efficace que le traitement de référence, vous serez dans les **premiers à en bénéficier**, avant même la mise sur le marché. Ce bénéfice est espéré, mais incertain.
- Vous jouerez un **rôle essentiel**, car les troubles rares de l'hémostase sont, comme leur nom l'indique, des maladies rares. Il y a donc très peu de malades et il est vital que notre « communauté » se mobilise pour rendre ses futures molécules disponibles pour tous.
- Vous contribuerez à l'**avancement de la recherche** dans le domaine des maladies hémorragiques rares, mais aussi de la science en général, car d'autres maladies peuvent bénéficier des découvertes et des succès rencontrés pour ces pathologies, par exemple dans le domaine de la thérapie génique. Vous serez un « innovateur ».

### IMPORTANT

En participant aux essais cliniques portant sur les troubles de l'hémostase, vous serez **acteur du développement de nouvelles thérapies et de l'évolution de la prise en charge de votre maladie.**

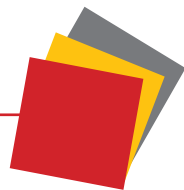
## ➔ Les risques éventuels et inconvénients :

- Des **effets secondaires indésirables** sont possibles quand on participe à un essai clinique. Par exemple, dans un nouveau traitement de l'hémophilie, le risque d'apparition d'inhibiteurs ne peut être exclu.
- Il reste possible que le traitement testé ne soit **pas plus efficace** que celui utilisé avant l'essai.
- En termes de logistique, la participation à un essai clinique est **contraignante** :
  - en impliquant des **visites fréquentes à l'hôpital** qui vous prendront du temps,
  - en vous obligeant à vous soumettre à de **fréquents contrôles ou tests sur une longue période de temps**, ce qui peut être lourd.

### IMPORTANT

Malgré les précautions et les garanties, le risque zéro n'existe pas !

# Comment puis-je participer à un essai clinique ?



➤ **Soit vous êtes sollicité :**

- lors d'une consultation chez le médecin,
- via votre centre de traitement,
- mais également par voie d'affichage, par annonce ou par voie médiatique.

## LE SAVEZ-VOUS ?

Toute personne peut être sollicitée pour participer à un essai clinique.

- Soit **vous vous portez volontaire**, de façon indépendante, en prenant contact avec des structures dédiées à la recherche clinique et en santé (<http://www.test-clinique.fr/>; <http://ansm.sante.fr/Services/Repertoire-public-des-essais-cliniques-de-medicaments>).

## LE SAVEZ-VOUS ?

Tout patient ne peut être inclus dans tout essai clinique.

Chaque essai a ses propres **critères d'inclusion ou d'éligibilité** (âge, type et stade de la maladie, maladies associées, antécédents médicaux ...). qui déterminent si un patient donné peut ou non être inclus dans tel essai.

Ces critères garantissent ainsi l'homogénéité des groupes étudiés et permettent alors d'obtenir des résultats fiables.

Avant de participer effectivement à l'essai clinique, vous bénéficiez d'un examen médical préalable, adapté au contexte de recherche clinique, dont les résultats vous seront communiqués.



## Pourquoi la participation des patients aux essais cliniques dans le domaine des maladies rares de l'hémostase est-elle unique ?

---

- ➔ Les patients atteints de troubles de l'hémostase connaissent très bien leur maladie, ce qui est un atout dans le cadre d'un essai clinique.
- ➔ Il y a relativement peu de patients atteints de troubles de l'hémostase, donc la participation de chaque patient est importante.
- ➔ La communauté des patients atteints de maladies hémorragiques rares est soudée et organisée.
- ➔ Chaque patient dans un essai clinique a un rôle unique.
- ➔ La vision des questions médicales par les patients diffère de celle des membres de l'équipe de soins ou de l'industrie.
- ➔ Une collaboration accrue des patients avec l'équipe de soins ne peut que favoriser les progrès.



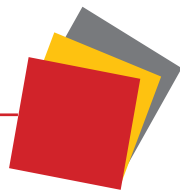
## Que fait l'AFH ?

---

L'AFH participe à votre information sur les essais cliniques via :

- ➔ La mise à disposition d'un **mini-site internet** d'information dédié aux essais cliniques, dans lequel vous retrouverez l'ensemble des informations utiles pour prendre votre décision : [www.afh.asso.fr/essaiclinique](http://www.afh.asso.fr/essaiclinique),
- ➔ La mise en place d'une **information spécifique** par l'intermédiaire de son Groupe de Travail Recherche sur les essais cliniques qui répondra à toute question que vous pourriez vous poser. Il suffit d'adresser votre question à [recherche@afh.asso.fr](mailto:recherche@afh.asso.fr) ou d'appeler au 01 45 67 77 67,
- ➔ La possibilité de **mise en relation avec d'autres malades** qui ont participé à des essais cliniques,
- ➔ L'annonce des modifications **légalles et réglementaires**, liées à l'évolution constante de la recherche clinique et de son cadre juridique qui doit s'adapter pour faciliter la participation de patients, tout en améliorant leur information et protection.

## Pour en savoir plus : sites d'information Internet



- <http://www.notre-recherche-clinique.fr> : site d'information complet et clair sur la recherche clinique, lancé en avril 2010 et destiné au grand public, avec l'appui de vidéos et de témoignages, et proposant une liste des questions les plus couramment posées par les candidats à la participation aux essais cliniques et leurs réponses (<http://www.notre-recherche-clinique.fr/accueil/participer-a-un-essaiclinique/questions-reponses.html>) ainsi qu'un lien vers des protocoles en cours.
- <http://www.recherche-biomedicale.sante.gouv.fr> : site gouvernemental sur l'encadrement de la recherche biomédicale avec un chapitre particulier sur la "Protection des droits de la personne".
- <http://ansm.sante.fr> : site de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) proposant une page dédiée aux essais cliniques et le répertoire des essais cliniques en cours sur les volontaires sains et les patients (<http://ansm.sante.fr/Services/Repertoire-public-des-essais-cliniquesde-medicaments>).
- <http://www.afh.asso.fr> : site de l'AFH Rubrique « Recherche ».
- <http://www.leem.org/les-essais-cliniques> : site des Entreprises du Médicament (LEEM), expliquant pourquoi les essais cliniques sont indispensables.  
Planche infographique proposée par le LEEM autour de 10 questions :  
Dix questions... Sur les essais cliniques.
- <http://Test-clinique.fr> : site qui recense les études cliniques en général.

La reproduction de ce document est libre de droit  
mais sans qu'il soit fait de retrait ou d'ajout  
et en indiquant la mention suivante :  
"Guide patient : participer à un essai clinique  
Association française des hémophiles (AFH) - Septembre 2014"

**Auteurs :**

**Rédaction :** Olivier Christophe (chercheur Inserm U.770), Geneviève Piétu et Aurélien Ferré (AFH)

**Relecture :** Christophe Demonfaucou (CISS Ile-de-France) et Thomas Sannié (AFH)

**Graphisme :** M'Com'M

**Remerciements :** Groupe de travail Recherche de l'AFH, Pr Claude Négrier (Lyon)  
Pr Cédric Hermans (Bruxelles), Dr Annie Borel-Derlon (Caen)

**Avec le soutien institutionnel de Sobi**



**Association française  
des hémophiles**

6, rue Alexandre Cabanel 75015 Paris  
Tél. : 01.45.67.77.67 - Courriel : info@afh.asso.fr