

ACCÈS AUX ESSAIS CLINIQUES

Vaincre le tout premier
obstacle au traitement



SEPTEMBRE 2022



La découverte scientifique est le prélude des nouveaux traitements et remèdes révolutionnaires.

Introduction

L'accès patient commence par la recherche médicale. Les essais cliniques font partie intégrante de la mise au point des nouveaux médicaments, dispositifs et diagnostics qui améliorent la santé et la qualité de vie partout dans le monde.

Les essais cliniques évaluent l'innocuité et l'efficacité des nouveaux traitements. Le succès de cette recherche repose pour l'essentiel sur un recrutement solide. Hélas, plusieurs difficultés se dressent sur la voie, notamment :

- Manque de sensibilisation de l'opinion publique au thème des essais cliniques
- Coûts supportés par les patients participants
- Mobilisation insuffisante des professionnels de santé
- Inégalités persistantes en matière de santé

Il s'agit là du premier et du plus fondamental des obstacles à l'accès des patients à la nouvelle génération de traitements et remèdes innovants.

Les obstacles sont multiformes, de même que les possibilités pour les responsables politiques, les professionnels de santé et les défenseurs des patients de faciliter l'accès et de faire progresser l'innovation médicale.¹

Les essais cliniques en un coup d'œil

À bien des égards, les essais cliniques sont un modèle de réussite planétaire.

Quelques 419 000 études se déroulent actuellement dans les 50 États américains et dans 221 pays partout dans le monde.² L'Europe occidentale compte le taux le plus élevé de lancement de nouveaux essais. Viennent ensuite l'Europe de l'Est et la région Asie-Pacifique.³ Plus de 160 milliards de dollars sont consacrés chaque année à la recherche et au développement d'essais cliniques, ayant abouti pour la seule année 2021 à 50 nouvelles thérapies autorisées par la Food and Drug Administration des États-Unis.

Ces montants colossaux témoignent du temps et de l'engagement indispensables pour mener à bien une recherche clinique. Un essai consacré à un nouveau médicament peut nécessiter des dizaines, voire des centaines de millions de dollars d'investissements, des centaines, voire des milliers de participants éligibles, et des années, voire des décennies de recherche pour démontrer l'innocuité et l'efficacité. Sans compter les coûts indirects. Ceux-ci comprennent les dépenses engagées pour la recherche et les pistes d'investigation scientifique qui se révèlent infructueuses, et les frais non remboursés encourus par les participants, leurs familles et aidants.

Ces investissements — et la persévérance des chercheurs — ont répondu aux attentes. Pour la seule décennie écoulée, citons entre autres remèdes et traitements révolutionnaires les immunothérapies pour vaincre les cancers chez l'enfant, les traitements de la fibrose kystique qui prolongent considérablement l'espérance de vie et les médicaments d'une importance vitale pour les maladies souvent invalidantes comme la migraine. Des millions de vies ont été sauvées quand les dizaines d'années de recherche collective dans l'élaboration de la technologie de l'ARN messager ont permis de produire un vaccin contre la COVID-19 en un temps record.

Des essais cliniques sont en cours dans 221 pays partout dans le monde.

La recherche dans le domaine des maladies rares est un exemple particulièrement intéressant. Alors que la probabilité d'une autorisation systématique de nouveaux médicaments était d'environ 8 % de 2011 à 2020, les traitements pour les maladies rares ont remporté un franc succès, affichant une probabilité d'autorisation de 17 %.⁴

La preuve en chiffres : Essais cliniques dans le monde⁵



Difficultés de recrutement

Le succès demeure toutefois fragile, et moult essais cliniques sont abandonnés en raison d'un nombre insuffisant de participants.

Des études ont montré que 12 % des essais enregistrés sont abandonnés—c'est-à-dire qu'ils cessent le recrutement avant terme. La raison la plus souvent évoquée est le nombre insuffisant de participants.⁶ De même, presque 80 % des essais cliniques échouent à respecter les délais de recrutement, ce qui ralentit la mise au point de traitements qui pourraient sauver des vies.⁷

Nous sommes d'accord, le développement de médicaments est un long processus. La transposition d'un traitement potentiel 'du laboratoire au chevet du patient' peut prendre jusqu'à 10 ans ou plus. Les estimations du coût total varient, mais peuvent atteindre jusqu'à 2 milliards de dollars dans un contexte d'études après autorisation et de pertes d'opportunité.

Un recrutement lent met à mal les échéances, fait grimper les coûts et utilise plus de temps et de ressources que n'importe quel autre aspect des essais cliniques. Le recrutement des participants compte pour 30 % du temps de développement, avec environ 1,2 milliards de dollars d'investissement. Les difficultés de recrutement entraînent des retards variant de un à six mois.⁸

À chaque jour de retard dans un essai, les pertes s'accumulent. Avec 11 % des sites de recherche clinique qui échouent à recruter ne serait-ce qu'un seul participant, et 37 % des sites en sous-représentation, les stratégies de recrutement sont au cœur des essais qui portent leurs fruits.⁹



Une étude sur 10 prend fin le plus souvent pour cause de nombre insuffisant de participants.

Comprendre les obstacles à l'accès

Les difficultés d'accès, y compris les problèmes de recrutement, découlent de plusieurs facteurs.

Manque de connaissance

Nombreux sont les patients qui ignorent tout des essais cliniques. Des données montrent que les niveaux supérieurs d'instruction, les revenus plus élevés et l'usage de l'Internet accroissent la sensibilisation.¹⁰ Pourtant, ces avantages ne sont pas accessibles à tous. C'est peut-être pour cette raison que 40 % des adultes interrogés avouent ne pas bien comprendre les essais cliniques.¹¹ Cette fracture du savoir peut empêcher les patients de participer et aggraver les disparités d'ordre économique et sanitaire.

Mobilisation insuffisante des professionnels de santé

La mobilisation des professionnels de santé est un autre sujet de préoccupation. Des études montrent que la plupart des médecins évoquent

volontiers les essais cliniques à leurs patients, mais que moins de 1 % d'entre eux orientent les patients vers des études. Le maintien au courant des possibilités d'essai joue un rôle clé. Les médecins déclarent ne pas avoir accès à des informations à jour sur les essais, et environ un tiers dit ne pas avoir le temps de se renseigner sur les essais en cours.¹²

Mangelnde Diversität

Le recrutement d'un groupe hétérogène de patients pour les essais est également compliqué — mais essentiel. Les patients peuvent souffrir d'une même maladie de façons très différentes. Un échantillon diversifié offre aux chercheurs plus de chances d'évaluer l'efficacité et d'identifier les effets secondaires propres à des sous-populations de patients.

La preuve en chiffres : Connaissance des essais cliniques



11 %
des sites échouent à recruter **ne serait-ce qu'un seul patient**



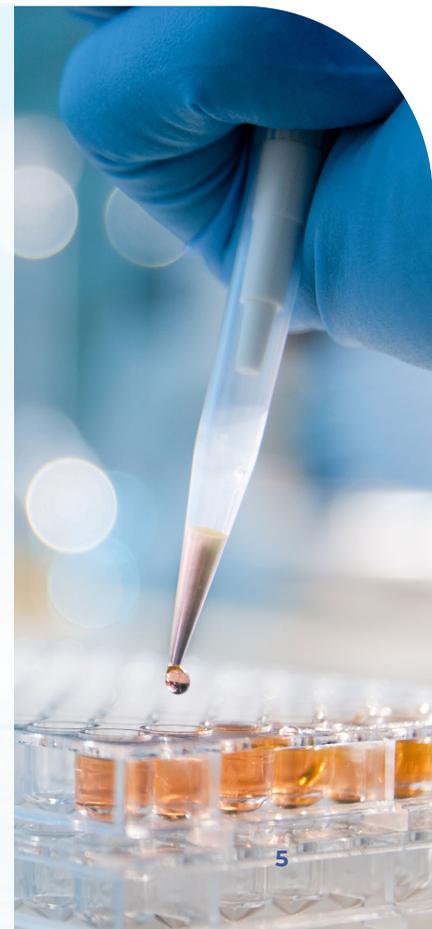
40 %
des adultes interrogés **ne comprennent pas les essais cliniques**



37 %
des sites **n'atteignent pas** leurs objectifs de recrutement



32 %
des adultes interrogés déclarent **envisager de participer** — après avoir compris en quoi consiste un essai clinique^{13,14}





Les personnes de couleur sont sous-représentées dans plus de la moitié des essais de phase III dans l'Union européenne.

Le recrutement de participants issus de communautés diversifiées et moins bien desservies a toujours été difficile, ou les chercheurs n'y ont pas simplement accordé d'importance. Les personnes de couleur sont sous-représentées dans plus de la moitié des essais de phase III dans l'Union européenne.¹⁵ La diversité fait également défaut au sein des effectifs sur place. En Europe, moins de 10 % du personnel chargé des essais cliniques sont issus de minorités. Des études montrent que les deux facteurs sont liés.

Les essais dont les effectifs sont diversifiés sont plus à même de considérer la diversité des participants comme un facteur de réussite et de privilégier le recrutement de participants hétérogènes.¹⁶

Coûts et temps consacré par les participants

Le temps consacré, les coûts et le tribut affectif assumés par les patients qui souhaitent s'inscrire à une étude constituent un autre obstacle à l'accès aux essais cliniques. Parmi ces contraintes figurent la difficulté de localiser un essai, le trajet et la distance à parcourir pour se rendre sur le lieu de l'étude, le temps qu'il faut pour s'occuper des formalités administratives et procéder à la phase de présélection, et les coûts non remboursés que le patient peut avoir à assumer.

Trop souvent, les patients sont simplement submergés par l'exercice bureaucratique d'identification et d'inscription à un essai. Le consentement éclairé, par exemple, est un processus de longue haleine au cours duquel les essais peuvent perdre de précieux volontaires qui ont, en fait, besoin des soins urgents.

Tandis que les promoteurs d'un essai parviennent généralement à régler tous les frais et tests particuliers liés à la recherche, les participants peuvent encore avoir à assumer des coûts indirects. Il peut s'agir notamment d'une perte de revenu suite aux congés qu'ils doivent prendre, des frais de garde d'enfants et des frais de déplacement non remboursés, et de la franchise médicale.

Craintes et incertitude des patients

La peur et l'anxiété peuvent aussi impacter la participation. Nombreux sont les patients déjà éprouvés par l'angoisse, les symptômes et les conséquences de leur maladie. Le fait d'envisager la possibilité de participer à une étude clinique rajoute des craintes, comme la peur de prendre un médicament non éprouvé ou de recevoir un placebo, et de passer potentiellement à côté d'un traitement reconnu à un moment crucial.

Amélioration de l'accès aux essais cliniques

L'amélioration de l'accès aux essais cliniques exige un effort concerté de tous les acteurs.

- **Investisseurs.** À peu près 90 % des investissements émanent d'entreprises des sciences de la vie. Pourtant, la recherche médicale exige un plus grand engagement du secteur public.
- **Professionnels de santé.** Des dizaines de milliers de professionnels s'intéressent à la recherche médicale, mais la grande majorité pourrait mieux faire pour faciliter l'accès des patients aux essais cliniques.
- **Patients.** La conception de l'essai est de plus en plus centrée sur le patient, mais l'étude la mieux conçue ne saurait réussir sans participants.
- **Responsables politiques.** Les responsables politiques réglementent les essais cliniques, et ils devraient traiter l'accès aux essais cliniques comme une priorité de santé publique.

Les responsables politiques peuvent notamment sensibiliser davantage le public et améliorer l'accès des patients aux essais de plusieurs façons.



Promouvoir le recrutement des patients

Les responsables politiques peuvent aider les patients à accéder aux essais cliniques plus facilement. Les bases de données en ligne adaptées aux patients sont vitales. Les bases de données d'essais ouverts en ligne devraient être aussi faciles à consulter qu'un site Internet de e-commerce.

Les responsables politiques peuvent également financer les navigateurs d'essais cliniques, dont les services peuvent simplifier le recrutement et répondre aux questions des patients à mesure qu'elles se présentent. Les taux de recrutement général des patients capables de naviguer dans les bases de données peuvent atteindre jusqu'à 95 %. Dans des études sur la façon dont la navigation des patients impacte l'inscription des minorités à des essais cliniques, on a démontré que des stratégies telles que la simplification de l'inscription et le remboursement des frais des patients parvenaient à recruter 86 % des Afro-américains qui avaient envisagé de participer.¹⁷



Informier et donner les moyens aux professionnels

Les responsables politiques devraient par ailleurs donner aux professionnels de santé les moyens de promouvoir le recrutement des patients.

C'est-à-dire encourager les professionnels à accompagner les patients dans leur recherche et leur inscription aux études, et à rester mobilisés au sein de l'équipe soignante. Les améliorations dans l'informatisation des dossiers patients sont également capitales. Il importe de renforcer les systèmes de dossiers pour que, dès que les professionnels consignent un diagnostic, ils soient directement liés à une base de données d'essais cliniques auxquels le patient pourrait s'inscrire.



Privilégier la diversité

Les essais cliniques s'appuient souvent démesurément sur des participants de sexe masculin et de race blanche. Cette lacune empêche les chercheurs de bien comprendre les maladies et pathologies, les facteurs préventifs et l'efficacité des traitements entre les populations.¹⁸

Les responsables politiques devraient apporter un concours financier, sous la forme de subventions et crédits d'impôt, aux essais dont les objectifs en matière de méthodologie et de recrutement encouragent la participation de personnes aux origines diverses sur le plan racial et ethnique et qui impliquent des investigateurs de couleur. Les États devraient également allouer davantage de ressources pour sensibiliser les communautés de couleur et pallier les inégalités économiques qui empêchent ou découragent les gens de couleur de participer à des essais.



Faire de la participation une priorité de santé publique

La recherche médicale constitue un aspect essentiel de la santé publique. Pour faire face aux difficultés de santé publique, les responsables politiques doivent d'abord sensibiliser l'opinion publique. Il s'agit d'investir dans des campagnes qui mettent l'accent sur l'utilité de la recherche médicale et la possibilité pour les patients de participer aux études. De la lutte contre le tabagisme jusqu'au don d'organes, les campagnes de sensibilisation ont toujours joué un rôle dans l'action des responsables politiques pour changer le comportement et la conduite des gens.



Favoriser l'augmentation des investissements dans la recherche

Pour accroître les possibilités de progrès médicaux et d'avancées thérapeutiques, la recherche clinique doit continuer d'attirer les financements privés.

Pour cela, il faut des partenariats public-privé qui encouragent l'investissement, et aussi des solutions politiques qui récompensent l'innovation, renforcent la protection de la propriété intellectuelle des chercheurs et favorisent l'inscription aux études et l'accès aux nouvelles thérapies.





Conclusion

Un meilleur accès aux essais cliniques stimulera l'investissement et réduira les coûts de la recherche, et au final améliorera et prolongera la vie des patients partout dans le monde.

À l'instar des obstacles à l'accès aux essais cliniques, les solutions politiques qui aideront les patients à les surmonter se présentent sous de multiples formes. Pour améliorer l'accès, il suffit de renforcer l'efficacité du recrutement dans les essais cliniques, d'encourager la diversité parmi les participants, de booster la mobilisation des professionnels de santé et de sensibiliser les patients.

Cette collaboration pour réduire les obstacles permettra aux patients, aux professionnels de santé, aux chercheurs et aux responsables politiques d'ouvrir la voie à des essais cliniques rigoureux pour produire la prochaine génération de nouveaux médicaments et traitements qui sauvent des vies.

Références

1. Gibson M. 4 Common Challenges in Clinical Trials. Right Patient. 21 April 2021. <https://www.rightpatient.com/professional-patients/4-common-challenges-clinical-trials/>
2. U.S. National Library of Medicine. ClinicalTrials.gov. Accessed 28 June 2022. <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/resources/trends>
3. Tufts Center for the Study of Drug Development. New Research From Tufts Center for the Study of Drug Development Characterizes Effectiveness and Variability of Patient Recruitment and Retention Practices. 15-Jan-13. <https://www.biospace.com/article/releases/new-research-from-tufts-center-for-the-study-of-drug-development-characterizes-effectiveness-and-variability-of-patient-recruitment-and-retention-prac/>
4. Pharma Intelligence. 2021 Clinical Development Success Rates. Accessed 1 July 2022. <https://pharmaintelligence.informa.com/resources/product-content/2021-clinical-development-success-rates>
5. U.S. National Library of Medicine. ClinicalTrials.gov. Accessed 28 June 2022. <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/resources/trends>
6. Morgan C. Journal of Nuclear Cardiology; Statistical Issues Associated with Terminating a Clinical Trial Due to Slow Enrollment, 2017. J. Nucl. Cardiol. 24, 525—526 (2017). DOI: 10.1007/s12350-016-0702-1. <https://link.springer.com/article/10.1007/s12350-016-0702-1>
7. Clinical Trials Arena. Clinical Trial Delays: America's Patient Recruitment Dilemma. 13 July 2022. <https://www.clinicaltrialsarena.com/marketdata/featureclinical-trial-patient-recruitment/>
8. Chaudhari N, Ravi R, Gogtay NJ, Thatte UM. Recruitment and Retention of the Participants in Clinical Trials: Challenges and Solutions. Perspect Clin Res. 2020 Apr-Jun;11(2):64-69. DOI: 10.4103/picr.PICR_206_19. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7342338/>
9. Tufts Center for the Study of Drug Development. New Research From Tufts Center for the Study of Drug Development Characterizes Effectiveness and Variability of Patient Recruitment and Retention Practices. 15-Jan-13. <https://www.biospace.com/article/releases/new-research-from-tufts-center-for-the-study-of-drug-development-characterizes-effectiveness-and-variability-of-patient-recruitment-and-retention-prac/>
10. Leiter A, Diefenbach MA, Doucette J, Oh WK, Galsky MD. Clinical Trial Awareness: Changes Over Time and Sociodemographic Disparities. Clin Trials. 2015 Jun;12(3):215-23. DOI: 10.1177/1740774515571917. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4667750/>
11. Comis R, Miller J, Aldigé C, Krebs L, Stoval E. Public Attitudes Toward Participation in Cancer Clinical Trials. Journal of Clinical Oncology. Volume 21, Issue 5. Accessed 22 July 2022. <https://ascopubs.org/doi/figure/10.1200/JCO.2003.02.105>
12. PatientCentra. Why Aren't Doctors Telling Their Patients About Clinical Trials? 2 May 2018. <https://www.patientcentra.com/patient-recruitment-insights/doctors-patients-clinical-trials>
13. Lamberti MJ, Mathias A, Myles JE, et al. Evaluating the impact of patient recruitment and retention practices. Therap Innov Regul Sci. 2012;46(5):573-80.
14. Comis, R. L., Miller, J. D., Aldigé, C. R., Krebs, L., & Stoval, E. (2003). Public Attitudes Toward Participation in Cancer Clinical Trials. Journal of Clinical Oncology (Vol. 21, Issue 5, pp. 830-835). American Society of Clinical Oncology. <https://doi.org/10.1200/jco.2003.02.105>
15. Tufts Center for the Study of Drug Development. Impact Report: Analysis & Insight into Critical Drug Development Issues. Volume 24, Number 3. May/June 2022. https://9468915.fs1.hubspotusercontent-na1.net/hubfs/9468915/May_Jun_22.jpeg
16. Tufts Center for the Study of Drug Development. Impact Report: Analysis & Insight into Critical Drug Development Issues. Volume 23, Number 6. November/December 2021. <https://f.hubspotusercontent10.net/hubfs/9468915/Impact%20Report%20Preview.png>
17. Uveges MK, Lansey DG, Mbah O, Gray T, Sherden L, Wenzel J. Patient Navigation and Clinical Trial Participation: A Randomized Controlled Trial Design. Contemp Clin Trials Commun. 2018 Sep 22;12:98-102. DOI: 10.1016/j.conctc.2018.09.003. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6197623/>
18. National Institute on Minority Health and Health Disparities (NIH). Diversity & Inclusion in Clinical Trials. 7 February 2022. <https://www.nimhd.nih.gov/resources/understanding-health-disparities/diversity-and-inclusion-in-clinical-trials.html>



À propos de Global Alliance for Patient Access

Global Alliance for Patient Access est une plateforme internationale à l'attention des professionnels de santé et des défenseurs des patients dont le but est d'éclairer le dialogue sur les politiques concernant les soins axés sur le patient.

GAfPA.org

