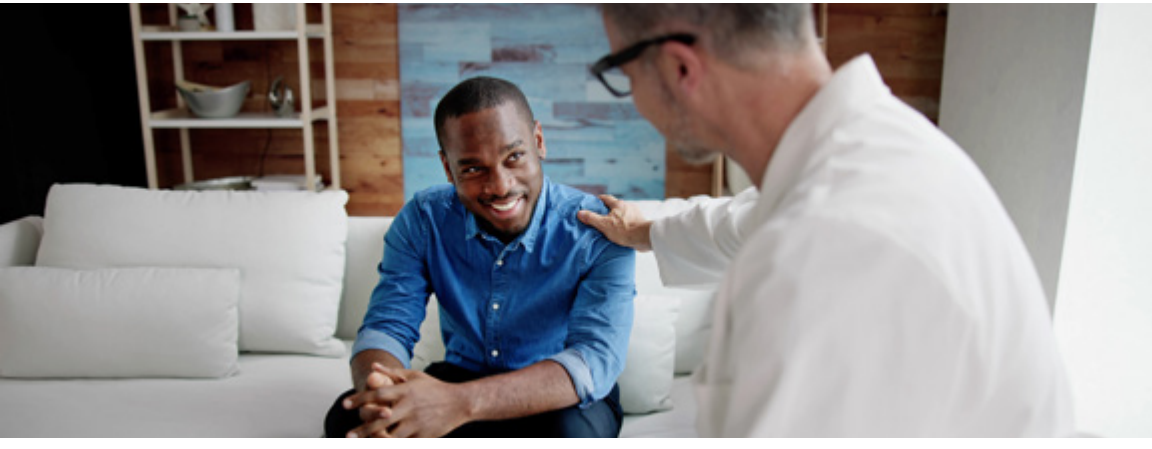




Myélome Canada
Série InfoGuide

Essais cliniques : une option pour moi?



MYÉLOME CANADA

MISSION : MAÎTRISER LE MYÉLOME

www.myelome.ca





Réviseurs

Professionnels de la santé

Julie Côté, MD
Hématologue/oncologue
Centre hospitalier universitaire (CHU) de Québec
Québec, QC

Cindy Manchulenko, RN, BN, MSN
Gestionnaire des projets d'essais cliniques
BC Cancer Vancouver
Vancouver, BC

Myélome Canada tient à remercier le Conseil consultatif des patients (CCP), le Consortium de recherche en oncologie clinique du Québec (Q-CROC) ainsi que les nombreux membres de notre communauté qui ont fourni leur précieuse contribution.

Rédacteurs en chef

Gabriele Colasurdo, MSc
Directeur, sciences et recherche
Myélome Canada
Montréal, QC

Marcie Baron
Directrice, communications corporatives et marketing
Myélome Canada
Montréal, QC

Jessy Ranger
Directrice, politiques de santé, défense des droits et services aux patients
Myélome Canada
Montréal, QC

Karine Gravel
Gestionnaire régionale, éducation et engagement communautaire (Québec)
Myélome Canada
Montréal, QC

L'information contenue dans cet InfoGuide n'a pas pour objet de remplacer les conseils de professionnels de la santé. Ceux-ci sont les mieux placés pour répondre à vos questions en fonction de votre situation médicale et sociale.





Introduction

Au cours des 30 dernières années, la recherche nous a permis de mieux comprendre le myélome et ses processus pathologiques sous-jacents. Cela a mené au développement et à l'approbation de nouveaux traitements à partir d'agents de pointe qui ont permis de prolonger la vie de nombreuses personnes atteintes d'un myélome.

Cet InfoGuide s'adresse aux personnes atteintes d'un myélome, ainsi qu'à leurs proches. Il a pour but de clarifier et d'expliquer le déroulement d'un essai clinique et de répondre aux questions les plus fréquemment posées. Les renseignements fournis peuvent aider à la prise de décision à savoir si un essai clinique constitue la bonne option de traitement pour un patient.

Les essais cliniques sont des protocoles de recherche incluant des patients afin d'évaluer de nouveaux traitements ou de nouvelles façons d'associer et d'administrer des traitements existants. En mettant à l'essai de nouveaux médicaments ou de nouvelles combinaisons de médicaments, chaque étude vise ultimement à trouver de meilleures façons de traiter la maladie, ainsi qu'à améliorer la qualité de vie. Pour ce faire, l'étude doit répondre à des questions scientifiques précises.

Cet InfoGuide a pour but de :

- vous aider à mieux comprendre les essais cliniques et leur fonctionnement;
- vous aider à comprendre ce qu'implique un essai clinique, ses avantages et ses inconvénients;
- fournir des informations aux proches aidants et autres membres de la famille.

Certains termes plus techniques ou moins connus apparaissent en ***italique gras*** la première fois qu'ils sont utilisés. Ces termes sont décrits dans le **glossaire** à la **page 29.** N'hésitez jamais à demander à votre équipe de soins ou de l'équipe de soins de votre proche de vous expliquer les termes que vous ne connaissez pas ou que vous ne comprenez pas très bien.

Tout au long de votre parcours avec un myélome, votre équipe de soins vous renseignera sur vos options de traitement, la maladie elle-même et plus encore. Il est important d'identifier, d'évaluer et de traiter les symptômes le plus rapidement possible. Nous vous suggérons de noter les questions qui vous viennent à l'esprit afin de les poser aux membres de votre équipe de soins au moment venu. Ils sont les mieux placés pour vous aider à comprendre ce que vous vivez et vous conseiller pour que vous preniez des décisions éclairées.

L'importance de rester informé et prudent

Soyez prudent et méfiant à l'égard de l'information qui vous parvient. Bien que les livres et l'internet soient des sources riches en information, celle-ci n'est pas toujours fiable et pourrait ne pas s'appliquer à votre situation, entraîner de la confusion et vous induire en erreur. Il est également possible que des personnes bien intentionnées vous prodiguent des conseils de santé sans connaître les détails de votre maladie et de son traitement. Certains groupes de soutien en ligne peuvent également être utiles, mais là encore, méfiez-vous des fausses informations. Il est important de vous assurer de la fiabilité de votre source et de discuter de ce que vous lisez ou entendez avec votre équipe de soins. Ne modifiez jamais votre plan de traitement sans d'abord consulter votre équipe de soins, quelle que soit la raison.

Consultez le site de Myélome Canada régulièrement au myelome.ca pour obtenir des ressources fiables et les renseignements les plus récents. Vous y trouverez également des liens utiles vous dirigeant vers les différents groupes et programmes de soutien, les vidéos et événements éducatifs, et plus encore.







Table des matières

Qu'est-ce qu'un myélome multiple? 1

Essais cliniques : une option de traitement pour le myélome 3

Aperçu ... 3
Terminologie clé ... 4
Mythes fréquents à propos des essais cliniques ... 5

À propos des essais cliniques 8

Aperçu ... 8
Phases de l'essai clinique ... 9
Résumé des phases des essais cliniques ... 11
Dispositions assurant la protection des participants à l'étude ... 11
Critères d'admissibilité (inclusion/exclusion) ... 12
Déclaration de consentement éclairé ... 12
Prenez connaissance de vos droits à titre de participant à une recherche ... 13
Questions pour votre équipe de soins ... 14
Évaluer les avantages et les inconvénients ... 15
La recherche en myélome au Canada ... 15
Critères communs utilisés pour les essais sur le myélome ... 17

Que se passe-t-il lorsque l'essai clinique est terminé? 19

Analyse statistique ... 19
Résultats de la recherche ... 19
Approbation d'un nouveau médicament par Santé Canada ... 19
De l'approbation au financement : Les nombreuses étapes avant que soit couvert un médicament ... 20
Prenez connaissance de vos options et de votre couverture d'assurance-maladie ... 22

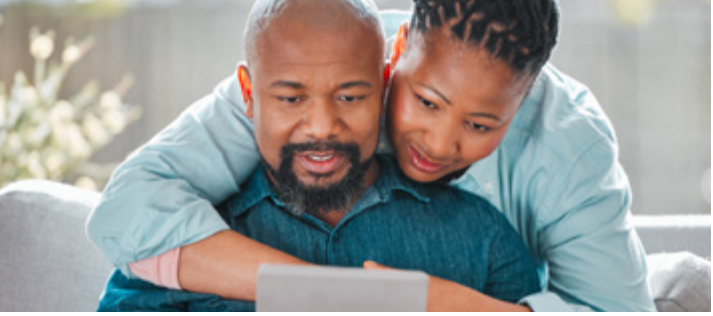
Immunothérapies en cours de développement dans le cadre d'essais cliniques 24

Qu'est-ce que l'immunothérapie? ... 24
Ciblage d'antigènes ... 24
Recherche en cours ... 25
Nouveaux traitements et thérapies émergentes à l'étude ... 25
Autres immunothérapies émergentes faisant l'objet d'essais cliniques ... 26
Recherche portant sur la qualité de vie ... 26
L'avenir de la recherche sur le myélome ... 26

Priorités en recherche sur le myélome au Canada 27

Partenariat pour l'établissement des priorités en recherche sur le myélome (PEP) ... 27
Priorités en recherche du PEP ... 27

Glossaire 29





Qu’est-ce qu’un myélome multiple?

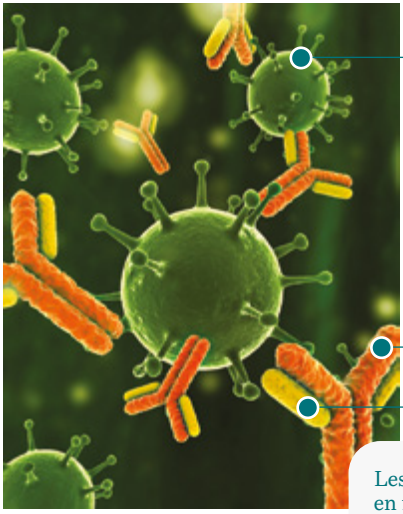
Le myélome multiple est un cancer qui affecte les ***plasmocytes***. Le terme «multiple» désigne ici le fait que les cellules myélomateuses affectent généralement plusieurs régions de la ***mœlle osseuse***. Dans cette ressource, nous utiliserons le terme «myélome» par souci de simplicité. Même si le myélome demeure incurable, les percées scientifiques ont permis de développer des traitements efficaces contre cette maladie. Aujourd’hui, les personnes qui en sont atteintes vivent plus longtemps et bénéficient d’une meilleure qualité de vie. En fait, pour de nombreuses personnes, le myélome est plutôt devenu une maladie chronique.

Le myélome et ses précurseurs, la gammapathie monoclonale de signification indéterminée (MGUS) et le myélome multiple indolent, constituent un groupe d’affections et de maladies qui entrent dans la catégorie des troubles plasmocytaires. En bref, un plasmocyte est un type de globule blanc (GB) fabriqué dans la mœlle osseuse «l’usine de sang» située dans la région creuse des os, qui produit des ***anticorps (immunoglobulines)*** pour lutter contre les infections (voir Figure 1). Le myélome, que l’on peut désigner comme un cancer des cellules immunitaires, est la deuxième forme la plus répandue de cancer hématologique (du sang).

L’accumulation anormale de cellules myélomateuses dans la mœlle osseuse a des effets directs et indirects sur le sang, les os et les reins. Les signes et symptômes du myélome étant généralement vagues, on les attribue souvent au vieillissement ou à d’autres causes ou affections plus courantes. Le myélome peut se présenter de multiples façons :

- Niveau élevé de calcium dans le sang (hypercalcémie)
- Atteintes rénales
- Faible taux d’hémoglobine (anémie)
- Douleur osseuse ou fractures (lésions) persistantes
- Infections fréquentes ou persistantes
- Fatigue/faiblesse, essoufflement

Figure 1: Structure d'un anticorps (immunoglobuline)



Les immunoglobulines (anticorps) sont des molécules en forme d'Y. Les chaînes lourde et légère des anticorps contiennent des sites de liaison spécifiques qui se fixent aux bactéries ou aux virus, ce qui mène finalement à leur destructions, protégeant ainsi contre la maladie.

Le diagnostic du myélome nécessite une évaluation et un bilan par un hématologue ou un oncologue.

Pour en apprendre davantage sur les troubles plasmocytaires, consultez le Guide destiné aux patients atteints d'un myélome multiple ainsi que l'InfoGuide MGUS et myélome multiple indolent de Myélome Canada.





Essais cliniques : une option de traitement pour le myélome

Aperçu

En fonction des particularités de votre diagnostic de myélome, participer à un ***essai clinique*** peut être une option à considérer. Certains essais cliniques sont conçus pour chaque phase de la maladie : du ***myélome asymptomatique ou indolent*** à un myélome nouvellement diagnostiqué à une maladie récidivante ou réfractaire. Dans plusieurs cas, à l'exception des études entreprises post-commercialisation (voir la définition des études de phase IV en page 10), les médicaments ou les combinaisons de traitements à l'étude dans les essais cliniques ne sont généralement pas encore approuvés par Santé Canada puisque l'évaluation de leur innocuité et de leur efficacité ne sont pas encore pleinement complétées.

En savoir plus

Le processus de développement des médicaments et les essais précliniques

Généralement, le processus de développement de nouveaux médicaments s'étend sur plusieurs années et nécessite des centaines de millions de dollars. Lorsqu'un nouveau médicament est fabriqué, il est purifié (isolé) dans le laboratoire de recherche et testé dans le cadre d'essais précliniques au moyen de cellules humaines sur une boîte de Pétri ou une éprouvette *(in vitro)* et d'animaux de laboratoire *(in vivo)*. Ces petites études visent à recueillir autant de renseignements que possible concernant la dose, l'efficacité, l'innocuité et la toxicité du médicament.

À la suite des essais précliniques, les chercheurs examinent leurs résultats et décident si le médicament doit être testé chez les humains. Les résultats de l'étude sont ensuite envoyés à la Direction générale des produits de santé et des aliments (DGPSA) de Santé Canada dans le cadre d'une demande d'autorisation de mener un essai clinique pour étudier le médicament chez les patients canadiens.

Terminologie clé

Norme de soins
Une approche standardisée (médicament ou intervention) recommandée aux patients atteints d'une maladie précise et qui partagent les mêmes circonstances ou des circonstances similaires. La norme de soins est reconnue par les experts en médecine comme étant une approche clinique appropriée qui est largement adoptée par un professionnel de la santé prudent et qualifié. Dans certaines conditions, la norme de soins peut être de n'administrer aucun traitement ou d'observer (tel que dans le cas d'un myélome indolent). La norme de soins est également appelée pratique exemplaire, norme de soins médicaux ou traitement standard.

Placebo
Un comprimé (parfois appelé « comprimé de sucre ») ou une injection indiscernable du médicament à l'essai. Le placebo est utilisé lors de certains essais cliniques pour établir « l'effet placebo », un effet psychologique positif généralement associé au traitement. Il serait contraire à l'éthique de ne proposer aucun traitement ou seulement un placebo dans le cadre d'essais portant sur une maladie grave comme le cancer lorsqu'un traitement est disponible. Par exemple, dans de tels cas, les participants peuvent recevoir la norme de soins, en plus du médicament à l'étude ou d'un placebo.

Groupes
Il existe différents types de groupes dans le cadre d'un essai clinique :
- **Groupe expérimental :** reçoit le traitement selon la norme de soins avec le traitement à l'étude*
- **Groupe témoin :** reçoit le traitement selon la norme de soins avec un placebo

* **Remarque :** Si la norme de soins consiste en une observation uniquement, tous les participants recevraient alors le médicament à l'étude sans randomisation ni placebo.

Essai randomisé contrôlé
Dans le cadre des essais qui comprennent plus d'un groupe, les participants sont attitrés de façon aléatoire à un groupe (groupe témoin ou cohorte) qui reçoit un traitement particulier, soit le traitement à l'étude (groupe expérimental/cohorte) ou la norme de soins (groupe témoin/cohorte).

Traitement croisé du groupe témoin
Les participants du groupe témoin peuvent avoir accès à un traitement croisé. Par exemple, si un participant qui reçoit le traitement actuel selon la norme de soins ne répond plus au traitement, certains essais offrent la possibilité aux participants de passer au groupe expérimental et de recevoir le traitement à l'étude. **Remarque :** Le traitement croisé n'est pas permis dans toutes les études; vous en serez avisé au début de l'étude, ou vous pouvez en discuter avec votre médecin ou votre infirmière avant de signer le formulaire de consentement éclairé (voir la page 12).

Études ouvertes et à l'insu (ou « masquée »)
Dans le cadre des *études ouvertes,* l'équipe de recherche et les participants sont informés du médicament ou du traitement que reçoivent les participants.

En revanche, les participants qui participent à des *études à simple insu* ne savent pas quel(s) traitement(s) ils reçoivent. Dans le cadre d'une étude à *double insu,* les participants et tous les membres de l'équipe de recherche ne savent pas quel(s) traitement(s) est/sont administré(s) aux participants.

Les études à l'insu sont conçues pour éviter que les membres de l'équipe de recherche ou les participants à l'étude ne puissent, sans le vouloir, influencer les résultats. Elles visent à produire des données qui ne sont pas influencées par les préjugés ou les attentes des patients ou des chercheurs, ce qui permet d'obtenir des conclusions scientifiquement précises quant aux avantages et ***effets secondaires (événements indésirables)*** réels du traitement à l'étude.

Par exemple :
Dans le cadre des études à l'insu avec deux groupes, un nombre prédéfini de participants reçoivent le traitement à l'étude (groupe expérimental), tandis que l'autre moitié reçoit le traitement selon la norme de soins seule ou avec le placebo (groupe témoin).

Dans le cadre des études ouvertes avec deux groupes, un nombre prédéfini de participants reçoivent le traitement à l'étude (groupe expérimental), tandis que les autres reçoivent le traitement selon la norme de soins sans le placebo (groupe témoin).

Type d'étude	Groupe expérimental	Groupe témoin
Ouverte	Traitement à l'étude	Traitement selon la norme de soins
À l'insu	Traitement à l'étude	Traitement selon la norme de soins + Placebo

Mythes fréquents à propos des essais cliniques

MYTHE : Vous pourriez recevoir seulement le placebo et ne recevoir aucun traitement

Dans le cadre d'études cliniques sur le myélome, il est contraire à l'éthique de ne recevoir aucun traitement ou uniquement un placebo, sauf si la norme de soins ne recommande aucun traitement ou qu'une observation. Par exemple, dans le cadre d'études antérieures portant sur le ***traitement d'entretien*** après une greffe, le groupe témoin était un placebo puisque la norme de soins après une greffe était l'observation seulement au moment où les essais étaient réalisés. Les groupes « placebo seulement » sont également utilisés dans le cadre d'études qui se penchent sur la façon de prévenir le cancer.

MYTHE : Les essais cliniques doivent être perçus comme une option de « dernier recours »

Des traitements expérimentaux sont disponibles pour des essais à tous les stades d'une maladie.

MYTHE : Il est impossible d'avoir accès au traitement à l'étude une fois l'essai clinique terminé

Une fois l'essai clinique terminé, si le participant suit encore le traitement expérimental et répond bien, une participation dans un « groupe de prolongement » peut lui être offerte pour lui permettre de poursuivre ce traitement. Si le médicament à l'étude n'est pas offert sur le marché et qu'aucun groupe de prolongement n'existe, les médecins et les coordonnateurs de la recherche peuvent faire une demande afin que le médicament soit accordé en vertu de ***l'accès pour des raisons humanitaires.***

En savoir plus

Questionnaires d'évaluation de la qualité de vie

Améliorer la qualité de vie des patients est un objectif très important des essais cliniques qui visent à comparer les traitements. Les protocoles de l'étude incluent souvent des questionnaires d'évaluation de la qualité de vie et des questionnaires sur l'économie en soins de santé ou ceux-ci peuvent être utilisés dans le cadre d'une étude distincte sur la qualité de vie. Dans le cadre de ces sondages, les patients sont invités à évaluer, sur une échelle, leur perception de leurs symptômes émotionnels, sociaux, physiques et cognitifs, ainsi que les effets secondaires du traitement et la vie à la maison et au travail. Les questionnaires sur l'économie en soins de santé comprennent des questions sur la fréquence à laquelle les patients ou leurs aidants naturels doivent s'absenter du travail en raison de rendez-vous, des effets secondaires ou des traitements, et du nombre d'hospitalisations durant la participation à l'étude. Ces questionnaires permettent d'établir si le traitement à l'étude a un impact financier négatif sur le patient ou sa famille, ainsi que sur le système de soins de santé. Les participants à l'étude peuvent également être invités à tenir un journal détaillé sur leur état après un traitement, y compris les effets secondaires et la fréquence de la prise de médicaments d'appui (c.-à-d., analgésique).

Ainsi, le suivi de la qualité de vie d'un patient est essentiel à l'identification des traitements ayant le moins d'effets secondaires, entraînant le moins de visites à l'hôpital et dont le fardeau financier est moindre. De plus, les renseignements recueillis peuvent également être soumis dans le cadre de ***l'évaluation des technologies de la santé*** et avoir des répercussions positives sur les décisions provinciales en matière de remboursement des médicaments.

MYTHE : Les essais cliniques ne sont pas sécuritaires

Les bénévoles qui participent aux essais cliniques sont bien renseignés sur les risques possibles et les avantages de l'étude. Ils sont fréquemment soumis à des tests et des évaluations pour assurer leur sécurité. Les médecins spécialistes, les infirmières et autres membres du personnel de recherche assurent un suivi étroit tout au long de l'essai, et possiblement pendant une période prolongée une fois l'essai terminé, leur permettant ainsi de déceler tout effet à long terme (pendant la prise du médicament et après) ou les

effets latents (des mois ou des années après avoir cessé de prendre le médicament) du traitement à l'étude.

MYTHE : Les essais cliniques sont coûteux pour les patients
La majorité des essais cliniques ne sont pas financièrement contraignants. En général, la participation aux essais cliniques est peu coûteuse ou sans frais pour les participants. Les dépenses encourues pendant un essai clinique sont parfois remboursées aux participants.

En savoir plus

Facteurs relatifs aux déplacements et subventions

Si vous habitez loin du centre qui mène l'essai clinique, il est possible que vous deviez parcourir de longues distances pour recevoir le traitement et pour les rendez-vous de suivi. Cela peut se traduire par des obstacles logistiques importants, et il est possible que vous n'ayez tout simplement pas les moyens de couvrir les frais de transport vers et depuis le centre de traitement. Selon votre province de résidence, vous pourriez être admissible à une subvention pour frais de déplacement. En fait, de nombreuses sociétés pharmaceutiques vont également rembourser toutes dépenses personnelles telles que les frais de déplacement, de stationnement, d'hôtel et les repas. Renseignez-vous auprès du coordonnateur de l'essai clinique ou du conseiller en soins de soutien du centre quant aux programmes auxquels vous pourriez être admissibles.







À propos des essais cliniques

Aperçu

Les essais cliniques permettent aux chercheurs de recueillir des renseignements sur la dose, l'efficacité et l'innocuité (la sécurité) d'un médicament chez les humains. Leur ***protocole d'étude (plan écrit)*** vise à répondre aux principales questions de recherche en comparant les résultats de différents groupes qui comprennent soit le médicament expérimental, la norme de soins, la norme de soins en plus du placebo ou différentes combinaisons. Ces études peuvent être menées par un seul chercheur dans un hôpital ou une clinique, ou par plusieurs chercheurs dans un ou plusieurs pays.

Puisque les activités de la recherche clinique impliquent des médicaments et des sujets humains, leur innocuité est assurée par la mise en œuvre de règlements stricts. Par exemple, les essais cliniques de Phase I, II et III (renseignez-vous davantage au sujet des différentes phases des essais cliniques à la page 9) sont approuvés et supervisés par :

- Santé Canada
- Un comité ou un conseil de déontologie de chaque hôpital ou clinique qui participe à l'essai, et parfois par un Comité de surveillance des données et de la sécurité (CSDS), un groupe d'experts indépendant

Ces divers organismes de réglementation exigent du ***commanditaire*** (société pharmaceutique ou chercheur) de la recherche d'effectuer le suivi, d'évaluer et de signaler tout problème lié à la sécurité des participants et à la qualité des données générées par l'étude. Ces vérifications sont en place afin de démontrer que le commanditaire/chercheur se conforme aux normes de « bonne pratique clinique ».

En savoir plus

Innocuité et surveillance

Il y a beaucoup d'inconnu dans le cadre des essais cliniques, y compris les effets secondaires à court et à long terme du médicament à l'étude, ainsi que la réponse au traitement. De nombreuses mesures de protection sont en place pour minimiser les risques potentiels. Des règlements et la surveillance des organismes de réglementation permettent de maintenir l'équilibre entre les progrès médicaux et la sécurité des patients. De plus, l'équipe de recherche travaillera avec votre équipe de soins de santé afin de s'assurer que votre participation à l'étude est sécuritaire.

Il se peut que les participants soient soumis plus fréquemment à des tests au cours de l'essai et doivent se rendre plus souvent chez leur médecin que les patients qui ne participent pas à l'étude. Cette information vous sera expliquée lors de la discussion sur le consentement éclairé.

Phases de l'essai clinique

Il existe quatre phases (ou types) d'essais cliniques, et chacune est conçue en vue de répondre à des questions précises. La thérapie évaluée peut mettre en cause un nouveau médicament, une nouvelle combinaison de médicaments, ou une nouvelle posologie.

Phase I - Quel est le mode d'administration du nouveau médicament le plus approprié et sécuritaire?
L'essai de phase I vise à déterminer la dose optimale sécuritaire d'un nouveau médicament qui n'a jamais été testé chez des humains ou d'une nouvelle combinaison de médicaments. Ces essais impliquent un petit nombre de patients atteints d'un myélome. Cette phase peut aussi évaluer l'innocuité, la tolérance, les effets secondaires, la pharmacocinétique (comment l'organisme supporte et élimine le médicament), la pharmacodynamie (l'action du médicament sur l'organisme) et l'efficacité (son degré d'efficacité) d'un nouveau médicament. Un éventail de doses croissantes est souvent testé, et les doses initiales sont une fraction de la dose ayant eu des effets nuisibles dans le cadre d'expérimentation chez les animaux. Les doses continuent d'augmenter jusqu'à ce que la toxicité limitant la dose (TLD) soit identifiée (un effet secondaire qui provoque une toxicité inacceptable chez 1 ou plusieurs participants). On l'appelle la dose maximale tolérée (DMT).

Phase II - Les patients d'un groupe sélectionné répondent-ils bien au nouveau médicament?
L'essai de phase II implique généralement un plus grand nombre de participants que lors des essais de phase I. Les participants sélectionnés refléteront un type ou un stade particulier d'un myélome traité. En utilisant la DMT établie dans le cadre de l'essai clinique de phase I, l'objectif de l'essai consiste à évaluer l'efficacité du nouveau traitement dans le traitement du type ou du stade d'un myélome au sein du groupe de patients sélectionnés. Tous les participants dans cette phase reçoivent la même dose initiale. En cas d'effets secondaires, la dose peut être réduite.

Phase III - Le nouveau médicament est-il plus efficace que le traitement selon la norme de soins?
Seuls les médicaments efficaces, dont l'innocuité et les effets secondaires tolérables ont été validés, peuvent passer à l'essai clinique de phase III. Les essais de phase III comparent la « norme de soins » au nouveau traitement. Généralement, des centaines voire même des milliers de personnes participent à cette phase dans des centres de cancérologie à l'échelle mondiale.

Phase IV - Le nouvel agent fonctionne-t-il bien dans le « monde réel »?
L'essai de phase IV, parfois aussi appelé « évaluation après commercialisation » ou « programme ou essai d'accès étendu », est réalisé avec un médicament ayant déjà été autorisé par Santé Canada et pouvant être utilisé par les médecins. Ces essais peuvent être réalisés pour différentes raisons telles qu'évaluer les interactions avec d'autres médicaments ou évaluer l'efficacité d'un médicament dans un cadre plus naturel et moins contrôlé, ainsi que recueillir les données sur les effets secondaires à long terme. Le profil d'innocuité réel d'un médicament peut être établi uniquement en surveillant de façon continue l'innocuité, qui vise à détecter les effets secondaires rares ou à long terme sur une population de patients plus importante et sur une période de temps plus longue que ne le permettent les essais de phases I à III.

Résumé des phases des essais cliniques

Phase	Description
I	• Généralement de 15 à 30 personnes • Établir la DMT • Déterminer le meilleur mode d'administration (p.ex., par voie orale, par injection [***sous-cutané***], ou par perfusion [***voie intraveineuse***])? • Déterminer les effets de cet agent sur le corps
II	• Moins de 100 personnes en général • Utilise la DMT établie durant la phase I • Déterminer si l'agent a un effet sur un stade précis du cancer • Déterminer les effets de cet agent sur le corps
III	• 100 à 1 000 personnes • Comparer le nouvel agent ou la nouvelle intervention (ou la nouvelle utilisation d'un traitement) à la norme de soins actuelle
IV	• Plusieurs centaines à plusieurs milliers de personnes • Pour mieux évaluer l'innocuité et l'efficacité à long terme d'un nouveau traitement dans le « monde réel »

Dispositions assurant la protection des participants à l'étude

Pour garantir la protection des participants et la qualité des données, toutes les personnes qui participent à l'étude doivent jouer un rôle actif.

Société pharmaceutique ou commanditaire de l'étude

Le commanditaire de l'étude doit démontrer le bien-fondé de l'étude aux experts indépendants qui évalueront le concept proposé et le but de l'étude.

Chercheur principal

Le rôle du ***chercheur principal (CP)*** de l'étude est de préparer le protocole/plan d'étude (pour les études initiées par un chercheur; voir la page 17 pour de plus amples renseignements), de superviser l'étude et de s'assurer que toutes les approbations (p.ex., comité d'éthique, hôpital, Santé Canada) ont été reçues avant de débuter un essai. Plusieurs établissements/centres peuvent offrir le même essai clinique, et le même protocole est utilisé dans chacun.

Comités d'examen des établissements (CEE)/Comités d'éthique de la recherche (CER)

Un CEE/CER est une entité autonome non subventionnée ou liée à un chercheur, un fabricant ou ***organisme de recherche sous contrat et de gestion des sites.*** On retrouve parmi leurs membres, des professionnels de la santé, des avocats, des statisticiens et des éthiciens et des représentants de la communauté, et ceux-ci sont rémunérés à titre de consultants, sans égard à leurs décisions suite à la révision du protocole de recherche. Les membres des comités n'ont pas de conflits d'intérêts financiers liés à l'essai clinique en cours d'examen. La mission générale du CEE/CER est de protéger les sujets humains participants et de procéder à une évaluation éthique et scientifique approfondie du projet de recherche. Le comité a le pouvoir d'approuver, de rejeter ou demander des modifications avant d'approuver l'étude. Dans le cadre de leur mandat, ils peuvent déterminer la fréquence d'examen de l'essai une fois initié et en mettre fin si :

- le protocole n'est pas respecté par le chercheur;
- l'intervention de l'étude semble provoquer des effets nuisibles inattendus;
- une nouvelle intervention semble être potentiellement plus efficace que l'intervention de l'étude.

Comité de surveillance des données et de la sécurité (CSDS)

Les essais sont parfois supervisés par un CSDS, un comité indépendant formé de statisticiens, médecins et autres experts scientifiques qui :

- analysent de façon périodique les données de l'essai;
- s'assurent que les données sont complètes.

Si le traitement à l'étude semble présenter un avantage pour les participants, le CSDS peut recommander de mettre fin à l'essai avant son terme afin que les résultats puissent être évalués immédiatement par les organismes de réglementation en vue d'une approbation. Une recommandation voulant qu'un essai prenne fin plus tôt que prévu peut également être faite si la preuve démontre que le traitement à l'étude ne fonctionne pas ou provoque des effets secondaires graves ou potentiellement mortels.

Critères d'admissibilité (inclusion/exclusion)

Il existe certaines conditions à remplir pour pouvoir participer à une étude. Les ***critères d'inclusion*** (conditions auxquelles les participants doivent satisfaire) et ***critères d'exclusion*** (conditions auxquelles les participants ne doivent pas satisfaire) sont essentiels à l'obtention de résultats crédibles et uniformes. Voici quelques exemples de critères d'admissibilité : bien-être général (indice de performance), âge, type et stade du myélome, certains résultats de laboratoire, autres maladies ou conditions présentées par le patient (comorbidités), puis nombre et types de traitements antérieurs.

Déclaration de consentement éclairé

Le consentement éclairé vise à vous aider à prendre une décision réfléchie sur votre participation à un essai clinique. Il permet d'assurer que vous avez été informé et que vous comprenez tous les faits importants au sujet du protocole d'étude de l'essai clinique. Cela comprend les traitements pour chaque groupe de l'étude, les avantages et risques possibles liés à une participation à l'essai, les considérations financières, la

confidentialité, et plus encore. Le formulaire de consentement éclairé résume les renseignements essentiels concernant l'essai.

Une fois que vous avez lu et compris la déclaration de consentement éclairé, vous devez la signer pour confirmer votre acceptation de participer. Avant cela, assurez-vous de prendre le temps nécessaire pour obtenir des réponses à toutes vos questions et d'y réfléchir. Si vous avez des questions concernant l'essai, vous êtes encouragé à consulter votre médecin ou un membre de l'équipe de l'essai clinique avant ou pendant celui-ci. Une copie signée de votre formulaire de consentement éclairé vous sera remise, ainsi que les coordonnées des personnes-ressources de l'étude. Vous êtes invité à partager cette déclaration avec toute personne que vous estimez appropriée. Lorsque des mises à jour sont apportées à l'étude, vous serez informé au moyen d'un formulaire de consentement révisé. Vous avez également la possibilité de vous retirer de l'étude à tout moment.

En savoir plus

Abandon de l'étude

Le consentement éclairé est volontaire. Si vous décidez de ne pas participer, votre médecin ou votre infirmière discutera des options de traitement avec vous. Si vous êtes déjà inscrit à une étude, vous avez le droit de vous retirer de l'étude à tout moment, sans avoir à fournir de justification.

Retrait d'un participant de l'étude

Les conditions du retrait d'un participant sont expliquées dans le formulaire de consentement éclairé et peuvent varier d'une étude à l'autre. Si un participant ne respecte pas les exigences de l'étude, il peut être retiré de celle-ci.

Prenez connaissance de vos droits à titre de participant à une recherche

À titre de participant à une recherche, vous avez le droit d'être traité de manière équitable, respectueuse, et de ne subir aucune pression ou intervention lorsque vous devez prendre des décisions. Si vous demandez des renseignements au sujet d'une étude, vous avez également le droit d'être informé :

- de toutes vos options, outre la participation à l'étude;
- de ce que tente d'établir l'essai;
- des risques, effets secondaires et avantages possibles de l'étude;
- des médicaments, interventions ou appareils qui diffèrent de ceux utilisés dans le cadre d'un traitement standard; et
- des traitements qui sont disponibles si des problèmes médicaux surviennent.

En dernier lieu, tous les renseignements personnels recueillis dans le cadre d'un essai clinique sont confidentiels et protégés, même une fois l'étude terminée ou après avoir abandonné l'étude.

En savoir plus

Les résultats des essais cliniques font une différence

Nous pouvons acquérir de nouvelles connaissances et répondre à certaines questions concernant l'innocuité et l'efficacité des nouveaux médicaments ou approches thérapeutiques uniquement par le biais de la recherche clinique. Par le passé, et même aujourd'hui, des percées scientifiques importantes ont été rendues possibles grâce à la participation des patients aux essais cliniques. Leur implication est essentielle afin de permettre aux chercheurs de mieux comprendre la maladie et les moyens de la traiter de façon plus efficace.

Questions pour votre équipe de soins

À propos de l'étude

- Quel est le but de cette étude?
- Pourquoi les chercheurs croient-ils que l'approche peut être efficace?
- Qui finance l'étude?
- Qui a examiné et approuvé l'étude?
- Comment vérifie-t-on les résultats de l'étude et la sécurité des participants?
- Quelle sera la durée de l'étude?
- Quelles seront mes responsabilités si je participe?
- Est-ce que ma participation à l'étude restreint mes options de traitement pour l'avenir?

Risques et avantages possibles

- Quels sont les avantages et risques possibles à court et à long terme?
- Quelles sont mes autres options?
- Comment les risques et avantages possibles de cet essai se comparent-ils aux autres options?

Participation et soins

- À quels traitements, interventions et tests puis-je m'attendre au cours de l'essai? Seront-ils douloureux et, si tel est le cas, quelle sera la durée?
- En quoi les tests réalisés au cours de l'étude se comparent-ils aux tests auxquels je pourrais être soumis si je ne participais pas à l'essai?
- Pourrais-je prendre mes médicaments habituels lors de ma participation à l'essai clinique?
- À quel endroit vais-je recevoir mes soins médicaux et qui sera responsable de mes soins?

Problèmes personnels

- Quel impact ma participation à cette étude aura-t-elle sur ma vie au quotidien?
- Puis-je discuter avec d'autres personnes qui participent à l'étude?

Questions de coûts

- Devrais-je payer pour une partie des frais associés à l'essai (notamment pour les tests ou le médicament associé(s) à l'étude)? Si tel est le cas, à combien s'élèveront les coûts?

- Dois-je prévoir des frais de déplacement durant ma participation à l'essai?
- Devrais-je rester près du centre de traitement pendant un certain temps au cas où il y aurait des effets secondaires différés?
- Quels coûts seront couverts par mon régime d'assurance-maladie?
- Qui peut répondre aux questions de la compagnie d'assurance?

Évaluer les avantages et les inconvénients

Participer à un essai clinique est une décision volontaire qui vous revient entièrement. Avant d'accepter de participer, vous devez vous renseigner sur les avantages et les risques possibles d'un tel essai, ainsi que les autres options disponibles, et les responsabilités supplémentaires que vous pourriez avoir à assumer. Cela vous permettra de déterminer si, dans votre situation, les bénéfices de la participation surpassent les inconvénients. Vous devriez prendre le temps de discuter d'une participation éventuelle avec votre équipe de soins.

Les raisons pour lesquelles les personnes choisissent de participer à des essais cliniques sont variées. Certaines le font pour contribuer à l'avancement des connaissances médicales, tandis que d'autres le font parce que leur cancer ne répond pas aux traitements disponibles, etc. Que vous veniez de recevoir le diagnostic d'un myélome multiple, ou que votre myélome soit récidivant ou réfractaire, la participation à des essais cliniques comporte à la fois des avantages et des inconvénients dont il vous faut tenir compte.

Voici quelques avantages potentiels :
- Permettre de mieux comprendre la maladie
- Permettre aux chercheurs de mettre au point de meilleurs traitements ou de faire avancer la recherche sur le myélome afin d'améliorer la façon dont seront traités les patients dans le futur

Voici certains inconvénients potentiels :
- Éprouver des effets secondaires connus et inconnus
- Temps et coûts supplémentaires liés aux déplacements vers l'hôpital ou la clinique pour les visites dans le cadre de l'étude
- Être soumis plus fréquemment à des tests

La recherche en myélome au Canada

Canadian Myeloma Research Group (CMRG)

Le CMRG est le seul organisme à se consacrer exclusivement à la recherche sur le myélome au Canada. Il est composé de plus de 50 chercheurs répartis dans 30 centres de recherche et est reconnu comme un chef de file mondial de la recherche sur le myélome. Le CMRG contribue à ce que les découvertes de pointe réalisées en laboratoire fassent l'objet d'essais cliniques rapides et efficaces pour les patients canadiens, possède l'une des bases de données sur le myélome multiple les plus importantes et les plus complètes au monde, et collabore avec de nombreux centres à travers le Canada pour mener une recherche translationnelle dynamique. Pour en savoir plus : www.cmrg.ca.

Groupe canadien des essais sur le cancer (GCEC)

Le GCEC est un groupe universitaire coopératif d'oncologie qui conçoit et réalise des essais cliniques afin d'évaluer des traitements contre le cancer, des soins de soutien et des interventions de prévention dans tout le Canada. Le groupe est un réseau collaboratif de chercheurs, de médecins, de scientifiques, de statisticiens et de patients reconnu internationalement pour trouver les traitements qui permettent aux personnes atteintes d'un cancer de vivre plus longtemps et d'avoir une meilleure qualité de vie. Pour en savoir plus : www.ctg.queensu.ca.

(Québec seulement) Le Réseau de recherche en oncologie clinique du Québec (Q-CROC)

Q-CROC est un organisme sans but lucratif fondé en 2008 qui coordonne un réseau de recherche clinique en cancer, regroupant 18 institutions de soins de santé à travers la province du Québec. Son objectif est de développer des solutions visant à optimiser le recrutement de participants aux essais cliniques et à accroître les connaissances en recherche clinique. Pour en savoir plus : https ://qcroc.ca.

(Québec seulement) Oncopole

L'Oncopole, pôle cancer du FRQS, est un pôle de recherche, de développement et d'investissement visant à accélérer la lutte contre le cancer. Sa mission est d'agir comme catalyseur des initiatives déployées par l'écosystème de la recherche et de l'innovation en oncologie au Québec. Ses priorités d'action, axées sur la recherche, l'entrepreneuriat, la valorisation, l'intégration de l'innovation, et la pertinence clinique, sont orchestrées dans le but de favoriser la mobilisation des parties prenantes, la découverte d'approches innovantes pour lutter contre le cancer et, ultimement de générer des retombées positives au bénéfice des patients. Pour en savoir plus : https ://oncopole.ca.

En savoir plus

Trouver des essais cliniques au Canada

Pour effectuer une recherche sur les essais cliniques qui recrutent des patients au Canada, veuillez visiter les sites Web suivants :

1. www.myeloma.ca/fr/vivre-avec-un-myelome/essais-cliniques/trouver-des-essais-cliniques/
   Trouver des essais cliniques sur le myélome qui recrutent des patients au Canada
2. www.cmrg.ca/research/clinical-trials
   La seule organisation dédiée exclusivement à la recherche sur le myélome au Canada.
3. www.canadiancancertrials.ca
   Un site Web canadien qui vous permet de faire une recherche par type de cancers et endroit.
4. www.clinicaltrials.gov
   Ce site Web est un service offert par le *U.S. National Institute of Health.*
5. https://health-products.canada.ca/ctdb-bdec/?lang=fre
   Base de données des essais cliniques de Santé Canada.
6. (Québec seulement) https://www.oncoquebec.com/home/onco-plus
   Onco+ est un service d'accompagnement gratuit qui permet de guider toute personne touchée par le cancer ou tout professionnel de la santé dans la recherche d'un essai clinique.

En savoir plus

Essais initiés par l'industrie ou un chercheur

Les sociétés pharmaceutiques peuvent commanditer leurs propres essais cliniques ou appuyer les essais initiés par un chercheur (en milieu universitaire). Dans les deux cas, elles doivent collaborer avec les chercheurs en milieu universitaire et les établissements médicaux.

Bien que les protocoles d'étude puissent être rédigés par le chercheur principal (essais en milieu universitaire) ou par une société pharmaceutique (essais initiés par l'industrie), les études ont un objectif commun : offrir des traitements nouveaux et meilleurs, en minimisant les effets secondaires. En ce qui a trait aux essais initiés par l'industrie, ceux-ci aboutissent généralement à une demande soumise à Santé Canada pour l'approbation des médicaments, au remboursement provincial et, au bout du compte, à la génération de recettes. Toutefois, la recherche en milieu universitaire s'intéresse principalement à répondre aux questions qui ne sont généralement pas traitées dans le cadre d'essais initiés par l'industrie, comme des posologies plus convenables, des combinaisons de médicaments plus rentables, les mécanismes de la maladie et la médecine fondée sur des données probantes pour améliorer la santé des patients.

La recherche clinique sur le myélome a évolué de façon considérable au cours des dernières années. Les groupes, tels que les fondations, les établissements médicaux, les groupes de bénévoles ou les groupes d'oncologie coopératifs, mènent maintenant des essais cliniques.

Critères communs utilisés pour les essais sur le myélome

Certaines études peuvent adopter différentes définitions pour décrire la réponse de la maladie au traitement et pour évaluer son efficacité de manière précise. Il est donc primordial de consulter le protocole de l'étude afin de comprendre les termes employés dans cette étude.

Voici les catégories de réponse au traitement de l'International *Myeloma Working Group* (IMWG). L'IMWG est un groupe de travail international sur le myélome qui mène des projets de recherche visant à améliorer la réponse aux traitements chez les personnes atteintes d'un myélome. Il élabore également les lignes directrices du traitement pour la communauté internationale du myélome.

- **Réponse complète stricte :** Réponse complète plus ratio normal de ***chaînes légères libres*** et absence de cellules clonales dans la mœlle osseuse.
- **Réponse complète :** Aucune protéine monoclonale (protéine M) sérique et urinaire détectable, inhibition des ***plasmocytes dans les tissus mous (tumeurs extramédullaires)*** et 5 % ou moins de plasmocytes (cancéreux) dans la mœlle osseuse.
- **Très bonne réponse partielle :** Protéine M sérique et urinaire détectable par

immunofixation et non par ***électrophorèse*** ou diminution minimale de 90 % de la protéine M sérique et protéine M urinaire inférieure à 100 mg par 24 heures.

- **Réponse partielle :** Diminution de 50 % ou plus de la protéine M sérique et diminution de la protéine M urinaire de 90 % ou plus en 24 heures, ou à moins de 200 mg par 24 heures. S'il est impossible de mesurer la protéine M sérique ou la protéine M urinaire, une diminution minimum de 50 % de la différence entre les taux de chaînes légères libres impliquées et non impliquées. S'il est impossible de mesurer les chaînes légères, la réponse partielle est définie comme une diminution de 50 % ou plus de plasmocytes (cancéreux) dans la mœlle osseuse, pour autant que la valeur de référence était de 30 % ou plus. Si des plasmocytes des tissus mous (tumeur extramédullaire) étaient présents au point de référence, une diminution de 5 % ou plus de la taille des plasmocytes est également requise.
- **Réponse minimale :** Diminution de 25 à 49 % (inclusive) de la protéine M sérique et diminution de la protéine M urinaire de 50 à 89 % en 24 heures. En plus de ces critères, si présents au point de référence, une diminution de 50 % ou plus de la taille des plasmocytes des tissus mous (tumeurs extramédullaires) est également requise.
- **Maladie stable :** Qui ne répond pas aux critères ci-dessus ou maladie progressive. Il n'est pas suggéré d'utiliser «maladie stable» comme indicateur de réponse puisque la stabilité de la maladie est mieux décrite en estimant l'intervalle sans progression.
- **Maladie progressive :** Nécessite une augmentation de 25 % d'un ou plusieurs des facteurs suivants :
  - Protéine M sérique
  - Protéine M urinaire
  - S'il est impossible de mesurer les taux de protéine M sérique et urinaire, la différence entre les taux de CLL impliquées et non impliquée
  - S'il est impossible de mesurer les chaînes légères libres, le pourcentage de plasmocytes dans la mœlle osseuse
  - Développement d'une/de nouvelle(s) lésion(s)
  - Si ceci est la seule mesure de la maladie, une augmentation des plasmocytes circulants

Selon l'essai, certains critères supplémentaires sont parfois utilisés :

- **MRM (Maladie résiduelle minime) :** Il s'agit d'une technique très sensible pouvant mesurer des traces de cellules myélomateuses dans la mœlle osseuse pendant ou après le traitement.
- **SG (Survie globale) :** Période à partir de la da**te de diagnostic ou du début du traitement où le patient est toujours en vie.**
- **SSP (Survie sans progression) :** Période pendant et après le traitement où un patient vit avec la maladie et pendant laquelle la maladie ne progresse, ni ne s'aggrave.
- **ISP (Intervalle sans progression) :** Période à partir de la date de diagnostic ou du début du traitement, jusqu'à ce que la maladie s'aggrave et progresse.





Que se passe-t-il lorsque l'essai clinique est terminé?

Analyse statistique

Lorsqu'un essai clinique est terminé, les renseignements qui sont recueillis pendant l'étude sont examinés minutieusement par des chercheurs avec l'aide d'une équipe de statisticiens qualifiés. Les statisticiens analysent les données et les ***paramètres d'évaluation*** de l'essai sont évalués (p.ex., posologie optimale ou critères de réponse). Lorsque deux ou plusieurs traitements sont comparés, les statisticiens calculeront également s'il y a une différence ***statistiquement significative*** entre les groupes de traitement expérimental et témoin (norme de soins), afin de s'assurer que la différence observée n'est pas un hasard.

Résultats de la recherche

De plus, tous les renseignements sur l'innocuité qui sont recueillis sont compilés et analysés afin de déterminer les risques associés au traitement expérimental. Les résultats des essais cliniques sont souvent publiés dans des revues scientifiques avec ***comité de lecture***.

Suite aux essais de phases précoces (phase I ou II), les chercheurs examinent, en règle générale, tous les résultats afin de décider s'ils passent à la prochaine phase de l'essai ou mettent fin à l'étude du nouvel agent, en raison d'un manque d'innocuité ou d'efficacité. Suite aux essais cliniques de phase III, les chercheurs évaluent les données compilées sur l'innocuité et l'efficacité afin de décider si le nouveau traitement a le potentiel d'être accepté comme nouvelle norme de soins.

Approbation d'un nouveau médicament par Santé Canada

Avant qu'un médicament puisse être utilisé au Canada, il doit être soumis au processus d'approbation rigoureux de Santé Canada. Santé Canada ne tient pas uniquement compte de l'innocuité d'un nouveau médicament, mais également de l'équilibre entre les risques et les avantages.

Si la demande de la compagnie pharmaceutique est approuvée, Santé Canada émet un avis de conformité (AC) et assigne un numéro d'identification du médicament (DIN) au médicament en question. Ceci permet alors à la compagnie de commercialiser le nouveau médicament au Canada.

Une fois qu'un nouveau médicament contre le cancer est approuvé au Canada, le fabricant doit soumettre une demande à l'organisme d'évaluation mis en place par le ministre provincial ou territorial de la santé pour formuler des recommandations visant à déterminer si les nouveaux médicaments doivent ou non faire partie des listes de médicaments remboursés.

Si le médicament est approuvé, l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) en négociera le prix conjointement avec le fabricant du médicament au nom des gouvernements fédéral, provinciaux et territoriaux du Canada.

En réalité, la plupart des régimes d'assurance-médicaments provinciaux continuent de prendre leurs propres décisions en ce qui a trait aux médicaments qui sont ajoutés à la liste des médicaments remboursables. Ainsi, la couverture de nouveaux médicaments varie souvent à travers le pays.

De l'approbation au financement : Les nombreuses étapes avant que soit couvert un médicament

Lorsqu'un nouveau médicament anticancéreux est approuvé pour usage au Canada, il est soumis à un processus d'évaluation des technologies de la santé (ETS) qui évalue les avantages cliniques par rapport au coût.

Le fabricant doit présenter une demande au Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux (PPEA) de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) pour évaluation. Le Programme pancanadien d'évaluation des anticancéreux (PPEA) est un processus d'évaluation des médicaments oncologiques fondé sur les preuves qui évalue les médicaments anticancéreux et permet d'émettre des recommandations aux provinces et territoires canadiens (à l'exception du Québec) pour éclairer leurs décisions en matière de financement d'un médicament. Au Québec, l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) émet des recommandations et développe des guides de pratique clinique afin d'assurer l'usage optimal d'un médicament.

Durant cette étape du processus d'évaluation, les patients, les proches aidants, les organisations de patients et les cliniciens ont l'occasion de fournir des commentaires sur l'arrivée du médicament en cours d'évaluation sur le marché. Grâce à un formulaire, il est possible de partager les points de vue des patients, de leurs proches et des cliniciens afin d'améliorer la pertinence et la qualité de ces évaluations. Ces renseignements se concentreront principalement sur l'expérience des patients avec la maladie ou le traitement, ainsi que sur la nature de leurs besoins futurs.

Dans la prochaine étape du processus, l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) mène des négociations de prix communes avec les fabricants de médicaments au nom des gouvernements fédéral, provincial et territorial pour les nouveaux médicaments au Canada. Tous les nouveaux médicaments qui reçoivent une recommandation positive du

PPEA sont ensuite soumis à une négociation de prix par le biais de l'APP.

Malgré les processus d'examen nationaux qui sont en place, la plupart des régimes publics d'assurance-médicaments continuent de prendre leurs propres décisions quant aux médicaments qu'ils ajouteront ou non à la liste. Ainsi, la couverture de nouveaux traitements varie souvent à travers le pays. Dans certains cas, même lorsqu'un nouveau médicament est ajouté à la ***liste de médicaments***, sa recevabilité est établie au cas par cas. Ce processus d'autorisation particulier requiert que votre médecin écrive une lettre au régime médicament expliquant pourquoi vous avez besoin de ce médicament en particulier.

En savoir plus

Examen en vue du remboursement à durée limitée et utilisation de preuves en contexte réel par l'ACMTS

- Examen en vue du remboursement à durée limitée et preuves en contexte réel
- Conformément aux tendances internationales en matière de génération de preuves et de politiques d'approbation des médicaments, l'ACMTS a collaboré avec des parties prenantes comme Myélome Canada pour élaborer les Orientations relatives aux preuves du contexte réel, établissant ainsi un processus d'examen en vue du remboursement à durée limitée. Ces orientations fixent des normes que doivent respecter les chercheurs et les examinateurs pour la collecte, l'analyse et l'évaluation des données probantes du monde réel dans le cadre des évaluations des technologies de la santé et des examens en vue du remboursement. L'intégration de preuves en contexte réel permet d'étudier de manière plus approfondie des populations plus restreintes, telles que les patients plus jeunes ou ceux qui ne sont pas éligibles à une greffe, et offre une vision plus complète de l'expérience des patients avec un traitement, en particulier lorsqu'aucune norme de soins n'est disponible pour comparaison. Le processus d'examen en vue du remboursement à durée limitée permet de faciliter le remboursement de médicaments prometteurs aux stades précoces de leur développement par les régimes publics d'assurance médicaments, pour une période limitée de trois ans. Les fabricants doivent démontrer à l'ACMTS qu'ils disposent d'un plan solide pour poursuivre l'étude du médicament dans le cadre d'un essai clinique de phase III. En cas de recommandation de remboursement à durée limitée, ils doivent soumettre des données actualisées à l'ACMTS à la fin de la période « limitée ». Bien qu'encore à leurs débuts, ces deux initiatives présentent un fort potentiel pour améliorer l'accès à des traitements révolutionnaires pour les personnes atteintes d'un myélome multiple.

En savoir plus

Accès aux nouvelles options de traitement

Les essais cliniques donnent accès à de nouvelles options de traitements qui n'ont pas encore été approuvés par Santé Canada ou qui ne sont pas encore couverts par les gouvernements provinciaux. Lorsqu'un nouveau traitement est approuvé par Santé Canada, le processus de remboursement provincial peut prendre jusqu'à deux ans – parfois plus. Au cours de cette période, vous pouvez obtenir le médicament par l'entremise d'un essai clinique ou :

- payer vous-mêmes le médicament;
- par l'entremise d'un régime d'assurance-médicaments privé (de nombreux régimes privés ont également des formulaires ou des listes des médicaments couverts);
- par l'entremise de programmes d'accès pour des raisons humanitaires (offerts par des sociétés pharmaceutiques).

Dans certains cas, les fabricants de médicaments payeront une partie ou la totalité des frais associés au médicament si vous répondez à certains critères d'admissibilité financière. Certaines sociétés pharmaceutiques offrent des services gratuits qui vous permettront d'effectuer une recherche afin d'obtenir une couverture pour des médicaments en particulier.

Prenez connaissance de vos options et de votre couverture d'assurance-maladie

Afin de minimiser vos frais, il peut être nécessaire de faire une recherche afin de vous assurer d'avoir un accès optimal aux nouveaux médicaments d'ordonnance.

- Certaines provinces offrent une assurance-médicaments uniquement aux personnes âgées de 65 ans et plus ou aux prestataires d'aide sociale. Dans d'autres provinces, divers régimes sont proposés, dont une couverture spéciale pour les personnes qui doivent débourser des frais importants pour leurs médicaments. Les médicaments fournis par les centres de cancérologie peuvent également varier d'une province à l'autre. Renseignez-vous auprès du travailleur social, du conseiller en remboursement de médicaments ou du pharmacien de votre équipe de soins ou communiquez avec le ministère provincial de la Santé pour obtenir de plus amples renseignements au sujet de vos options. Si vous bénéficiez d'un régime d'assurance privée ou d'une assurance-médicaments au travail, prenez le temps de réviser vos couvertures.
- Si vous occupez un emploi, rencontrez un représentant du service de ressources humaines ou un représentant syndical afin de mieux comprendre vos couvertures. Demandez à votre médecin quels médicaments vous seront possiblement prescrits et vérifiez si votre régime couvre ces médicaments. S'il y a lieu, essayez de coordonner vos prestations pharmaceutiques afin qu'un médicament qui n'est pas recevable par un régime le soit par un autre.

- Certains régimes d'assurance privée exigent que vous payiez la facture avant de présenter une demande de remboursement. Si ceci pose un problème pour vous (p. ex. si vous avez besoin d'un médicament très dispendieux), demandez à votre compagnie d'assurance de permettre à la pharmacie de lui faire parvenir la facture directement.
- N'hésitez pas à défendre vos droits. Par exemple, si votre régime d'assurance-maladie (au travail) ne couvre pas certains médicaments, demandez à votre employeur ou votre directeur des ressources humaines si la compagnie peut faire exception dans votre cas. Ou demandez à votre employeur s'il peut renoncer à votre limite de couverture.
- Trouvez quelqu'un qui est prêt à travailler avec vous pour obtenir la couverture dont vous avez besoin. Cette personne (parent, ami, etc.) peut défendre vos droits lorsque vous n'en avez pas l'énergie.
- Si on vous refuse la couverture d'un médicament dont vous avez besoin, n'hésitez pas à contester la décision. Parfois, le refus peut être tout simplement une erreur. Les compagnies d'assurance changeront parfois d'idée si vous contestez la décision.
- Certaines sociétés pharmaceutiques offrent des services gratuits qui vous permettront d'effectuer une recherche afin d'obtenir une couverture pour des médicaments en particulier. Parfois, un programme d'accès à titre humanitaire est offert aux patients nécessitant le médicament. Parlez avec votre équipe de soins et faites des recherches en ligne afin de déterminer si vous êtes admissibles à ce programme.





Immunothérapies en cours de développement dans le cadre d'essais cliniques

Qu'est-ce que l'immunothérapie?

L'immunothérapie, comme traitement du myélome, est un traitement qui agit en stimulant le système immunitaire de l'organisme afin qu'il reconnaisse et élimine les cellules myélomateuses. En raison de la nature complexe de la réponse du ***système immunitaire*** et de ses divers composants, les traitements d'immunothérapie peuvent agir de différentes façons.

Le premier type d'immunothérapie à avoir été utilisé est l'allo***greffe de cellules souches*** (provenant d'un donneur), également appelée greffe de mœlle osseuse, car elle se sert du système immunitaire d'un donneur compatible en santé pour attaquer les cellules myélomateuses du receveur. Il peut s'agir des cellules souches d'un parent, généralement un frère ou une sœur, ou d'un donneur compatible non apparenté. Encore aujourd'hui, cette approche demeure un domaine actif de la recherche et fait appel à un petit nombre de patients sélectionnés dans le cadre d'un essai clinique.

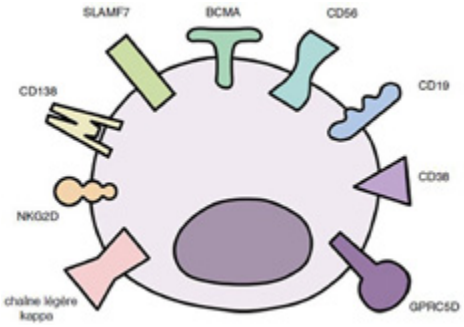
Ciblage d'antigènes

Pour que l'immunothérapie soit optimale, le traitement doit cibler les antigènes qui sont généralement plus nombreux à la surface des cellules myélomateuses, mais qui ne sont pas présents sur la plupart des cellules saines. Certains antigènes peuvent également se trouver à la surface d'autres cellules, qui ne sont donc pas toutes des cibles possibles pour l'immunothérapie.

De nombreuses nouvelles approches d'immunothérapie ont été développées pour cibler l'antigène de maturation des lymphocytes B (BCMA en anglais), cet antigène étant produit en grande quantité par presque toutes les cellules myélomateuses à l'exception des plasmocytes sains. Il existe également des antigènes spécifiques à la surface des lymphocytes T qui pourraient être utiles pour « recruter » les lymphocytes T et renforcer la destruction des cellules myélomateuses (par ex., CD3) qui pourraient être utiles pour « recruter » les lymphocytes T et renforcer la destruction des cellules myélomateuses.

La **figure 2** illustre certaines cibles d'antigènes de cellules myélomateuses qui ont été étudiées ou sont en cours d'étude (au moment de la publication du présent document) dans des essais cliniques.

Figure 2 – Cibles d'antigènes de cellules myélomateuses



Pour en apprendre davantage sur l'immunothérapie, nous vous invitons à consulter le site Web de Myélome Canada (www.myelome.ca) ou à lire l'InfoGuide L'immunothérapie comme traitement du myélome de Myélome Canada.

Recherche en cours

Actuellement, des recherches approfondies sont menées sur les précurseurs d'un myélome multiple, notamment la gammapathie monoclonale de signification indéterminée (MGUS) et le myélome multiple indolent, dans le but de déterminer le moment le plus approprié pour débuter le traitement. Des études explorent également l'impact des facteurs génétiques sur la progression de la maladie et les réponses aux différents traitements, dans le but de développer des plans de traitement plus personnalisés. Des recherches exhaustives portent sur différentes thérapies cellulaires telles que la ***thérapie par lymphocytes T à récepteur antigénique chimérique (CAR-T)***, les thérapies par anticorps bispécifiques ou trispécifiques, avec des cibles génétiques variées, sont en cours. Par ailleurs, les thérapies CAR-T à base de ***cellules tueuses naturelles*** sont à l'étude, une option potentielle prête à l'emploi qui ne présente pas de risque de maladie du greffon contre l'hôte. Les chercheurs évaluent également de nouveaux traitements en première ligne afin d'optimiser le séquençage thérapeutique et de maximiser l'efficacité. Cela comprend l'étude de différentes combinaisons de nouveaux traitements et de traitements existants.

Nouveaux traitements et thérapies émergentes à l'étude

Plusieurs nouveaux traitements sont en développement, notamment :

- Belantamab mafodotin (Blenrep; belamaf) – conjugué anticorps-médicament qui cible l'antigène BCMA
- Elranatamab (PF-06863135; Elrexfio) – anticorps bispécifique qui cible l'antigène BCMA, ainsi que CD3 (présents sur les lymphocytes T)

- Teclistamab (Tecvayli) – anticorps bispécifique qui cible l'antigène BCMA, ainsi que CD3 (présents sur les lymphocytes T)
- Talquetamab (JNJ-64407564; Talvey) – anticorps bispécifique qui cible l'antigène GPRC5D, ainsi que CD3 (présents sur les lymphocytes T)
- Cevostamab (BFCR4350A) – anticorps bispécifique qui cible l'antigène FcRH5 ainsi que CD3 (présents sur les lymphocytes T)
- ABV-383 – anticorps bispécifique qui cible l'antigène BCMA, ainsi que CD3 (présents sur les lymphocytes T)
- Linvoseltamab – anticorps bispécifique qui cible l'antigène BCMA, ainsi que CD3 (présents sur les lymphocytes T)
- Forimtamig (RO-7425781) – anticorps bispécifique qui cible l'antigène GPRC5D, ainsi que CD3 (présents sur les lymphocytes T)
- AZD0305 – conjugué anticorps-médicament qui cible l'antigène GPRC5D
- SAR445514 – anticorps trispécifique qui cible l'antigène BCMA, ainsi que CD16a et NKp46 (présents sur les cellules tueuses naturelles)
- SAR442257 – anticorps trispécifique qui cible l'antigène CD38, ainsi que CD28 et CD3 (présents sur les lymphocytes T)

Autres immunothérapies émergentes faisant l'objet d'essais cliniques

- Iberdomide (CC-220) – modulateur de la ligase du complexe Cereblon E3 qui cible le cereblon
- Mezigdomide (CC-92480) – modulateur de la ligase du complexe Cereblon E3 qui cible le cereblon
- Venetoclax (Venclexta) – inhibiteur de survie qui cible la protéine BCL-2

Recherche portant sur la qualité de vie

En raison de l'importance croissante de l'implication des patients dans la conception de la recherche et dans l'intégration des résultats rapportés par les patients, des efforts considérables sont déployés pour améliorer la qualité de vie des patients sous traitement. Cela comprend l'évaluation d'options telles que l'exercice ou la physiothérapie, et l'administration de traitements à domicile tel que le bortézomib (par ex., Velcade), et des dispositifs portables pour détecter précocement les effets secondaires de l'immunothérapie afin de les minimiser.

L'avenir de la recherche sur le myélome

La recherche sur le myélome évolue constamment et s'accroît à un rythme incroyable, si bien que plusieurs des traitements abordés pourraient être approuvés pour traiter le myélome au moment de publier cet InfoGuide. De nouveaux traitements plus personnalisés sont en cours de développement, ce qui offrira plus d'options aux personnes atteintes d'un myélome. Les essais cliniques à venir continueront d'évaluer également plusieurs approches de traitement du myélome par polythérapie afin de déterminer les meilleures combinaisons et l'utilisation séquentielle optimale.





Priorités en recherche sur le myélome au Canada

Partenariat pour l'établissement des priorités en recherche sur le myélome (PEP)

Notre implication dans le PEP sur le myélome reflète notre engagement à soutenir la recherche qui compte le plus pour les membres de notre communauté touchés par cette maladie complexe.

Lancé à l'automne 2019, le Partenariat pour l'établissement des priorités en recherche (PEP) de Myélome Canada est un projet unique qui a sondé la communauté canadienne du myélome afin de déterminer les 10 questions de recherche prioritaires sur le myélome. Un comité pancanadien (composé de patients atteints d'un myélome, de proches aidants et de professionnels de la santé) a collaboré par le biais du processus établi de la James Lind Alliance (JLA) pour passer de 3000 questions initiales à 10 questions prioritaires. Ce processus exhaustif a été réalisé par le biais de sondages auprès de la communauté, d'analyses et d'un atelier de concertation.

De nombreux thèmes communs ont émergé de la banque de questions reçues, la plupart d'entre eux étant axés sur :

- l'amélioration du temps et du processus diagnostique;
- le mode de vie;
- la qualité de vie.

Bien que le PEP visait à déterminer les 10 questions prioritaires, nous avons sauvegardé toutes les questions aux fins de consultations futures.

Priorités en recherche du PEP

Voici les 10 questions de recherche prioritaires sur le myélome définies par le PEP sur le myélome :

1. Comment peut-on guérir le myélome?
2. Les nouvelles immunothérapies sont-elles efficaces pour traiter le myélome?
3. Comment pouvons-nous améliorer le diagnostic du myélome (plus rapidement, de manière moins invasive, etc.), et quel est l'impact d'un diagnostic précoce sur la situation globale des patients?

4. Quels sont les nouveaux traitements pour les patients atteints d'un myélome qui amélioreront leur espérance de vie en ayant moins d'effets secondaires indésirables?
5. Comment pouvons-nous personnaliser le traitement d'un patient en fonction de son type de myélome et de son profil génétique, et quel est l'impact de la médecine personnalisée sur l'efficacité du traitement et l'évolution de la maladie?
6. Comment prévenir la détérioration des os ou réparer les os qui ont été endommagés sans effets secondaires négatifs ni chirurgie?
7. Comment peut-on réduire, cycler ou arrêter en toute sécurité l'utilisation des médicaments anti-myélome afin de réduire les effets secondaires du traitement et de garder le contrôle sur le myélome?
8. Comment pouvons-nous réduire ou gérer les effets indésirables à court et à long terme du traitement du myélome?
9. Quelle est la manière la plus efficace (combinaisons de médicaments, séquence, fréquence et intensité) de traiter le myélome réfractaire, récidivant et résistant aux médicaments?
10. Pouvons-nous développer des traitements spécifiques pour le myélome à haut risque ou agressif qui amélioreront la situation globale des patients qui en sont atteints?





Glossaire

Accès pour des raisons humanitaires : Dans certaines situations, les sociétés pharmaceutiques offrent des programmes d'accès pour des raisons humanitaires. Celles-ci fournissent un médicament approuvé par Santé Canada, mais qui n'est pas encore remboursé pour les groupes de patients qui n'ont plus d'autres options en termes de traitements autorisés et qui ne peuvent participer à des essais cliniques.

Le programme d'accès privilégié de Santé Canada permet aux praticiens de demander l'accès à des médicaments qui ne sont pas vendus au Canada. Cet accès est limité aux patients atteints d'une affection grave ou potentiellement mortelle, pour des raisons humanitaires ou urgentes, lorsque les traitements habituels s'avèrent inefficaces, inadéquats, ou qu'ils ne sont pas disponibles.

Anticorps (immunoglobulines) : Protéines produites par certains globules blancs (plasmocytes) pour combattre une infection et une maladie sous forme d'antigènes : bactéries, virus, toxines ou tumeurs. Chaque anticorps peut se fixer uniquement sur un antigène spécifique. Le but de cette fixation est de contribuer à détruire l'antigène. Les anticorps peuvent agir de plusieurs façons, selon la nature de l'antigène. Certains anticorps neutralisent directement l'antigène. D'autres rendent l'antigène plus vulnérable à la destruction par d'autres types de leucocytes (globules blancs). Les anticorps sont des molécules en forme d'Y qui ont des chaînes lourdes et légères (portions). Ces portions contiennent des sites de liaison précis qui se fixent aux bactéries ou aux virus, ce qui mène finalement à leur destruction, protégeant ainsi contre la maladie.

Avis de conformité : Un avis émis par Santé Canada indiquant qu'un fabricant a respecté les articles spécifiques du Règlement sur les aliments et drogues à la suite de l'examen satisfaisant d'une demande.

Cellules tueuses naturelles : Cellules qui reconnaissent et détruisent les cellules qui ont été infectées par des virus ou affectées par un cancer. Elles sont responsables de la surveillance des tumeurs, peuvent induire de fortes réponses aux tumeurs en libérant des cytokines et n'ont pas besoin de reconnaître un antigène spécifique pour fonctionner.

Chaînes légères libres : Partie de la protéine M (protéine monoclonale, paraprotéine, pic-M) qui circule dans le sang dans un état libre (non fixées). Les chaînes légères libres peuvent être mesurées par un test sensible, le test Freelite®.

Chercheur principal : La personne qui est responsable d'un essai clinique à un site particulier. Il prépare (seulement pour les études initiées par un chercheur) et réalise le protocole d'étude de l'essai clinique (plan écrit), recrute et veille sur les patients qui

participent à la recherche, et fait un rapport sur les résultats de l'essai. Il est souvent désigné comme étant le CP.

Comité de lecture : Évaluation des travaux scientifiques, universitaires ou professionnels par d'autres œuvrant dans le même domaine.

Commanditaire de la recherche : Un individu, un établissement, une compagnie ou une organisation qui est responsable de mettre en œuvre, d'administrer et de financer l'essai clinique. Les commanditaires ne réalisent pas l'étude.

Critères d'inclusion et d'exclusion : Les caractéristiques qui qualifient ou disqualifient les futurs participants à un essai clinique. Ces critères peuvent inclure des facteurs tels que l'âge, le sexe, le type et le stade de la maladie, les traitements antérieurs suivis, la présence/absence d'autres états de santé.

Effets secondaires (événements indésirables) : Problèmes qui surviennent en raison des médicaments utilisés pour traiter la maladie. Les effets secondaires courants de la chimiothérapie sont, par exemple, la fatigue, des nausées, des vomissements, une baisse de la numération globulaire, etc.

Électrophorèse : Test effectué en laboratoire au cours duquel le sérum (sang) du patient ou les molécules de son urine est/sont soumis à une séparation en fonction de leur taille et de leur charge électrique. Pour les patients atteints d'un myélome, l'électrophorèse sérique ou urinaire permet à la fois d'évaluer la quantité de la protéine d'un myélome (protéine M) et de définir la caractéristique du « pic monoclonal » de chaque patient. L'électrophorèse sert à la fois d'outil de diagnostic et d'outil de contrôle. Il existe deux types d'électrophorèse :

- Électrophorèse des protéines sériques (EPS ou EPPS)
- Électrophorèse urinaire (EU ou EPU)

Essais cliniques : Des projets de recherche réalisés avec auprès de patients afin d'évaluer de nouveaux traitements ou de nouvelles façons d'associer ou d'administrer des traitements existants. En mettant à l'essai de nouveaux médicaments ou de nouvelles combinaisons de médicaments, chaque étude vise à trouver de meilleures façons de traiter la maladie, ainsi qu'à améliorer la qualité de vie et à répondre à des questions scientifiques et cliniques. L'objectif général des essais cliniques est d'améliorer les soins offerts aux patients et les résultats.

Évaluation des technologies de la santé : Une évaluation exhaustive de l'efficacité clinique, du rapport coût-efficacité, et des conséquences sur le plan de l'éthique, juridique et social des technologies de la santé sur la santé des patients et sur le système de soins de santé.

Formulaire : Liste des médicaments sur ordonnance pouvant être prescrits par les médecins. Les formulaires sont tenus à jour par un comité d'expertise sur les médicaments et peuvent contenir des résumés des renseignements pharmacologiques ainsi que des renseignements d'ordre administratif et réglementaire sur la prescription et la dispensation. Les formulaires nationaux sont généralement axés sur les médicaments disponibles et abordables; cependant, les formulaires sont fréquemment créés pour différents niveaux de soins de santé (c.-à-d., provincial), différents secteurs et hôpitaux.

Greffe de cellules souches : Intervention par laquelle des cellules souches hématopoïétiques sont administrées par voie intraveineuse à un patient pour remplacer

les cellules souches qui ont été intentionnellement détruites par un traitement de radiothérapie ou de chimiothérapie à forte dose. Les patients peuvent recevoir leurs propres cellules souches (autogreffe) ou les cellules souches d'un donneur (allogreffe). L'autogreffe est la norme de soins et l'approche thérapeutique la plus couramment utilisée pour les patients atteints d'un myélome nouvellement diagnostiqué et admissibles à une greffe. Bien qu'il s'agisse d'une « greffe » de cellules souches, aucun prélèvement d'organe d'un donneur vers un receveur n'est effectué. Comme les cellules souches étaient traditionnellement prélevées directement dans la mœlle osseuse plutôt que dans le sang, la procédure était à l'origine appelée « greffe de mœlle osseuse ».

Immunofixation : Test immunologique du sérum ou de l'urine servant à définir les protéines présentes dans le sang. Pour les patients atteints d'un myélome, ce test permet au médecin d'identifier le type de protéine M (IgG, IgA, kappa (κ) ou lambda (λ)). Technique courante d'immunocoloration la plus sensible permettant d'identifier le type exact de chaînes légères et de chaînes lourdes de la protéine M.

Intraveineux : Dans ou par une veine. Les médicaments (solution) sont administrés directement dans la circulation veineuse au moyen d'un goutte-à-goutte intraveineux (i.v.), d'une seringue ou d'un cathéter (voie centrale).

Lymphocytes T : Cellules qui reconnaissent les antigènes spécifiques des cellules nuisibles. Elles se lient aux cellules nuisibles pour les entourer et les neutraliser, et peuvent se transformer en cellules mémoires pour une immunité de longue durée.

Traitement d'entretien : Une forme de traitement prolongé, à faible dose administrée aux patients atteints d'un myélome après une autogreffe de cellules souches. Le but du traitement d'entretien est de réduire le risque de progression de la maladie le plus longtemps possible tout en maintenant une bonne qualité de vie.

Mœlle osseuse : Tissu mou et spongieux au centre de l'os qui produit des globules blancs, des globules rouges et des plaquettes.

Myélome asymptomatique ou indolent : Un état précurseur d'un myélome symptomatique ou actif. Dans cet état, on ne remarque encore aucune anémie, insuffisance rénale, hypercalcémie, lésions osseuses ou manifestations révélatrices d'un myélome. Les plasmocytes anormaux représentent 10 à 60 % de la mœlle osseuse, le taux de protéine monoclonal est supérieur à 30 g/L et le taux de protéine M dans l'urine est égal ou supérieur à 500 mg en 24 heures. Comme la maladie n'est pas encore active, le myélome asymptomatique est habituellement suivi de près, mais n'est pas traité. Des essais cliniques tentent actuellement d'établir si les patients atteints d'un myélome asymptomatique à risque élevé devraient être traités avant l'apparition d'un myélome actif.

Numéro d'identification d'une drogue (DIN) : Un DIN est un numéro à huit chiffres, généré par un ordinateur qui est attribué à un médicament par Santé Canada avant d'être commercialisé/vendu (dans une forme posologique) au Canada. Il permet à l'utilisateur de savoir que le produit a été homologué à la suite de l'évaluation de sa formulation, de son étiquetage et de sa notice d'utilisation. Le DIN est inscrit sur l'étiquette d'un médicament de prescription ou d'un médicament sans ordonnance et permet le suivi et rappel de produits sur le marché, les inspections et la surveillance de la qualité.

Organismes de recherche sous contrat (ORC) et de gestion des sites : Offrent des services de soutien à la recherche aux sociétés pharmaceutiques, de biotechnologie et de

dispositifs médicaux (commanditaires de l'étude), ainsi qu'aux établissements gouvernementaux, fondations, et universités. Un ORC peut administrer/diriger les essais cliniques de la compagnie ainsi que ses tâches et fonctions connexes. Ils peuvent aider les compagnies à réduire la durée nécessaire pour mener un essai et générer des économies en éliminant le besoin d'infrastructures supplémentaires, d'espace de bureau, et de personnel. Les ORC sont également juridiquement responsables des obligations qu'ils assument.

Les organismes de gestion des sites (OGS) offrent un soutien à la recherche aux sites/chercheurs individuels qui gèrent de nombreuses obligations réglementaires telles que la préparation/mise à jour des cas et assurent la conformité des examens de conformité des comités d'examen des établissements et du consentement éclairé. Bien que les OGS puissent assumer plusieurs tâches du chercheur, ils ne sont pas juridiquement responsables des obligations qu'ils assument et demeurent la responsabilité du chercheur.

Paramètre d'évaluation : Dans le cadre d'un essai clinique, un paramètre d'évaluation renvoie généralement à un événement ou un résultat pouvant être mesuré de façon objective pour déterminer si l'intervention à l'étude est bénéfique. La survie, les améliorations de la qualité de vie, le soulagement des symptômes et la disparition d'une tumeur sont des exemples des paramètres d'évaluation pouvant faire partie des objectifs de l'étude.

Plasmocytes : Leucocytes spécifiques produisant des anticorps. Cellules malignes du myélome. Des plasmocytes sains produisent des anticorps destinés à combattre l'infection. Dans le cas du myélome, les plasmocytes malins produisent des quantités anormales d'anticorps n'ayant pas la capacité de combattre l'infection. Les anticorps anormaux sont des protéines monoclonales ou protéine M. Les plasmocytes produisent également d'autres substances chimiques pouvant provoquer des anomalies organiques et des anomalies tissulaires : anémie, insuffisance rénale, neuropathies.

Plasmocytes des tissus mous (tumeurs extramédullaires) : Groupe de plasmocytes rassemblés à un seul endroit plutôt que de se diffuser dans la mœlle osseuse, les tissus mous, ou l'os.

Protéine M (protéine monoclonale, paraprotéine, ou pic-M) : Également appelée protéine d'un myélome. Ce sont les anticorps ou parties d'anticorps présents en quantités anormalement élevées dans le sang ou l'urine chez les patients atteints d'un myélome. « Pic monoclonal » fait référence au tracé électrophorétique de la protéine.

Protocole d'étude (plan écrit) : Un document qui décrit et définit chaque étape de l'essai clinique, ainsi que le contexte, la raison d'être, les objectifs, la méthodologie, les considérations statistiques, etc., de l'étude. Le protocole comprend un plan précis visant à assurer la sécurité et la santé des participants de l'essai, et tous les chercheurs doivent s'y conformer à la lettre. Cela permet le partage et la combinaison des données entre les chercheurs/sites de l'étude. Le format et le contenu des protocoles des essais cliniques commandités par des sociétés pharmaceutiques, de biotechnologie ou de dispositifs médicaux (au même titre que les autres pays) ont été normalisés afin de respecter les lignes directrices émises par la Conférence internationale sur l'harmonisation des exigences techniques relatives à l'homologation des produits pharmaceutiques à usage humain (CIH).

Recherche translationnelle : Recherche préclinique, fondée sur des données probantes

ou ciblée sur la maladie qui cherche à identifier (ou « transposer ») la pertinence des conclusions scientifiques novatrices par rapport au traitement de la maladie. Également appelée recherche de laboratoire.

Société mère : Une compagnie qui contrôle une ou plusieurs petites entreprises (filiales).

Statistiquement significatif : La probabilité que la relation entre deux ou plusieurs variables (c.-à-d., les résultats d'un ensemble de données) soit provoquée par autre chose que le hasard.

Système immunitaire : Groupe complexe d'organes et de cellules qui produisent des anticorps pour défendre l'organisme contre les substances étrangères telles que les bactéries, les virus, les toxines et les cancers.

Thérapie par lymphocytes T à récepteur antigénique chimérique (CAR-T) : Généralement un traitement unique qui utilise les lymphocytes T. Ils sont prélevés dans le sang d'une personne à l'aide d'une machine qui les sépare du reste du sang. Les lymphocytes T collectés sont ensuite génétiquement modifiés en laboratoire pour produire à leur surface une protéine réceptrice CAR capable de mieux reconnaître un antigène à la surface des cellules myélomateuses afin de les tuer plus efficacement.

Valeur thérapeutique : Réponse(s) à un traitement qui est jugée désirable ou bénéfique. Un traitement qui a une valeur thérapeutique peut traiter une maladie et améliorer la santé d'une personne.

Ce guide a été partiellement financé par les partenaires de l'industrie AbbVie Inc., Amgen Inc., The Binding Site Group Ltd., Bristol-Myers Squibb Company, GlaxoSmithKline Inc., Janssen Global Services, Pfizer Inc. et Sanofi qui ont octroyé à Myélome Canada une subvention à visée éducative sans restriction.

Myélome Canada

Adresse postale :
Myélome Canada
1255 Rte Transcanadienne, bureau 160
Dorval, QC H9P 2V4

Téléphone :
Sans frais : 1-888-798-5771

Courriel :
contact@myelome.ca

Site Web :
www.myelome.ca

Suivez-nous sur les médias sociaux pour avoir accès aux informations et ressources les plus récentes :

MYÉLOME CANADA
MISSION : MAÎTRISER LE MYÉLOME

Numéro d'enregistrement d'organisme de bienfaisance : 862533296RR0001

© 2024 Myélome Multiple Canada
Deuxième édition : Mai 2024