Myélome Canada

Série d'InfoGuides

Essais cliniques comme option de traitement

MYÉLOME CANADA

MISSION : MAÎTRISER LE MYÉLOME

www.myelome.ca

Introduction

Au cours des 15 dernières années, la recherche nous a permis de mieux comprendre le myélome et son processus pathologique sous-jacent. Cela a mené au développement et à l'approbation de nouveaux traitements à partir d'agents de pointe tels que thalidomide (Thalomid®), bortézomib (Velcade®), lénalidomide (Revlimid®) et plus récemment pomalidomide (Pomalyst®), carfilzomib (Kyprolis®), daratumumab (Darzalex®) et ixazomib (Ninlaro®). Ces nouveaux médicaments ont permis de prolonger la vie de nombreux patients atteints d'un myélome et ceux-ci ne seraient pas disponibles aujourd'hui sans la participation de patients aux essais cliniques.

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 une bonne option de traitement compte tenu de la situation particulière d'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 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 global des essais cliniques est d'améliorer les soins offerts aux patients et les résultats obtenus.

Certains termes plus techniques ou moins connus apparaissent en **caractères gras** la première fois qu'ils sont utilisés. Ces termes sont décrits dans le glossaire à la page 20.

En parcourant cet InfoGuide, vous pouvez vous référer aux cases « Renseignements additionnels » et « Saviez-vous ? » pour en savoir plus sur certains sujets.

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 aidants naturels et aux proches.

Avis de non-responsabilité

Veuillez noter que l'information contenue dans cet InfoGuide n'est pas destinée à remplacer l'avis de votre équipe de soins de santé. Celle-ci est la mieux placée pour répondre à toute question sur votre diagnostic précis, votre traitement et votre situation médicale/sociale.

À propos de Myélome Canada

Myélome Canada est un organisme à but non lucratif, créé par et pour les personnes qui sont touchées par le myélome multiple. En tant que seul organisme national consacré exclusivement à la communauté canadienne du myélome, Myélome Canada cherche à maîtriser le myélome depuis sa fondation en 2005.

En collaboration avec des chercheurs et cliniciens renommés en myélome ainsi que d'autres organismes de lutte contre le cancer et groupes de soutien à travers le Canada et à travers le monde, Myélome Canada cherche à mieux faire connaître la communauté canadienne du myélome et à améliorer la qualité de vie des patients atteints d'un myélome, de leurs familles et aidants naturels grâce à l'éducation, la sensibilisation, la défense des droits, la recherche clinique, et l'engagement communautaire.

Objectifs de Myélome Canada :

- Fournir des ressources éducatives aux patients, aux proches et aux aidants naturels ;
- Sensibiliser le public à cette maladie et à son impact sur la vie des patients et de leur famille ;
- Faciliter l'accès à de nouvelles thérapies, de nouveaux traitements et de nouvelles ressources en soins de santé ;
- Faire avancer la recherche clinique et favoriser l'accès aux nouveaux essais cliniques menés au Canada ;
- Responsabiliser les patients et les aidants naturels par l'engagement communautaire.

Cet InfoGuide est conçu pour aider les patients et les familles qui vivent avec un myélome à mieux comprendre les essais cliniques et le rôle qu'ils peuvent jouer pour faire progresser la recherche clinique et améliorer les résultats.

Pour en savoir plus sur le myélome et le fait de vivre avec la maladie, vous pouvez consulter les publications éducatives de Myélome Canada :

- *Guide destiné aux patients atteints d'un myélome multiple*
- *InfoGuide : La maladie osseuse associée au myélome multiple*
- *InfoGuide : Comprendre votre formule sanguine et vos analyses de sang*
- *InfoGuide : Le myélome et les reins*

Pour commander des exemplaires gratuits, communiquez avec nous par courriel à contact@myeloma.ca, ou par téléphone au 1-888-798-5771 (sans frais).

Veuillez visiter **www.myeloma.ca** pour télécharger les publications éducatives de Myélome Canada ou pour trouver un groupe de soutien dans votre région.

Réseau de recherche de Myélome Canada (RRMC)

Issu de l'idée de faire progresser les connaissances scientifiques et d'améliorer les résultats pour les patients par la collaboration et le partage de connaissances, le **Réseau de recherche de Myélome Canada** est aujourd'hui un groupe pancanadien de chercheurs, scientifiques et cliniciens dévoués qui partagent une vision commune : travailler ensemble pour un monde dans lequel le myélome ne sera plus une maladie mortelle.

Le RRMC constitue le premier et l'unique groupe national de recherche universitaire sur le myélome rassemblant des chercheurs et cliniciens émérites canadiens provenant de 25 centres répartis dans neuf provinces canadiennes. Le RRMC revêt une valeur considérable par le biais de son réseau de chercheurs reconnus à l'échelle mondiale qui reconnaissent l'importance de partager leur expertise pour faire progresser, au bénéfice des patients, la recherche et les technologies de pointe sur le myélome, afin de mettre au point de nouveaux traitements et de les mettre à la disposition des patients dans ses hôpitaux membres dans de petites et grandes communautés à travers le Canada.

Mission du RRMC :

- Mener des essais cliniques novateurs de Phases I et II et de la **recherche translationnelle** dans un climat de collaboration afin d'améliorer les résultats pour les patients atteints d'un myélome ;
- Publier des énoncés de consensus fondés sur des données probantes et évalués par des pairs, portant sur le diagnostic et le traitement d'un myélome ;
- Développer une base de données nationale sur les patients atteints d'un myélome.

RÉSEAU DE RECHERCHE
MYÉLOME CANADA

MISSION : MAÎTRISER LE MYÉLOME

Table des matières

Essais cliniques comme option de traitement pour le myélome 1
- Aperçu 1
- Terminologie clé 3
- Mythes fréquents à propos des essais cliniques 5

A propos des essais cliniques 7
- Aperçu 7
- Garanties afin d'assurer de bonnes pratiques cliniques 8
- Critères d'admissibilité (inclusion/exclusion) 9
- Déclaration de consentement éclairé 9
- Prenez connaissance de vos droits à titre de participant à une recherche 10
- Questions pour votre équipe de soins 11
- Évaluer les avantages et les inconvénients 12
- Phases de l'essai clinique 13
- Résumé des phases des essais cliniques 15
- Critères communs utilisés pour les essais sur le myélome 16

Que se passe-t-il lorsque l'essai clinique est terminé ? 17
- Analyse statistique 17
- Approbation d'un nouveau médicament par Santé Canada 17
- De l'approbation au financement : les nombreuses étapes avant que soit couvert un médicament 18
- Prenez connaissance de vos droits, de vos options et de votre couverture d'assurance-maladie 19

Glossaire 20

Mission : maîtriser le myélome 24

Remerciements 25

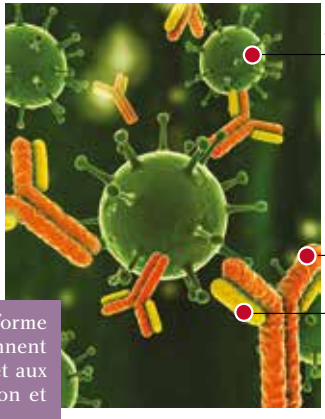
Essais cliniques comme option de traitement pour le myélome

Aperçu

Le myélome est un cancer des plasmocytes, un type de globule blanc fabriqué dans la **moelle osseuse** par les **cellules souches** qui « forment le sang ». Les plasmocytes produisent des **anticorps (immunoglobulines)** destinés à combattre l'infection; ils sont donc une composante importante du système immunitaire.

La production de plasmocytes est un processus contrôlé. Lorsque les plasmocytes mûrissent ou sont endommagés, ils meurent naturellement et sont remplacés par de nouveaux plasmocytes. Chez une personne atteinte d'un myélome, ce processus est « interrompu » ce qui, par conséquent, mène à une croissance non contrôlée de plasmocytes anormaux, également connu sous le nom de cellules myélomateuses. Les cellules myélomateuses peuvent avoir un impact négatif sur différentes parties du corps et nuire à la production d'autres types de cellules sanguines en « encombrant » la moelle osseuse. De plus, les cellules myélomateuses surproduisent un type d'anticorps, connu sous le nom de **protéine M** (appelée également protéine monoclonale, paraprotéine, ou pic-M). En raison de la surproduction de cellules myélomateuses et de **protéine M,** plusieurs problèmes de santé peuvent survenir:

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



Les immunoglobulines (anticorps) sont des molécules en forme de « Y ». Les chaînes lourdes et légères des anticorps contiennent des sites de fixation précis qui s'attachent aux bactéries et aux virus, processus conduisant ultimement à leur destruction et assurant ainsi une protection contre les maladies.

En fonction des particularités de votre diagnostic de myélome, 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. L'équipe médicale peut recommander de se tourner vers de nouveaux médicaments ou une combinaison de traitements seulement offerts dans le cadre de la participation à des essais cliniques. Dans plusieurs cas, les médicaments ou les combinaisons de traitements à l'étude dans les essais cliniques ne sont pas encore approuvés par Santé Canada et sont donc inaccessibles aux patients, sauf par le biais d'essais cliniques. Les essais cliniques peuvent également permettre l'accès à des médicaments ou des combinaisons de traitements qui sont approuvés par Santé Canada, mais qui ne sont pas couverts par les gouvernements provinciaux.

Renseignements additionnels

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 inoffensive et inactive conçue à l'image du médicament à l'essai dans certains essais cliniques. Cela permet de tenir compte de « l'effet placebo », un effet psychologique perceptible qui ne reflète pas l'efficacité du médicament en soi. De façon générale, il est contraire à l'éthique de ne recevoir aucun traitement ou uniquement un placebo dans le cadre d'essais pour traiter un cancer. À tout le moins, les participants ont droit à la norme de soins approuvée avec ou sans placebo.

Groupes

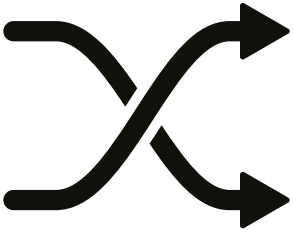
Dans le cadre d'un essai clinique, il existe deux types de groupes :

- **Groupe expérimental :** reçoit le traitement à l'étude
- **Groupe témoin :** reçoit le traitement selon la norme de soins seule ou avec le placebo

Essai randomisé contrôlé

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

Option croisée



Les participants du groupe témoin peuvent avoir accès à une option croisée. 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 de passer au groupe expérimental et de recevoir le traitement à l'étude.

Remarque : L'option croisée n'est pas permise 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 un formulaire de consentement éclairé (voir la page 9).

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, la moitié des 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, la moitié des participants reçoivent le traitement à l'étude (groupe expérimental), tandis que l'autre moitié reçoit 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 : Recevoir le placebo à lui seul ou ne recevoir aucun traitement

Dans le cadre d'études 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 aucun traitement 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 »

Les patients peuvent avoir accès aux essais cliniques à tous les stades de leur maladie, y compris les patients dont le diagnostic est récent, ainsi que ceux qui ont épuisé certaines ou toutes les options de traitement disponibles.

Renseignements additionnels

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 : 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 et répond bien, une participation dans un « groupe de prolongement »" peut lui être offerte par la société pharmaceutique ou le **commanditaire de la recherche.** Les patients qui appartiennent à ce groupe ont l'occasion de poursuivre le traitement expérimental. 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.**

MYTHE : Les essais cliniques ne sont pas sécuritaires

Les bénévoles qui participent aux essais cliniques sont bien renseignés sur les risques et les avantages de l'étude. Ils sont généralement soumis plus fréquemment à des tests et des évaluations, compte tenu de la nécessité d'assurer leur sécurité. Les médecins spécialistes, les infirmières et autres membres du personnel de recherche assurent une supervision étroite tout au long de l'essai, et pendant une période prolongée une fois l'essai terminé. Ceci permet de déceler tout effet potentiel à long terme ou « latent » du traitement à l'étude.

MYTHE : Les essais cliniques sont coûteux pour les patients

a majorité des essais cliniques ne sont pas financièrement contraignants. En fait, les médecins recommanderont parfois à leurs patients de participer aux essais cliniques afin de minimiser les coûts. Dans plusieurs cas, des hôpitaux, des organismes privés ou des sociétés pharmaceutiques mènent des essais sans frais pour le patient. Dans certaines provinces, devoir assumer personnellement des dépenses dans le cadre d'un essai clinique est jugé contraire à l'éthique par leurs comités d'éthique.

Saviez-vous?

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.

A 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 au niveau national ou international (mondial).

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 13) sont examinés et contrôlés 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 de se soumettre à des approbations réglementaires périodiques afin d'effectuer le suivi et évaluer les conséquences sur le plan éthique, la sécurité des participants, l'efficacité du traitement à l'étude et la qualité des données qui sont produites. Ces vérifications sont en place afin de démontrer que le commanditaire/chercheur se conforme aux normes de « bonne pratique clinique ».

Renseignements additionnels

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 et dans quelle mesure le participant répondra au traitement. Les nombreuses mesures de protection qui sont en place, jumelées à une étroite surveillance, permettent de minimiser les risques potentiels. Des règlements stricts 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 la prise continue de vos médicaments ne nuira pas au traitement de l'étude.

L'équipe de recherche suit de près la réponse au traitement expérimental. Pour cette raison, 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.

Garanties afin d'assurer de bonnes pratiques cliniques

Afin d'assurer de bonnes pratiques cliniques, toutes les entités impliquées dans 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 14 pour de plus amples renseignements), de superviser le plan de traitement 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 autres établissements/centres participants 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 ou autres avec le CEE/CER ou sa société mère. La mission générale du CEE/CER est de protéger les sujets humains participants, d'assurer des examens éthiques rapides et rigoureux en vue de l'étude minutieuse des organismes de réglementation comme Santé Canada. Dans le cadre de leur mandat, ils peuvent déterminer la fréquence d'examen de l'essai une fois initié et mettre fin à l'essai clinique si:

- le protocole n'est pas respecté;
- il semble provoquer des effets nuisibles inattendus;
- une nouvelle intervention semble être plus efficace.

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 tous les résultats, les tests et l'innocuité de l'essai (tous les essais de phase III et quelques essais de phases I et II);
- s'assurent que les données qui sont saisies sont complètes.

Si le traitement à l'étude démontre un avantage clair, le CSDS peut recommander qu'un essai prenne fin plus tôt que prévu et passe au processus d'approbation. Une recommandation négative 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)

Vous devez satisfaire à certaines conditions et exigences afin de pouvoir participer à une étude en particulier. Les **critères d'inclusion** (conditions auxquelles tous les participants doivent satisfaire) **et critères d'exclusion** (conditions auxquelles tous les participants ne doivent pas satisfaire) sont une partie essentielle du plan de recherche afin d'obtenir des résultats crédibles et uniformes. Parmi les exemples de critères d'admissibilité, notons: 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

Un consentement éclairé vise à vous aider à prendre une décision réfléchie sur votre participation à un essai clinique. Le document 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 options de traitements pour chaque groupe de l'étude, les avantages et risques liés à une participation à l'essai, les considérations financières, la confidentialité, et plus encore. Lorsque vous avez lu et accepté les conditions dont il est fait mention dans la déclaration de consentement éclairé, vous devez signer celle-ci afin de confirmer votre participation à l'étude. Si vous avez des questions au sujet de l'essai clinique et du consentement éclairé, vous êtes invité et avez le droit de consulter votre médecin ou un membre de l'équipe de l'essai clinique avant ou durant l'essai. Une copie signée de votre formulaire de consentement éclairé vous sera remise, y compris les coordonnées de la personne-ressource de l'étude. Vous êtes invité à partager ces renseignements avec quiconque vous jugez approprié, et prendre le temps nécessaire pour décider si vous souhaitez participer. Il s'agit d'un processus libre et volontaire.

Saviez-vous?

Abandon

Le consentement éclairé est volontaire. Si vous choisissez de ne pas participer à l'essai, votre médecin ou votre infirmière discutera des autres options de traitement avec vous. Vous êtes entièrement libre de vous retirer de l'étude sans avoir à vous justifier. Vous pouvez également refuser des traitements ou des tests précis. Toutefois, veuillez noter qu'un patient qui refuse constamment certains traitements ou tests peut être retiré de l'essai. Vous devez toujours discuter de toute déviation du protocole avec l'équipe de votre étude.

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 et de savoir si certaines pourraient être plus ou moins avantageuses que de participer 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 ;
- des traitements qui sont disponibles si des problèmes médicaux surviennent ;
- de tout renseignement recueilli durant l'étude qui pourrait nuire à votre sécurité.

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.

Saviez-vous?

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 ?
- 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 et les avantages peuvent l'emporter sur les inconvénients. Avant d'accepter de participer, vous devez vous renseigner sur les risques possibles que présentent votre participation et les autres options qui s'offrent à vous. Vous devriez prendre le temps de discuter d'une participation éventuelle avec votre équipe de soins.

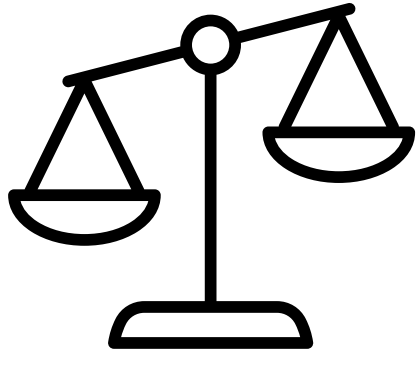
Bien que le principal avantage de la participation à un essai clinique soit l'accès à de nouvelles options de traitement pouvant potentiellement sauver/prolonger la vie ou améliorer de façon significative la qualité de vie, les personnes participent aux essais cliniques pour différentes raisons. Qu'une personne ait récemment reçu le diagnostic d'un myélome multiple, ou que son myélome soit récidivant ou réfractaire, la participation aux essais cliniques offre de nombreux avantages par rapport aux soins courants. Ceux-ci comprennent :

- Surveillance étroite des effets secondaires (événements indésirables) potentiels par l'équipe de l'essai clinique ;
- Soins administrés par un médecin émérite dans le domaine de la recherche sur le myélome ;
- Permettre d'accélérer l'approbation de nouveaux médicaments et leur remboursement par la preuve générée lors de l'essai ;
- Permettre aux chercheurs de mettre au point de meilleurs traitements, de faire avancer la recherche sur le myélome et d'améliorer la façon dont seront traités les patients au Canada, et à votre centre de cancérologie.

Cependant, il y a certains inconvénients potentiels de la participation aux essais cliniques, liés au traitement à l'étude. Le traitement peut :

- Ne pas fonctionner chez une personne en particulier (bien que l'on puisse en dire autant de tout traitement) ;
- Être inefficace ou moins efficace que le traitement associé à la norme de soins actuelle ;
- Provoquer des effets secondaires désagréables, graves ou inconnus ;
- Se solder par de plus longues périodes passées à l'hôpital ou à la clinique, donc moins de temps pour le travail, la famille, et les amis.

Selon l'endroit où vous habitez et le protocole de l'étude (plan écrit), un autre élément à considérer est le temps et les coûts liés aux déplacements et aux visites pour recevoir le traitement ou rencontrer l'équipe de soins.



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.

Renseignements additionnels

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 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. Par exemple, le Réseau de recherche de Myélome Canada (RRMC) mène des recherches cliniques et translationnelles à travers le Canada. Cela a permis de créer un partenariat d'autant plus constructif avec l'industrie et les patients, ce qui entraîne une meilleure méthodologie, une meilleure sélection des sites et une surveillance/procédures d'élaboration de rapports perfectionnées. De plus, la Base de données canadienne sur le myélome multiple du RRMC a permis l'étude de questions scientifiques supplémentaires et a contribué à la génération et à l'évaluation de nouvelles hypothèses cliniques.

Résumé des phases des essais cliniques

Phase	Description
I	■ Généralement de 15 à 30 personnes ■ Établir la dose maximale tolérée sécuritaire (DMT) ■ Déterminer le meilleur mode d'administration (p.ex., par voie orale ou par voie **intraveineuse**) ■ Déterminer les effets de cet agent sur le corps
II	■ Moins de 100 personnes en général ■ Utilise la dose maximale tolérée (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 personnese ■ 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 personnese ■ Pour mieux évaluer l'innocuité et l'efficacité à long terme d'un nouveau traitement dans le « monde réel »

Renseignements additionnels

Trouver des essais cliniques au Canada

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

1. **www.myelome.ca/essais**

   Trouver des essais cliniques sur le myélome qui recrutent des patients au Canada (recherche par stade de la maladie et code postal).

2. **www.canadiancancertrials.ca**

   Un site Web canadien qui vous permet de faire une recherche par type de cancers et endroit.

3. **www.clinicaltrials.gov**

   Ce site Web est un service offert par le *US National Institute of Health*.

4. **https://health-products.canada.ca/ctdb-bdec/index-eng.jsp**

   Base de données sur les essais cliniques de Santé Canada

Critères communs utilisés pour les essais sur le myélome

Lorsque vous suivez un traitement pour votre myélome, vous entendrez des termes comme réponse complète (RC) ou réponse partielle (RP). Ces termes sont utilisés pour décrire la mesure selon laquelle la maladie répond au traitement et pour évaluer de façon précise son efficacité. Comme les définitions peuvent varier d'une étude à l'autre pour cette évaluation, veuillez-vous assurer de vérifier le protocole d'étude afin de connaître les termes utilisés dans l'étude. Les critères de réponse les plus courants, développés par *l'International Myeloma Working Group,* sont :

- **RCs (Réponse complète stricte) :** réponse complète (voir la description ci-dessous) avec un ratio de **chaînes légères libres sériques** κ/λ normal et absence de cellules myélomateuses dans la moelle osseuse.
- **RC (Réponse complète) :** aucune protéine monoclonale (protéine M ou pic-M) sérique ou urinaire détectable, aucune évidence de **plasmocytomes des tissus mous (tumeurs extramédullaires)** et 5 % ou moins de plasmocytes dans la moelle osseuse.
- **TBRP (Très bonne réponse partielle) :** protéine M sérique et urinaire détectable par immunofixation et non par **électrophorèse** ou diminution de 90 % ou plus du taux de protéine M sérique et taux de protéine M urinaire inférieure à 100 mg par 24 heures.
- **RP (Réponse partielle) :** diminution de 50 % ou plus du taux de protéine M sérique et diminution du taux de protéine M urinaire de 90 % ou plus (ou à moins de 200 mg par 24 heures). S'il est impossible de mesurer le taux de protéine M sérique et urinaire, la réponse partielle est définie au moyen de critères supplémentaires (renseignez-vous auprès de votre équipe de soins). Si des plasmocytes des tissus mous (tumeurs extramédullaires) étaient présents, une diminution de 50 % ou plus de leur taille est également requise.
- **RM (Réponse minimale) :** diminution de 25 à 49 % du taux de protéine M sérique et diminution du taux de protéine M urinaire de 50 à 89 %. Si des plasmocytes des tissus mous (tumeurs extramédullaires) étaient présents, une diminution de 50 % ou plus de leur taille est également requise.
- **MS (Maladie stable) :** maladie qui ne répond pas aux critères ci-dessus ou maladie progressive (voir ci-dessous). 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.
- **MP (Maladie progressive) :** En général, nécessite une augmentation de 25 % d'un des paramètres suivants d'un myélome (protéine M sérique ou urinaire, différence entre les chaînes légères libres sériques, taux de plasmocytes dans la moelle) ou développement d'une/de nouvelle(s) lésion(s) osseuse(s) (d'autres critères s'appliquent pour les lésions existantes ; renseignez-vous auprès de votre équipe de soins). La maladie progressive peut également être définie par une augmentation de 50 % ou plus des plasmocytes circulants, si ceci est la seule mesure de la maladie.

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 moelle osseuse pendant ou après le traitement.
- **SG (Survie globale) :** Période à partir de la date 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. 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

Le fait que l'efficacité d'un nouveau traitement ait été démontrée dans le cadre d'un essai de Phase III, ne signifie pas pour autant qu'il soit automatiquement disponible dans les hôpitaux, les cliniques ou les pharmacies au 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.

S'il a été démontré que l'avantage clinique du nouveau traitement est statistiquement significatif en comparaison au traitement selon la norme de soins et que sa **valeur thérapeutique** éventuelle l'emporte sur les risques associés à son utilisation (p.ex., effets secondaires ou toxicité), la société pharmaceutique ou le commanditaire fera une demande à la Direction générale des produits de santé et des aliments (DGPSA) de Santé Canada afin que soit approuvée officiellement l'utilisation du médicament au Canada.

Si la soumission de la société pharmaceutique est approuvée, Santé Canada émet un **avis de conformité (AC)** et assigne un **numéro d'identification du médicament (NIM)** au médicament en question. Ceci permet alors à la compagnie de commercialiser le nouveau médicament au Canada. Dans certains cas, Santé Canada peut émettre un avis de conformité avec conditions (AC/C). Lorsqu'un avis de conformité avec conditions (AC/c) est émis, le médicament en question reçoit un NIM, mais la société commanditaire doit se soumettre à des conditions ou exigences particulières comme, par exemple, recherche plus approfondie, éducation des professionnels et des patients.

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.

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.

Renseignements additionnels

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 droits, 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 soins pour le cancer 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.

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.

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.

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).

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.

Moelle 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 moelle 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 des tissus mous (tumeurs extramédullaires) : Groupe de plasmocytes rassemblés à un seul endroit plutôt que de se diffuser dans la moelle 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.

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.

Mission : maîtriser le myélome

Chaque année, Myélome Canada renseigne des milliers de gens atteints d'un myélome, leur famille ainsi que leurs aidants naturels, et vient en aide à plusieurs autres en offrant divers programmes et services, dont la Conférence nationale annuelle de Myélome Canada, des séances d'information pour les patients et leur famille, une infolettre et des webinaires.

C'est pour cette raison que nous avons besoin de votre aide. Nous dépendons de votre soutien et vos généreux dons pour appuyer les patients, leurs familles ainsi que leurs aidants naturels. Nous sommes reconnaissants pour vos dons qui nous permettent de poursuivre notre travail essentiel.

Façons de vous impliquer

Donner

Vous pouvez effectuer un don en ligne à www.myeloma.ca, par téléphone en composant le numéro sans frais au 1-888-798-5771, ou en acheminant un chèque par la poste émis à l'ordre de Myélome Canada à :

Myélome Canada
1255, TransCanada, bureau 160
Dorval (Québec) H9P 2V4

Organisez une collecte de fonds

Il existe d'autres façons d'appuyer Myélome Canada, comme celle de prendre part à la Marche annuelle pour le myélome multiple qui a lieu dans plusieurs villes à travers le Canada, ou d'organiser une collecte de fonds au nom de Myélome Canada dans votre communauté. Comme les gens touchés par un myélome sont souvent impuissants face à cette maladie, une collecte de fonds s'avère parfois une expérience enrichissante et amusante de faire quelque chose de positif pour vous et d'autres touchés par un myélome.

Pour obtenir de plus amples renseignements, communiquez avec l'équipe des campagnes de financement au numéro sans frais 1-888-798-5771 ou visitez **www.myeloma.ca.**

Remerciements

Myélome Canada souhaite reconnaître et remercier Dre Julie Côté, hématologue/oncologue au *Centre hospitalier universitaire (CHU) de Québec,* Cindy Manchulenko, gestionnaires des projets d'essais cliniques au Vancouver Coastal Health à Vancouver, et le Conseil consultatif des patients de Myélome Canada pour leur soutien et les conseils prodigués dans l'élaboration de cet InfoGuide. Nous souhaitons également remercier les nombreux patients et aidants naturels pour leur précieuse collaboration.

Conseil consultatif scientifique de Myélome Canada

Nizar J Bahlis, M.D.
Professeur agrégé
Arnie Charbonneau Cancer Institute
Université de Calgary
Foothills Medical Centre
Calgary (Alberta)

Andrew R Belch, M.D.
Département de l'oncologie
Cross Cancer Institute
Université de l'Alberta
Edmonton (Alberta)

Christine Chen, M.D.
Professeure agrégée
Division d'oncologie médicale et d'hématologie
Département de médecine
Hôpital Princess Margaret
University Health Network
Toronto (Ontario)

Jonathan Keats, Ph.D.
Professeur agrégé
Integrated Cancer Genomics Division
Translational Genomics Research Institute
Phoenix (Arizona)

Richard LeBlanc, M.D.
Hôpital Maisonneuve-Rosemont
Professeur adjoint clinicien en médecine
Université de Montréal
Montréal (Québec)

Paola Neri, MD, Ph.D.
Professeur adjoint clinicien en médecine
Arnie Charbonneau Cancer Institute
Université de Calgary
Calgary (Alberta)

Linda Pilarski, Ph.D.
Division d'oncologie expérimentale
Département d'oncologie
Cross Cancer Institute
Université de l'Alberta
Edmonton (Alberta)
Membre du Conseil consultatif scientifique de l'IMF

Donna E Reece, M.D.
Professeure agrégée en médecine
Directrice du programme pour le myélome multiple et les affectations connexes
Département d'oncologie et hématologie
Hôpital Princess Margaret
University Health Network
Toronto (Ontario)
Membre du Conseil consultatif scientifique de l'IMF

Tony Reiman, M.D.
Oncologue
Hôpital régional de Saint John
Vice-doyen à la recherche
Dalhousie Medicine New Brunswick
Saint John (N.-B.)

Jean Roy, M.D.
Chef du service d'hématologie
Service d'hématologie et d'oncologie
Hôpital Maisonneuve-Rosemont
Professeur agrégé en médecine
Université de Montréal
Montréal (Québec)

Michael Sebag, M.D., Ph.D.
Professeur agrégé
Faculté de médecine
Université McGill
Centre universitaire de santé McGill
Montréal (Québec)

Chaim Shustik, M.D.
Professeur agrégé en médecine et oncologie
Faculté de médecine
Université McGill
Hôpital Royal Victoria
Montréal (Québec)
Membre du Conseil consultatif scientifique de l'IMF

Kevin J Song, M.D.
Centre de recherche sur le cancer de la C-B
Hôpital général de Vancouver
Vancouver (C.-B.)

Rodger Tiedemann, Ph.D., Ch.B., M.B.
Scientifique,
Ontario Cancer Institute
Hématologue
Département d'oncologie médicale et d'hématologie
Hôpital Princess Margaret
Professeur agrégé en médecine
Université de Toronto
Toronto (Ontario)

Suzanne Trudel, M.D.
Professeure adjointe
Clinicienne/Chercheuse scientifique
Département d'oncologie et hématologie
Hôpital Princess Margaret
University Health Network
Toronto (Ontario)

Darrell White, M.D.
Centre de cancer de la Nouvelle-Écosse
Centre de services de santé Queen Elizabeth II
Université Dalhousie
Halifax (Nouvelle-Écosse)

Cet InfoGuide a été partiellement financé par des dons éducatifs sans restrictions d'Amgen, Celgene, Janssen et Takeda.

Myélome Canada

Adresse postale :

Myélome Canada
1255, TransCanada, bureau 160
Dorval (Québec) H9P 2V4

Téléphone :

Sans frais : 1-888-798-5771

Courriel :

contact@myeloma.ca

Site Web :

www.myeloma.ca

Les publications de Myélome Canada font l'objet d'un examen exhaustif par les patients et professionnels de la santé avant la publication.

Nos sincères remerciements pour les efforts de financement de la communauté canadienne du myélome qui contribue à maîtriser le myélome en faisant progresser les objectifs d'éducation, de sensibilisation, d'accès et de recherche de Myélome Canada.

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

MYÉLOME CANADA
MISSION : MAÎTRISER LE MYÉLOME

© 2018 Myélome Multiple Canada

Première édition : mai 2018