



GUIDE DE PARTICIPATION AUX ESSAIS CLINIQUES POUR LES PATIENTS ATTEINTS DE NAFLD/NASH

Objectif de ce guide

il s'agit d'un guide sommaire destiné aux personnes à risque ou diagnostiquées avec une stéatose hépatique non alcoolique (nonalcoholic fatty liver disease, NAFLD) ou une stéatohépatite non alcoolique (nonalcoholic steatohepatitis, NASH) dans le but de les aider à comprendre et à évaluer les possibilités de recherche clinique.

Questions auxquelles ce guide répond

- Qu'entend-on par NAFLD et par NASH ?
 - Pourquoi y a-t-il des recherches dans ce domaine ?
 - À quelles questions les études sur la NASH essaient-elles de répondre ?
 - Comment ma participation peut-elle contribuer à répondre à ces questions ?
 - Que devrais-je considérer lorsque je recherche un essai sur la NASH ?
 - Où puis-je en savoir plus ?
-

Qu'entend-on par NAFLD et par NASH ?

L'acronyme « NAFLD » signifie « stéatose hépatique non alcoolique ». La NASH, ou stéatohépatite non alcoolique, est la forme la plus grave de la NAFLD. Elle se caractérise par une accumulation de graisse dans le foie, une inflammation et un type de lésion appelé ballonnement, avec ou sans cicatrices (fibrose). La NASH peut provoquer une cirrhose, un cancer ou la nécessité d'une transplantation.

Selon les estimations actuelles, 25 % de la population générale serait atteinte de NAFLD ou de NASH. Pourtant, ces maladies sont méconnues, sous-diagnostiquées et insuffisamment traitées. Les personnes atteintes du diabète de type 2, ayant un IMC supérieur à 30 et/ou âgées de plus de 50 ans sont plus susceptibles de souffrir de NAFLD ou de NASH, mais cette affection peut toucher n'importe qui, même les personnes de poids normal et les enfants.



Pourquoi devrais-je envisager de participer à la recherche sur la NAFLD/NASH ?

À l'exception de l'Inde, aucun organisme de réglementations n'a approuvé de médicament spécifique pour la NASH. Sans la participation des patients aux études de recherche clinique, qu'il s'agisse de concevoir les essais, de remplir des questionnaires ou de fournir des échantillons biologiques, il n'y aurait aucun moyen de développer des médicaments, des dispositifs ou d'autres interventions permettant de comprendre ou de traiter ce type de maladie.

Et pour que ces études aboutissent à la compréhension, par les chercheurs, des risques et des résultats pour les différents groupes touchés par une maladie particulière, il leur faut des volontaires qui présentent des caractéristiques et des antécédents divers. Les données démographiques pouvant influencer sur les risques, les avantages et les résultats du traitement sont les suivantes: **race, origine, ethnique, âge, genre et maladies concomitantes.**

À quelles questions les études sur la NASH essaient-elles de répondre ?

Les essais sont généralement divisés en deux catégories : **interventionnels** (faire quelque chose de manière active) et **observationnels** (observer et suivre dans le temps). Les essais d'observation sont aussi parfois appelés **études d'histoire naturelle**.

Types d'essais interventionnels

TRAITEMENT/MÉDICAMENTS

ceux qui peuvent réduire l'inflammation et la graisse ou résoudre le problème du **ballonnement**

MÉDICAMENTS

Effets de la réduction des graisses
Effets de la perte de poids
Effets de l'arrêt ou de la régression de la fibrose
Effets de la réduction de l'inflammation

DISPOSITIFS OU MÉTHODES DE DIAGNOSTIC

(par exemple, ceux qui peuvent analyser le foie d'une personne en utilisant des méthodes non invasives)

DISPOSITIFS

Les thérapies basées sur des dispositifs comme alternative aux procédures chirurgicales invasives pour traiter l'obésité et les troubles gastro-intestinaux

Types d'essais d'observation

études d'observation

celles qui examinent comment la NAFLD ou la NASH affectent les enfants au fil du temps

histoire naturelle

facteurs de risque génétiques et autres qui permettent de prévoir la progression



Questions

- Y aurait-il un médicament particulier qui puisse réduire la cicatrisation associée à la NASH ?
- Y aurait-il un médicament particulier ou une combinaison de médicaments qui puissent réduire l'inflammation associée à la NASH ?
- Existe-t-il certains gènes ou d'autres facteurs qui rendent une personne prédisposée à développer une NASH plus rapidement que d'autres personnes ?
- Existe-t-il un régime alimentaire spécifique qui aiderait les personnes atteintes de NASH ?
- Existe-t-il un type, une durée ou une quantité d'exercice qui aiderait particulièrement les personnes atteintes de NASH ?

Comment ma participation peut-elle contribuer à répondre à ces questions ?

Actuellement, seule l'Inde dispose d'un médicament approuvé spécifiquement pour la NASH. Plusieurs médicaments sont toutefois en cours d'essais cliniques en vue de leur autorisation. Parmi les domaines d'étude spécifiques nécessitant des recherches plus approfondies, on peut mentionner le traitement des patients qui souffrent à la fois de NASH et de diabète, les patients hispaniques présentant certains facteurs génétiques, ainsi que les personnes maigres atteintes de NASH.

Les études ont besoin de volontaires ayant des caractéristiques et des origines diverses.

Serai-je automatiquement admis à l'essai ?

L'acceptation et l'inscription à une étude ne sont pas automatiques. Les études comportent des **critères d'inclusion** et également **des critères d'exclusion**.

En outre, toutes les personnes qui répondent aux critères ne seront pas acceptées dans un essai.

- **Comment puis-je savoir si un essai spécifique sur la NASH est indiqué pour moi ?**
- **Que devrais-je considérer lorsque je recherche un essai sur la NASH ?**
- **Que puis-je attendre de ma participation à un essai clinique sur la NASH ?**

Consultez votre médecin pour savoir si un essai clinique serait approprié pour vous, et s'il peut vous suggérer des essais cliniques disponibles dans votre région. Les locaux où se déroule l'étude varient selon l'organisme chargé de réaliser celle-ci : il peut s'agir d'un hôpital, d'une université, d'un cabinet médical, d'un dispensaire local ou autre. La durée d'un essai peut également varier de six mois à cinq ans ou plus.

Aussi faut-il prendre le temps d'évaluer soigneusement votre capacité à mener à bien les activités liées à un essai particulier de médicament ou de dispositif de traitement de la NASH. Il est possible que ces activités comprennent le jeûne, des modifications à votre style de vie (alimentation, exercice physique, etc.), des analyses de sang (taux d'ALT et d'AST), des examens par imagerie (échographie, IRM, etc.) et même une ou plusieurs biopsies, procédure au cours de laquelle un échantillon de tissu est prélevé de votre corps en vue d'un examen plus approfondi.

Il convient de poser à l'équipe de recherche toutes les questions que vous auriez sur la participation à l'essai, par exemple

- Comment les risques, les effets secondaires et les avantages potentiels de cet essai se comparent-ils à ceux de mon traitement actuel ?
- Quels tests et procédures me sera-t-il demandé d'effectuer ?
- Combien de temps durera l'étude ?
- Si l'intervention me réussit, puis-je continuer à en bénéficier après la fin de l'essai ?
- Qui supervisera mes soins médicaux pendant l'essai ?
- Où dois-je me rendre pour participer à cet essai ?
- Faudra-t-il se déplacer ?



Pour voir d'autres questions qu'il vous serait utile de poser, consulter la page des Instituts nationaux de la santé (National Institutes of Health) des États-Unis sur en

<https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/learn>.

Autres considérations spécifiques à la participation à un essai clinique

Grossesse : les directives relatives aux études de certains traitements peuvent interdire aux participants la conception d'un enfant pendant l'essai et pour une certaine période après l'étude, et ce afin d'éviter tout danger potentiel au fœtus. Si vous souhaitez concevoir un enfant, demandez à votre prestataire de soins combien de temps il vous faudra attendre avant de pouvoir le faire, et demandez-lui des conseils sur la contraception.



Voyages: certaines études qui prévoient un suivi régulier des participants pourraient interdire les voyages à l'étranger. Avant de vous inscrire à une étude, parlez à votre prestataire de vos projets de voyage.



Parlez de votre traitement à votre prestataire de soins de santé, tout en lui exprimant votre intérêt pour les essais cliniques.

Consentement éclairé



Le processus de **consentement éclairé** permet aux chercheurs de communiquer aux participants potentiels et inscrits les risques et avantages éventuels de la participation à une étude clinique donnée, afin que les participants potentiels et ceux déjà inscrits puissent prendre des décisions éclairées. Il peut inclure différentes composantes, notamment des documents de recrutement, des instructions verbales, des séances de questions-réponses et des occasions supplémentaires de formuler des questions. En général, les volontaires doivent signer un document de consentement éclairé avant de s'inscrire à une étude, mais cela n'empêche qu'ils puissent se retirer de l'étude à tout moment s'ils le souhaitent.

Comment fonctionne un essai clinique ?

Les essais cliniques suivent un processus rigoureux. Avant de pouvoir lancer un essai clinique et administrer un médicament à des sujets humains, les chercheurs doivent déterminer si ce médicament risque de causer de graves dommages. Pour ce faire, ils mènent des études précliniques **en vitro** ou **in vivo**. Celles-ci ne sont généralement pas de grande envergure.

D'ordinaire, un essai clinique, une fois lancé, peut prendre plusieurs années avant d'être achevé. Les essais cliniques biomédicaux comportent quatre phases : I, II, III, et IV. L'objectif de la phase II est de déterminer la dose et le **régime de traitement appropriés**. Parfois, les essais de phase II sont divisés en phases 2A et 2B. La phase 2A se concentre spécifiquement sur les exigences en matière de dosage, tandis que la phase 2B teste l'efficacité du médicament à traiter ou à prévenir la maladie. Dans la phase III, les participants sont placés au hasard dans des groupes thérapeutiques, également appelés « bras » de l'essai. À ce stade du développement de la recherche, un patient atteint de NASH sera très probablement invité à participer à un essai clinique actuellement au stade 2B ou III. Un groupe témoin recevrait le traitement standard ou un **placébo**, et un autre groupe ou plusieurs seraient administrés le nouveau traitement. Les essais peuvent effectivement inclure plus de deux groupes, chaque groupe recevant des doses différentes du nouveau médicament.



Que se passe-t-il si je veux me retirer d'un essai clinique ?



La participation à un essai clinique est volontaire. Cet aspect volontaire fait que les chercheurs sont tenus d'informer tous les participants, avant le début de l'étude, de leur droit de quitter l'étude à tout moment, sans raison particulière. Lorsque vous vous retirez d'une étude, veillez à le signaler à l'équipe de recherche.

Comment puis-je trouver des essais pour le traitement de la NAFLD ou de la NASH ?

Union européenne

Pour l'Union européenne (UE), le Registre des essais cliniques de l'UE contient des informations sur les protocoles et les résultats des essais cliniques interventionnels conduits dans l'UE et l'Espace économique européen (EEE) ainsi que des essais cliniques conduits en dehors de l'UE et de l'EEE, mais liés au développement de la médecine pédiatrique européenne. Vous pouvez effectuer des recherches dans la base de données du Registre en vous rendant sur la page. Vous pouvez effectuer des recherches dans la base de données du Registre en vous rendant sur la page www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search.



OR



États-Unis et monde entier

Les États-Unis La Bibliothèque nationale de médecine des États-Unis d'Amérique contient une base de données d'études cliniques financées par des fonds privés et publics, menées dans le monde, dans les 50 États fédérés et dans 219 pays. (Notez que le fait qu'une étude soit listée ne signifie pas qu'elle a été évaluée par le gouvernement fédéral américain). Consultez le site www.ClinicalTrials.gov pour rechercher des études.

Les visiteurs peuvent affiner les résultats de la recherche avec les filtres suivants

état du recrutement

(par exemple, « en phase recrutement », « en phase d'inscription sur invitation » ou « terminé »)

critères d'éligibilité

(âge, genre, etc.)

mots-clés

(stéatose hépatique, NAFLD, NASH, etc.)

type d'étude

(interventionnelle [essai clinique] ou observationnelle)

résultats de l'étude ;

phase de l'étude ;

type de financeur

(partenaire du secteur, institution de recherche universitaire ou individu)

lieu

(pays, État, ville)

Réseau des registres de l'Organisation mondiale de la Santé

De plus, le réseau des registres de l'Organisation mondiale de la Santé (OMS) regroupe des registres du monde entier qui sont spécifiques à certains pays, tels que le Registre Australien des essais cliniques en Nouvelle-Zélande (Australian New Zealand Clinical Test Registry, ANZCTR), le Registre des essais cliniques (Clinical Trials Registry, CTRI) de l'Inde et le Service d'information sur la recherche clinique (Clinical Research Information Service, CRIS) en République de Corée.

Consultez le site

www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network

pour une liste complète et pour en savoir plus.

Quelle que soit la façon dont vous apprenez l'existence d'un essai clinique, il est impératif que vous parliez à votre prestataire de soins de santé avant de participer à une étude.

Existe-t-il d'autres moyens de soutenir la recherche qu'en participant à un essai ?

Il existe de nombreuses possibilités de soutenir la recherche et les essais cliniques concernant la NAFLD/NASH. Les patients sont souvent inclus dans les comités consultatifs de conception d'essais cliniques et sont invités à participer à des essais d'observation. Par ailleurs, ils sont une composante essentielle du plaidoyer en faveur d'un meilleur financement de la recherche. Rejoignez le Global Liver Institute's Advanced Advocacy Academy pour vous informer et soutenir la recherche sur la NASH/NAFLD. Pour en savoir plus, consultez le site www.globalliver.org/advanced-advocacy-academy. Pour en savoir plus, consultez le site www.globalliver.org/advanced-advocacy-academy.





Glossaire des termes relatifs aux essais cliniques

Voici les termes que vous entendrez peut-être fréquemment au cours de votre expérience des essais cliniques. Consultez le site www.globalliver.org/liver-glossary pour un glossaire complet des termes relatifs à la santé du foie.

BALLONNEMENT

type de dégénérescence cellulaire associée au gonflement et à l'élargissement des cellules.

BIOMARQUEUR

substance mesurable ou activité physiologique dans le corps qui peut être utilisée comme un signe d'un état stable, d'un état anormal ou d'une maladie ; peut être utilisée pour déterminer comment le corps réagit aux nouveaux traitements.

BIOPSIE

un examen des tissus prélevés sur le corps pour découvrir la présence, la cause ou la portée d'une maladie.

MISE EN INSU

dissimulation de la manière dont les groupes sont répartis parmi un ou plusieurs individus participant à une étude de recherche clinique, le plus souvent un essai contrôlé randomisé. La randomisation permet de minimiser les différences entre les groupes de traitement au début d'un essai ; la mise en insu permet d'éviter les traitements ou les évaluations différentielles.

CRITÈRES D'EXCLUSION

les facteurs qui empêchent une personne à participer.

Glossaire des termes relatifs aux essais cliniques

CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

donner la permission de faire quelque chose ou accepter de faire quelque chose.

ÉTUDES D'IMAGERIE

tests non invasifs qui permettent d'obtenir des images détaillées des organes et des structures du corps. Il s'agit notamment des rayons X, de la tomographie par ordinateur (computerized tomography, CT), de l'imagerie par résonance magnétique (IRM) et des ultrasons.

CRITÈRES D'INCLUSION

les facteurs qu'un participant doit satisfaire, comme l'âge ou le genre

COMMISSION DE RÉVISION INSTITUTIONNELLE (INSTITUTIONAL REVIEW BOARD, IRB)

un groupe de personnes qui examinent, approuvent et surveillent le protocole de l'étude clinique. Leur rôle est de protéger les droits et le bien-être des personnes qui participent à une étude (appelées sujets humains de recherche), par exemple en vérifiant le formulaire de consentement éclairé. En général, ce groupe comprend des personnes ayant des origines diverses, dont un membre de la communauté, afin de s'assurer que les activités de recherche conduites par une organisation sont examinées de manière complète et appropriée. Également appelé comité d'examen de la protection des sujets humains ou comité d'éthique.

IN VITRO

hors d'un organisme.

IN VIVO

dans un organisme entier.

PLACÉBO

une substance ou un traitement inactif qui a la même apparence et est administré de la même manière qu'un médicament actif ou qu'une intervention ou un traitement à l'étude.

CHERCHEUR PRINCIPAL

la personne responsable de la direction scientifique et technique de l'ensemble de l'étude clinique.

MÉDICAMENTS INTERDITS

les médicaments que les participants ne doivent pas prendre pendant l'essai clinique, car ils pourraient affecter l'étude.

RÉGIME

un programme prescrit de traitement médical, de mode de vie ou un régime alimentaire pour la promotion ou le rétablissement de la santé.

TEST DE DÉPISTAGE

recherche d'une maladie sans symptômes dans l'espoir de la découvrir à un stade précoce.






COMMANDITAIRE/COMMANDITAIRE DE L'ÉTUDE

l'organisation ou la personne qui initie l'étude et qui a l'autorité et le contrôle sur l'étude.



INTERNATIONAL-NASH-DAY.COM
[#NASHDAY](https://twitter.com/NASHDAY)



 www.GlobalLiver.org
 [@GlobalLiver](https://www.facebook.com/GlobalLiver)
 [@GlobalLiver](https://twitter.com/GlobalLiver)
 [@GlobalLiverInstitute](https://www.instagram.com/GlobalLiverInstitute)
 [@GlobalLiverInstitute](https://www.linkedin.com/company/GlobalLiverInstitute)

Publié en 2022

L'Institut mondial du foie (Global Liver Institute, GLI) est une organisation à but non lucratif exonérée d'impôt (501 (c)(3)) qui a son siège à Washington, D.C. (États-Unis) et des bureaux aux États-Unis et en Europe. La vision du GLI est que la santé du foie prenne sa place dans le programme mondial de la santé publique, de manière proportionnelle à la prévalence et à l'impact des maladies du foie. La mission du GLI est d'améliorer la vie des personnes et des familles touchées par les maladies du foie, et ce en promouvant l'innovation, en encourageant la collaboration et en soutenant la mise à l'échelle d'approches optimales pour aider à éradiquer les maladies du foie. La journée internationale de la NASH et son logo sont une marque déposée du GLI. Pour plus d'information, consultez le site www.GlobalLiver.org.

Ce contenu est destiné à fournir au grand public des informations utiles sur la santé. Il n'est pas censé remplacer un avis, un diagnostic ou un traitement médical professionnel.

Références

1. National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases. (2018, September). Clinical Trials for NAFLD & NASH. <https://www.niddk.nih.gov/health-information/liver-disease/nafl-d-nash/clinical-trials>
 2. Lackner, C., Gogg-Kamerer, M., Zatloukal, K., Stumptner, C., Brunt, E. M., & Denk, H. (2008). Ballooned hepatocytes in steatohepatitis: the value of keratin immunohistochemistry for diagnosis. *Journal of hepatology*, 48(5), 821–828. <https://doi.org/10.1016/j.jhep.2008.01.026>
 3. Pan, J. J., & Fallon, M. B. (2014). Gender and racial differences in nonalcoholic fatty liver disease. *World journal of hepatology*, 6(5), 274–283. <https://doi.org/10.4254/wjh.v6.i5.274>
 4. Mayo Clinic. (n.d.) Clinical Trials: Volunteering. <https://www.mayo.edu/research/clinical-trials/deciding-to-volunteer>
National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine. (2019, March). Learn About Clinical Studies. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/learn>
 5. National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine, [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). (2020, December). Glossary of Common Site Terms. <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/glossary>
 7. U.S. Food & Drug Administration. (2018, January). Step 2: Preclinical Research. <https://www.fda.gov/patients/drug-development-process/step-2-preclinical-research>
 8. National Comprehensive Cancer Network. (n.d.) Phases of clinical trials. https://www.nccn.org/patients/resources/clinical_trials/phases.aspx
 9. Cancer.net. (2019, September). Phases of Clinical Trials. <https://www.cancer.net/research-and-advocacy/clinical-trials/phases-clinical-trials>
 10. Karanicolas, P. J., Farrokhyar, F., & Bhandari, M. (2010). Practical tips for surgical research: blinding: who, what, when, why, how?. *Canadian journal of surgery. Journal canadien de chirurgie*, 53(5), 345–348. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC2947122/>
 11. National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine. (2020, December). Glossary of Common Site Terms. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/glossary>
-