

02/02/2024



Dans quelle mesure les cohortes d'essais cliniques sont-elles représentatives de la population générale de la mucoviscidose ? Implications pour l'organisation des essais cliniques

Titre grand public :

Les personnes atteintes de mucoviscidose qui participent à des essais cliniques ne sont pas complètement représentatives de l'ensemble de la population atteinte de mucoviscidose

Auteurs :

Rebecca Dobra, Sophie Pinnell, Andy Jones, Susan Madge, Nicholas J Simmonds, Jane C Davies

Affiliations :

National Heart and Lung Institute, Imperial College London
Department of Adult Cystic Fibrosis, Royal Brompton Hospital
Department of Paediatric Respiratory Medicine, Royal Brompton Hospital

Quelle est la problématique de votre recherche ?

Nous voulions 1) identifier quel pourcentage des personnes atteintes de mucoviscidose et soignées dans notre centre serait éligible pour participer à un essai, et 2) étudier les motifs les plus fréquents pour lesquels les patients sont exclus des essais.

Pourquoi est-ce important ?

Il est important que les personnes qui participent aux essais sur la mucoviscidose soient représentatives de la population générale des patients. Ainsi, lorsque les médicaments passent des essais à l'utilisation clinique, les médecins savent dans quelle mesure ils sont sûrs et efficaces pour l'ensemble de la population atteinte de mucoviscidose. En outre, le fait de connaître quel pourcentage de la population est éligible pour participer aux essais aidera les responsables de ces essais à déterminer le nombre de personnes atteintes de mucoviscidose susceptibles d'y prendre part. Cela les aidera à fixer des objectifs de recrutement réalistes.

Quels sont les travaux réalisés ?

Nous avons examiné les critères d'inclusion et d'exclusion de tous les essais menés dans notre centre et les avons regroupés pour identifier les critères d'admission les plus courants. Un exemple de critère d'inclusion était d'avoir un VEMS entre 40 et 90 %. Les critères d'exclusion étaient, par exemple, le fait

d'avoir reçu une greffe ou d'avoir des résultats anormaux aux analyses de la fonction hépatique. Nous avons examiné les dossiers informatiques des personnes atteintes de mucoviscidose âgées de plus de 12 ans dans notre centre et avons déterminé si elles pouvaient participer à l'essai sur la base des critères d'admission les plus courants.

Quels sont les résultats ?

Nous avons examiné les dossiers de 653 personnes atteintes de mucoviscidose. Seulement 198 (31%) des personnes de notre site auraient pu participer à un essai sur la base de nos critères d'admission. Le motif d'exclusion le plus fréquent était un VEMS supérieur à 90 % de la valeur prédite. Plus du tiers des personnes de notre site ne pourraient probablement pas participer aux essais actuels pour ce motif. Le deuxième motif d'exclusion le plus fréquent était que les patients souffraient d'une infection des voies respiratoires ou d'un rhume à ce moment-là. Parmi les autres motifs, citons des analyses anormales de la fonction hépatique, ou d'autres maladies graves.

Que cela signifie-t-il et pourquoi faut-il rester prudent ?

Les personnes qui participent aux essais cliniques ne sont pas très représentatives de la population générale des personnes atteintes de mucoviscidose. Il peut donc être difficile d'évaluer l'innocuité et l'efficacité des médicaments lorsqu'ils passent des essais à l'utilisation clinique. Seul un pourcentage relativement faible de personnes atteintes de mucoviscidose est en mesure de participer aux essais actuels, ce qui peut rendre difficile le recrutement d'un nombre suffisant de personnes pour mener à bien les essais de nouveaux médicaments.

Cet essai n'était pas un véritable essai. Les essais réels peuvent avoir des critères légèrement différents, de sorte que nos pourcentages ne sont qu'une estimation.

Quelles sont les perspectives ?

Nous travaillons avec des personnes en charge de la conception des essais pour mettre en évidence le faible pourcentage de patients pouvant participer aux essais actuels, et pour trouver des solutions permettant à un plus grand nombre d'entre eux de participer, par exemple en cherchant des moyens de permettre aux patients ayant une fonction pulmonaire élevée de prendre part aux essais.

Lien vers le manuscrit original sur PubMed :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38040535/>