



J'aime les cellules souches

# DE LA RECHERCHE À LA THÉRAPIE CELLULAIRE

TOUT CE QUE VOUS DEVEZ SAVOIR

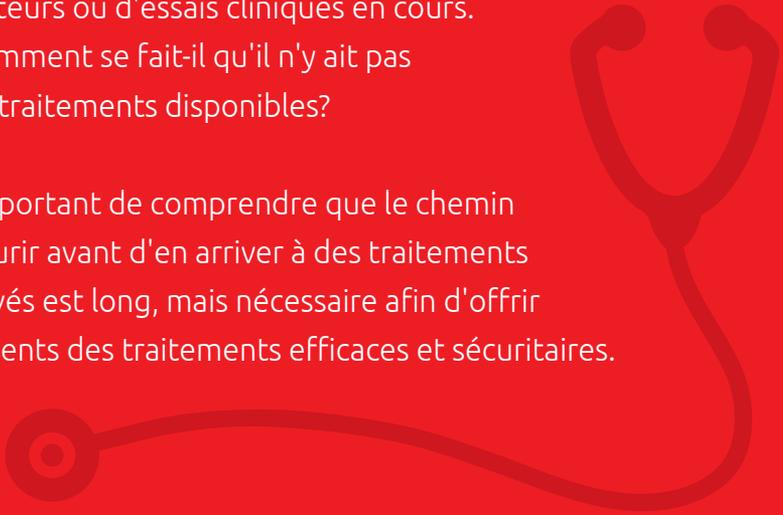


**CellCAN**

Réseau de médecine régénératrice  
et de thérapie cellulaire

On entend beaucoup parler dans les médias de l'énorme potentiel de la **thérapie cellulaire**, c'est-à-dire des traitements à base de cellules souches. L'information relatée est fréquemment basée sur des résultats de recherche prometteurs ou d'essais cliniques en cours. Mais comment se fait-il qu'il n'y ait pas plus de traitements disponibles?

Il est important de comprendre que le chemin à parcourir avant d'en arriver à des traitements approuvés est long, mais nécessaire afin d'offrir aux patients des traitements efficaces et sécuritaires.



## LES DIFFÉRENTES ÉTAPES DU DÉVELOPPEMENT DES TRAITEMENTS

Avant que les découvertes scientifiques ne deviennent un traitement approuvé et disponible pour les patients, elles doivent passer par un processus de développement. Ce processus a pour but de garantir la sécurité et l'efficacité des traitements. L'ensemble du processus de développement des traitements peut prendre jusqu'à 15 ans et même plus.

### Recherche préclinique

#### Recherche en laboratoire et sur les animaux

*Démontrer par preuve  
de principe que le produit  
est sécuritaire et efficace.*

### Contrôle de qualité

- Évaluer les fonctions de la cellule
- S'assurer que les cellules ne sont pas contaminées
- Sans produits animaliers
- Mise à l'échelle afin de produire des quantités suffisantes

### Recherche clinique

#### Phase I-III

*Tester la sécurité  
et l'efficacité des  
traitements*

**Approbation  
pour le  
marché  
/ Phase IV**



## LA RECHERCHE PRÉCLINIQUE

La recherche préclinique représente la première étape du processus de développement de traitements. Cette étape vise à démontrer que le traitement a le potentiel d'être sécuritaire et efficace avant de mener des tests supplémentaires.

À cette étape, les scientifiques effectuent des expériences chez les animaux ayant des maladies ou des blessures similaires à l'humain. Ils cherchent à mieux comprendre la maladie, à évaluer les problèmes qu'elle génère et à trouver une façon d'y remédier.

Les résultats de ces recherches sont examinés dans le cadre d'un processus de révision indépendant, appelé révision par les pairs, afin de s'assurer que ces recherches aient été correctement menées. Les résultats sont alors publiés afin que d'autres scientifiques puissent répéter les expériences et valider leurs résultats.

Lorsque les résultats de recherche préclinique démontrent une efficacité et sécurité suffisantes, la recherche progresse vers l'étape de développement suivante, soit celle des essais cliniques effectués chez les humains.



## APPROBATIONS ÉTHIQUE ET RÉGLEMENTAIRE NÉCESSAIRES POUR LES ESSAIS CLINIQUES

Les travaux de recherche clinique pourront débuter que lorsque la demande d'essais cliniques aura reçu une approbation éthique (comité d'éthique du centre où la recherche s'effectuera) et une approbation réglementaire du pays où les essais cliniques se réaliseront (par exemple, de Santé Canada au Canada et de la FDA [*Food and Drug administration*] aux États-Unis).

Le comité d'éthique, qui s'assure que les participants des essais cliniques soient traités de façon éthique, est constitué entre autres d'experts en sciences, en recherche clinique et en droit, ainsi que des représentants du public et des groupes de patients. Ce comité d'éthique étudie notamment les éléments suivants :

- Le protocole de recherche, c'est-à-dire ce que les chercheurs ont l'intention de faire;
- L'information fournie au patient et la façon dont elle est présentée;
- La façon dont le consentement des patients a été obtenu;
- La façon dont les participants seront suivis;
- Si les bénéfices de la recherche proposée prédominent sur les risques;
- La possibilité des participants de se retirer de l'étude pour quelque raison que ce soit.

L'approbation réglementaire vise à s'assurer que les essais cliniques proposés soient sécuritaires pour les patients et que le traitement à l'étude soit efficace. Les réviseurs des agences réglementaires étudient entre autres :

- Le protocole de recherche;
- La qualité des données précliniques;
- La façon dont les participants seront suivis;
- Si une approbation éthique a été ou sera obtenue;
- L'endroit où la recherche aura lieu;
- Les risques pour les participants;
- Les avantages potentiels de la recherche.

Une fois ces approbations obtenues, le développement de traitements peut progresser vers les phases cliniques visant l'obtention des données nécessaires pour l'approbation du traitement.

---



## LA RECHERCHE CLINIQUE

Les essais cliniques, effectués chez les humains, comptent 3 ou 4 phases et visent à démontrer la sécurité et l'efficacité des traitements proposés en vue d'une homologation (approbation) pour une application clinique.

En recherche clinique, on vise d'abord à démontrer la sécurité des traitements sur un nombre restreint de participants (phase 1) pour progresser vers une preuve d'efficacité sur un échantillon plus important de patients atteints de la maladie visée (phases 2 et 3).

**Il revient généralement aux scientifiques ou à l'organisme réalisant l'essai clinique de couvrir les coûts de participation des patients. Soyez très prudent à l'égard d'un essai clinique qui exigerait un paiement de la part des participants.**

---

### PHASE 1

L'objectif de l'essai clinique de phase 1 est de déterminer si l'intervention ou le traitement proposé est sécuritaire, et non si les patients peuvent en retirer un bénéfice. Cette phase implique généralement un nombre de participants limité (entre 10 et 60), bien que ce nombre puisse varier selon les études.

S'il s'agit des premiers essais cliniques chez l'humain pour les traitements proposés, les scientifiques devront démontrer a priori aux organismes de réglementation (dans la demande d'essais cliniques) qu'à travers les données de la recherche préclinique:

- Le traitement est sécuritaire et efficace;
  - Les cellules souches se comportent comme prévu;
  - Les cellules souches peuvent être produites en quantité suffisante tout en étant de qualité supérieure.
- 

## PHASE 2

Les essais cliniques de phase 2 impliquent plus de participants et visent à réaliser une évaluation préliminaire de l'efficacité du traitement pour une condition médicale donnée (appelée « indication ».) Durant cette phase, les chercheurs continuent également à surveiller la présence éventuelle d'effets secondaires indésirables (sécurité).

---

## PHASE 3

Les essais cliniques de phase 3 ont une plus grande envergure. Leur objectif est de recueillir davantage de données sur la sécurité et sur l'efficacité du traitement, particulièrement en comparaison avec celles d'autres traitements disponibles sur le marché. Généralement, après les essais cliniques de phase 3, les résultats du développement sont soumis aux autorités réglementaires dans une demande d'homologation (approbation), afin de recevoir une autorisation de mise en marché. Cette autorisation rendra disponible aux médecins le traitement pour les indications approuvées.

---

## PHASE 4

Les essais cliniques de phase 4 sont des essais réalisés une fois que le traitement est approuvé (disponible sur le marché). Ces essais post-approbation permettent de continuer à surveiller la sécurité et l'efficacité du produit approuvé et servent aussi à étudier certaines populations (par exemple les enfants) qui n'étaient pas incluses dans les phases précédentes.

# L'EXCEPTION DES ÉTUDES D'INNOVATION MÉDICALE

Certains types d'études diffèrent du cadre réglementaire habituel des essais cliniques. Ces études, dites d'innovation médicale, sont exceptionnelles et s'effectuent par un médecin sur un petit nombre de patients très malades lorsque ce dernier juge pour des raisons scientifiques que les résultats d'une recherche préclinique ont démontré la sécurité et l'efficacité d'un traitement et que celui-ci pourrait être bénéfique pour ses patients.

Il est important de préciser que l'innovation médicale ne fait pas partie d'une démarche de recherche et développement, mais représente une approche de traitement disponible pour les médecins dans des circonstances particulières. Comme elle n'est offerte qu'à un très petit nombre de patients, des essais cliniques en bonne et due forme devront être menés par les scientifiques ou organismes avant que le traitement puisse être approuvé et mis sur le marché.

L'objectif des essais cliniques est d'acquérir des connaissances pour soutenir une éventuelle demande d'approbation réglementaire rendant la thérapie disponible aux patients. Même si les patients qui y participent peuvent en retirer des bénéfices, les essais cliniques n'existent pas pour fournir une thérapie.

**Les essais cliniques  
sont de la recherche  
et non des thérapies**

Dans certains types d'essais cliniques (les essais contrôlés par placebo), les patients ne sont pas certains de recevoir le traitement à l'étude, car ils sont répartis au hasard soit dans un groupe qui reçoit le traitement expérimental ou soit dans un groupe qui reçoit un placebo, c'est-à-dire un traitement simulant le traitement à l'étude, afin de prendre en compte la part psychologique à l'œuvre dans l'efficacité éventuelle d'un traitement.

## RESSOURCES ADDITIONNELLES

Vous pouvez trouver un registre de tous les essais cliniques menés à travers le monde à l'adresse suivante : **[clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov)**

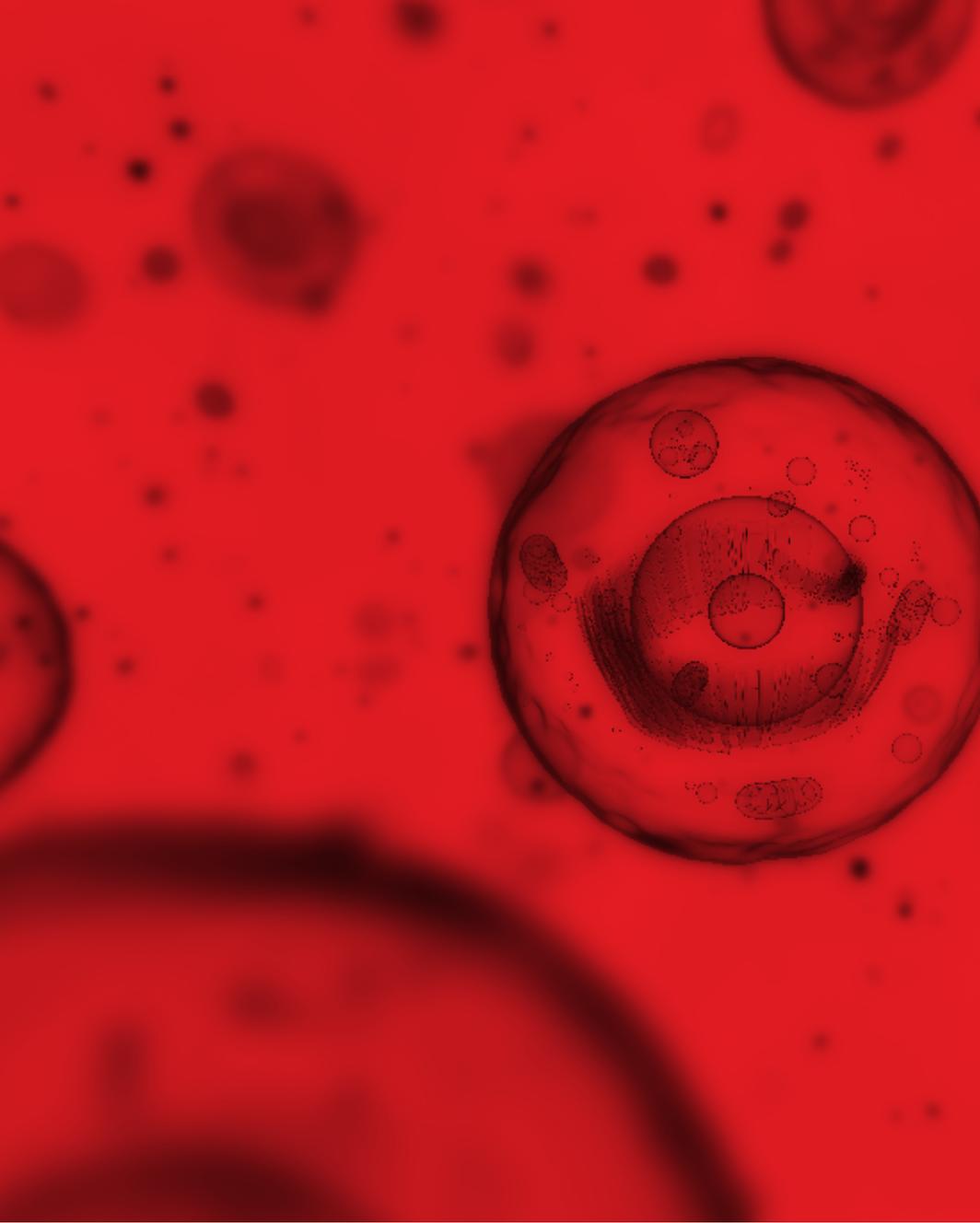
Si vous avez des questions, vous pouvez nous rejoindre à l'adresse **[info@cellcan.com](mailto:info@cellcan.com)**

# OÙ EN EST LE DÉVELOPPEMENT DES TRAITEMENTS À BASE DE CELLULES SOUCHES?

Les cellules souches ont le potentiel de traiter de nombreuses maladies. De plus en plus de thérapies sont testées et approuvées. Parmi ces thérapies, celles qui utilisent des cellules souches sanguines (hématopoïétiques) permettent de traiter certains cancers du sang ainsi que certaines autres maladies du sang et du système immunitaire. Communément identifiés par les termes « greffe de moelle osseuse » ou « greffe de cellules sanguines », ces traitements sont bien connus et utilisés avec succès depuis longtemps.

La plupart des recherches sur les cellules souches sont au stade de développement en laboratoire ou dans les premières phases des essais cliniques (phase 1 et phase 2).

- Les essais cliniques en cours utilisent généralement des cellules souches adultes – essentiellement des cellules souches sanguines (hématopoïétiques) et parfois des cellules souches issues de sang de cordon ombilical. Ces cellules sont utilisées pour traiter les cancers ou encore la maladie du greffon contre l'hôte, une complication survenant après une greffe de moelle osseuse ou de cellules souches.
- Certains essais cliniques étudient l'utilisation de cellules souches dites « mésenchymateuses » pour traiter la maladie du greffon contre l'hôte, mais aussi pour étudier les crises cardiaques, les problèmes de foie, la sclérose en plaques et d'autres affections.
- Des essais cliniques sont également en cours pour les conditions de maladies neurologiques, les maladies cardiovasculaires, les affections de l'œil et le diabète.
- Des cellules souches embryonnaires humaines sont utilisées dans de rares essais cliniques de phase 1 pour l'étude de lésions de la moelle épinière et de troubles de la vision.
- Le gouvernement japonais a récemment approuvé une demande pour une première étude pilote (étude à petite échelle) utilisant des cellules créées à partir de cellules souches pluripotentes induites (des cellules obtenues en ajoutant certains gènes à des cellules souches adultes pour les rendre pluripotentes, c'est-à-dire capables de se transformer en n'importe quel type de cellule humaine) pour étudier la dégénérescence maculaire liée à l'âge (condition causant une perte de vision).



**CellCAN**

Réseau de médecine régénératrice  
et de thérapie cellulaire

5415, boul. de l'Assomption, suite 235  
Montréal, QC H1T 2M4

info@cellcan.com

[WWW.CELLCAN.COM](http://WWW.CELLCAN.COM)

[WWW.JAIMELESCELLULESSOUCHES.CA](http://WWW.JAIMELESCELLULESSOUCHES.CA)

 @CellCAN\_Network