

Essais cliniques avec des éléments décentralisés : Résultats de l'enquête auprès des associations de patients/patients experts

Ce rapport de synthèse présente les résultats d'une enquête menée par pharma.be, l'organisation coupole de l'industrie pharmaceutique innovante en Belgique, qui visait à comprendre les perspectives et les préférences des participants aux études cliniques en ce qui concerne la décentralisation de certaines activités de recherche. L'enquête a été distribuée par voie électronique par pharma.be via SurveyMonkey aux organisations de patients et aux patients experts en Belgique en février et mars 2024.

Contexte

Les médicaments, vaccins et autres traitements innovants qui sont aujourd'hui à la disposition des patients sont le résultat de nombreuses années de recherche et de développement cliniques. Les études cliniques sont complexes et strictement réglementées et peuvent facilement durer de 10 à 12 ans. Ces études sont très importantes pour tester l'efficacité, la sécurité et la tolérabilité des nouveaux médicaments potentiels.

Traditionnellement, ces études sont principalement menées dans les hôpitaux et les centres de recherche clinique. Grâce aux progrès technologiques, et suite à l'évolution des préférences des patients, il existe un intérêt croissant pour l'exploration d'approches nouvelles et innovantes en matière d'études cliniques.

Dans une étude clinique avec des activités décentralisées, certaines activités de recherche sont menées en dehors de l'hôpital, mais toujours sous le contrôle de l'investigateur de l'étude, par exemple, au domicile du participant. Toutefois, cela ne signifie pas que toutes les activités se déroulent à domicile (par exemple, les visites spécifiques avec l'investigateur, les scanners, les biopsies... ont toujours lieu à l'hôpital). Cette nouvelle approche de la recherche clinique vise à tenir compte autant que possible des préférences et des besoins des participants, leur offrant ainsi une plus grande flexibilité.

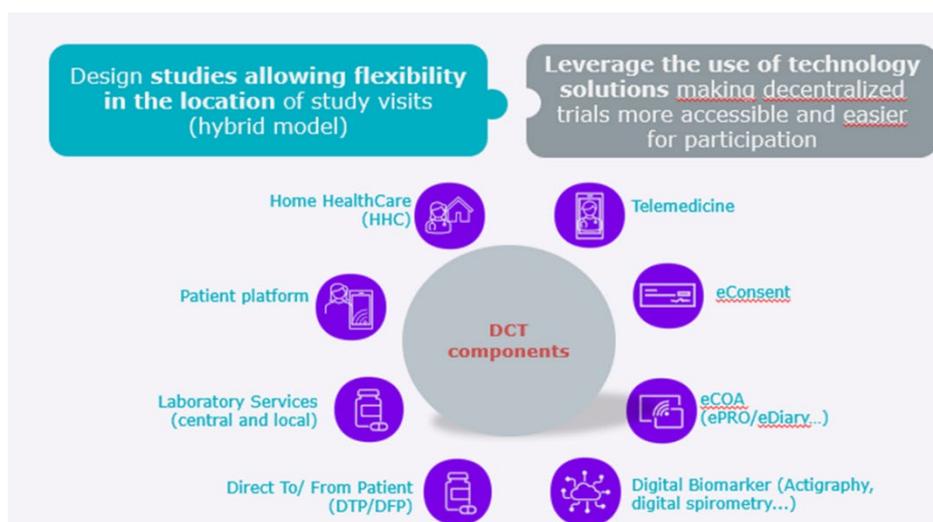
Cette flexibilité dans la conduite de certaines activités de recherche au domicile du participant a pour but :

- d'augmenter les possibilités de participation et de réduire les inconvénients pour les participants (par exemple, le temps de transport).
- d'augmenter et élargir le groupe de participants pour qu'il soit plus diversifié ;
- d'améliorer le suivi et l'engagement des participants à l'étude ;
- d'optimiser la collecte de données en temps réel auprès des participants, et donc d'améliorer la qualité de ces données, et simplifier le suivi de ces données.

Patients	Investigators	Sponsor
<ul style="list-style-type: none"> • Increase options for participation • Minimize disruption in daily activities • Decrease burden 	<ul style="list-style-type: none"> • Increase outreach to facilitate recruitment • Improve participants compliance/retention • Optimize data collection in real time • Enhance participant engagement 	<ul style="list-style-type: none"> • Increase diversity of participants • Collect data in real-life setting • Enhance data quality with direct collection from participants • Simplify monitoring and review processes

Voici quelques exemples d'activités de recherche dans le cadre d'études cliniques qui pourraient se dérouler en dehors de l'hôpital, au domicile du participant :

- Envoi du médicament de l'étude directement de la pharmacie de l'hôpital au domicile du participant ;
- Obtention d'un consentement électronique à distance pour la participation à l'étude (avec des informations sur la recherche qui sont fournies par l'investigateur par vidéoconférence);
- Effectuer certaines visites (de suivi) à distance par vidéoconférence ou par téléphone ;
- L'administration de certains traitements par une infirmière au domicile du participant ;
- L'utilisation d'appareils numériques pour collecter à distance certaines données médicales en temps réel, et surveiller à distance les paramètres des participants, par exemple des capteurs, Apple Watch, etc.



Aperçu de l'enquête

Objectif : pharma.be a cherché à mieux comprendre les besoins, les perspectives et les préférences des participants aux études cliniques (patients) en ce qui concerne la décentralisation de certaines activités de recherche des hôpitaux vers le domicile des participants.

Public cible de l'enquête :

- toute personne ayant déjà participé à une étude clinique
- les accompagnateurs/soignants des patients qui participent ou ont participé à une étude clinique
- des personnes ayant une grande expertise dans le domaine des études cliniques (par exemple, des patients experts, ou via des associations de patients)

Résultats

Au total, 31 réponses ont été obtenues dans le cadre de l'enquête.

Résultats des questions fermées

Vous trouverez ci-dessous une ventilation du pourcentage de répondants ayant indiqué que chaque type d'activité de recherche décentralisée :

- accroîtrait la motivation ;
- accroîtrait l'adhésion au protocole de l'étude ;
- permettrait une plus grande diversité de la population ;
- présenterait des inconvénients potentiels pour les participants.

Il s'agissait de questions fermées, pour lesquelles les répondants devaient sélectionner ce qui s'appliquait (plusieurs réponses étaient possibles).

- **Envoi direct du médicament de l'étude au domicile des participants :**
 - **68 % des personnes interrogées ont indiqué que cela augmenterait leur motivation à participer à des essais cliniques.**
 - 52 % des personnes interrogées ont déclaré que cela augmenterait l'adhésion au protocole de l'essai.
 - 65 % des personnes interrogées pensent que cela permettrait à une population plus diversifiée de participer aux essais cliniques.
 - 21% des répondants ont exprimé des inquiétudes quant aux inconvénients potentiels pour les participants.
- **Information électronique et consentement à distance pour la participation :**
 - **77 % des personnes interrogées ont indiqué que cela augmenterait leur motivation à participer.**
 - 35 % des personnes interrogées ont déclaré que cela augmenterait l'adhésion au protocole de l'essai.
 - 42 % des personnes interrogées pensent que cela permettrait à une population plus diversifiée de participer.
 - 31% des personnes interrogées ont exprimé des inquiétudes quant aux inconvénients potentiels.

- **Organisation à distance des visites (de suivi) :**
 - 77 % des personnes interrogées ont indiqué que cela augmenterait leur motivation à participer.
 - 77% des personnes interrogées ont déclaré que cela augmenterait l'adhésion au protocole de l'essai.
 - 68 % des personnes interrogées pensent que cela permettrait à une population plus diversifiée de participer.
 - 28 % des répondants ont exprimé des inquiétudes quant aux inconvénients potentiels.

- **Organisation de visites avec une infirmière au domicile des participants :**
 - 74 % des personnes interrogées ont indiqué que cela augmenterait leur motivation à participer.
 - 74% des personnes interrogées ont déclaré que cela augmenterait l'adhésion au protocole de l'essai.
 - 81 % des personnes interrogées pensent que cela permettrait à une population plus diversifiée de participer.
 - 10 % des répondants ont exprimé des inquiétudes quant aux inconvénients potentiels.

- **Utilisation d'appareils numériques pour la saisie de données en temps réel :**
 - 87 % des personnes interrogées ont indiqué que cela augmenterait leur motivation à participer.
 - 81 % des personnes interrogées ont déclaré que cela augmenterait l'adhésion au protocole de l'essai.
 - 42 % des personnes interrogées pensent que cela permettrait à une population plus diversifiée de participer.
 - 28 % des répondants ont exprimé des inquiétudes quant aux inconvénients potentiels.

En outre, les répondants avaient la possibilité de fournir davantage d'informations sur la raison pour laquelle une certaine réponse avait été donnée (champ ouvert). Ce retour d'information est résumé comme suit :

Réduire l'investissement en temps et la charge mentale associés à la participation à un essai clinique peut certainement influencer positivement la motivation à participer à une étude, et l'inclusion de la population active et jeune.

Cependant, l'environnement hospitalier peut être rassurant pour certains répondants, qui préféreraient que les visites et les procédures de l'étude se déroulent à l'hôpital, malgré le temps et la charge du trajet. Certains répondants soulignent que les contacts humains personnels restent primordiaux et sont particulièrement importants au début de l'étude.

Les répondants soulignent que les appareils numériques sont essentiels pour améliorer l'adhésion à la thérapie (i) grâce à la mesure de certains paramètres en temps réel, (ii) grâce à des visites de suivi par vidéoconférence offrant un soutien continu. Toutefois, d'autres répondants ont souligné le sentiment de "contrôle" qu'ils peuvent créer.

Si ces appareils numériques peuvent avoir un impact positif sur l'adhésion et faciliter la participation de certains groupes de la population, leur utilisation peut être difficile pour d'autres groupes de la population

(en raison de la fracture numérique), et empêcher leur participation et leur inclusion dans les essais cliniques si l'utilisation de ces outils devenait obligatoire.

Résultats des questions ouvertes

Outre les questions fermées, l'enquête comprenait trois questions ouvertes invitant les répondants à faire part des autres avantages qu'ils voyaient dans les éléments décentralisés des essais cliniques, à identifier les inconvénients potentiels et à suggérer d'autres éléments qui pourraient être décentralisés.

- **Autres avantages des éléments décentralisés dans les essais cliniques :**
 - Réduction de la discrimination dans la participation.
 - Amélioration de la qualité de vie et réduction de l'impact sur la vie quotidienne.
 - Amélioration de l'expérience et de la responsabilisation des patients.
 - Possibilité pour les participants de rester en famille.
 - Flexibilité et facilité de traitement/soins.
 - Considérations écologiques et financières

- **Inconvénients des éléments décentralisés :**
 - Réduction des contacts avec l'équipe d'étude, ce qui pourrait entraîner une perte de confiance.
 - Cadre impersonnel et sentiment de solitude/anxiété.
 - Défis dans l'organisation de la décentralisation des activités et dans le maintien de la cohérence entre celles-ci.
 - Disponibilité d'infirmières qualifiées (de préférence toujours la même).
 - Risque d'exclusion des personnes ayant moins de compétences numériques.
 - Manque potentiel d'adhésion en raison d'une mauvaise compréhension de la part du participant.

- **Autres éléments pouvant être décentralisés :**
 - Questionnaires à remplir à domicile.
 - Utilisation d'appareils numériques pour fournir des traitements personnalisés et des informations sur les maladies.

Discussion

Augmentation de la motivation des patients

L'envoi direct du médicament de l'étude au domicile du participant, l'organisation de visites à distance (de suivi), l'utilisation de l'information électronique et du consentement à distance, l'organisation de visites à domicile avec une infirmière et l'utilisation d'appareils numériques pour la saisie de données en temps réel sont tous considérés par une grande majorité (68 % - 87 %) des répondants comme des éléments décentralisés qui augmenteraient la motivation à participer à une étude clinique. Les principaux moteurs de cette motivation sont la réduction de l'investissement en temps, comme le transport, et l'impact minimisé de l'étude sur les activités quotidiennes grâce à ces éléments.

Amélioration de l'adhésion des patients

Amélioration de l'adhésion des patients

En outre, l'organisation à distance des visites (de suivi), les visites à domicile avec une infirmière et l'utilisation d'appareils numériques pour la saisie des données en temps réel sont perçues par une

grande majorité (74 % - 81 %) des répondants comme des éléments susceptibles d'accroître l'adhésion au protocole de l'étude. Les visites en ligne à distance pourraient offrir la possibilité de contacts plus fréquents avec l'équipe de l'étude, tandis que les appareils numériques faciliteraient la saisie des données en temps réel, deux éléments qui contribuent à accroître la flexibilité et la facilité du traitement/des soins, ce qui peut potentiellement influencer positivement l'adhésion au protocole. En outre, la saisie des données en temps réel pourrait être utilisée pour les résultats rapportés par les patients et les mesures de l'expérience des patients, dont l'utilisation augmente considérablement aujourd'hui

Augmentation de la diversité des patients

L'organisation de visites à domicile avec une infirmière est considérée par 81 % des répondants comme permettant à une population plus diversifiée de participer à l'étude. En outre, 68 % et 65 % des répondants respectivement soulignent que l'utilisation de visites à distance et l'envoi direct de médicaments de l'étude au domicile des participants sont des éléments décentralisés qui favorisent la diversité dans les études cliniques. Toutefois, les répondants ont souligné que la diversité dans une étude clinique ne peut pas être améliorée uniquement par un seul facteur ou par la décentralisation des activités seule. Il faut plutôt une combinaison de mesures qui vont au-delà de la décentralisation des activités dans les études cliniques.

Points d'attention

L'enquête n'a pas seulement mis en évidence les avantages de la décentralisation des activités dans les études cliniques, mais les répondants ont également souligné les inconvénients potentiels et les points d'attention. Néanmoins, ceux-ci restent limités, puisque seulement 10 % à 31 % (selon l'élément) des personnes interrogées ont exprimé des inquiétudes quant aux inconvénients potentiels de l'une des activités décentralisées. Les inconvénients potentiels signalés comprennent la réduction des contacts avec l'équipe de l'étude que la décentralisation peut impliquer, ainsi que le cadre impersonnel et le sentiment de solitude ou d'anxiété qu'il peut induire, ou encore le risque de perte de confiance de la part des participants. En outre, selon les personnes interrogées, l'utilisation d'appareils numériques risque d'exclure de l'étude les participants moins compétents dans ce domaine.

Conclusion et perspectives d'avenir

En conclusion, les résultats de l'enquête donnent des indications précieuses sur les besoins, les perspectives et les préférences des participants en ce qui concerne les éléments décentralisés des essais cliniques. Ils mettent en lumière à la fois les avantages potentiels et les préoccupations liées à une telle mise en œuvre.

D'après les commentaires des personnes interrogées, les activités décentralisées dans les essais cliniques minimisent les perturbations de la vie quotidienne, l'investissement en temps, les obligations et la charge mentale associées à la participation. Cette amélioration de l'expérience du patient pourrait avoir un impact positif sur la motivation à participer et sur l'adhésion au protocole de l'étude.

L'utilisation des technologies numériques permet aux participants d'effectuer des activités à distance, à leur domicile. Toutefois, il convient de veiller à ce que cette utilisation n'exclue pas d'une étude clinique certaines personnes peu aptes à utiliser les technologies numériques. L'importance du contact humain

entre l'équipe d'étude et le participant reste vitale pour maintenir la confiance et l'assurance des participants.

Le succès de la décentralisation de certains éléments d'un essai clinique repose sur une organisation solide, un encadrement efficace, des informations suffisantes et un bon équilibre entre les activités à distance et les interactions en personne.

Compte tenu de la diversité des participants, une approche unique ne convient pas. C'est pourquoi la décentralisation facultative de certaines activités de recherche permet aux individus d'adapter leur participation à leurs besoins.

Annexe: Questionnaire

Introduction de l'enquête :

pharma.be est l'organisation coupole de l'industrie pharmaceutique en Belgique. pharma.be souhaite mieux comprendre les perspectives et les préférences des participants aux essais cliniques en ce qui concerne le déplacement de certaines activités de recherche depuis l'hôpital vers le domicile du participant (on parle de décentralisation de ces activités). Nous vous invitons à répondre à l'enquête ci-dessous. Nous vous demandons votre avis sur l'impact potentiel de différents aspects d'un essai clinique décentralisé.

Cette enquête vous prendra environ 10 minutes. Aucune donnée personnelle au sens de la législation en vigueur sur la protection des données (GDPR) n'est demandée lorsque vous répondez à cette enquête. Les résultats sont anonymes et seront agrégés.

Qu'est-ce qu'un essai clinique décentralisé ?

Un essai clinique est une étude scientifique menée pour tester de nouveaux traitements médicaux, médicaments ou interventions. Dans un essai clinique décentralisé, certaines activités de recherche sont menées à distance, en dehors de l'hôpital, sous le contrôle du médecin chercheur, par exemple au domicile du participant. Cependant, cela ne signifie pas que toutes les activités liées à l'essai se déroulent à domicile (on pense ici aux visites spécifiques au cabinet du médecin chercheur, aux scanners, aux biopsies ,... qui ont toujours lieu à l'hôpital). Cette nouvelle approche de la recherche clinique permet de prendre en compte autant que possible les préférences et les besoins des participants, offrant ainsi plus de flexibilité à ces derniers.

Objectif de cette flexibilité dans la réalisation de certaines activités de recherche au domicile du participant :

- Augmenter les possibilités de participation et réduire la charge qui pèse sur les participants (par exemple, le temps de transport) ;

- Augmenter et élargir le groupe de participants pour y avoir une plus grande diversité, et améliorer le suivi et l'engagement des participants dans l'étude ;

- Optimiser la collecte de données auprès du participant en temps réel, améliorer la qualité de ces données et simplifier le suivi de ces données.

Exemples d'activités de recherche dans les essais cliniques qui pourraient se faire en dehors de l'hôpital, au domicile du participant :

- Expédier le médicament à l'étude depuis la pharmacie de l'hôpital directement vers le domicile du participant ;

- Donner son consentement à distance (par voie électronique) pour une participation

à l'étude (avec des informations sur l'étude fournies par l'investigateur par vidéoconférence) ;

- Organisation de certaines visites à distance (visite de suivi) par vidéoconférence ou téléphone ;

- Organisation de certains soins liés à l'essai par une infirmière au domicile du participant ;

- Utilisation d'appareils numériques pour collecter certaines données médicales à distance et en temps réel et surveiller les paramètres du participant à distance, comme par exemple des capteurs, une apple watch,...

1. Parmi les éléments suivants, lesquels vous **motiverait** à participer à un essai clinique?

- Expédier le médicament à l'étude depuis la pharmacie de l'hôpital directement vers le domicile du participant
- Donner son consentement à distance (par voie électronique) pour une participation à l'étude (avec des informations sur l'étude fournies par l'investigateur par vidéoconférence)
- Organisation de certaines visites à distance (visite de suivi) par vidéoconférence ou téléphone
- Organisation de certains soins liés à l'essai par une infirmière au domicile du participant
- Utilisation d'appareils numériques pour collecter certaines données médicales à distance et en temps réel et surveiller les paramètres du participant à distance, comme par exemple des capteurs, une apple watch,...
- Aucune des réponses ci-dessus

Pourquoi oui/non?

2. Parmi les options suivantes, quelles sont celles qui, selon vous, favoriseraient l'**adhésion** (*respect correct du traitement et du protocole*) des participants à l'étude?

- Expédier le médicament à l'étude depuis la pharmacie de l'hôpital directement vers le domicile du participant
- Donner son consentement à distance (par voie électronique) pour une participation à l'étude (avec des informations sur l'étude fournies par l'investigateur par vidéoconférence)
- Organisation de certaines visites à distance (visite de suivi) par vidéoconférence ou téléphone
- Organisation de certains soins liés à l'essai par une infirmière au domicile du participant
- Utilisation d'appareils numériques pour collecter certaines données médicales à distance et en temps réel et surveiller les paramètres du participant à distance, comme par exemple des capteurs, une apple watch,...
- Aucune des réponses ci-dessus

Pourquoi oui/non?

3. Parmi les options suivantes, lesquelles pourraient, selon vous, aider à inclure **une population plus diversifiée** (*une plus grande variété de profils démographiques, notamment en termes d'ethnicité, de sexe, d'âge, de statut socio-économique, etc.*)

- Expédier le médicament à l'étude depuis la pharmacie de l'hôpital directement vers le domicile du participant
- Donner son consentement à distance (par voie électronique) pour une participation à l'étude (avec des informations sur l'étude fournies par l'investigateur par vidéoconférence)
- Organisation de certaines visites à distance (visite de suivi) par vidéoconférence ou téléphone
- Organisation de certains soins liés à l'essai par une infirmière au domicile du participant
- Utilisation d'appareils numériques pour collecter certaines données médicales à distance et en temps réel et surveiller les paramètres du participant à distance, comme par exemple des capteurs, une apple watch,...
- Aucune des réponses ci-dessus

Pourquoi oui/non?

4. Parmi les options suivantes, quelles sont celles qui, selon vous, pourraient entraîner **des inconvénients** (*entraîner une non-participation, une moindre adhésion, diminuer la diversité des participants dans l'étude en excluant certaines catégories de personnes,...*) ?

- Expédier le médicament à l'étude depuis la pharmacie de l'hôpital directement vers le domicile du participant
- Donner son consentement à distance (par voie électronique) pour une participation à l'étude (avec des informations sur l'étude fournies par l'investigateur par vidéoconférence)
- Organisation de certaines visites à distance (visite de suivi) par vidéoconférence ou téléphone
- Organisation de certains soins liés à l'essai par une infirmière au domicile du participant
- Utilisation d'appareils numériques pour collecter certaines données médicales à distance et en temps réel et surveiller les paramètres du participant à distance, comme par exemple des capteurs, une apple watch,...
- Aucune des réponses ci-dessus

Pourquoi oui/non?

5. A votre avis, y a-t-il d'autres **avantages** liés à l'introduction de ces activités se déroulant en dehors de l'hôpital (*en dehors d'une augmentation de l'adhésion, de la motivation des participants et du fait d'attirer une population plus diversifiée*) ?

6. Selon vous, y a-t-il **des inconvénients** potentiels à l'introduction de ces activités se déroulant en dehors de l'hôpital ? Si oui, lesquels ?

7. Voyez-vous **d'autres activités** de recherche d'un essai clinique qui, selon vous, pourraient être "décentralisées" ou souhaitez-vous ajouter **des commentaires** à cette enquête ?