

Recherches innovantes en pédiatrie

Problématiques familiales



Président : Jean-Michel ZUCKER
Vice-Présidente : Hélène CHAPPUY
Trésorière : Amélie De Haut De Sigy
Secrétaire : Chantal AUBERT-FOURMY

Siège social :
Service des urgences pédiatriques
Hôpital NECKER-ENFANTS MALADES
149, rue de Sèvres
75743 PARIS CEDEX 15





Champ d'application

➤ Recherches innovantes

- Thérapies géniques
- Immunomodulateurs empruntant des voies métaboliques spécifiques
- Traitements par cellules chimériques (Car T cells)
- Recherches issues des études *in silico*.

➤ Pathologies concernées:

souvent des maladies rares (incidence < 1/2000), notamment:

- Onco-pédiatrie
- Maladies neuro-dégénératives
- Maladies auto-immunes



Enjeux concernant l'information

- Protocole justifié par des mécanismes d'action difficilement compréhensibles par le grand public
- Vocabulaire inconnu
- Manque de repères usuels.



Enjeux concernant l'information: propositions

- **Elaboration de supports pédagogiques** par les associations et/ou les promoteurs (fournis en annexe de la notice d'info)
 - Dictionnaire des termes utilisés par les équipes soignantes.
 - Sites web adaptés aux enfants favorisent des échanges fructueux qui permettent des représentations à la fois validées scientifiquement et accessibles au public concerné. (pratique quotidienne des pays anglo-saxons)
- **Modalité d'information des familles:** le pédiatre investigateur doit personnellement délivrer l'information orale à l'enfant et aux parents.
- **Résultats globaux de la recherche:** prévoir un document adapté et compréhensible pour un public non expert.



Clarification des différences entre le soin et la recherche:

Souvent en France le pédiatre traitant habituellement l'enfant propose la recherche et en est l'investigateur. D'où un risque de confusion préjudiciable à une décision « libre et éclairée ». Les familles sont dans une situation de porte à faux, elles ne se sentent pas libres de leur choix pour ne pas « contrarier » leur médecin, même si les notices d'information précisent qu'en cas de refus, la qualité des soins ne sera pas altérée.

Cette réflexion doit être menée en France +++



Enjeux concernant les contraintes liées à la participation :

- **Durée importante et caractère itératif des séjours dans un centre référent** souvent éloigné du domicile. Les partenariats avec les hopitaux de proximité sont encore trop rarement mis en place
- **Souffrance de l'enfant liée à la séparation** de la famille, des copains, de l'école.
- **Les contraintes sont importantes pour les parents :**
 - Absence professionnelle
 - Perte de salaire
 - Problèmes de garde de la fratrie
 - Problèmes financiers liés à l'avance des frais de transports et d'hébergement prolongé.



Article L1121-2 du CSP

Modifié par LOI n°2012-300 du 5 mars 2012

« Aucune recherche impliquant la personne humaine ne peut être effectuée :

.....

- si la recherche impliquant la personne humaine n'a pas été conçue de telle façon que soient réduits au minimum la douleur, les désagréments, la peur et tout autre inconvénient prévisible lié à la maladie ou à la recherche, en tenant compte particulièrement du degré de maturité pour les mineurs et de la capacité de compréhension pour les majeurs hors d'état d'exprimer leur consentement.

- ...»



Enjeux concernant les contraintes liées à la participation : Propositions

- **Nombre et durée des déplacements** : Il est nécessaire que la notice d'information détaille le nombre de déplacements et leur durée à chaque étape du protocole. Cela permettra aux parents de bien comprendre les conditions de l'étude et de s'organiser vis-à-vis de leurs autres enfants et de leur employeur.
- **Soutien Social** : tous les soutiens familiaux (psychologiques, financiers, logistiques etc.) doivent être confirmés. Un bilan des allocations (AJPP et AEEH) obtenues et un plan de maintien doit être envisagé avec les travailleurs sociaux pendant tout le temps du protocole.
- **Vie quotidienne des enfants** : dès lors qu'un enfant malade est inclus dans un protocole de recherche, les principaux aspects de sa vie quotidienne doivent être préservés dans la mesure du possible, comme ils l'ont été pendant les soins courants.



Enjeux liés à l'inclusion (ou pas) dans l'étude

A la suite de visites de pré-screening souvent longues et contraignantes, l'enfant n'est parfois pas inclus dans la recherche.

Les familles en conçoivent une grande incompréhension et une grande colère.



Visites de pré-screening non suivies d'inclusion: recrutement international compétitif

Avec des thérapies de plus en plus ciblées et des protocoles internationaux à **recrutement compétitif**, il est fréquent que malgré des procédures de pré-screening longues et contraignantes, l'enfant ne soit pas inclus :

- soit parce qu'il ne présente pas le profil recherché,
- soit parce que, bien qu'il corresponde à tous les critères, le quota d'inclusion a été atteint avant la fin de la procédure, (parfois au moment de formaliser l'autorisation des parents et l'acceptation des enfants).

Cette éventualité est souvent à peine évoquée dans les notices d'information. Cette non-inclusion est extrêmement difficile à vivre pour les parents, surtout quand il n'existe pas de traitement efficace pour la pathologie ou que l'enfant est en échec thérapeutique. Il en résulte un sentiment de colère et d'incompréhension très compliqué à accompagner.



Enjeux liés à l'inclusion (ou pas) dans l'étude : information concrète

- **Clarifier les modalités d'inclusion auprès des familles** : nécessité impérative de préciser très clairement que l'enfant à qui l'on propose ce genre de recherche ne sera pas forcément inclus dans le protocole proposé à l'issue des procédures de pré-screening et ceci pour diverses raisons médicales ou liées à l'organisation de l'étude.
- **Préciser l'incertitude liée au processus de recherche** : pour le pédiatre investigateur, il est difficile mais indispensable de ne pas se laisser aller à présenter l'essai comme celui de la « dernière chance » et/ou de ne pas « presser » les parents de donner leur autorisation, pour ne pas perdre une opportunité d'inclusion.
- **Rappeler que le résultat d'une recherche ne peut jamais être garanti pour un participant donné.**

www.cerped.fr



www.pediapic.info

Merci de votre attention....

