

GUIDE DE DÉVELOPPEMENT ET D'APPROBATION DES MÉDICAMENTS

Cette information a été colligée par Gilead Sciences, une compagnie biopharmaceutique. Nous sommes reconnaissants pour la permission de réimprimer ce matériel.

Avant qu'un nouveau médicament ne soit prescrit aux États-Unis, il doit d'abord être approuvé par le Centre d'évaluation des médicaments et de la recherche (CDER) de l'Agence américaine pour l'alimentation et les médicaments (FDA). Le CDER est responsable de la surveillance des tests et du développement de nouveaux médicaments et des nouveaux usages des médicaments, afin de s'assurer que les méthodes utilisées pour leur mise au point sont à la fois sûres et efficaces.

Le CDER ne teste pas vraiment les nouveaux médicaments. Cette responsabilité incombe à la compagnie ou à l'établissement qui les produit, également connue sous le nom de «commanditaire». Avant qu'un nouveau traitement ne soit approuvé par la FDA, un commanditaire doit intensivement tester le nouveau médicament et soumettre les données rassemblées au CDER pour examen.

Durant tout le processus de développement et d'essais, le CDER scrute tout de la conception du médicament aux tests cliniques, à la nature des effets secondaires, en passant par les conditions dans lesquelles il sera fabriqué et emballé.

Tests précliniques

Avant d'approcher la FDA pour la permission de tester un nouveau médicament chez l'homme, le commanditaire doit d'abord l'analyser en laboratoire et l'essayer sur les animaux pour faire une première évaluation de son caractère sécuritaire et de son efficacité. Ces tests précliniques sont la première étape dans le développement et l'approbation d'un nouveau traitement. Les essais précliniques marquent la fin du parcours de la grande majorité des médicaments expérimentaux. Selon l'industrie de la recherche, seulement un nouveau médicament sur 1.000 potentiels réussit à passer des tests précliniques aux tests cliniques.

Nouvelles demandes pour médicaments en phase expérimentale

Si les tests précliniques sont réussis, le commanditaire peut soumettre une demande pour médicaments en phase expérimentale (Investigational New Drug Application — *IND*) à la FDA. Ce document indique les résultats des essais précliniques et propose un «protocole» des tests — un plan détaillé de la manière dont le commanditaire va tester le médicament sur les êtres humains.

Chaque protocole est passé en revue à la fois par le CDER et par un Comité local de révision institutionnelle (IRB), un groupe indépendant de scientifiques auquel se joint tout autre expert qui a autorité pour approuver, changer ou rejeter des projets de recherche.

Avant de passer au test clinique, tant le CDER que l'IRB doivent s'assurer que le projet de recherche est solide et que les commanditaires prendront des mesures appropriées pour informer les participants aux essais de tous les risques, et qu'ils feront tout pour les protéger contre de possibles dommages.

Tests cliniques

Il existe quatre étapes ou «phases» d'études cliniques, c'est-à-dire, des tests sur des humains qui sont requis pour que l'on envisage l'approbation d'un médicament.

Phase I

Le premier but de la phase 1 des tests est d'évaluer le caractère sécuritaire du médicament et de déterminer la manière dont il agit dans le corps (également connue sous le nom de pharmacocinétique). Ces essais cliniques initiaux aident à identifier les effets secondaires les plus fréquents d'un médicament lorsqu'il est utilisé pendant des périodes de temps relativement courtes (des jours aux semaines). Les tests de la phase I analysent souvent les effets du médicaments lorsqu'il est administré à différentes doses et impliquent alors un nombre relativement faible de participants (généralement entre 20 et 100). Approximativement 70% des médicaments qui se rendent si loin, réussissent à passer à travers les tests de la phase I.

Phase II

Les tests de la phase II sont conçus pour fournir la preuve de l'efficacité — si le médicament procure un effet bénéfique contre une certaine maladie ou état. La sécurité continue d'être évaluée, et les effets secondaires à court terme sont également examinés. Les études de la phase II durent généralement de plusieurs mois à deux ans et mobilisent quelques douzaines à plusieurs centaines de sujets. Environ un tiers des médicaments soumis aux tests de la phase II se rendent à la phase suivante.

Phase III

Ces études à grande échelle font participer de plus gros groupes et durent généralement d'une à cinq années. Les tests de la phase III recueillent des informations additionnelles sur la sécurité et l'efficacité en se penchant sur la manière dont le médicament affecte différentes populations à différentes doses, et en examinant son interaction avec d'autres médicaments. Approximativement 30% de médicaments qui entrent dans la phase III des tests progressent vers l'approbation de la FDA.

Phase IV

Ces études «post-marketing» ont lieu seulement après que le médicament en cours de test a été approuvé par la FDA. Les tests de la phase IV peuvent servir à l'évaluation de la sécurité à long terme et de l'efficacité du médicament, ainsi qu'à l'exploration des utilisations alternatives pour d'autres traitements ou de ses effets sur d'autres groupes de patients.

Demande de nouveau médicament (NDA)

Avant que la FDA n'envisage d'approuver un nouveau médicament pour la vente aux Etats-Unis, le commanditaire doit introduire une demande de nouveau médicament (New Drug application — *NDA*), un document qui décrit l'«historique» entière du développement d'un médicament. La NDA donne des analyses détaillées sur les résultats de chaque test préclinique et clinique, de l'information sur la façon dont le médicament opère et se comporte dans le corps (également connue sous le nom de pharmacocinétique), de même que des informations sur la façon dont le médicament sera manufacturé.

Une fois que le commanditaire introduit une NDA, la FDA a 10 mois (six, si le médicament est un nouveau composé pour le traitement d'une maladie très grave) pour passer en revue la demande. La FDA peut alors simplement la rejeter, la renvoyer au commanditaire comme étant incomplète ou l'approuver comme traitement pour un état spécifique.

Sources: FDA, PhRMA, WebMD.com, AIDSmeds.com, New Mexico AIDS Infonet and AIDSinfo.nih.gov.