**Fiche de données : Fabrication d'un médicament – Preuves de concept**

**Études cliniques de phase II, preuve de concept**

Lorsque les résultats de l'étude conduite chez des volontaires ont montré que le processus de développement pouvait être poursuivi sans danger, l'étape suivante consiste à débuter des essais cliniques chez des patients atteints de la maladie que l'on souhaite traiter. Les directives et réglementations sont les mêmes que pour l'étape précédente.

Dans les études de phases II et III, deux groupes de traitement sont généralement constitués. Un groupe reçoit le médicament actif et l'autre reçoit le meilleur traitement actuellement disponible ou un médicament factice qui n'a pas d'effet sur l'organisme (appelé « placebo »). Ces études sont normalement conduites sous forme « randomisée » et « en double aveugle ».

Le terme « double aveugle » signifie que le médecin et le participant ne savent pas qui reçoit le médicament actif ou le meilleur traitement actuel/placebo.

Le terme « randomisée » signifie que les groupes de traitement sont choisis par tirage au sort, généralement par ordinateur qui génère un code aléatoire. Il ne peut être influencé par le médecin ou par n'importe qui d'autre.

Le terme « contrôlée par placebo » signifie que certains participants recevront un placebo, exactement dans les mêmes conditions que le médicament actif, ce qui permet de distinguer les effets réellement liés au médicament. Par exemple, si un participant à une étude se plaint de maux de tête, il est important de déterminer s'ils sont liés au médicament actif. Si dans le groupe recevant le placebo, le nombre de participants se plaignant de maux de tête est le même que dans le groupe du médicament actif, cela montre que ces maux de tête ne peuvent pas être dus uniquement au médicament actif.

Tous les détails de l'essai sont décrits dans le protocole d'étude et les données sont recueillies dans le cahier d'observation (CRF). Les résultats sont analysés par des tests statistiques.

Plus les connaissances sur l'effet du médicament sur les patients à ce stade sont importantes, plus il est facile de décider si le développement du composé candidat doit être poursuivi. Toutefois, les études de phase II sont trop petites pour apporter suffisamment de preuves de l'efficacité et de la sécurité du médicament. Il n'en demeure pas moins que l'accumulation d'informations sur l'action du médicament chez les patients réduit le risque d'échec à l'étape suivante (phase III ou développement en vue du lancement), qui est la phase de développement la plus compliquée et la plus coûteuse.

Les participants à ces études de phase II étant des patients, elles sont généralement conduites dans plusieurs centres hospitaliers par des médecins hospitaliers appelés investigateurs, contrairement aux études de phase I qui se déroulent dans des unités spéciales. La conduite de l'étude dans plusieurs centres à la fois est plus compliquée que lorsque l'étude ne se déroule que dans un seul centre. Tout ceci doit être coordonné par l'équipe mondiale de l'étude.