

**UNIVERSITE DE LILLE - FACULTE INGENIERIE ET MANAGEMENT DE LA
SANTE (ILIS)**

Master Ingénierie de la Santé parcours Healthcare Business et Recherche Clinique

Maryeim FADIL

Mémoire de fin d'études de la deuxième année de master

LA RECHERCHE CLINIQUE EN ONCOLOGIE PEDIATRIQUE

Quels sont les challenges des essais cliniques en oncologie pédiatrique ?

Sous la direction de Mme DUMONT Cyrielle

Date de soutenance : 5 juillet 2023 à 13h

Composition du jury :

Mr le Dr De Jonckheere Julien, président du jury, chargé de recherche au CIC-IT de
Lille

Mme le Dr Dumont Cyrielle, directrice de mémoire, maître de conférences à ILIS

Mme Dabri Amira, troisième membre du jury, attachée de recherche clinique au CHU
de Lille

Année universitaire 2022-2023

Remerciements

Ce mémoire de fin d'études est l'aboutissement de cinq années intenses, où j'ai mis en pratique tout ce que j'ai appris avec passion et détermination.

Je remercie également Monsieur Julien DE JONCKHEERE d'avoir accepté ce sujet qui m'intéressait depuis longtemps et d'avoir fait partis du jury en tant que président lors de ma soutenance de fin d'étude. Je remercie Mme Amira DABRI pour avoir accepté d'être le troisième membre de jury.

Je remercie également Mme DUMONT Cyrielle pour son accompagnement durant toute la rédaction de mon mémoire.

Mon master s'achève avec une alternance au sein de la Fondation FONDAMENTAL à Paris en tant qu'ARC promoteur sur des études en psychiatrie. Je tiens à remercier Mme Véronique BRIQUET-LAUGIER pour sa confiance et Christelle LAGANOT pour m'avoir formée tout au long de l'alternance. Je remercie également mes collègues au sein de la Fondation pour leur aide dans le cadre de mes missions. Un dernier merci à toute l'équipe recherche pour leur bonne humeur et leur bienveillance.

Enfin, je souhaite également remercier mes proches, ma famille et mes amis qui m'ont soutenue tout au long de ce parcours. Je remercie particulièrement Yasmina PINTO, Audrey TOIA, Ilhame SABER, Sabrina DJEBBARI, Sophie THILLIEZ, Dorian POMPILI et Ameline WALLEZ pour leur présence durant mes études. Leur soutien inconditionnel, leurs encouragements et leur bonne humeur ont été une source constante de motivation et de réconfort. Leur croyance en moi et en mes capacités m'a donné la force de persévérer dans les moments de doute et de difficulté.

Table des matières

Table des Tableaux	3
Table des figures	4
Abréviations.....	5
Introduction.....	6
Partie 1 : Revue de littérature	7
I. L'oncologie pédiatrique en France.....	7
II. La réglementation sur les essais cliniques impliquant des enfants	9
III. La difficulté de sélection des patients dans les études cliniques en oncologie pédiatrique.....	12
IV. L'implication des parents dans les études en oncologie pédiatrique	13
V. Les défis éthiques de ces études.	14
Partie 2 : Méthodologie.....	15
I. Présentation de la méthode.....	15
II. Enquête auprès des professionnels de santé.....	15
III. Enquête auprès des parents	16
Partie 3 : Résultats	17
I. Analyse du questionnaire à destination des professionnels de santé.....	17
IV. Analyse du questionnaire à destination des parents	26
V. Biais et limites.....	37
Partie 4 : Recommandations	39
I. Comment faciliter la gestion des essais cliniques en oncologie-pédiatrique aux professionnels de santé ?.....	39
II. Comment communiquer auprès des parents pour faciliter l'inclusion de patients dans ces études ?.....	39
III. Utilisation de la réalité virtuelle pour l'explication d'un essai clinique a un enfant ?.....	41
IV. Fournir les résultats des essais cliniques	42
V. Décision de l'enfant	43
Conclusion.....	45

Bibliographie.....	47
Annexe I : Questionnaire professionnels de santé	50
Annexe II : Questionnaire parents	55
Annexe III : Exemple de Flyer.....	62

Table des Tableaux

Tableau 1 : Les principaux cancers pédiatriques (5)	7
Tableau 2 : Difficulté avec les parents	22
Tableau 3 : Avis de l'enfant.....	23

Table des figures

Figure 1 : Graphique sur la facilité de convaincre les parents d'inclure leur enfant dans un essai	17
Figure 2: Graphique sur les difficultés d'explication d'une étude à des parents.....	18
Figure 3 : Supports de communication	18
Figure 4 : Réponses à la question sur l'explication aux enfants	19
Figure 5 : Sélection des patients	20
Figure 6 : Explication de l'essai aux parents.....	21
Figure 7 : L'utilisation de la réalité virtuelle	24
Figure 8: Utilisation de la réalité virtuelle	25
Figure 9 : Age des enfants.....	26
Figure 10 : Information des parents sur la recherche clinique	27
Figure 11 : Disponibilité du médecin investigateur.....	28
Figure 12 : Explication du médecin.....	28
Figure 13 : Le temps de réflexion	29
Figure 14 : Discussion avec l'enfant	30
Figure 15 : Avis de l'enfant	30
Figure 16 : Raison de l'inclusion de l'enfant dans un essai.....	31
Figure 17 : Influence du médecin.....	32
Figure 18 : L'information au public.....	33
Figure 19 : Sessions d'information collective	34
Figure 20 : information collective	35
Figure 21: recommandations sur les essais cliniques selon les parents	36

Abréviations

AMM : Autorisation de Mise sur le Marché

ANSM : Agence National de la Sécurité du Médicament

ARC : Attaché de Recherche Clinique

CHU : Centre Hospitalier Universitaire

CSP : Code de la Santé Publique

EMA : Agence Européenne des Médicaments

OIR : Organisations Interrégionales de Recours

PDCO : Comité européen de pédiatrie

PIP : Plan d'Investigation Pédiatrique

Introduction

« Il y a trente ans, les oncologues pédiatriques ont reconnu que les enfants atteints de cancer pouvaient être guéris en ajoutant la chimiothérapie à la chirurgie et à la radiothérapie. » (1)

Le cancer est la première cause de mortalité prématurée en France, devant les maladies cardiovasculaires. 40 % des cancers sont encore évitables, où 2 personnes sur 3 souffrent de séquelles liées à la maladie ou au traitement. (2) L'oncologie pédiatrique est un des domaines majeurs en termes de recherche. Le cancer pédiatrique est une maladie qui touche les enfants et adolescents de 0 à 17 ans. (3)

La recherche en oncologie est un domaine majeur, mais les données provenant d'études réalisées sur des adultes atteints de cancer ne peuvent pas être transposées aux enfants. Ce ne sont pas simplement de « petits adultes », et il existe des différences dans les types de cancer, les pronostics et même les méthodes de traitement. En raison de la rareté des cancers pédiatriques, il est impératif que le plus grand nombre possible d'enfants atteints de cancer soient recrutés pour ces études.

L'obtention d'un consentement éclairé dans le cadre d'un essai clinique sur le cancer pédiatrique peut faire l'objet d'importants défis éthiques en raison de la difficulté de faire la distinction entre les soins et la recherche, qui sont interreliés.

Quels sont les challenges de la recherche clinique en oncologie pédiatrique ?

Nous allons dans un premier temps faire un état des lieux dans la littérature sur l'oncologie pédiatrique en France, la réglementation des essais cliniques, la difficulté de sélection des patients dans les études cliniques en oncologie pédiatrique, l'implication des parents dans les études en oncologie pédiatrique, les défis éthiques de ces études.

Dans un second temps, sera présentée la méthodologie de l'enquête terrain puis une analyse des résultats. Nous terminerons avec une dernière partie sur les recommandations à apporter concernant les études cliniques en oncologie pédiatrique.

Partie 1 : Revue de littérature

I. L'oncologie pédiatrique en France

Chaque année, 1 850 enfants (0 à 14 ans) et 450 adolescents (15 à 17 ans) sont nouvellement diagnostiqués avec un cancer par an en France. Le taux de survie à 5 ans dépasse désormais 80% mais il faut encore une amélioration et les efforts doivent être accentués. En particulier dans le domaine de la recherche pour faire avancer les connaissances sur les cancers pédiatriques, leurs causes et origines ainsi que favoriser le développement de nouveaux médicaments. (4)

Le mécanisme des cancers de l'enfant est différent de celui des cancers de l'adulte. Les principaux types observés chez les enfants sont les leucémies (28 % des cas), les tumeurs du système nerveux central (26 %) et les lymphomes (10 %). Un quart des tumeurs de l'enfant sont des tumeurs embryonnaires (tumeur de Wilms, neuroblastome, rétinoblastome), qui sont quasi inexistantes chez l'adulte. Le cancer est la quatrième cause de décès chez les enfants de 0 à 14 ans (7,8 % des décès pédiatriques en 2014), mais pour les enfants de plus d'un an, le cancer est la deuxième cause de décès après les accidents. Le tableau ci-dessous (Tableau 1) indique les principaux types de cancer présents chez les enfants. Comme cité plus haut, on retrouve la leucémie, le lymphome ainsi que la tumeur cérébrale.

Tableau 1 : Les principaux cancers pédiatriques (5)

Cancer	Description
Leucémie	Moelle osseuse et sang
Lymphome	Ganglions et système lymphatique
Néphroblastome	Reins
Neuroblastome	Glandes surrénales et système nerveux sympathique
Ostéosarcome, tumeur d'Ewing	Os
Rhabdomyosarcomes et autres sarcomes des parties molles	Muscles et tissus de soutien
Rétinoblastome	Rétine
Tumeur cérébrale	Cerveau et moelle épinière
Autres tumeurs	Ovaires, testicules, système nerveux central, thorax, abdomen

La prise en charge de ces cancers est effectuée dans des centres spécifiques de cancérologie pédiatrique situés dans chaque région de France. Ces centres correspondent aux critères d'agrément pour la pratique du traitement des cancers chez les enfants et adolescents de moins de 18 ans.

Les centres spécialisés en cancérologie pédiatrique en France répondent aux critères pour traiter les cancers chez les enfants. Des mesures ont été prises pour adapter les soins aux besoins des jeunes patients, et des initiatives de délocalisation ont été mises en place depuis 2004.

La mise en place d'une organisation de soins et de traitements en cancérologie adaptée aux besoins spécifiques des enfants, adolescents et jeunes adultes a fait l'objet de plusieurs mesures structurantes, et les initiatives de délocalisation de ces populations depuis 2004 reposent sur plusieurs principes :

- Gagner en multidisciplinarité une expertise au sein et à travers des professionnels dédiés, coordonnant leurs parcours et leur continuum de soins, et une information éclairée.
- La prise en compte de leurs particularités et des besoins de leurs proches en fait partie intégrante, qu'il s'agisse de la fourniture de soins de support spécialisés, de la préservation de la fertilité, de l'accompagnement et de l'hébergement pour la famille, de l'accompagnement social, scolaire ou professionnel.

Afin de mettre en place au mieux les mesures de la stratégie décennale de lutte contre les cancers lancée par le président de la République en février 2021, certaines organisations seront adaptées pour mieux intégrer les avancées médicales et organisationnelles. Elles portent sur l'organisation dédiée des soins en cancérologie pédiatrique que constitue le réseau national des 47 structures de soins qui couvrent l'ensemble des régions françaises ; ainsi que sur le nouveau cadre de réglementation relatif à l'activité de traitement du cancer, qui institue une autorisation spécifique en cancérologie pédiatrique, qui entrera en vigueur en 2023, et qui servira à consolider le maillage territorial actuel ; et enfin sur l'optimisation des organisations interrégionales de recours (OIR).

Pour mieux lutter contre les cancers, la France va adapter ses organisations de soins et de réglementation. Elle va notamment renforcer le réseau national de soins en cancérologie pédiatrique et optimiser les organisations de recours.

L'Institut national du cancer réalise chaque année une enquête déclarative sur l'activité de recherche clinique sur le cancer en France. Cette étude concerne des CHU, CLCC, organismes publics de santé (CH) et privés (hôpitaux privés, cliniques, groupements hospitaliers privés). En 2020, 2 335 inclusions concernent les enfants (0-14 ans), dont 94 % inclus dans des essais à promotion académique ; et 1 929 inclusions concernent les adolescents et jeunes adultes (15-25 ans), dont 88 % inclus dans des essais à promotion académique.

En se basant sur les résultats de l'enquête déclarative de l'Institut national du cancer, qui met en évidence l'importance de respecter la réglementation éthique pour les essais cliniques impliquant des enfants, il est essentiel d'examiner de plus près la réglementation spécifique entourant ces types d'essais. (6)

II. La réglementation sur les essais cliniques impliquant des enfants

Les essais cliniques chez l'enfant et l'adolescent respectent les normes éthiques suivantes :

- Assurer la qualité de vie des enfants et des jeunes.
 - Limiter les gestes invasifs (pénétration de la peau ou des muqueuses) ou contraignants (nombre de rendez-vous, examens douloureux...).
 - Fournir des informations adaptées à la compréhension et à la maturité de l'enfant ou de l'adolescent et de ses parents.
 - Sensibiliser les enfants ou les jeunes et leurs parents aux risques prévisibles et à leur importance.
 - Obtenir le consentement verbal ou écrit, selon l'âge de l'enfant ou de l'adolescent.
 - Obtenir un formulaire de consentement qui nécessite la signature des parents.
- (7)

Dans certaines situations définies par le code de la santé publique (8), seul l'un des deux parents ayant l'autorité parentale peut donner temporairement son accord pour que la recherche soit entreprise. Cependant, il y a trois conditions qui doivent être simultanément respectées :

- La recherche ne doit comporter que des risques et des contraintes négligeables et ne doit avoir aucune incidence sur la prise en charge médicale du mineur,
- La recherche doit être réalisée dans le cadre d'actes de soins courants,
- Et l'autorisation ne peut être donnée par l'autre parent dans des délais compatibles avec les exigences du protocole.

Toutefois, l'accord différé du deuxième parent doit être exigé et les modalités d'information et de recueil de son absence de refus ou de révocation doivent être consignées. (9)

Les standards de la recherche sont régulièrement adaptés aux innovations scientifiques et médicales. Cela permet de se concentrer davantage sur le bien-être des enfants et des adolescents dans le cadre de la recherche clinique.

L'arrêté du 17 février 2021 relatif à l'optimisation des échantillons liés aux essais cliniques pédiatriques a modifié l'arrêté du 12 avril 2018 fixant la liste des études du code de la santé publique (CSP). Le volume sanguin prélevé chez un enfant ou un adolescent ne doit pas dépasser 1 % du volume sanguin total par échantillon et ne doit pas dépasser 3 % pendant 4 semaines consécutives. Cette évolution vise à mieux prendre en compte le poids des enfants et des adolescents.

Il existe une réglementation spécifique pour le développement de médicaments destinés aux enfants et adolescents jusqu'à l'âge de 17 ans depuis 2007.

En effet le développement de médicaments pour les enfants et les adolescents est régi par le règlement européen sur les médicaments pédiatriques (CE n° 1901/2006). (9)

Cette règle est destinée à :

- Encourager les laboratoires pharmaceutiques à développer des médicaments pour enfants et adolescents.
- Faciliter le développement de médicaments pour enfants et adolescents.
- Assurer leur sécurité.
- Améliorer les informations disponibles sur l'utilisation des médicaments chez les enfants et les adolescents.
- Superviser la recherche pour s'assurer qu'elle est éthique, de haute qualité et conforme aux exigences réglementaires.

En particulier, les laboratoires pharmaceutiques ont soumis au Comité européen de pédiatrie (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) le Plan de d'investigation pédiatrique (PIP), qui désigne un programme de recherche complet conçu spécifiquement pour commercialiser des médicaments destinés aux enfants et aux adolescents. Ce PIP doit être complété préalablement à la demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) pour certaines indications, sous réserve des exceptions et des reports de développement autorisés par le PDCO.

Le comité scientifique permanent de pédiatrie

Au sein de l'Agence nationale de la sécurité du médicament (ANSM), ce comité réunit plusieurs fois par an des conférences de professionnels de santé et de parents pour apporter une expertise sur des problématiques locales touchant la population pédiatrique nécessitant un apport interdisciplinaire.

Dans ce contexte, il est pertinent d'examiner la difficulté de sélection des patients dans les études cliniques en oncologie pédiatrique, en prenant en compte le rôle clé du comité scientifique permanent de pédiatrie au sein de l'Agence nationale de la sécurité du médicament. Ce comité organise régulièrement des conférences rassemblant des professionnels de santé et des parents afin de fournir une expertise interdisciplinaire sur les problématiques locales liées à la population pédiatrique. (10)

III. La difficulté de sélection des patients dans les études cliniques en oncologie pédiatrique

En oncologie pédiatrique, la sélection des patients pour les essais cliniques est un processus complexe en raison de plusieurs facteurs. Les principaux obstacles à la participation aux essais cliniques pour les patients atteints de cancer pédiatrique sont les difficultés linguistiques, les difficultés de déplacement et la complexité du design des essais. Mais d'autres aspects rentrent également en jeu.

Les cancers pédiatriques rares représentent une proportion importante des cancers diagnostiqués chaque année, mais leur rareté rend difficile le recrutement d'un nombre suffisant de patients pour mener efficacement les essais cliniques. Par conséquent, les essais cliniques sur les cancers infantiles rares peuvent avoir de petits échantillons de patients, ce qui limite la capacité à évaluer l'efficacité du traitement. La rareté des patients disponibles peut également rendre difficile la collecte de données suffisamment fiables pour étudier les résultats des essais cliniques.

Lors de la sélection des patients, plusieurs facteurs sont pris en compte. Cela comprend les caractéristiques individuelles des patients telles que l'âge, le sexe, l'état de santé général, les antécédents médicaux et les traitements antérieurs. L'âge est un facteur important, car certains cancers pédiatriques sont plus fréquents chez les jeunes enfants et les adolescents. Les essais cliniques peuvent donc être adaptés à différentes tranches d'âge pour s'assurer que les patients sont traités de manière optimale. Le sexe peut également être un facteur important, car certains cancers sont plus fréquents chez les garçons ou les filles. Les études peuvent être conçues pour inclure les garçons et les filles de manière égale afin de garantir que les résultats s'appliquent à tous les patients. L'état de santé général et les antécédents médicaux du patient seront également pris en compte pour s'assurer que le patient inclus tolère le traitement proposé. Les patients présentant des conditions médicales préexistantes peuvent nécessiter une surveillance plus importante et des ajustements de traitement pour minimiser les risques liés au traitement.

Enfin, les traitements antérieurs du patient peuvent également être pris en compte, car certains traitements peuvent influencer la réponse d'un patient au traitement expérimenté dans le cadre d'un essai clinique.

Lors de la signature du consentement, les parents devront être d'accord pour inclure leur enfant dans un essai clinique étant donné qu'il est mineur. Le consentement des parents peut parfois rendre l'inclusion d'un enfant dans un essai clinique difficile pour plusieurs raisons. Il peut y avoir des barrières linguistiques ou culturelles qui rendent la communication difficile entre l'équipe médicale et les parents, ce qui peut affecter leur compréhension des implications de la participation de leur enfant aux essais cliniques. (11)

L'obtention d'un consentement éclairé dans le cadre de la recherche sur le cancer pédiatrique peut poser d'importants problèmes éthiques en raison de la difficulté à faire la distinction entre les soins et la recherche, qui sont interdépendants. Les oncologues pédiatriques mènent aussi souvent des essais cliniques sur leurs propres patients, ce qui peut influencer le consentement éclairé volontaire. (12)

De nombreuses études indiquaient que les parents ne comprenaient pas entièrement le processus de recherche et certains termes médicaux/de recherche utilisés lors de la discussion sur le consentement. Cette constatation a également été rapportée dans les études de Vries et al. et Dupont et al.. La randomisation était le facteur le plus souvent mal compris dans les essais. Ce manque de compréhension a conduit les parents à mal comprendre la recherche. Certains ont estimé que le processus de consentement éclairé était une perte de temps lorsque les enfants étaient assignés au hasard à des groupes de soins/témoins. Une étude en France a attribué cela au niveau socio-économique des parents et au manque de compréhension de la langue française. Certains parents étaient incapables de discerner la différence entre la recherche et les soins. En recherche, ce phénomène est souvent expliqué comme un malentendu thérapeutique. (13, 14)

Compte tenu de ces défis, il est important de mettre en place des stratégies pour faciliter la prise de décision partagée entre les parents et l'équipe médicale afin d'améliorer le recrutement dans les essais cliniques pour les enfants atteints de cancer. (15)

IV. L'implication des parents dans les études en oncologie pédiatrique

Les parents jouent un rôle crucial dans la prise de décision de participer ou non à un essai clinique en oncologie pédiatrique pour leur enfant. Plusieurs facteurs peuvent influencer leur décision, notamment leur niveau de compréhension des

essais cliniques et des risques encourus, leur confiance en l'équipe médicale et leur perception de l'impact de la participation de leur enfant sur la recherche en oncologie pédiatrique. Les parents ont également des préoccupations financières et logistiques, notamment les coûts associés au transport et à l'hébergement pour les visites, qui peuvent affecter leur capacité à participer à l'essai clinique. En effet, La participation des parents aux essais cliniques en oncologie pédiatrique peut engendrer des coûts importants tels que les frais de transport et d'hébergement pour les visites médicales.

Malgré ces défis, une étude récente a montré que les parents dont l'enfant a participé à un essai clinique en phase I en oncologie pédiatrique ont déclaré une expérience positive et ont souligné l'importance de leur implication dans le processus de décision et la surveillance de la santé de leur enfant. (16,17)

V. Les défis éthiques de ces études.

Des problèmes éthiques ont été relevés dans la littérature en ce qui concerne l'obtention d'un consentement éclairé en oncologie pédiatrique.

Les essais cliniques en oncologie pédiatrique posent plusieurs défis éthiques pour obtenir un consentement éclairé des parents et des enfants. Il est important de prendre en compte des questions telles que la compétence, l'information et la compréhension. Bien qu'une explication formelle de l'étude soit nécessaire, il est essentiel de dialoguer et de communiquer avec les familles pour adapter l'information à leur situation et la rendre compréhensible. Malgré une bonne communication, il peut être difficile d'obtenir une compréhension précise en raison de facteurs émotionnels, psychosociaux, techniques ou liés à la conception de l'étude. Des chercheurs expliquent que la meilleure méthode est la rencontre entre le médecin et la famille pour obtenir le consentement, mais proposent également des méthodes pour améliorer la qualité du recueil de consentement. En somme, il est crucial d'examiner attentivement chaque cas et de continuellement améliorer le processus de consentement pour répondre aux défis éthiques des essais cliniques en oncologie pédiatrique. (18, 19)

Les critères d'inclusion et d'exclusion dans les essais cliniques peuvent exclure certains groupes de patients, ce qui soulève des questions d'équité et de justice. Par exemple, certains critères peuvent exclure les enfants atteints de maladies concomitantes ou présentant des troubles de développement, ce qui limite leur accès à de nouveaux traitements.

Partie 2 : Méthodologie

I. Présentation de la méthode

Afin de mieux comprendre ces difficultés et challenges rencontrés lors des essais cliniques en oncopédiatrie, la méthodologie de ce mémoire porte sur la réalisation de deux questionnaires auprès de différents professionnels de santé et de parents afin d'évaluer leur perception des essais cliniques en oncologie pédiatrique. Pour mener à bien cette enquête le questionnaire a été diffusé en ligne accessible via un lien URL.

Ces questionnaires comportent plusieurs questions fermées et ouvertes, portant sur des sujets tels que la connaissance des essais cliniques, les défis éthiques associés à ces essais, la participation des parents et des enfants et les moyens d'améliorer la sélection des patients.

Pour assurer la fiabilité et la validité de l'étude, les aspects tels que le recueil anonyme des données, la clarté des questions pour permettre une bonne compréhension de la part des répondants, la sélection des participants ont été pris en compte dans la réalisation des questionnaires.

II. Enquête auprès des professionnels de santé

Le cancer pédiatrique est une maladie rare et complexe qui nécessite des essais cliniques rigoureux pour améliorer les traitements et les résultats pour les enfants atteints. Malgré les avancées significatives dans les traitements de cette maladie, les défis de la recherche clinique en oncologie pédiatrique restent nombreux. Dans ce contexte, cette étude a été menée pour explorer les perspectives des professionnels de santé travaillant dans ce domaine, sur les défis liés aux essais cliniques en oncologie pédiatrique. Pour ce faire, un questionnaire a été diffusé

auprès de professionnels de santé spécialisés en oncologie pédiatrique dans le but d'identifier les obstacles rencontrés lors de la mise en place, la conduite et la conclusion des essais cliniques en oncologie pédiatrique, ainsi que les solutions envisagées pour y remédier. Ce questionnaire a été diffusé du 22/02/2023 au 10/04/2023.

Il a été transmis à des médecins investigateurs et attachés de recherche clinique dans le domaine de la pédiatrie. La plateforme *Google-form* a été utilisée pour la conception et la diffusion du questionnaire.

Pour l'enquête auprès des professionnels de la santé, les canaux de diffusion tels que LinkedIn, les hôpitaux et les services de pédiatrie ont été utilisés pour atteindre la population ciblée. Les contacts d'oncologues et attachés de recherche clinique faisant de la recherche clinique en oncopédiatrie ont pu être utiles pour atteindre des personnes spécifiques ayant des connaissances précises sur le sujet.

III. Enquête auprès des parents

Le cancer pédiatrique est une maladie difficile à vivre pour les enfants et leur famille. Les parents jouent un rôle important dans le processus de traitement de leur enfant et leur collaboration est indispensable pour la réussite des essais cliniques en oncologie pédiatrique. Malgré les avancées significatives dans les traitements de cette maladie, les défis de la recherche clinique en oncologie pédiatrique restent nombreux. Dans ce contexte, cette étude a été menée pour explorer les avis des parents d'enfants atteints de cancer sur les essais cliniques en oncologie pédiatrique. Pour ce faire, un questionnaire a été diffusé auprès de parents d'enfants atteints de cancer, afin d'identifier leurs perceptions, leurs attentes, leurs préoccupations et leurs besoins liés à la participation de leur enfant à des essais cliniques en oncologie pédiatrique. Ce questionnaire a été diffusé du 22/02/2023 au 10/04/2023. La plateforme *Google-form* a été utilisée pour la conception et la diffusion du questionnaire.

Afin de diffuser le questionnaire auprès des différents publics cibles, plusieurs canaux de diffusion ont été identifiés. Tout d'abord, des groupes de patients sur les

réseaux sociaux ont été ciblés pour atteindre les parents d'enfants atteints de différents cancers. Ces groupes peuvent être une source d'informations et de soutien pour les parents et les familles, et peuvent être un moyen efficace de diffuser le questionnaire auprès des personnes concernées. Ensuite, le questionnaire a été diffusé auprès des services de pédiatrie dans les hôpitaux, notamment auprès des médecins et ARC travaillant dans ce domaine. Ces professionnels de santé sont en contact direct avec les parents d'enfants atteints de cancer et peuvent être des relais importants pour diffuser le questionnaire auprès des familles.

Partie 3 : Résultats

I. Analyse du questionnaire à destination des professionnels de santé

Les répondants sont des Attachés de Recherche Clinique et médecins investigateurs impliqués dans des essais cliniques en oncologie pédiatrique. L'analyse a été effectuée avec le Logiciel Excel. 10 professionnels de santé ont participé à cette enquête avec 9 ARCs et 1 médecin investigateur.

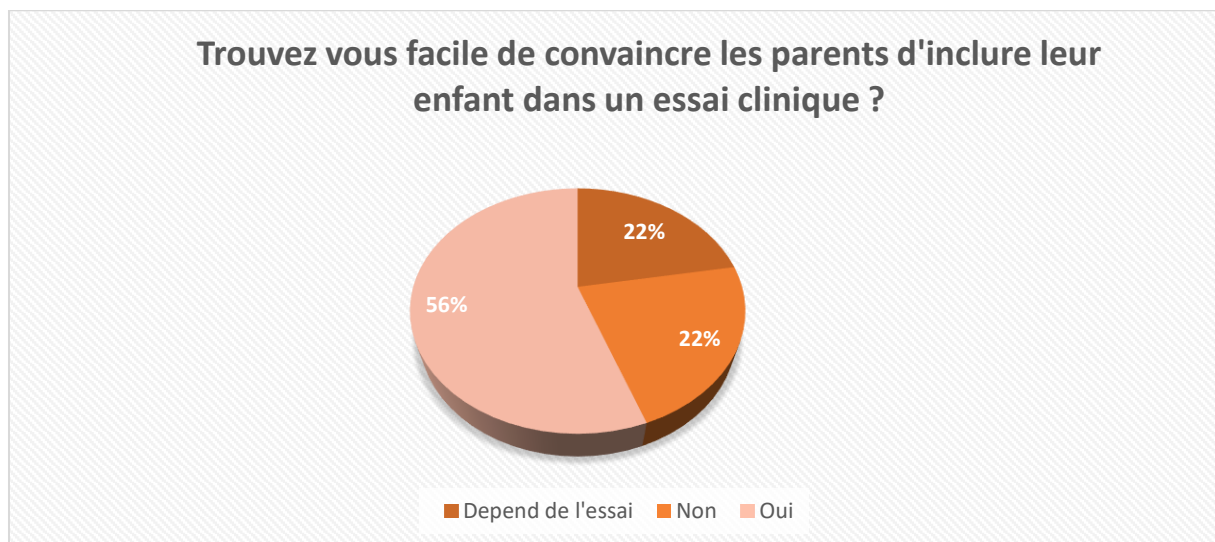


Figure 1 : Graphique sur la facilité de convaincre les parents d'inclure leur enfant dans un essai

Selon la figure 1, certains professionnels rencontrent des difficultés pour convaincre les parents d'inclure leur enfant dans un essai clinique en raison de conflits d'intérêts, de désaccords entre les parents, de situations familiales difficiles,

ou de la spécificité d'un essai clinique en oncologie pédiatrique. La majorité (56%) trouvent qu'il n'est pas difficile de convaincre les parents, 22% trouvent qu'il est compliqué de les convaincre et 22% pensent que cela dépend de l'essai clinique.

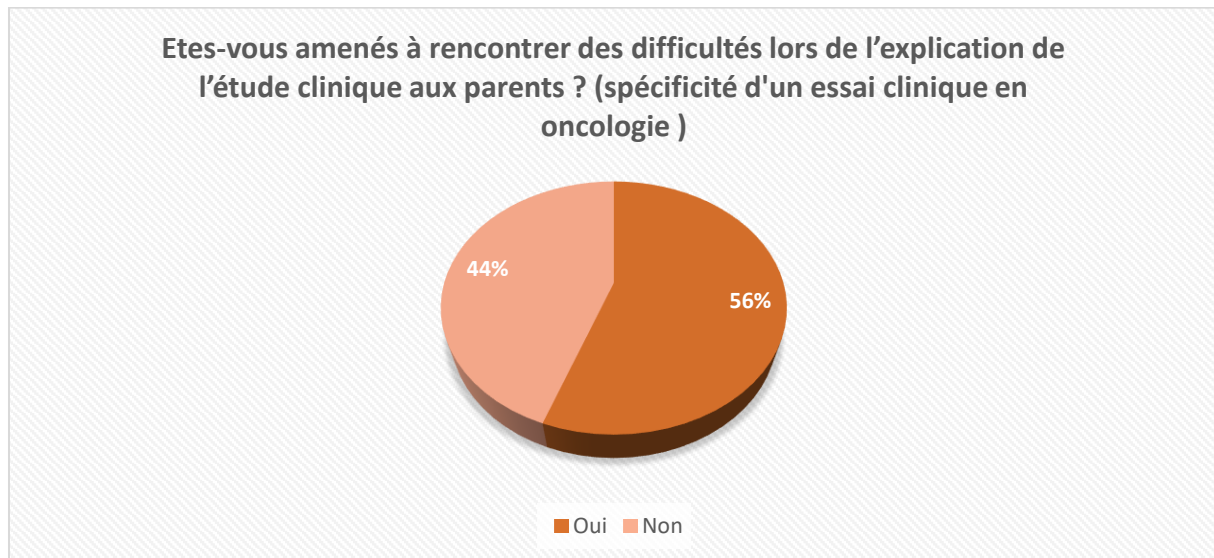


Figure 2: Graphique sur les difficultés d'explication d'une étude à des parents

D'après la figure 2, les ARC et le médecin disposent généralement de supports de communication adaptés à l'âge de l'enfant pour expliquer les principes de la recherche clinique aux parents. Cependant, certains ARC rencontrent des difficultés lors de l'explication de l'étude clinique aux parents (56%), notamment en ce qui concerne les critères d'inclusion stricts, les risques de l'étude, et les désaccords entre les parents.

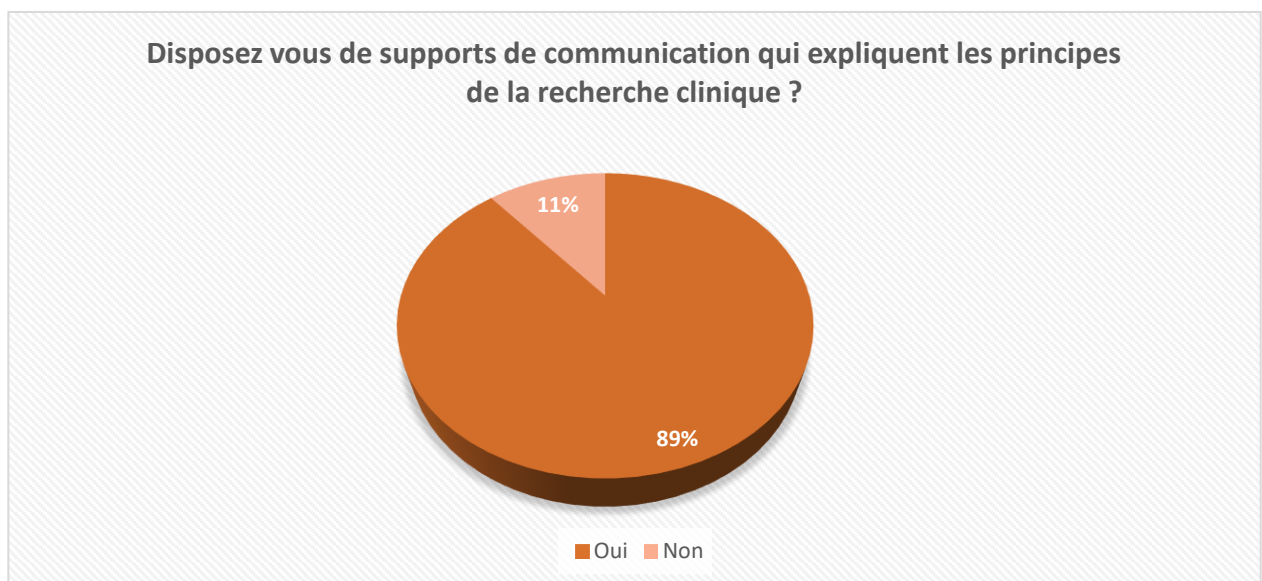


Figure 3 : Supports de communication

D'après la figure 3, la majorité des personnes interrogées disposent de supports de communication expliquant les principes de la recherche clinique. En effet environ 90% des professionnels disposent de supports de communication.

Il est encourageant de constater que la plupart des personnes interrogées ont des supports de communication pour expliquer les principes de la recherche clinique, car cela peut faciliter la tâche d'expliquer la recherche clinique et les études aux enfants, surtout lorsque les informations sont adaptées à leur âge et leur niveau de compréhension.

Avez-vous la possibilité d'expliquer à l'enfant la recherche clinique, l'étude clinique ?

Oui, avec documentation adaptée selon l'âge de l'enfant.
Oui de manière succinct, avec des mots ou images adaptés
Non
A partir d'un certain âge les enfants ont leur propre consentement, adapté à leur âge (dessins, etc)
Non, aux centres investigateurs
oui, de part mes connaissances acquises au cours de ma formation et de mon expérience professionnelle
oui par image
Oui

Figure 4 : Réponses à la question sur l'explication aux enfants

Les réponses sur la figure 4 indiquent que certaines personnes ont la possibilité d'expliquer la recherche clinique à l'enfant, avec une documentation adaptée à son âge ou de manière succincte avec des mots ou des images adaptés. Cependant, d'autres personnes n'ont pas cette possibilité ou dépendent des centres investigateurs pour expliquer la recherche clinique à l'enfant. Une personne a également souligné que les enfants ont leur propre consentement à partir d'un certain âge.

Avez-vous des outils qui vous le permettent (par exemple des outils mis à disposition par le promoteur) ?

La question vise à déterminer si les personnes interrogées disposent d'outils fournis par le promoteur ou d'autres sources pour expliquer la recherche clinique et l'étude clinique aux enfants. Les réponses indiquent que certains répondants ont des documents tels que des notes d'information, des brochures ou des flyers pour aider à expliquer la recherche aux enfants, tandis que d'autres répondants n'ont pas d'outils ou en ont rarement. Certains répondants mentionnent également que les enfants ont leur propre consentement adapté à leur âge, ce qui peut impliquer des outils tels que des dessins ou d'autres supports visuels pour aider à expliquer la recherche clinique aux enfants.

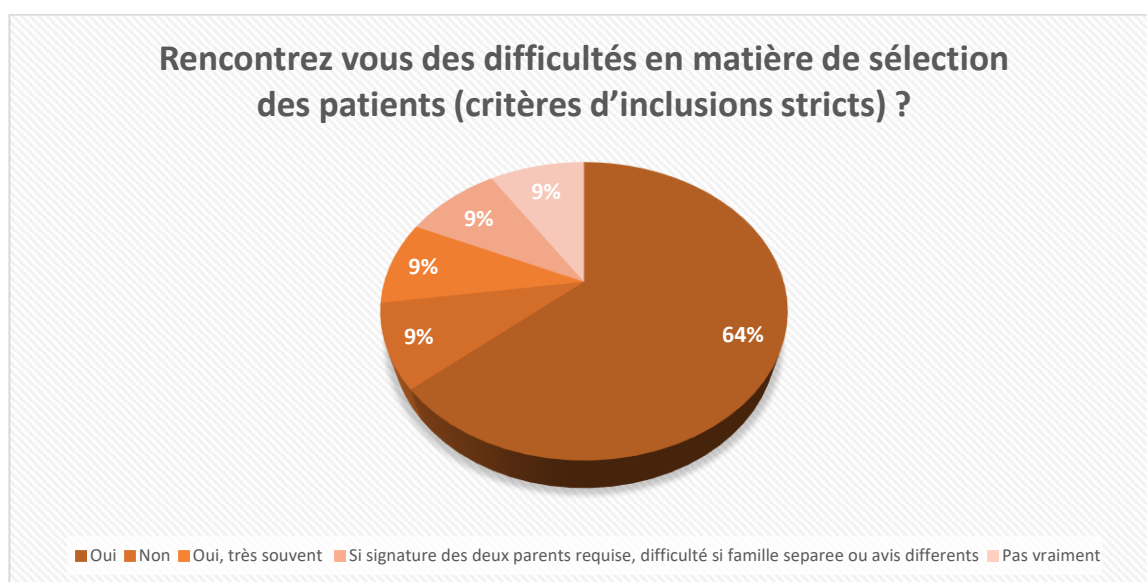


Figure 5 : Sélection des patients

La question concerne les difficultés rencontrées en matière de sélection des patients pour une étude clinique, en particulier en ce qui concerne les critères d'inclusion stricts. Selon la figure 5 plusieurs réponses ont été fournies par les personnes interrogées, notamment "Pas vraiment", "Oui, très souvent", "Si signature des deux parents requise, difficulté si famille séparée ou avis différents", "oui, plus les critères sont restrictifs, plus il est difficile de sélectionner des patients qui pourront être incluables dans une étude".

Certaines personnes ont répondu qu'elles ne rencontrent pas vraiment de difficultés en matière de sélection des patients (9%), tandis que d'autres ont indiqué que c'est très souvent le cas, 9% également. Certaines personnes ont donné des exemples de situations complexes, comme la nécessité d'obtenir la signature des deux parents lorsqu'ils sont séparés ou ont des avis différents.

Dans l'ensemble, les réponses montrent que la sélection des patients peut être une étape difficile et délicate dans la recherche clinique, en particulier lorsque les critères d'inclusion sont très stricts. Cela peut nécessiter des efforts supplémentaires de la part des investigateurs pour identifier des patients admissibles à l'étude.

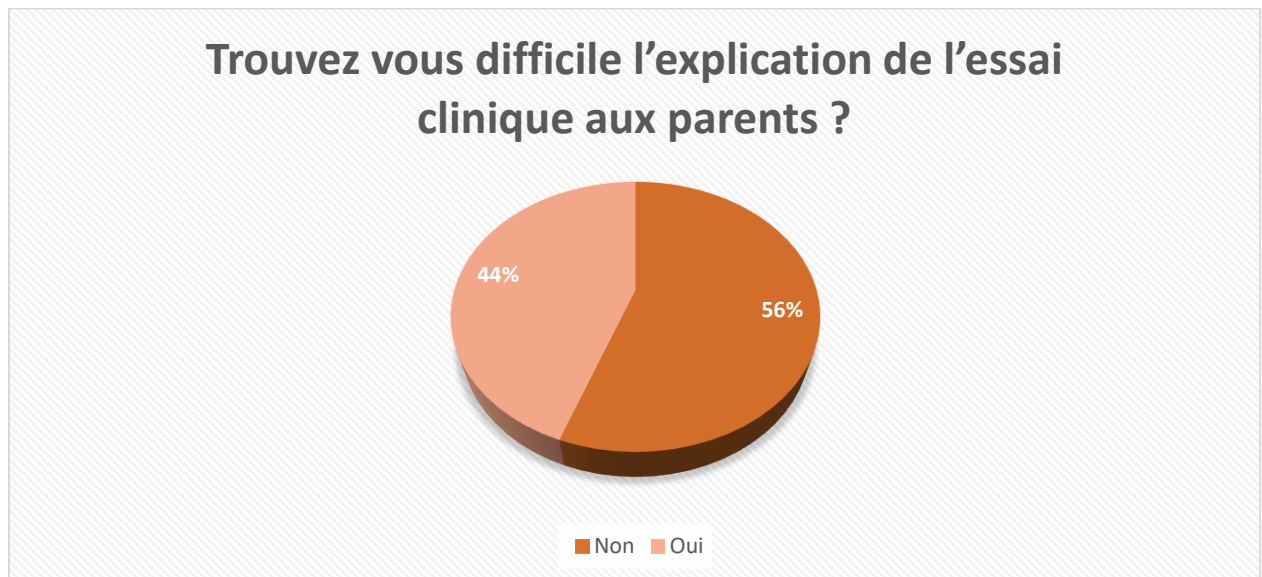


Figure 6 : *Explication de l'essai aux parents*

Cette question illustrée dans le figure 6 porte sur la perception de la difficulté d'expliquer l'essai clinique aux parents. La majorité des personnes interrogées ont répondu "non", ce qui indique qu'elles ne trouvent pas difficile d'expliquer l'essai clinique aux parents. Cependant, 44% des répondants ont répondu "oui", ce qui suggère que pour eux, il peut être difficile d'expliquer l'essai clinique aux parents. Il est possible que cela soit dû à une barrière de langue, à un manque de connaissances sur l'essai clinique ou à une difficulté à simplifier les informations techniques pour les parents. Ces résultats soulignent l'importance d'avoir des supports de communication adaptés et accessibles pour expliquer l'essai clinique aux parents de manière claire et compréhensible.

Quelles difficultés rencontrez-vous avec les parents qui se voient proposer un essai clinique pour leur enfant ?

Tableau 2 : Difficulté avec les parents

Peut que l'enfant soit cobaye mais envie d'essayer tout de même
Les convaincre du bénéfice mais aussi du fait que cela n'aura pas d'effet négatif sur leur enfant.
Aucune
Leurs désaccords.
En onco la difficulté est moins grande car les parents veulent simplement le meilleur traitement qui existe pour la pathologie de leur enfant, selon l'avis médical de l'investigateur
Beaucoup de questions
l'intérêt surtout si risque placebo ou bras de contrôle
Beaucoup de questions
Incompréhension des parents

Les réponses à cette question décrites dans le tableau 2 offrent une perspective intéressante sur les défis que les professionnels de la santé peuvent rencontrer lorsqu'ils proposent un essai clinique à un enfant. Les réponses qui mentionnent les craintes des parents quant à l'utilisation de leur enfant comme cobaye et leur désir d'essayer tout de même le traitement proposé soulignent l'importance de travailler avec les parents pour éduquer et les rassurer sur la sécurité et l'efficacité du traitement. Les réponses qui abordent les questions que les parents peuvent avoir sur le protocole de l'essai clinique, y compris les risques de placebo ou de bras de contrôle, soulignent également l'importance de fournir des informations claires et détaillées aux parents pour qu'ils puissent prendre une décision éclairée. Les réponses qui évoquent les désaccords entre les parents mettent en évidence la nécessité de travailler avec les parents pour trouver un terrain d'entente qui convient à tous. Les participants qui mentionnent l'incompréhension des parents soulignent également l'importance de communiquer clairement avec les parents pour garantir qu'ils comprennent tous les aspects de l'essai clinique. Enfin, la réponse « *En onco la difficulté est moins grande car les parents veulent simplement le meilleur traitement qui existe pour la pathologie de leur enfant, selon l'avis médical de l'investigateur* » qui souligne que les parents en oncologie sont généralement plus enclins à accepter un essai clinique met en évidence la complexité de cette question et le besoin d'approches individualisées pour chaque famille et chaque enfant.

Selon vous l'enfant a-t-il un pouvoir de décision quant à cet essai ?

Tableau 3 : Avis de l'enfant

Oui
Oui bien sûr, ne serait-ce que par son consentement
Oui
BIEN ENTENDU
Oui
Cela dépend de son âge. Et un enfant n'a pas forcément la maturité pour pouvoir décider de l'inclusion ou non dans un protocole d'essai clinique
Dépend de l'Age
Oui quand il n'est pas trop jeune
Oui tout dépend de l'âge

Les réponses à cette question dans le tableau 3 montrent qu'il y a des opinions divergentes sur le pouvoir de décision de l'enfant en ce qui concerne la participation à un essai clinique. La plupart soutiennent que l'enfant devrait avoir un certain pouvoir de décision, par exemple, parce qu'il peut donner son consentement. D'autres réponses soulignent que la capacité de décision de l'enfant dépend de son âge et de sa maturité. Les réponses qui indiquent que cela dépend de l'âge ou que cela dépend du degré de maturité de l'enfant soulignent l'importance de considérer chaque cas individuellement. En fin de compte, la décision de participer à un essai clinique doit être prise avec la participation et le consentement éclairé des parents, tout en prenant en compte les intérêts et les besoins de l'enfant.

Certains participants estiment que l'enfant a un pouvoir de décision quant à sa participation à l'essai clinique et adaptent leur approche en fonction de l'âge de l'enfant, en utilisant des outils tels que des dessins ou des schémas pour expliquer la recherche clinique.

Comment communiquez-vous sur les risques de l'étude clinique auprès des parents ?

Les réponses à cette question montrent que la communication avec les parents concernant les risques de l'étude clinique est cruciale et doit être transparente et claire. La plupart des réponses soulignent l'importance d'exposer les risques oralement, de répondre aux questions des parents et de fournir une lettre d'information pour que les parents et l'enfant soient bien informés. Les réponses

mettent également en avant l'importance de la transparence dans la communication et la franchise. En outre, certaines réponses indiquent que l'explication des objectifs de l'étude clinique peut aider les parents à comprendre la nécessité de l'étude et les risques. En somme, la communication doit être claire, transparente, honnête et impliquer les parents et l'enfant pour qu'ils puissent prendre une décision éclairée.

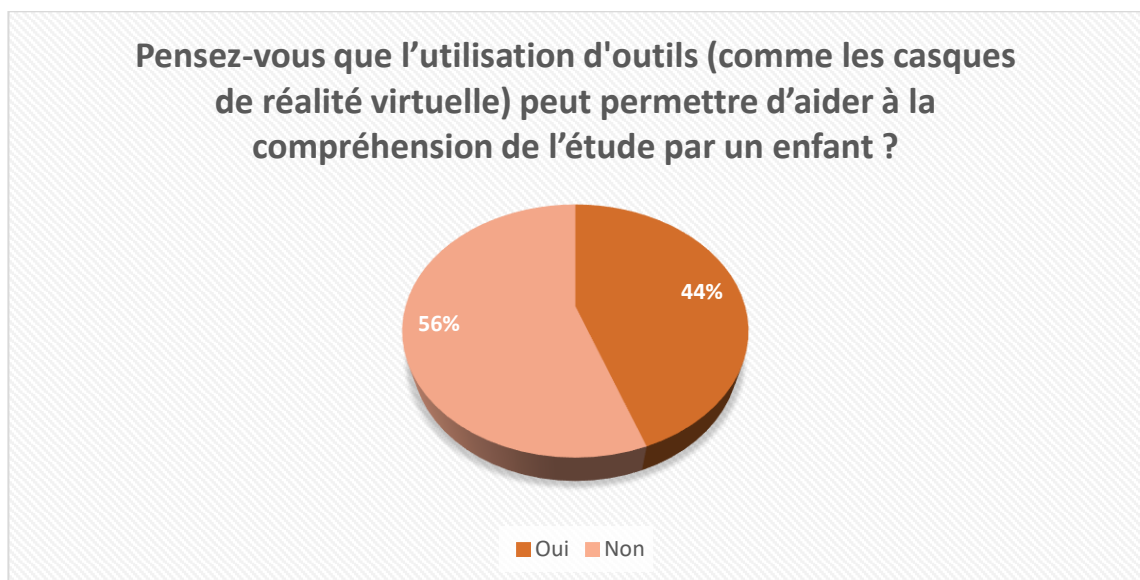


Figure 7 : *L'utilisation de la réalité virtuelle*

Les réponses à cette question sont partagées d'après la figure 7. Selon la figure 7 certaines personnes pensent que l'utilisation d'outils, tels que les casques de réalité virtuelle, peut aider les enfants à mieux comprendre l'étude (44%), tandis que d'autres ne sont pas convaincues de leur utilité (56%). Les réponses qui indiquent que l'utilisation d'outils peut aider à la compréhension de l'étude suggèrent que ces outils peuvent fournir une expérience immersive qui peut aider à expliquer l'étude de manière plus visuelle et interactive. Les réponses qui disent non peuvent suggérer que les outils ne sont pas indispensables pour expliquer l'étude ou qu'ils peuvent être distrayants pour l'enfant. En fin de compte, l'utilisation d'outils pour aider à la compréhension de l'étude dépend de l'âge et de la maturité de l'enfant, de la complexité de l'étude et des préférences individuelles.

Si non, pourquoi ?

4 réponses

Avec un schéma ou des dessins fait correctement la recherche peut s'expliquer facilement à un enfant

Il peut y avoir des retards mentaux, sensibilités à être enfermés... pas adaptés à tous

L'humanité est trop importante dans les maladies d'onco pédiatrique

pas vraiment convaincu

Figure 8: *Utilisation de la réalité virtuelle*

Les réponses fournies à la question sur l'utilisation de la réalité virtuelle suggèrent que les répondants ont des préoccupations quant à l'utilisation de cette technologie dans le contexte de la recherche. Comme décrit dans la figure 8, certains répondants ont souligné le manque de clarté sur les avantages de la réalité virtuelle dans la recherche, tandis que d'autres ont mis en évidence les risques pour les populations sensibles telles que les personnes ayant des retards mentaux ou des sensibilités à être enfermées. En outre, certains répondants ont souligné l'importance de l'aspect humain dans les maladies onco-pédiatriques, ce qui peut limiter l'utilisation de la réalité virtuelle en tant qu'outil de recherche.

Avez-vous des recommandations à suggérer concernant la gestion/communication des essais cliniques en oncologie pédiatrique ?

Les réponses fournies à la question sur les recommandations pour la gestion/communication des essais cliniques en oncologie pédiatrique sont variées et reflètent des points de vue différents. Certains répondants ont simplement répondu "non" à la question, ce qui indique qu'ils n'ont pas de recommandations spécifiques à faire. D'autres ont proposé des suggestions spécifiques, telles que la mise à disposition de flyers colorés pour aider à la compréhension de l'étude par les parents et les enfants, travailler sur les consentements et les lettres d'information pour les rendre plus adaptés et ludiques pour les enfants, ou encore la communication au public que les enfants ne sont pas des cobayes.

IV. Analyse du questionnaire à destination des parents

Lorsqu'un enfant est diagnostiqué avec un cancer, cela affecte toute la famille et soulève de nombreuses questions. Les parents sont souvent confrontés à une multitude de décisions difficiles, notamment lorsqu'il s'agit de décider de la participation de leur enfant à un essai clinique en oncologie pédiatrique. Pour mieux comprendre les préoccupations et les points de vue des parents concernant ces essais cliniques, nous avons mené un questionnaire visant à recueillir leurs avis et leurs recommandations. Dans cette analyse, nous examinerons les réponses de ces parents pour mieux comprendre les raisons pour lesquelles ils choisissent de faire participer ou non leur enfant à un essai clinique, ainsi que leurs recommandations pour faciliter la gestion et la communication de ces essais cliniques en oncologie pédiatrique. Cette étude a pu obtenir 30 réponses de parents.

Quel type de cancer s'agit-il ?

Les réponses fournies indiquent les différents types de cancer qui sont impliqués dans les essais cliniques en oncologie pédiatrique. Les types de cancer les plus fréquemment cités sont la leucémie, suivie des tumeurs cérébrales, des lymphomes et du neuroblastome. Il est également intéressant de noter que certains répondants ont fourni des informations plus spécifiques sur le sous-type de cancer, tels que LAL T TLX3, leucémie LAM4, épendymome 2, etc.

Ces réponses fournissent une vue d'ensemble des types de cancer qui font l'objet d'essais cliniques en oncologie pédiatrique.

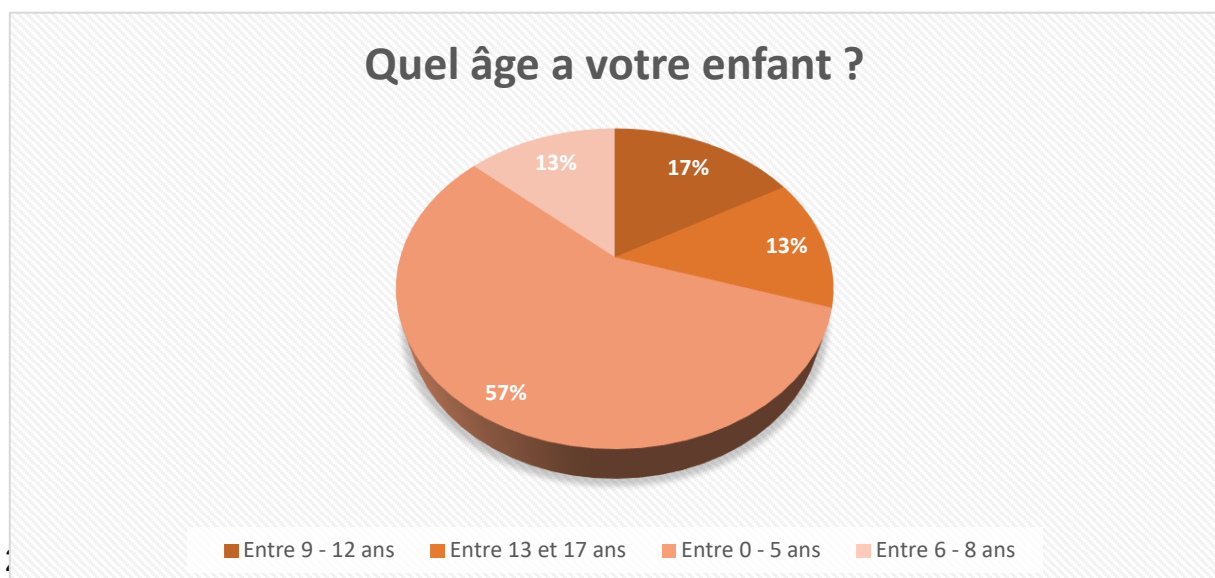


Figure 9 : Age des enfants

D'après la figure 9, la majorité des enfants des parents qui ont participé au questionnaire ont entre 0 et 5 ans (57%). On remarque également que certains participants ont des enfants plus âgés, avec une majorité entre 9 et 17 ans. 17% ont entre 9 et 12 ans, 13% ont entre 13 et 17 ans et également 13% ont entre 6-8 ans. Ces informations sur l'âge des enfants sont importantes car l'âge peut avoir une incidence sur la manière dont les enfants perçoivent l'étude et leur capacité à comprendre les informations qui leur sont fournies.

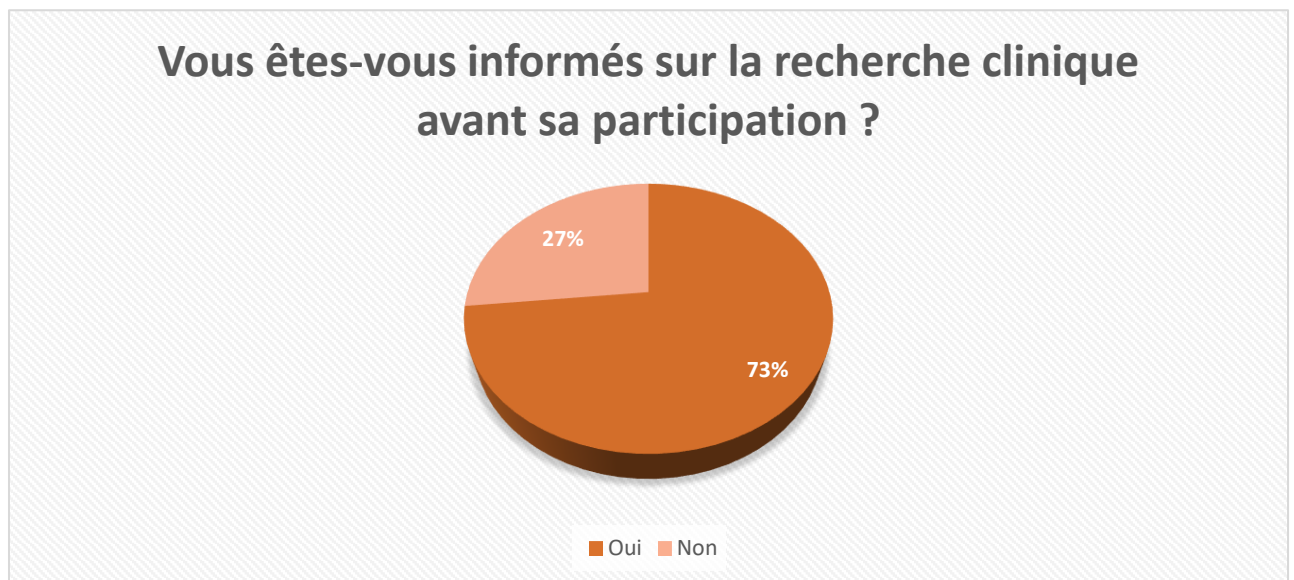


Figure 10 : *Information des parents sur la recherche clinique*

D'après les réponses fournies et illustrées par la figure 10, une majorité des participants ont indiqué qu'ils se sont informés sur la recherche clinique avant leur participation, ce qui représente environ 73% des répondants. Cependant, un nombre non négligeable de participants (27%) ont répondu négativement, ce qui soulève des questions sur la compréhension de l'étude et la capacité des participants à prendre une décision éclairée.

Si oui, Par quels moyens ?

Il ressort de ces réponses que la majorité des participants ont utilisé Internet pour s'informer sur la recherche clinique avant de participer. Certains ont également consulté leur médecin ou leur pédiatre pour obtenir des informations. Quelques-uns ont mentionné avoir été informés par leur entourage ou une association de parents. Il est important de noter que certains participants ont simplement indiqué qu'ils avaient été informés sans préciser le moyen utilisé.



Figure 11 : Disponibilité du médecin investigateur

D'après la figure 11, la grande majorité des participants (97%) ont indiqué que le médecin investigateur était disponible pour répondre à leurs questions. Seul un répondant a indiqué que le médecin n'était pas assez disponible pour répondre à ses questions.

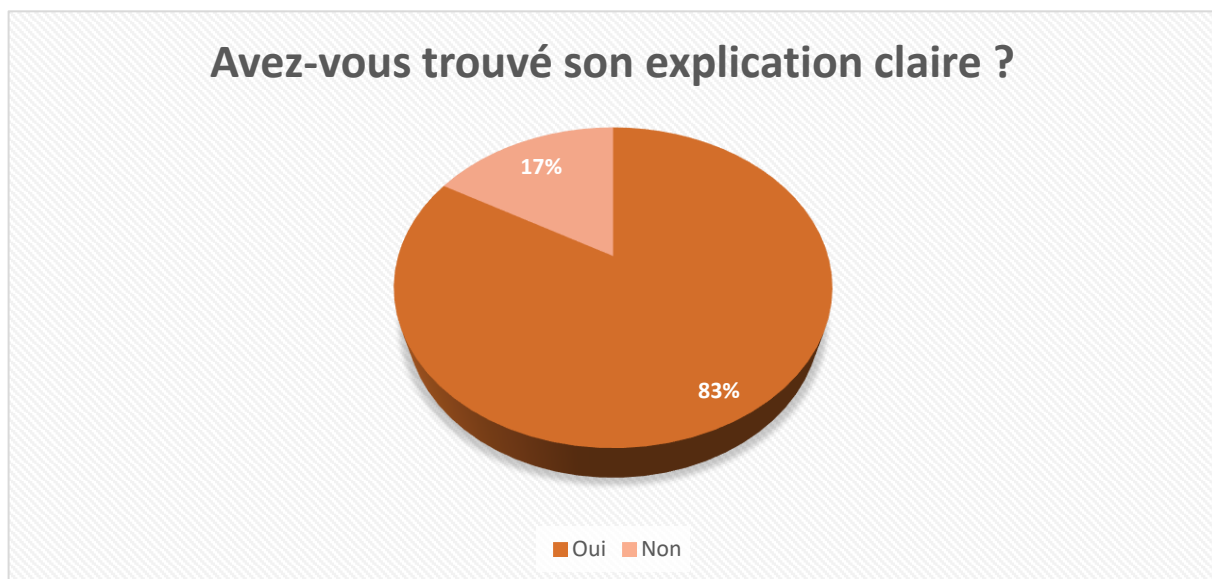


Figure 12 : Explication du médecin

D'après les réponses décrites sur la figure 12, la majorité des participants (83%) ont trouvé l'explication du médecin investigateur claire.

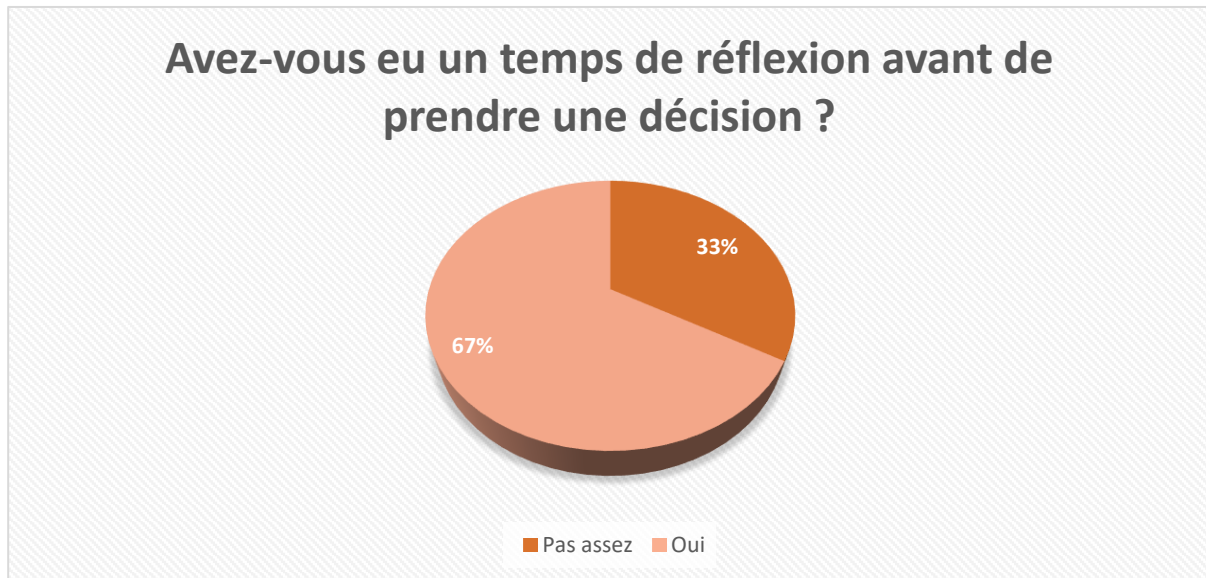


Figure 13 : *Le temps de réflexion*

D'après les réponses fournies sur la figure 13, certains participants ont estimé ne pas avoir eu suffisamment de temps de réflexion avant de prendre une décision concernant leur participation à l'étude clinique (33%). Cependant, 67% des participants ont indiqué avoir eu un temps de réflexion adéquat avant de prendre leur décision. Il est important de noter que le temps de réflexion est un élément crucial pour permettre aux parents de peser les avantages et les risques de la participation de leur enfant à une étude clinique, ainsi que de poser toutes les questions nécessaires pour prendre une décision éclairée.

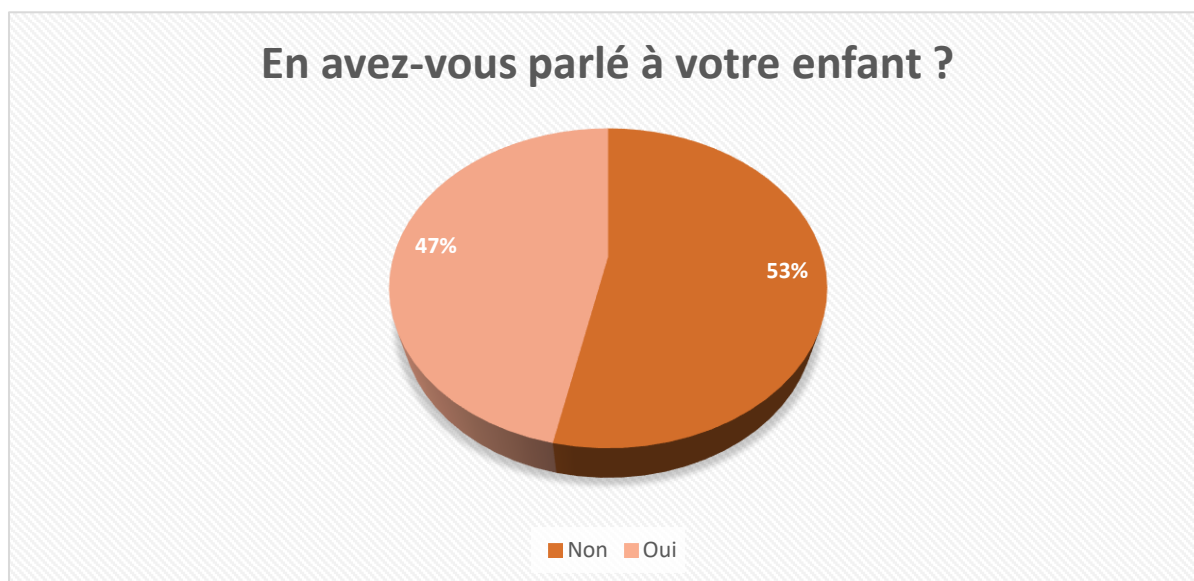


Figure 14 : *Discussion avec l'enfant*

D'après les réponses fournies décrites par la figure 14, une partie des participants ont déclaré avoir parlé à leur enfant de la participation à l'étude clinique, tandis que d'autres n'en ont pas discuté avec leur enfant. On remarque que 53% des parents n'ont pas eu de discussion avec leur enfant.

Qu'en a-t-il pensé ?

D'accord si s'est pour aider d'autres enfants
Il était trop petit
Il a 4 ans
Il approuve pour être guéri
Totalement pour
Si ça peut l'aider à guérir, il faut le faire
Elle ne parlait pas encore (18 mois)
Miracle pour vaincre son vilain crabe
Trop petit il avait 15 mois

Figure 15 : *Avis de l'enfant*

Sur la figure 15, selon certains parents, leur enfant semble avoir eu un avis sur sa participation à l'étude clinique. D'autres ont exprimé leur accord en soulignant qu'ils étaient prêts à aider d'autres enfants ou à être guéris. Cependant, il y a aussi des situations où l'enfant était trop petit pour exprimer une opinion ou ne pouvait pas encore parler. Dans certains cas, la participation à l'étude était approuvée par les parents au nom de leur enfant, en considérant les bénéfices potentiels pour sa guérison. Il est important de prendre en compte les sentiments et les pensées de l'enfant dans la mesure du possible, en adaptant la communication et en les impliquant autant que possible dans le processus décisionnel.

Pourquoi avez-vous accepté d'inclure votre enfant dans cet essai ?

30 réponses

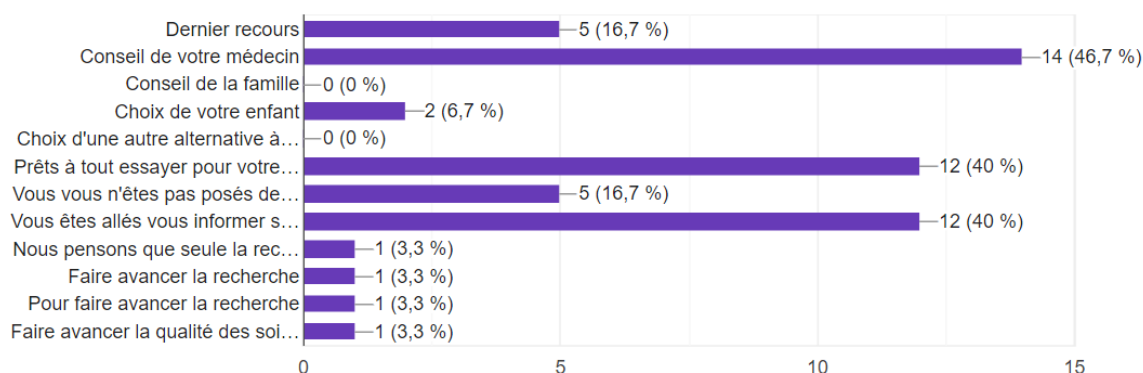


Figure 16 : Raison de l'inclusion de l'enfant dans un essai

Pourquoi avez-vous accepté d'inclure votre enfant dans cet essai ?

Les raisons pour lesquelles les parents ont accepté d'inclure leur enfant dans cet essai clinique sont multiples et montrés dans la figure 16. Certains parents ont pris leur décision après s'être informés sur l'essai clinique, en comprenant son objectif et en évaluant la balance bénéfice-risque associée. Le conseil du médecin a également joué un rôle important dans la décision de certains parents. D'autres parents étaient prêts à tout essayer pour leur enfant, considérant que la participation à l'essai clinique offrait une chance supplémentaire de traitement. Certains parents ont mentionné qu'ils pensaient que seule la recherche permettrait de sauver davantage d'enfants, tandis que d'autres souhaitaient contribuer à faire avancer la recherche ou la qualité des soins pour un maximum d'enfants. Pour certains parents,

l'essai clinique était considéré comme un dernier recours, alors que pour d'autres, il s'agissait d'un choix fait en tenant compte de l'avis de leur enfant. Il est important de noter que chaque décision est individuelle et motivée par des considérations uniques à chaque situation.

En effet, on peut remarquer des réponses comme « *dernier recours* » à 16% ou « conseil de votre médecin » à 46% ou encore des réponses telles que « *prêts à tout essayer pour votre enfant* » et « *vous êtes allés vous renseigner sur la recherche* » qui correspondent à 40% chacune.

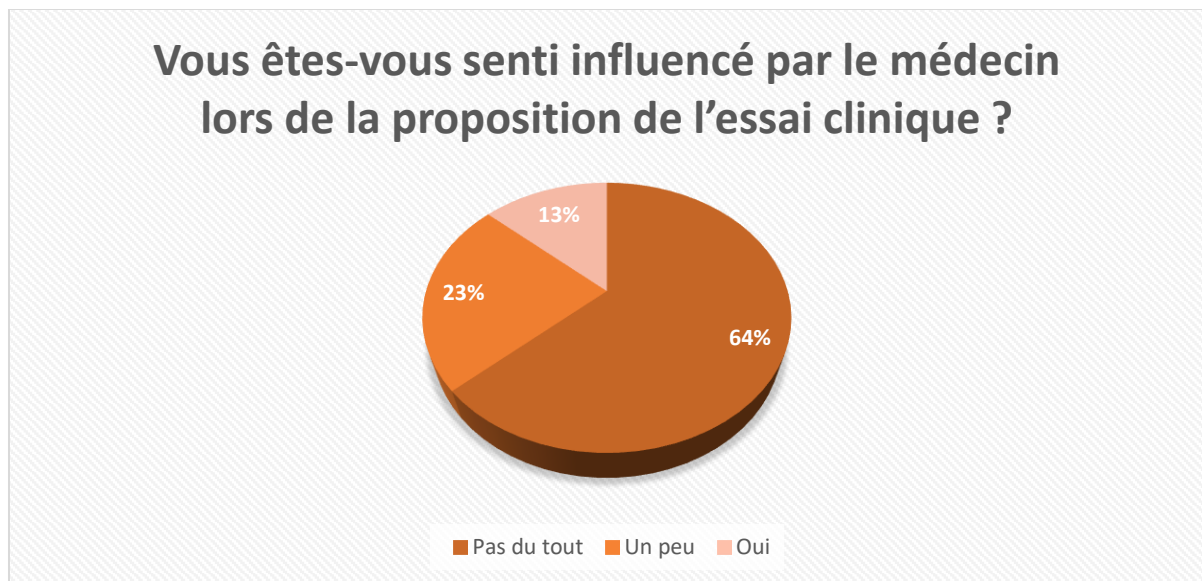


Figure 17 : Influence du médecin

D'après les réponses fournies sur la figure 17, il semble y avoir une variation dans l'influence perçue du médecin lors de la proposition de l'essai clinique. Certains parents ont indiqué se sentir influencés par le médecin dans une certaine mesure (23%), tandis que d'autres ont mentionné ne pas du tout ressentir cette influence (64%). Il est important de noter que l'influence perçue peut dépendre de divers facteurs, tels que la relation de confiance établie avec le médecin, la clarté des informations fournies et la compréhension de l'objectif et des risques de l'essai clinique. Chaque parent peut avoir sa propre perception de l'influence du médecin en fonction de sa situation individuelle.

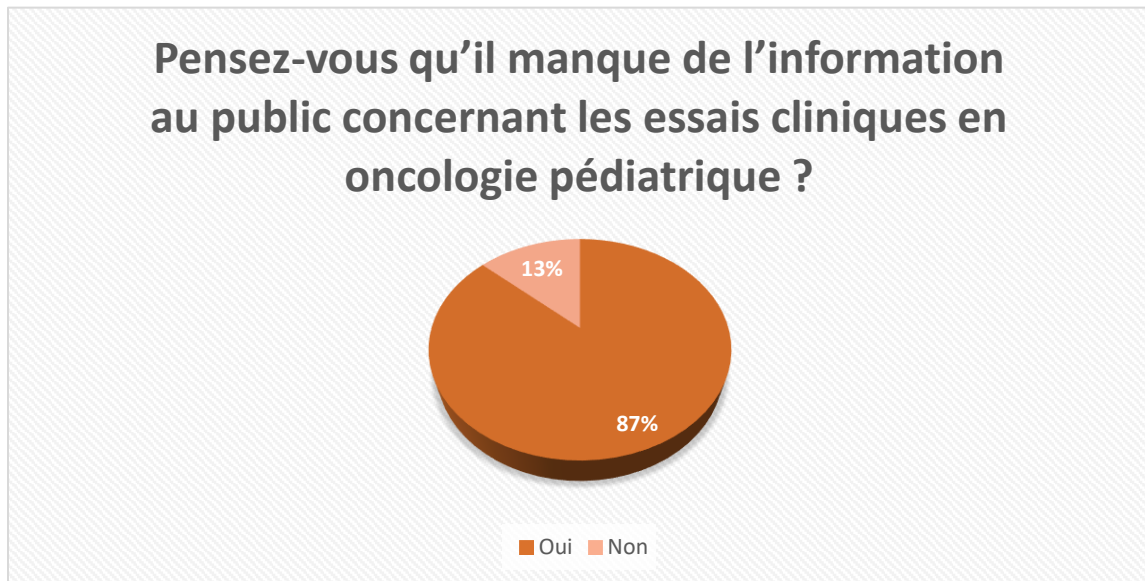


Figure 18 : *L'information au public*

D'après les réponses fournies illustrées par la figure 18, il semble y avoir un consensus parmi les participants quant au manque d'information au public concernant les essais cliniques en oncologie pédiatrique. La majorité des répondants (87%) ont indiqué qu'il y avait effectivement un manque d'information, tandis que 13% des participants ont répondu par la négative. Ces résultats suggèrent qu'il existe une perception générale selon laquelle le public n'est pas suffisamment informé sur les essais cliniques en oncologie pédiatrique.

Pensez-vous que la mise en place de livret, flyer, affiche au sein des services pourrait être utile aux parents ?

D'après les réponses fournies à cette question, il est clair que la mise en place de livrets, flyers et affiches au sein des services pourrait être utile aux parents. La grande majorité des répondants ont exprimé leur accord sur cette proposition, soulignant ainsi l'importance de fournir des supports d'information tangibles et visuels pour aider les parents à mieux comprendre les essais cliniques en oncologie pédiatrique.

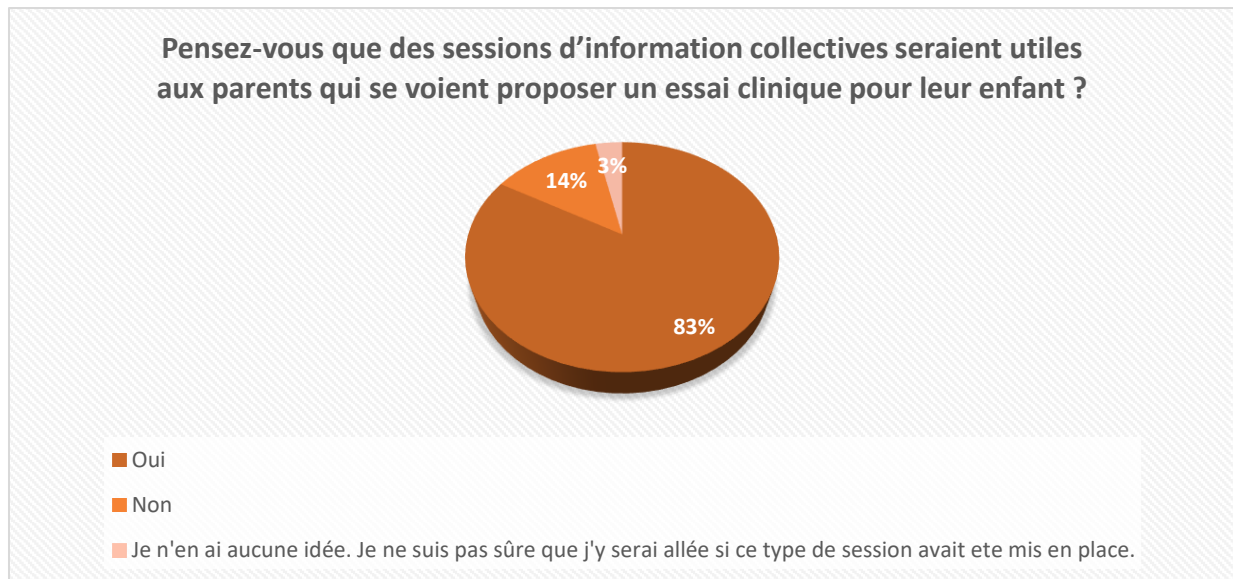


Figure 19 : Sessions d'information collective

Selon les réponses fournies sur la figure 19, il semble que la majorité (83%) des parents considèrent que des sessions d'information collectives seraient utiles lorsqu'ils se voient proposer un essai clinique pour leur enfant. Les répondants qui ont exprimé leur accord ont souligné l'importance d'avoir accès à des informations complètes et détaillées sur les essais cliniques en oncologie pédiatrique. Ils estiment que des sessions d'information collectives pourraient leur permettre d'obtenir des réponses à leurs questions, de mieux comprendre les enjeux et les implications de la participation à un essai clinique, ainsi que de partager leurs expériences et leurs préoccupations avec d'autres parents confrontés à des situations similaires. Cependant, il est important de noter qu'il y a également quelques répondants qui ont exprimé des doutes ou qui n'ont pas d'opinion claire sur l'utilité de ces sessions d'information collectives avec respectivement 14% et 3 % des répondants.

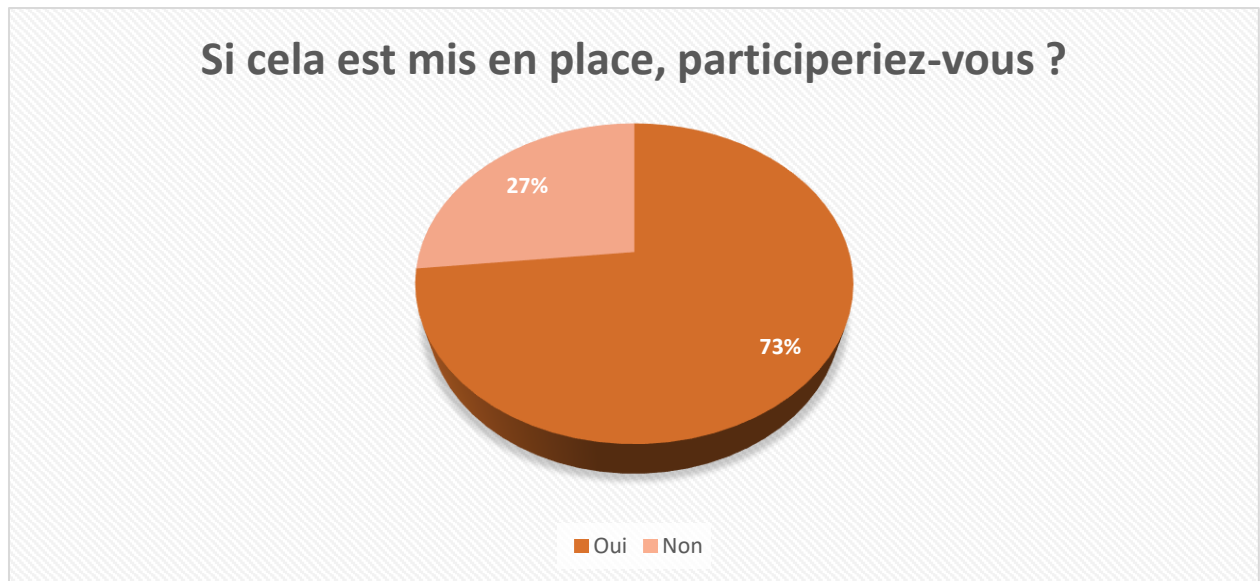


Figure 20 : *information collective*

Il semble que la majorité des parents seraient disposés à participer à des sessions d'information collectives si elles étaient mises en place selon la figure 20. Cela indique un intérêt et une volonté d'obtenir davantage d'informations sur les essais cliniques en oncologie pédiatrique. Les répondants qui ont exprimé leur volonté de participer (73%) ont souligné l'importance d'avoir accès à des informations claires et complètes pour prendre des décisions éclairées concernant la santé de leur enfant. Cependant, il est également important de noter qu'il y a quelques répondants qui ont indiqué qu'ils ne participeraient pas à de telles sessions ce qui correspond à 27% des répondants.

Si non, pourquoi ?

Les raisons données par les parents qui ne participeraient pas à des sessions d'information collectives sont variées. Certains ont exprimé qu'ils préfèrent avoir plus de renseignements de manière individuelle, tandis que d'autres ont souligné qu'au moment du diagnostic, ils étaient déjà déboussolés et n'étaient peut-être pas prêts pour des sessions collectives. Certains ont mentionné qu'ils n'avaient pas le temps ou l'envie de revivre ces moments difficiles, et certains ont cité des raisons personnelles telles que la perte d'un enfant ou la sensibilité du sujet. Il est important de respecter les choix et les préférences individuels des parents lorsqu'il s'agit de participer à de telles sessions.

Avez-vous des recommandations à suggérer concernant la communication/présentation des essais cliniques en oncologie pédiatrique ?

30 réponses

Non
Sa serait bien de dire aux parents si sa a servi vraiment à quelque chose
Aucune
Plus d'informations sous forme de livret
Les médecins nous parlent des essais cliniques quand on vient d'apprendre le diagnostic donc je pense qu'on ne réfléchit pas assez avant de prendre les décisions.
Ce qui serait bien serait d'avoir les résultats des essais. De savoir. Que les traitements aient eu une issue favorable ou non, je pense que les parents souhaitent voir que tout ça "sert à quelque chose".
Plus d'informations à apporter
Médicament adapté à la pathologie de l'enfant
Plus de presse et de mise en avant des cancers pédiatriques
Expliquer aux parents le bénéfice
Chercher la cause avant tt
non
j'apprécierais que les médecins utilisent un langage clair et compréhensible pour expliquer les détails de l'essai clinique, en évitant le jargon médical complexe
Information au public

Figure 21: recommandations sur les essais cliniques selon les parents

Voici quelques recommandations suggérées sur la figure 21 par les participants concernant la communication et la présentation des essais cliniques en oncologie pédiatrique :

- Fournir des informations claires aux parents sur l'efficacité réelle des essais cliniques.

- Proposer des livrets ou des supports d'information pour aider les parents à mieux comprendre les essais cliniques.
- Sensibiliser davantage les médias et mettre en avant les cancers pédiatriques pour une meilleure communication.
- Expliquer tous les détails de l'essai clinique aux parents en utilisant un langage clair et compréhensible, en évitant le jargon médical complexe.
- Fournir davantage d'informations sur les résultats des essais, en montrant que les traitements ont eu des résultats positifs ou négatifs.
- Chercher la cause des cancers pédiatriques avant tout.
- Adapter les médicaments aux pathologies spécifiques des enfants.
- Renforcer la communication et la sensibilisation du public aux essais cliniques en oncologie pédiatrique.
- Présenter les informations de manière plus accessible et compréhensible.
- Accorder une attention particulière à la communication et à l'information des parents, en leur expliquant en détail les bénéfices potentiels des essais cliniques.

V. Biais et limites

Malgré un effort pour concevoir un questionnaire exhaustif et représentatif, l'étude peut présenter des biais potentiels. Tout d'abord, le biais de sélection pourrait affecter les résultats car l'échantillon est composé de parents qui ont accepté de répondre au questionnaire. Les parents qui ont refusé de participer ou qui n'ont pas répondu pourraient avoir des caractéristiques différentes de ceux qui ont répondu. De plus les biais de réponses sont également possibles car les participants pourraient fournir des réponses biaisées en fonction de ce qu'ils pensent être socialement acceptable ou en fonction de leur propre expérience personnelle. Des mesures ont été prises pour diminuer le risque de biais en assurant la confidentialité et l'anonymat des participants, et informant les participants sur l'importance de réponse de manière honnête et en utilisant un langage clair pour éviter toute confusion.

Les réponses peuvent être influencées par des biais liés à la perception et à l'interprétation du parent, ainsi que par des facteurs tels que la fatigue, la douleur et l'anxiété. De plus, les questionnaires peuvent ne pas couvrir tous les aspects pertinents de la qualité de vie des patients ou des effets secondaires du traitement, ce qui peut limiter l'interprétation des résultats. De plus, les questionnaires ne donnent pas toujours un aperçu des causes profondes des réponses, ce qui peut

empêcher une compréhension complète de l'expérience du patient. Enfin, les différences culturelles et linguistiques peuvent également affecter la compréhension et les réponses aux questions posées dans le questionnaire, limitant ainsi la validité des données collectées.

Dans l'élaboration de ces questionnaires, une attention particulière a été portée pour éviter les biais cités plus haut. Plusieurs mesures ont été prises pour garantir une approche objective et équilibrée.

Tout d'abord, une diversité d'opinions a été recherchée en incluant un échantillon représentatif de médecins investigateurs, ARC et parents. Cela permet d'obtenir des réponses variées et reflétant différentes perspectives.

De plus, les questions posées ont été formulées de manière neutre et non suggestive afin d'éviter d'influencer les réponses des participants. L'objectif était de recueillir des informations sincères et objectives, sans introduire de préjugés ou de présuppositions.

Des questions ouvertes ont donc été incluses pour permettre aux répondants d'exprimer librement leurs opinions. Cela favorise une discussion plus approfondie et permet d'explorer des aspects auxquels on aurait pu ne pas penser initialement.

Des vérifications ont ensuite été effectuées pour éviter toute redondance ou ambiguïté dans les questions, garantissant ainsi la clarté et la compréhension des sujets abordés.

Lors de la conception des questionnaires, plusieurs facteurs ont été pris en compte, notamment le temps et les ressources limitées, ainsi que la disponibilité des professionnels de santé spécialisés en oncologie pédiatrique.

Dans ce contexte, approche basée sur un questionnaire afin de recueillir les informations nécessaires de manière efficace et rapide a été opté. Le choix d'utiliser le logiciel Excel pour l'analyse des données était également motivé par sa facilité d'utilisation et sa large accessibilité.

Cependant, cette méthode présente des limites et peut ne pas permettre une compréhension approfondie des enjeux. Les entretiens individuels auraient certainement fourni des informations plus détaillées et nuancées. Malheureusement,

en raison des contraintes mentionnées précédemment, nous n'avons pas pu les inclure dans notre approche méthodologique

Partie 4 : Recommandations

I. Comment faciliter la gestion des essais cliniques en oncologie-pédiatrique aux professionnels de santé ?

Les réponses aux questionnaires suggèrent que la communication et la compréhension de l'étude par les parents et les enfants sont importantes, et qu'il y a peut-être un besoin de mieux adapter la communication à ce public spécifique. Les flyers colorés peuvent aider à rendre l'information plus attrayante et accessible, tandis que des consentements et des lettres d'information adaptés peuvent aider les enfants à mieux comprendre ce qu'ils vont vivre et à donner leur consentement éclairé. La suggestion de communiquer au public que les enfants ne sont pas des cobayes met en avant une préoccupation importante liée à la perception des essais cliniques en oncologie pédiatrique.

II. Comment communiquer auprès des parents pour faciliter l'inclusion de patients dans ces études ?

La communication est un élément clé pour faciliter le contact entre parents et professionnel de santé.

Une approche centrée sur les parents et l'enfant est importante car chaque famille a ses propres préoccupations et son niveau de compréhension. Les professionnels de la santé doivent pouvoir écouter les préoccupations des parents et être prêts à répondre à toutes leurs questions. Ils doivent être disponibles pour fournir des informations précises sur les risques et les avantages de la participation de leur enfant à une étude clinique, ainsi que sur les alternatives disponibles.

Lors de l'explication d'une étude clinique aux parents d'enfants atteints de cancer, une communication ouverte et honnête doit être encouragée. Les parents peuvent avoir des préoccupations et des questions importantes sur la recherche, ses risques, ses avantages, ses exigences et les résultats attendus. Les professionnels de la santé doivent être prêts à répondre à toutes les questions des parents.

Les parents doivent être informés des risques de l'étude, tels que les effets secondaires des traitements ou les risques liés aux procédures de l'étude.

Il est important de donner aux parents suffisamment de temps pour poser des questions et expliquer que toutes leurs préoccupations sont légitimes et qu'aucun problème n'est trop petit ou sans conséquence. Les professionnels de la santé doivent être prêts à répondre aux questions des parents, même si elles sont difficiles ou embarrassantes.

L'explication doit être transparente quant aux objectifs de l'étude, aux procédures impliquées, aux risques et aux avantages attendus. Les investigateurs doivent fournir des informations claires et précises sur l'étude, sans dissimuler ou minimiser les risques.

Les termes techniques et médicaux peuvent être difficiles à comprendre pour les personnes n'ayant pas une formation médicale ou scientifique. En utilisant un langage clair et simple, les professionnels de santé peuvent aider à garantir que les patients et les parents comprennent les informations importantes sur l'étude clinique. Il est important de s'assurer que les parents et les enfants comprennent les risques et les avantages potentiels de l'étude, les procédures impliquées, les exigences de temps et les engagements nécessaires. (20)

Les promoteurs des études pourraient également mettre en place des vidéos d'explication des études à destination des parents et des enfants avec des illustrations et animations adaptées à l'âge de l'enfant. Elles peuvent inclure des témoignages de parents ou d'enfants qui ont déjà participé à des études cliniques, ce qui peut aider les parents et répondre à leurs questions. Il est important que les vidéos éducatives soient faciles à comprendre pour les parents et les enfants. Les informations doivent être présentées de manière claire et concise.

Il peut être difficile pour les enfants et leurs parents de participer à un essai clinique. Il est important de fournir un soutien émotionnel et psychologique tout au long du processus. Un groupe de soutien parental peut être utile pour les parents qui ont des questions. Des journées d'information collectives peuvent également être ajoutées à ces groupes.

Visiter une unité de recherche clinique et suivre le parcours d'un patient est un moyen efficace de communiquer avec les parents au sujet des essais cliniques en oncologie pédiatrique. Il peut être utile de suivre le parcours d'un patient inclus dans une étude clinique et voir les étapes lors d'une de ses visites. Organiser une visite guidée d'un service de recherche clinique, peut permettre aux parents de visiter les installations, les équipements et échanger avec le personnel médical impliqué dans la recherche clinique. Cela peut être une opportunité d'expliquer le rôle de l'unité de recherche clinique dans la conduite des essais cliniques et répondre aux questions des parents.

La communication sur les résultats des essais cliniques et les avancées de la recherche en oncologie pédiatrique est un aspect important de la relation avec les parents. En effet après étude des réponses du questionnaire à destination des parents, beaucoup ont mentionné le fait de vouloir avoir un retour sur les résultats de l'essai clinique dans lequel leur enfant est inclus. *« Ce qui serait bien serait d'avoir les résultats des essais. De savoir. Que les traitements aient eu une issue favorable ou non, je pense que les parents souhaitent voir que tout ça "sert à quelque chose". »* à mentionné un parent d'enfant atteint de leucémie. Un autre parent a indiqué *« Plus de presse et de mise en avant des cancers pédiatriques »*

III. Utilisation de la réalité virtuelle pour l'explication d'un essai clinique a un enfant ?

La réalité virtuelle peut être une approche innovante pour expliquer un essai clinique à un enfant, en rendant l'information plus accessible et interactive.

Il est important de noter que la réalité virtuelle ne doit pas être utilisée comme un remplacement complet des interactions entre médecins et patients. L'enfant doit être en mesure de poser des questions et de discuter de toute préoccupation avec l'équipe médicale afin qu'il comprenne parfaitement l'essai clinique et se sente à l'aise de participer à l'essai.

Cette technique peut être coûteuse à mettre en place et à entretenir. Le coût de développement des dispositifs de simulation et de réalité virtuelle peut être prohibitif pour certains établissements de santé.

La réalité virtuelle peut aider à expliquer les essais cliniques de manière interactive et visuelle, mais elle ne remplace pas les interactions en face à face avec le personnel médical. Les enfants peuvent avoir des questions et des préoccupations supplémentaires que les simulations de réalité virtuelle ne peuvent pas résoudre. Il est donc compliqué d'envisager l'utilisation de cette méthode dans les essais cliniques.

IV. Fournir les résultats des essais cliniques

La recommandation de fournir les résultats des essais cliniques en oncologie pédiatrique est basée sur le besoin exprimé par les parents de connaître l'impact et les résultats des essais auxquels leurs enfants ont participé.

Fournir aux parents les résultats des essais cliniques en oncologie pédiatrique est une étape essentielle pour instaurer la confiance et les aider à prendre des décisions éclairées pour leurs enfants. Ils ont le droit de savoir si les essais ont été concluants ou non, car cela leur permet de mieux comprendre l'efficacité des traitements proposés ainsi que leurs avantages et leurs limites.

Recevoir les résultats des essais cliniques donnent aux parent une vision plus complète et leur permet d'être réellement acteurs dans les décisions concernant les traitements futurs de leur enfant. Ils peuvent ainsi évaluer l'efficacité des traitements utilisés et choisir la meilleure option en collaboration avec l'équipe médicale.

La communication des résultats des essais cliniques pédiatriques est également primordiale pour améliorer les protocoles de recherche et les pratiques médicales. Les échecs ou les résultats négatifs sont des enseignements précieux qui guident les futures études et permettent d'ajuster les approches de traitement.

Il est important de noter que la publication des résultats des essai cliniques ne concerne pas seulement les parents, mais également les chercheurs, les scientifiques et les autres patients. Les résultats enrichissent les connaissances et orientent les futurs travaux de recherche. De plus, ils permettent de sensibiliser les

autres patients et leurs familles aux avancées et aux traitements disponibles en oncologie pédiatrique.

Enfin, fournir aux parents un accès aux données de suivi à long terme est tout aussi crucial. En plus des résultats des essais cliniques, ces données leur permettent de comprendre l'impact à long terme du traitement, les éventuels effets secondaires tardifs et d'autres informations importantes pour la prise en charge continue de leur enfant. Cela les aide à prendre des décisions informées concernant les soins de suivi et à mieux appréhender les conséquences à long terme du traitement.

En résumé, la communication des résultats des essais cliniques en oncologie pédiatrique aux parents favorise la confiance, les guide dans la prise de décisions et contribue à l'amélioration des soins et des traitements.

V. Décision de l'enfant

Selon les réponses fournies par les médecins investigateurs, la question du pouvoir de décision de l'enfant dans le contexte des essais cliniques en oncologie pédiatrique est abordée. Les médecins reconnaissent que l'enfant a un certain pouvoir de décision, mais cela dépend de son âge et de sa maturité.

Il est important de noter que le consentement éclairé et informé des parents est généralement requis pour l'inclusion d'un enfant dans un essai clinique. Cependant, certains médecins indiquent que lorsque l'enfant atteint un certain âge et démontre une maturité suffisante, son consentement personnel peut être pris en compte.

L'adaptation de l'information donnée à l'enfant est également soulignée. Les médecins utilisent des moyens adaptés à l'âge de l'enfant, tels que des dessins, des schémas ou d'autres outils visuels, pour expliquer les principes de la recherche clinique de manière compréhensible.

Cependant, il est important de noter que même si l'enfant est impliqué dans la discussion et peut exprimer ses préférences, la décision finale revient généralement aux parents, en tenant compte de l'avis médical de l'investigateur. Cela s'explique

par le fait que les parents sont légalement responsables de la prise de décision pour leur enfant mineur.

La prise en compte de la volonté et de la compréhension de l'enfant reste un défi complexe. Les médecins doivent évaluer le niveau de compréhension de l'enfant et son aptitude à participer à la décision concernant sa participation à un essai clinique. Cette évaluation peut varier en fonction de facteurs tels que l'âge, la maturité émotionnelle et cognitive de l'enfant.

En conclusion, le pouvoir de décision de l'enfant dans les essais cliniques en oncologie pédiatrique est considéré, mais la décision finale est généralement prise par les parents en lien avec l'avis médical de l'investigateur. L'adaptation de l'information à l'enfant et la prise en compte de sa compréhension restent des aspects importants pour assurer une communication efficace et éthique dans ce domaine.

Conclusion

Pour que la recherche clinique en oncologie pédiatrique puisse avancer, il est crucial d'encourager la participation des familles aux essais cliniques. Cela nécessite une communication claire et transparente sur les objectifs, les procédures et les bénéfices potentiels des essais.

La gestion des essais cliniques en oncologie pédiatrique constitue un enjeu crucial pour les professionnels de santé et les familles concernées. À travers l'analyse des questionnaires et des réponses des parents, plusieurs recommandations émergent pour faciliter cette gestion et améliorer l'expérience des enfants atteints de cancer et de leurs proches.

Premièrement, il est essentiel de fournir aux parents les résultats des essais cliniques. Cette transparence renforce la confiance entre les professionnels de santé et les familles, tout en permettant aux parents de prendre des décisions éclairées concernant les traitements proposés. La communication des résultats contribue également à l'amélioration des protocoles de recherche et des pratiques médicales, en favorisant la collaboration et l'évolution des traitements en oncologie pédiatrique.

Deuxièmement, l'établissement de supports d'information tels que des livrets, des flyers et des affiches au sein des services médicaux se révèle précieux. Ces outils fournissent aux parents une source d'informations claires et accessibles sur les essais cliniques, leurs objectifs et les bénéfices-risques associés. Ils permettent également de sensibiliser le public à l'importance de la recherche en oncologie pédiatrique et de promouvoir une meilleure compréhension de cette discipline.

Troisièmement, l'organisation de sessions d'information collectives s'avère bénéfique pour les parents qui se voient proposer un essai clinique pour leur enfant. Ces rencontres offrent un espace d'échange et de dialogue, où les parents peuvent poser leurs questions, partager leurs inquiétudes et bénéficier de l'expérience d'autres familles. Ces sessions favorisent une meilleure compréhension des essais cliniques, tout en renforçant le soutien et l'accompagnement des parents dans leur parcours.

Enfin, il est important de souligner l'importance de communiquer de manière humaine et empathique. Les professionnels de santé doivent veiller à utiliser un langage clair, compréhensible et dépourvu de jargon médical complexe lorsqu'ils présentent les essais cliniques aux familles. Cette approche favorise une

communication effective, où les parents se sentent écoutés, soutenus et pleinement informés.

En conclusion, la gestion des essais cliniques en oncologie pédiatrique requiert une approche centrée sur les besoins des enfants et de leur famille. Les recommandations ressortant des questionnaires montrent l'importance de la transparence, de l'information, de la communication et de l'accompagnement pour assurer une prise en charge optimale. En mettant en œuvre ces recommandations, les professionnels de santé pourront faciliter les essais cliniques et améliorer la qualité des soins offerts aux enfants atteints de cancer, tout en soutenant leur famille tout au long de leur parcours médical.

Bibliographie

- (1) Meadows, Anna T. « Pediatric Cancer Survivorship: Research and Clinical Care ». *Journal of Clinical Oncology: Official Journal of the American Society of Clinical Oncology* 24, n° 32 (10 novembre 2006): 5160-65. Consulté le 2 mars 2023 [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1200/JCO.2006.07.3114>.
- (2) « feuille_de_route_-_strategie_decennale_de_lutte_contre_les_cancers.pdf ». Consulté le 2 Avril 2023.[En ligne] disponible sur https://sante.gouv.fr/IMG/pdf/feuille_de_route_-_strategie_decennale_de_lutte_contre_les_cancers.pdf.
- (3) « Les cancers pédiatriques en France ». Consulté le 10 avril 2023. [En ligne] disponible sur <http://pediatrie.e-cancer.fr/professionnels-de-sante/cancers-pediatriques/les-cancers-pediatriques-en-france>.
- (4) « Cancérologie pédiatrique - L'organisation de l'offre de soins ». Consulté le 28 avril 2023. [En ligne] disponible sur <https://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-sante/L-organisation-de-l-offre-de-soins/Cancerologie-pediatrique>.
- (5) « Types de cancer - Les cancers chez l'enfant ». Consulté le 2 mai 2023. [En ligne] disponible sur <https://www.e-cancer.fr/Patients-et-proches/Les-cancers/Les-cancers-chez-l-enfant/Types-de-cancer>.
- (6) © « La lutte contre les cancers pédiatriques en France. Enjeux, actions et perspectives », édition 2022. Consulté le 21 février 2023. [En ligne]
- (7) ANSM. « Dossier thématique - Des essais cliniques adaptés aux enfants e ». Consulté le 2 février 2023. [En ligne] disponible sur <https://ansm.sante.fr/dossiers-thematiques/medicaments-en-pediatrie-enfants-et-adolescents/des-essais-cliniques-adaptes-aux-enfants-et-adolescents>.
- (8) Art L1122-2 du Code de Sante Publique. Consulté le 2 mai 2023 [En ligne] disponible sur <http://www.legifrance.gouv.fr>

- (9) Nacka, F., L. Benadjaoud, M. Fayon, et E. Jacqz-Aigrain. « Recherche en pédiatrie : le consentement en pratique ». *Archives de Pédiatrie* 22, n° 9 (1 septembre 2015): 989-95. ». Consulté le 2 février 2023. [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1016/j.arcped.2015.06.010>.
- (10) Arrêté du 17 février 2021 modifiant l'arrêté du 12 avril 2018 fixant la liste des recherches mentionnées au 2° de l'article L. 1121-1 du code de la santé publique (s. d.). Consulté le 2 février 2023.
- (11) Russo, Carolyn, Linda Stout, Toni House, et Victor M. Santana. « Barriers and Facilitators of Clinical Trial Enrollment in a Network of Community-Based Pediatric Oncology Clinics ». *Pediatric Blood & Cancer* 67, n° 4 (avril 2020): e28023. ». Consulté le 2 février 2023. [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1002/pbc.28023>.
- (12) Alahmad, Ghiath. « Informed Consent in Pediatric Oncology: A Systematic Review of Qualitative Literature ». *Cancer Control: Journal of the Moffitt Cancer Center* 25, n° 1 (2018): 1073274818773720. ». Consulté le 2 février 2023. [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1177/1073274818773720>.
- (13) De Vries MC, Houtlosser M, Wit JM, et al. Ethical issues at the interface of clinical care and research practice in pediatric oncology: a narrative review of parents' and physicians' experiences. *BMC Med Ethics*. 2011;12:18 . Consulté le 2 février 2023 [En ligne] disponible sur [Ethical issues at the interface of clinical care and research practice in pediatric oncology: a narrative review of parents' and physicians' experiences - PubMed \(univ-lille.fr\)](#)
- (14) Dupont JCK, Pritchard-Jones K, Doz F. Ethical issues of clinical trials in paediatric oncology: a systematic review over 10 year developments (2003–2013). *Lancet Oncol*. 2016;17:e187–e197 . Consulté le 12 février 2023 [En ligne] disponible sur [Ethical issues of clinical trials in paediatric oncology from 2003 to 2013: a systematic review - PubMed \(univ-lille.fr\)](#)

- (15) Tai, Eric, Lynda Beaupin, et Archie Bleyer. « Clinical Trial Enrollment among Adolescents with Cancer: Supplement Overview ». *Pediatrics* 133 Suppl 3, n° Suppl 3 (juin 2014): S85-90. ». Consulté le 2 février 2023. [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1542/peds.2014-0122B>.
- (16) Crane, Stacey, James M. Croop, Jill Lee, Jamie Walski, et Joan Haase. « Parents' Insights into Pediatric Oncology Phase I Clinical Trials: Experiences from Their Child's Participation ». *Seminars in Oncology Nursing* 37, n° 3 (juin 2021): 151162. ». Consulté le 20 février 2023. [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1016/j.soncn.2021.151162>.
- (17) Blazin, Lindsay J., Andrea Cuvillo, Holly Spraker-Perlman, et Erica C. Kaye. « Approaches for Discussing Clinical Trials with Pediatric Oncology Patients and Their Families ». *Current Oncology Reports* 24, n° 6 (juin 2022): 723-32. Consulté le 20 mars 2023. [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1007/s11912-022-01239-7>.
- (18) Dupont, Jean-Claude K, Kathy Pritchard-Jones, et François Doz. « Ethical Issues of Clinical Trials in Paediatric Oncology from 2003 to 2013: A Systematic Review ». *The Lancet Oncology* 17, n° 5 (1 mai 2016): e187-97. Consulté le 20 février 2023. [En ligne] disponible sur [https://doi.org/10.1016/S1470-2045\(16\)00142-X](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(16)00142-X).
- (19) Aristizabal, Paula. « Diverse Populations and Enrollment in Pediatric Cancer Clinical Trials: Challenges and Opportunities ». *Pediatric Blood & Cancer* 67, n° 11 (novembre 2020): e28296». Consulté le 20 février 2023. [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1002/pbc.28296>.
- (20) Rojas, Teresa de, Anouk Neven, Alexander J. Towbin, Fernando Carceller, Francisco Bautista, David Riedl, Samantha Sodergren, Anne-Sophie Darlington, Ana Fernandez-Teijeiro, et Lucas Moreno. « Clinical Research Tools in Pediatric Oncology: Challenges and Opportunities ». *Cancer Metastasis Reviews* 39, n° 1 (mars 2020): 149-60. Consulté le 20 avril 2023. [En ligne] disponible sur <https://doi.org/10.1007/s10555-020-09856-z>.

Annexe I : Questionnaire professionnels de santé

Essais cliniques oncologie pédiatrique - professionnels de santé

Dans le cadre de mon **Mémoire de Master 2 en recherche clinique**, ce questionnaire a pour but de récolter les avis des professionnels de santé impliqués dans un/des essai(s) clinique(s). Ce mémoire traitera des challenges des **essais cliniques en oncologie pédiatrique**. Les données feront l'objet d'analyse dans le but de mener à bien ce mémoire.

Je vous remercie pour votre contribution et le temps accordé à ce questionnaire.

Durée : 5 mins

Les données récoltées sont anonymes et seront détruites à la fin du mémoire

Pour toute question : maryeim.fadil.etu@univ-lille.fr

Votre profession *

- ☐ Médecin investigateur
- ☐ Attaché de recherche clinique (ARC)

Si médecin investigateur

- ☐ Onco-pédiatre
- ☐ Oncologue
- ☐ Pédiatre
- ☐ Autre...

Etes-vous impliqués dans des essais cliniques impliquant des enfants ? *

- ☐ Oui
- ☐ Non

Si non, le questionnaire est terminé

Description (facultative)

Combien d'enfants par mois êtes-vous amenés à inclure dans des études cliniques ? *

Réponse courte

Trouvez vous facile de convaincre les parents d'inclure leur enfant dans un essai clinique ? *

- ☐ Oui
- ☐ Non
- ☐ Autre...

Etes-vous amenés à rencontrer des difficultés lors de l'explication de l'étude clinique aux parents ? (spécificité d'un essai clinique en oncologie) *

- ☐ Oui
- ☐ Non

Si oui, Lesquelles ?

Réponse courte

Disposez vous de supports de communication qui expliquent les principes de la recherche clinique ? *

- ☐ Oui

Aimeriez vous en disposer ? *

☐ Oui

☐ Non

Avez-vous la possibilité d'expliquer à l'enfant la recherche clinique, l'étude clinique ?

Réponse courte

.....

Avez-vous des outils qui vous le permettent (par exemple des outils mis a disposition par le promoteur) ? *

Réponse courte

.....

Rencontrez vous des difficultés en matière de sélection des patients (critères d'inclusions stricts) ? *

Réponse courte

.....

Etes-vous limités par l'âge des enfants ? (critères d'inclusions) *

☐ Oui

☐ Non

☐ Autre...

exemple ?

Réponse courte

Trouvez vous difficile l'explication de l'essai clinique aux parents ? *

☐ Oui

☐ Non

Pensez-vous que cela puisse être un frein à la proposition d'un essai à des parents ? *

☐ Oui

☐ Non

Quelles difficultés rencontrez vous avec les parents qui se voient proposer un essai clinique pour leur enfant ? *

Réponse courte

Selon vous l'enfant a-t-il un pouvoir de décision quant à cet essai ? *

Réponse courte

Investigateurs : Arrivez vous à séparer recherche et soins ?

Vous arrive-t-il de vouloir proposer un essai clinique avant la proposition d'un traitement de référence ?

Réponse courte

Que pensez-vous de cette limite soin/recherche en oncologie pédiatrique ?

Réponse courte

Comment communiquez vous sur les risques de l'étude clinique auprès des parents ? *

Réponse courte

Pensez-vous que l'utilisation d'outils (comme les casques de réalité virtuelle) peut permettre d'aider à la compréhension de l'étude par un enfant ? *

☐ Oui

☐ Non

Si non, pourquoi ?

Réponse courte

Avez-vous des recommandations à suggérer concernant la gestion/communication des essais clinique en oncologie pédiatrique ? *

Annexe II : Questionnaire parents

Essais cliniques en oncologie pédiatrique - Parents

Dans le cadre de mon **Mémoire de Master 2 en recherche clinique**, ce questionnaire a pour but de récolter les avis des parents ayant des enfants atteints de cancer et inclus dans un essai clinique. Ce mémoire traitera des challenges des essais cliniques en **oncologie pédiatrique**. Les données feront l'objet d'analyse dans le but de mener à bien ce mémoire.

Je vous remercie pour votre contribution et le temps accordé à ce questionnaire.

Durée : 5 mins

Les données récoltées sont anonymes et seront détruites à la fin du mémoire.

Pour toute question : maryeim.fadil.etu@univ-lille.fr

Vous êtes parents d'un/d'enfants atteint(s) d'un cancer ? *

☐ Oui

☐ Non

Si non le questionnaire est terminé

Description (facultative)

Votre ville ? *

Réponse courte

Est-il inclus dans un essai clinique ? *

☐ Oui

☐ Non

Si non le questionnaire est terminé

Vous êtes ? *

- ☐ Le père
- ☐ La mère
- ☐ Les deux

Quel type de cancer s'agit-il ? *

Réponse courte

Quel âge a votre enfant ? *

- ☐ Entre 0 - 5 ans
- ☐ Entre 6 - 8 ans
- ☐ Entre 9 - 12 ans
- ☐ Entre 13 et 17 ans

Quelle est la durée de l'étude clinique dans laquelle votre enfant participe ? *

Réponse courte

En quelle année l'avez-vous inclus dans l'étude ? *

Réponse courte

Il s'agit de quelle phase pour cette étude ? *

- ☐ Phase I
- ☐ Phase II
- ☐ Phase III
- ☐ Phase IV
- ☐ Je ne sais pas

Vous êtes-vous informés sur la recherche clinique avant sa participation ? *

- ☐ Oui
- ☐ Non

Si oui, Par quels moyens ?

- ☐ Internet
- ☐ Livre
- ☐ Entourage
- ☐ Autre...

Si non, pourquoi ?

Réponse courte

.....

Le médecin investigateur a-t-il été disponible pour répondre à vos questions ? *

- ☐ Oui
- ☐ Pas assez
- ☐ Non

Avez-vous trouvé son explication claire ? *

- ☐ Oui
- ☐ Non

Avez-vous eu un temps de réflexion avant de prendre une décision ? *

- ☐ Oui
- ☐ Non
- ☐ Pas assez

En avez-vous parlé à votre enfant ? *

- ☐ Oui
- ☐ Non

Qu'en a-t-il pensé ?

Réponse courte

.....

Pourquoi avez-vous accepté d'inclure votre enfant dans cet essai ? *

- ☐ Dernier recours
- ☐ Conseil de votre médecin
- ☐ Conseil de la famille
- ☐ Choix de votre enfant
- ☐ Choix d'une autre alternative à la chimiothérapie
- ☐ Prêts à tout essayer pour votre enfant
- ☐ Vous vous n'êtes pas posés de questions
- ☐ Vous êtes allés vous informer sur l'essai clinique, son objectif, la balance bénéfice-risque
- ☐ Autre...

Vous êtes-vous senti influencé par le médecin lors de la proposition de l'essai clinique ? *

- ☐ Oui
- ☐ Pas du tout
- ☐ Un peu

Le médecin vous a-t-il expliqué les bénéfices pour votre enfant ? *

- ☐ Oui
- ☐ Non

Pensez-vous qu'il manque de l'information au public concernant les essais cliniques en oncologie pédiatrique ? *

☐ Non

☐ Oui

Pensez-vous que la mise en place de livret, flyer, affiche au sein des services pourrait être utiles aux parents ? *

☐ Oui

☐ Non

Pensez-vous que des sessions d'information collectives seraient utiles aux parents qui se voient proposer un essai clinique pour leur enfant ? *

☐ Oui

☐ Non

☐ Autre...

Si cela est mis en place, participeriez-vous ? *

☐ Oui

☐ Non

Si non, pourquoi ?

Réponse courte

.....

Recommanderiez vous la participation à des essais cliniques à d'autres parents ? *

☐ Oui

☐ Non

Si non, pourquoi ?

Réponse courte

.....

Avez-vous des recommandations à suggérer concernant la communication/présentation des essais cliniques en oncologie pédiatrique ? *

Réponse longue

.....

Annexe III : Exemple de Flyer¹

Paroles de patients



La première raison pour laquelle j'ai participé à une étude clinique était de faire avancer le combat contre la mucoviscidose, même si ce n'est peut-être pas moi qui en bénéficierai. J'ai également participé pour avoir accès au plus tôt à un traitement efficace.

Mon expérience globale est que cela nous apprend qu'on ne nous laisse pas tomber. À terme, ça laisse entrevoir un éventail de possibilités de traitement pour une meilleure qualité de vie.

Je conseillerais de participer à une étude car j'ai appris sur moi-même, j'ai pu vivre et gérer différemment ma maladie.



J'ai l'impression d'avoir aidé la médecine, ainsi que les autres patients.

Cette étude clinique m'a apporté la satisfaction personnelle d'aider à faire avancer les choses à mon niveau. Les contraintes auxquelles j'ai été confronté ont été de faire accepter à ma famille que je fasse une étude clinique. Dans la tête des gens, il y a, je pense, beaucoup d'inquiétudes, d'incertitudes et la peur qu'il y ait de nouveaux symptômes qui apparaissent et que notre état de santé empire. J'ai dû leur faire accepter ma décision et leur faire comprendre que j'étais totalement confiant.

Je recommanderais à mes proches ou à qui le souhaite, de participer à une étude clinique car le bénéfice de voir s'améliorer le quotidien des patients est énorme par rapport au risque encouru.



Aujourd'hui, je peux tester à l'avance, sous contrôle médical très encadré, de nouveaux médicaments pouvant potentiellement améliorer mon quotidien, ou bien profiter de l'avancée médicale pour tester un nouveau mode d'administration thérapeutique. Quoiqu'il en soit, décider de participer à une étude clinique, c'est aussi accepter d'être plus suivi par exemple, mais aussi de consacrer plus de temps à ses soins.

¹ « Brochure explicative | Vaincre la Mucoviscidose - Répertoire des essais cliniques ». Consulté le 11 juin 2023. <https://essaiscliniques.vaincrelamuco.org/brochure-explicative/pa10>.

Quels sont les challenges des essais cliniques en oncologie pédiatrique ?

Alors que le cancer reste la principale cause de mortalité prématurée en France, il est impératif de comprendre les enjeux spécifiques liés aux études cliniques pour les enfants et les adolescents atteints de cette maladie. En s'appuyant sur les recherches et les données recueillies au fil des années, l'état actuel de l'oncologie pédiatrique en France est expliqué. De la réglementation des essais cliniques à la difficulté de la sélection des patients, nous nous penchons sur les défis auxquels sont confrontés les professionnels de la santé dans ce domaine. L'implication des parents dans les études en oncologie pédiatrique est également abordée. Nous explorons les défis éthiques auxquels sont confrontés les professionnels de santé lorsqu'il s'agit de distinguer les soins des activités de recherche dans un contexte aussi sensible. En mettant en évidence les recommandations issues de l'enquête terrain, des perspectives sont présentées pour améliorer les études cliniques en oncologie pédiatrique.

Mots clés : Oncologie, pédiatrie, essai clinique, challenges, difficultés

What are the challenges of clinical trials in pediatric oncology?

At a time when cancer remains the leading cause of premature death in France, it is vital to understand the specific issues involved in clinical trials for children and adolescents suffering from this disease. Drawing on research and data collected over the years, the current state of paediatric oncology in France is explained. From the regulation of clinical trials to the difficulty of patient selection, we look at the challenges facing healthcare professionals in this field. The involvement of parents in paediatric oncology studies is also discussed. We explore the ethical challenges faced by healthcare professionals in distinguishing care from research activities in such a sensitive context. By highlighting the recommendations arising from the field survey, perspectives are presented for improving clinical studies in paediatric oncology.

Key words : Oncology, pediatrics, clinical trial, challenges, difficulties