

# RARE DISEASE NEWS

Actualités dans les maladies rares

## LA RECHERCHE CLINIQUE POUR LES AUTRES MALADIES QUE LA COVID-19 AU POINT MORT A CAUSE DE LA PANDEMIE

*Heidi Ledford*

Alors que de nombreux essais cliniques sont en cours pour trouver au plus vite un traitement ou un vaccin à la COVID-19, la recherche clinique pour les maladies rares se voit considérablement freinée par le coronavirus, comme rapporté dans cet article paru début avril dans la revue *Nature*.

Le ralentissement de la recherche provoqué par la pandémie se décline à plusieurs niveaux : interruption des études de toxicité chez l'animal liée à la fermeture des laboratoires, perturbation des chaînes de fabrication des candidat-médicaments, ou difficulté à pratiquer certains gestes médicaux à cause des pénuries en personnel et en équipement.

Les experts s'inquiètent d'une possible quasi mise à l'arrêt de la recherche clinique avec des conséquences dramatiques pour les patients, notamment ceux atteints de maladie rares pour lesquels les essais thérapeutiques représentent la seule source d'espoir. Certains laboratoires ont déjà annoncé le décalage de leurs programmes cliniques, comme c'est le cas pour Addex Therapeutics qui a été contraint de reporter l'étude pivot pour son traitement expérimental des dyskinésies dans la maladie de Parkinson.

Mais cette interruption des essais cliniques est parfois indispensable afin de ne pas surexposer les participants à un risque de contamination, notamment chez les patients cancéreux particulièrement vulnérables aux infections. Ainsi, à l'Université de Yale aux Etats-Unis, les essais cliniques dans le cancer ont été drastiquement réduits et ne sont autorisés que de manière exceptionnelle.

Face à la pandémie, les différentes agences réglementaires ont su s'adapter rapidement dans le but de faciliter la recherche clinique. Aux Etats-Unis, la FDA a publié des recommandations pour les investigateurs qui ont dû interrompre ou modifier leurs essais cliniques dans ce contexte de crise sanitaire. Les visites virtuelles en téléconsultation ou les audits à distance ont été autorisés pour permettre plus de flexibilité dans la gestion des essais cliniques. Certains experts estiment que ces nouvelles modalités d'organisation de la recherche pourraient même devenir pratiques courantes après la fin de la pandémie.

A ce jour, les conséquences du ralentissement de la recherche restent inconnues, avec la crainte d'un retard dans la mise à disposition des nouveaux traitements. Mais il est à espérer que la rapidité et la flexibilité qu'ont su montrer les agences de santé face au coronavirus, comme par exemple l'assouplissement des prérequis réglementaires et l'autorisation accélérée d'essais cliniques pour la conception de vaccins, profiteront dans le futur à d'autres aires thérapeutiques. C'est le cas notamment des maladies rares, qui souffrent du même besoin urgent de nouveaux traitements que la COVID-19, et ce depuis toujours.

### Référence

Ledford H. (2020). Coronavirus shuts down trials of drugs for multiple other diseases. [\*Nature\*, 580\(7801\), 15–16.](#)