



Santé
Canada

Health
Canada

Lignes directrices sur les essais cliniques à accès élargi

Date d'adoption
Date d'entrée en vigueur

2025-09-29
2025-09-29



Canada 

Santé Canada a pour mandat d'aider les Canadiens à conserver et à améliorer leur santé. Il s'assure d'offrir des services de santé de grande qualité, et cherche à réduire les risques pour la santé.

Also available in English under the title:
Guidance on expanded access clinical trials

Pour obtenir plus d'information, veuillez communiquer avec :

Santé Canada
Indice de l'adresse 0900C2
Ottawa (Ontario) K1A 0K9
Tél. : 613-957-2991
Sans frais : 1-866-225-0709
Télec. : 613-941-5366
ATS : 1-800-465-7735
Courriel : publications-publications@hc-sc.gc.ca

© Sa Majesté le Roi du chef du Canada, représentée par la ministre de la Santé, 2025

Date de publication : septembre 2025

La présente publication peut être reproduite sans autorisation pour usage personnel ou interne seulement, dans la mesure où la source est indiquée en entier.

Cat. : H164-399/2025F-PDF
ISBN : 978-0-660-79053-4
Pub. : 250231

Avant-propos

Les lignes directrices visent à orienter l'industrie et les fournisseurs de soins de santé sur la façon de se conformer aux lois et règlements en vigueur. Elles fournissent également des conseils au personnel de Santé Canada sur la façon de réaliser des mandats et d'atteindre les objectifs fixés de façon équitable, uniforme et efficace.

Les lignes directrices sont des outils administratifs n'ayant pas force de loi. Par conséquent, elles peuvent être appliquées avec souplesse. Toutefois, pour être acceptables, les autres approches de principes et de pratiques décrites dans le présent document doivent s'appuyer sur une justification adéquate. Les autres approches devraient être examinées préalablement en consultation avec le programme concerné pour veiller à ce qu'elles respectent les exigences des lois et des règlements applicables.

Comme toujours, Santé Canada se réserve le droit de demander des renseignements ou du matériel supplémentaires, ou de définir des conditions dont il n'est pas explicitement question dans le présent document, afin de l'aider à évaluer adéquatement l'innocuité, l'efficacité ou la qualité d'un produit thérapeutique donné. Santé Canada s'engage à justifier de telles demandes et à documenter clairement ses décisions.

Le présent document devrait être lu en parallèle avec les articles pertinents du Règlement et les autres politiques et lignes directrices applicables.

Le présent document pourrait être mis à jour à l'avenir afin de s'harmoniser avec des modifications apportées à la Loi sur les aliments et drogues ou à ses règlements.

Table of Contents

1. Aperçu	1
1.1 Objet, portée et application	1
1.2 Qu'est-ce qu'un essai clinique à accès élargi	1
1.3 Points clés	2
1.4 Contexte	2
1.4.1 D'autres exemples de cas où un promoteur peut trouver utile de mener un essai clinique à accès élargi :	4
1.5 Comparaisons avec le Programme d'accès spécial et d'autres types d'essais cliniques	4
2. Renseignements pour les participants éventuels.....	1
2.1 Considérations générales	1
2.2 Avantages et risques.....	1
2.3 Façon dont les promoteurs lancent des essais cliniques à accès élargi	2
2.4 Trouver un essai clinique et y participer	3
2.4.1 Façon de trouver un essai clinique.....	3
2.4.2 Participer à un essai clinique.....	3
2.4.3 Donner un consentement éclairé	4
3. Renseignements pour les promoteurs et les fournisseurs de soins de santé	1
3.1 Considérations générales	1
3.2 Autorisation d'un essai clinique à accès élargi	2
3.2.1 Considérations relatives au dépôt d'une demande d'essai clinique ou d'une modification	3
3.2.2 Comment ouvrir au Canada un volet de programmes internationaux d'accès élargi	4
3.2.3 Titres et protocoles des essais	5
3.2.4 Gérer les risques uniques liés aux essais cliniques à accès élargi	5
3.2.5 Surveillance et rapports continus sur les risques.....	7
3.2.6 Mises à jour annuelles de la brochure du chercheur.....	8
3.2.7 Exigences en matière de qualité	8
3.3 Transparence, équité et impartialité.....	9
3.4 Décentralisation : Déléguer des activités à l'extérieur du lieu principal d'essai clinique.....	10
3.5 Participation des fournisseurs de soins de santé	11
3.6 Production de données probantes et fiabilité des données	11
3.7 Essais cliniques à accès élargi incluant des substances contrôlées.....	13
4. Coordonnées	1
5. Glossaire	3
5.1 Définitions propres à la présente ligne directrice	3
5.2 Définitions adaptées du Règlement sur les aliments et drogues	3
5.3 Définitions tirées d'autres sources de Santé Canada (SC)	4

1. Aperçu

1.1 Objet, portée et application

Le *Règlement sur les aliments et drogues* (le Règlement) et la *Loi sur les aliments et drogues* (la Loi) régissent la vente et l'importation de médicaments destinés à être utilisés dans des essais cliniques sur des humains au Canada, y compris les essais cliniques à accès élargi. Ces lignes directrices expliquent les exigences réglementaires pour les essais cliniques à accès élargi. Ces exigences sont appuyées par le titre 5 de la partie C du Règlement, qui porte sur les médicaments destinées à des essais cliniques avec des participants humains.

Ces lignes directrices s'adressent aux [promoteurs](#), aux fournisseurs de soins de santé et aux participants éventuels qui sont intéressés par des essais cliniques à accès élargi effectués au Canada ou qui y participent.

- **Pour les participants éventuels, ce document :**
 - fournit des renseignements qui appuient l'accès aux [médicaments de recherche](#) par l'entremis d'essais cliniques à accès élargi, s'il y a lieu
- **Pour les promoteurs et les fournisseurs de soins de santé, ce document :**
 - fournit des renseignements supplémentaires sur les exigences relatives à la réalisation d'essais cliniques à accès élargi au Canada
 - clarifie les exigences pour les demandes et suite à l'autorisation
 - décrit les procédures à suivre pour obtenir l'autorisation de procéder à un essai clinique à accès élargi au Canada

Les promoteurs devraient également consulter d'autres lignes directrices pertinentes, par exemple :

- [Ligne directrice à l'intention des promoteurs d'essais cliniques : Demandes d'essais cliniques](#)
- [Énoncé de politique des trois conseils : Éthique de la recherche avec des êtres humains \(2022\)](#)

1.2 Qu'est-ce qu'un essai clinique à accès élargi

Au Canada, un [essai clinique à accès élargi](#) est un type d'essai clinique qui donne accès à des médicaments de recherche qui ont le potentiel de traiter des personnes atteintes de problèmes de santé qui ne sont pas admissibles à d'autres essais cliniques ou qui ne peuvent pas y participer. Les « médicaments de recherche » sont des médicaments pharmaceutiques, biologiques et radiopharmaceutiques à usage humain qui sont testés ou étudiés dans le cadre d'un essai clinique. Veuillez noter que les essais cliniques portant sur des produits de santé naturels, les médicaments vétérinaires et les instruments médicaux sont exclus de la portée des présentes lignes directrices.

S'il y a lieu, les essais cliniques à accès élargi peuvent utiliser des protocoles plus souples et un modèle décentralisé pour faciliter l'accès à une population plus large et potentiellement plus diversifiée de participants, dans des contextes plus accessibles.

Les essais cliniques à accès élargi peuvent parfois aider à faciliter l'accès aux médicaments avant qu'ils ne soient autorisés à la vente par Santé Canada, avec une justification adéquate des avantages attendus par rapport aux risques pour les participants. Cela pourrait inclure, par exemple, des médicaments pour certains troubles de santé mentale ou des affections graves ou potentiellement mortelles, lorsque les solutions de rechange autorisées peuvent être limitées pour certains patients.

Puisqu'il s'agit d'un type d'essai clinique, un essai clinique à accès élargi vise à :

- découvrir ou vérifier les effets cliniques, pharmacologiques et pharmacodynamiques du médicament
- identifier les [réactions indésirables](#) découlant du médicament
- étudier les propriétés d'absorption, de distribution, de métabolisme et d'excrétion du médicament
- évaluer l'innocuité et l'efficacité du médicament

1.3 Points clés

Étant donné que les essais cliniques à accès élargi sont un type d'essai clinique en vertu du titre 5 de la partie C du Règlement, ils nécessitent la présentation d'une demande d'essai clinique (DEC) aux fins d'examen par Santé Canada. Dans leur demande, les promoteurs doivent fournir des preuves provenant d'études antérieures pour démontrer que l'utilisation proposée du médicament de recherche ne mettrait pas en danger la santé et la sécurité des participants.

Les DEC pour les essais cliniques à accès élargi suivent les mêmes processus d'examen et les mêmes échéanciers que les autres essais cliniques, tels qu'ils sont décrits à l'article [C.05.006](#) du Règlement. En ce moment, cela comprend une période d'examen d'environ 30 jours à compter de la date de réception de la demande complète. Nos scientifiques et médecins examinent les demandes pour déterminer si :

- les risques liés à l'utilisation du médicament dans l'essai sont pris en compte et ne mettraient pas en danger la santé et la sécurité
- les meilleurs intérêts des participants à l'essai ont été pris en compte, y compris le fait que les médicaments sont utilisés de la bonne façon pour les participants étudiés
- les objectifs de l'essai peuvent être atteints

Toutes les DEC sont évaluées au cas par cas.

Apprenez-en davantage sur le [processus de soumission d'une DEC](#).

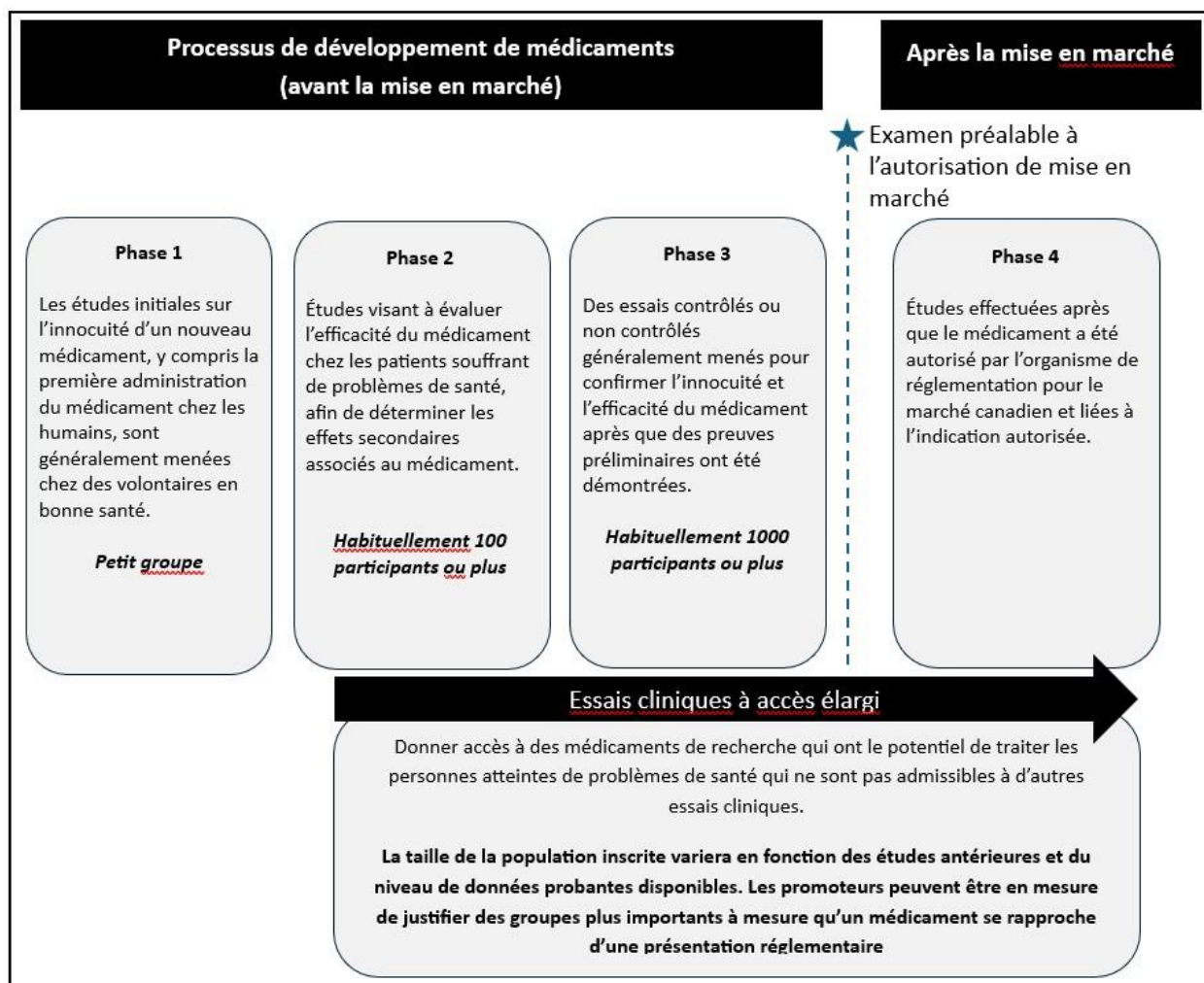
L'utilisation du cadre des essais cliniques pour élargir l'accès au Canada permet l'accès aux médicaments de recherche tout en fournissant des mesures de protection et des exigences pour protéger la santé et la sécurité des participants. Comme l'indique l'article [C.05.010](#) du Règlement, les promoteurs doivent s'assurer qu'un essai clinique à accès élargi est mené conformément aux [bonnes pratiques cliniques](#). Les droits, la sécurité et le bien-être des participants doivent être protégés conformément à ces principes.

Veuillez consulter la ligne directrice E6 de [l'International Council for Harmonisation](#) (seulement disponible en anglais) pour les bonnes pratiques cliniques pour en savoir plus sur certains des mécanismes de protection des participants aux essais cliniques, ainsi que la ligne directrice E19 pour en savoir plus sur la surveillance de l'innocuité et la collecte de données sur l'innocuité.

1.4 Contexte

À mesure que le développement d'un médicament progresse, l'objectif des essais de confirmation dans les phases plus avancées (phases 2 et 3) est habituellement de recueillir des données probantes qui répondent aux normes exigées par les organismes de réglementation pharmaceutique (figure 1).

Figure 1 : Types d'essais cliniques



Les essais cliniques de phase avancée visent à démontrer un effet statistiquement concluant sur un résultat d'intérêt particulier, en établissant des critères précis pour déterminer les personnes qui peuvent et ne peuvent pas participer. Ces contrôles aident à protéger la sécurité des participants et augmentent la probabilité que l'étude mène à des résultats fiables et utiles. Mais cela signifie également que tout le monde n'aura pas l'occasion de participer à un essai clinique si :

- ils ne répondent pas aux critères d'admissibilité (les exigences qui doivent être remplies pour qu'une personne soit incluse dans l'étude)
- leur maladie a trop progressé
- ils vivent trop loin des sites d'étude
- il n'y a pas d'essais cliniques disponibles, ou les essais en cours ne recrutent pas ou sont en train de terminer

Dans de tels cas, des participants éventuels pourraient recevoir des médicaments de recherche dans le cadre d'un essai clinique à accès élargi. Les essais cliniques à accès élargi donnent accès à des médicaments de recherche qui ont le potentiel de traiter des personnes atteintes de problèmes de santé qui ne sont pas admissibles à d'autres essais cliniques ou qui ne sont pas en mesure d'y participer. Ils peuvent être conçus

pour faciliter l'accès à une population de participants plus large et potentiellement plus diversifiée, dans des milieux plus accessibles.

Comme pour tout essai clinique, la vente ou l'importation d'un médicament pour un essai clinique à accès élargi est autorisée en vertu du titre 5 de la partie C du Règlement. Les promoteurs d'essais cliniques à accès élargi doivent protéger les participants conformément au cadre des essais cliniques et de ses normes éthiques, médicales et de qualité du médicament.

Les promoteurs peuvent proposer un essai clinique à accès élargi avant ou après l'autorisation de mise en marché. Cependant, un essai clinique à accès élargi ne devrait être mené que pour les médicaments qui sont (ou ont été) activement étudiés au Canada ou dans d'autres pays. Il n'est pas nécessaire qu'un essai clinique antérieur ait été mené au Canada.

Il doit y avoir une justification solide pour entreprendre un essai clinique à accès élargi qui donne accès à un médicament avant qu'il ne soit autorisé à la vente par Santé Canada. Par exemple, un essai clinique à accès élargi pourrait permettre l'accès à un médicament pour une population précise ou une nouvelle indication pendant qu'une présentation réglementaire est en cours d'examen par Santé Canada. Dans le cadre de leur justification, les promoteurs peuvent faire référence, par exemple, à la gravité de l'affection, à l'absence de solutions de rechange disponibles. Un promoteur pourrait aussi faire référence à une augmentation possible des avantages ou à la diminution des risques par rapport aux produits autorisés existants.

1.4.1 D'autres exemples de cas où un promoteur peut trouver utile de mener un essai clinique à accès élargi :

- lorsqu'un promoteur veut ouvrir au Canada un volet d'un programme d'accès élargi international
- lorsqu'un essai clinique traditionnel n'est pas disponible au Canada, mais qu'il existe des preuves provenant d'études internationales à l'appui de l'étude et de l'accès élargi au médicament au Canada
- lorsqu'un promoteur veut étudier les effets d'un médicament dans une population plus large et plus diversifiée (avant ou après l'autorisation de mise en marché)
- lorsqu'un promoteur veut étudier les effets à long terme d'un médicament dans des conditions plus conformes au monde réel

Pour mener un essai clinique à accès élargi, les promoteurs sont tenus de fournir des données probantes provenant d'autres études dans la DEC. Cette information peut aider à démontrer que le médicament de recherche ne mettra pas en danger la santé et la sécurité des participants et qu'il peut être bénéfique pour traiter le trouble spécifique dans la population étudiée.

Les essais cliniques à accès élargi nécessitent également une [brochure du chercheur](#) spécifique au produit expérimental proposé pour ce type d'essai.

Apprenez-en davantage sur le [type de renseignements à soumettre dans une DEC](#).

1.5 Comparaisons avec le Programme d'accès spécial et d'autres types d'essais cliniques

Les essais cliniques à accès élargi sont distincts du Programme d'accès spécial (PAS) de Santé Canada. Dans le cadre du PAS, les professionnels de la santé peuvent demander l'accès à des médicaments dont la vente n'est pas actuellement autorisée au Canada pour traiter un patient individuel atteint d'un problème de santé grave ou potentiellement mortelle. L'accès à ces médicaments peut être envisagé lorsque les traitements conventionnels ont échoué, ne conviennent pas ou ne sont pas disponibles. Contrairement aux essais cliniques à accès élargi, qui ont des objectifs de recherche, le PAS est un programme axé sur le patient qui offre un accès exceptionnel à des médicaments non autorisés pour des patients individuels dans des situations d'urgence médicale.

Apprenez-en davantage sur [PAS](#) et ses exigences.

Veillez noter que les essais cliniques à accès élargi ne visent pas à restreindre l'accès à d'autres programmes, comme le PAS. Le PAS est destiné aux patients en situation médicale d'urgence. Les essais cliniques à accès élargi pourraient être utiles pour des groupes de patients à la recherche d'options de traitement à plus long terme, pour des problèmes de santé graves mais qui ne mettent pas immédiatement la vie en danger, ou lorsqu'il existe d'autres thérapies autorisées.

Les essais cliniques à accès élargi sont également différents des autres types d'essais cliniques, comme les études de prolongation, les essais cliniques ouverts pour un patient individuel, et les essais cliniques de promotion ou de familiarisation :

- **Études de prolongation** : Contrairement aux essais cliniques à accès élargi qui permettent de recruter de nouveaux participants qui n'ont peut-être pas participé à des essais cliniques antérieurs, les études de prolongation (aussi appelées essais prolongés ou d'extension) sont associées à un essai antérieur particulier. Les études de prolongation sont généralement conçues pour permettre aux participants d'un essai antérieur de continuer à recevoir le médicament dans une deuxième étude connexe et au promoteur d'étudier les résultats à long terme. Ils peuvent permettre aux participants de continuer à avoir accès à un médicament de recherche après la fin et la clôture d'un essai antérieur. Cela peut être important dans les situations où l'interruption de l'accès au médicament de recherche peut avoir des effets négatifs sur les participants.
- **Essais cliniques ouverts pour un patient individuel** : Un essai clinique ouvert pour un patient individuel est un type d'essai clinique conçu seulement pour un participant individuel. Ces essais permettent à un participant souffrant d'une maladie grave ou potentiellement mortelle d'avoir accès à un médicament non autorisé. En revanche, les essais cliniques à accès élargi :
 - peuvent être conçu pour une population plus large et élargie de participants
 - peuvent être une meilleure option pour gérer l'accès exceptionnel pour de grands groupes de participants
 - peuvent produire des données probantes plus utiles compte tenu de la taille plus grande de l'échantillon
- **Essais cliniques de promotion ou de familiarisation** : Les essais cliniques de promotion ou de familiarisation sont plus courants aux États-Unis et ont été décrits comme des essais cliniques conçus pour promouvoir parmi les fournisseurs de soins de santé l'utilisation de médicaments récemment autorisés. Ils sont généralement conçus pour atteindre des objectifs de marketing et sont peu susceptibles de produire des preuves scientifiques. Contrairement aux essais cliniques de marketing, qui ont lieu après l'autorisation de mise en marché, les essais cliniques à accès élargi peuvent avoir lieu pendant le processus de développement du médicament et doivent inclure des objectifs de recherche. Étant donné que les essais cliniques de promotion ou de familiarisation ont lieu après l'autorisation de mise en marché, ils n'exigent pas la présentation d'une demande d'essai clinique à Santé Canada, à condition que le but et les conditions d'utilisation soient conformes à l'autorisation de mise en marché.

Bien qu'il n'existe actuellement pas de directives publiques sur les types d'essais cliniques susmentionnés, tous les essais cliniques avec des médicaments non autorisés doivent suivre les mêmes procédures et exigences décrites au titre 5 de la partie C du Règlement. Pour en savoir plus sur ces exigences, veuillez consulter la [ligne directrice à l'intention des promoteurs d'essais cliniques : Demandes d'essais cliniques](#). Les personnes intéressées à en savoir plus sur les différents types d'essais cliniques peuvent communiquer avec le Bureau des essais cliniques de Santé Canada (voir ses [coordonnées](#)).

- **Essais cliniques à accès élargi : considérations spéciales**

Comme les essais cliniques à accès élargi donnent accès à des médicaments non autorisés à un plus grand nombre de participants éventuels, ils comportent des risques uniques comparativement à d'autres types d'essais cliniques.

Les promoteurs sont tenus de s'assurer que les essais cliniques à accès élargi ne doivent pas :

- exposer un nombre élargi de participants à des risques injustifiés associés au médicament de recherche
 - Ces médicaments n'ont pas encore fait l'objet d'un examen réglementaire aux fins d'autorisation de mise en marché par Santé Canada. Pour cette raison, leur efficacité et leur innocuité n'ont pas été pleinement évaluées. Les promoteurs doivent fournir des données probantes tirées d'essais cliniques terminés ou en cours, ou d'autres études, afin de démontrer que les avantages du médicament de recherche dans la population élargie proposée l'emportent sur les risques possibles quant à la santé et la sécurité des participants. Les promoteurs doivent également continuer de surveiller la santé et la sécurité des participants au fur et à mesure que l'essai progresse.
- entraver le développement clinique du médicament au Canada
 - Il y a un risque que ce type d'essai puisse détourner les participants ou l'approvisionnement d'un essai clinique de confirmation (un essai qui produit des preuves statistiquement concluantes de l'efficacité et de l'innocuité du médicament). Les promoteurs doivent explicitement évaluer comment la fourniture du médicament dans le cadre d'un essai clinique à accès élargi pourrait nuire au développement clinique au Canada.
- permettre un accès élargi au marché avant l'autorisation de mise en marché
 - Un médicament devrait seulement avoir accès au marché après que Santé Canada ait examiné l'innocuité, l'efficacité et la qualité du médicament et autorisé sa vente au Canada. Les [protocoles](#) des promoteurs devraient définir la population de participants canadiens, les échéanciers de mise en marché du médicament et la façon dont l'accès sera limité aux personnes ayant des besoins exceptionnels.

Les promoteurs d'essais cliniques à accès élargi doivent satisfaire toutes les exigences réglementaires applicables dans leur DEC et fournir dans leur protocole des renseignements précis sur les risques. Voir la section sur [ce qu'il faut inclure dans une annexe au protocole](#) pour plus d'informations.

2. Renseignements pour les participants éventuels

2.1 Considérations générales

Les essais cliniques sont des recherches qui aident à faire progresser les connaissances médicales, à déterminer si un médicament est sûr et efficace chez les humains pour une maladie ou problème de santé. Ils sont essentiels à l'élaboration de données scientifiques sur un produit thérapeutique susceptible d'améliorer la qualité de vie des personnes vivant avec une maladie ou un problème de santé.

Pour obtenir de plus amples renseignements sur les essais cliniques en général, veuillez consulter le site Web de Santé Canada :

- [Les essais cliniques et l'innocuité des médicaments - Canada.ca](https://www.canada.ca/fr/sante-canada/medicaments-et-produits-santés/essais-cliniques/les-essais-cliniques-et-l-innocuité-des-médicaments.html)

Bien que les essais cliniques puissent donner accès à un médicament de recherche pour certains participants, leur objectif principal est de répondre à une question scientifique ou de recherche spécifique. Pour atteindre cet objectif, les essais cliniques devraient être rigoureusement conçus avec des mesures appropriées. Par exemple, pour participer à un essai clinique traditionnel, un participant éventuel peut être tenu de vivre près du site de l'essai ou de ne souffrir que d'une seule affection ou maladie. Ces essais mènent également à ce que certains participants reçoivent un [placebo](#). Des contrôles stricts font généralement en sorte que certains participants éventuels sont exclus d'un essai clinique ou de recevoir le médicament dans le cadre d'un essai. Par conséquent, la participation à un essai clinique ne permet pas toujours au participant d'avoir accès au médicament de recherche.

Les essais cliniques à accès élargi facilitent l'accès aux médicaments de recherche pour les personnes atteintes de problèmes de santé qui ne peuvent pas participer à d'autres essais cliniques; ils peuvent permettre un éventail plus large et plus diversifié de participants dans des milieux plus accessibles. En général, les essais cliniques à accès élargi ont des objectifs de recherche plus généraux, comme l'étude de l'innocuité et de l'efficacité à long terme dans des populations plus diversifiées. Ils peuvent viser à recueillir des renseignements sur les effets secondaires rares qui ne peuvent devenir évidents que dans une population élargie de participants.

Malgré les critères d'admissibilité élargis, il est toujours possible que certaines personnes ne soient pas en mesure de participer à un essai clinique à accès élargi.

2.2 Avantages et risques

Après avoir examiné les options de traitement offertes sur le marché, une personne ayant un problème de santé peut choisir d'explorer des médicaments de recherche comme option possible.

Les médicaments sur lesquels portent les essais cliniques à accès élargi présentent des avantages et des risques. En général, il y a moins d'information disponible sur l'efficacité et l'innocuité d'un médicament de recherche à l'étude, comparativement à un médicament que Santé Canada a examiné et dont la vente a été autorisée.

Les preuves de l'innocuité et de l'efficacité d'un médicament peuvent varier, dépendant de si il en est au début ou à la fin de son développement. Il se peut, ultimement, que le médicament ne présente aucun avantage pour un participant en particulier, ou bien qu'il soit associé à des effets indésirables inattendus et graves. Pour diverses raisons, seuls certains médicaments qui commencent des essais cliniques obtiennent au final une autorisation de mise en marché.

Les participants éventuels qui souhaitent s'inscrire à un essai clinique à accès élargi pour avoir accès à un médicament de recherche doivent être informés des risques et des avantages potentiels par le [promoteur](#) de

l'essai. Le *Règlement sur les aliments et drogues* exige une communication claire avec les participants éventuels sur les risques pour la santé et la sécurité et les avantages potentiels, mais non confirmés. Les participants éventuels doivent donner leur consentement éclairé avant de pouvoir participer à un essai.

En savoir plus :

- [Consentement éclairé](#)
- [Les essais cliniques et l'innocuité des médicaments](#)

2.3 Façon dont les promoteurs lancent des essais cliniques à accès élargi

Un fabricant de médicaments n'est pas tenu de fournir l'accès à son médicament de recherche dans le cadre d'un essai clinique à accès élargi. Santé Canada ne peut pas obliger un fabricant de médicaments à le faire.

Les promoteurs (habituellement les fabricants de médicaments) peuvent lancer des essais cliniques à accès élargi lorsqu'il y a un besoin déterminé pour des personnes vivant avec des problèmes de santé qui sont incapables de participer aux essais cliniques en cours. Les promoteurs élaboreraient ensuite un [protocole](#) qui décrit le plan d'étude. Ce plan comprendrait les critères d'admissibilité des participants, l'administration du traitement, le suivi des résultats et la sécurité des participants, ainsi que la collecte de données. Le promoteur soumettrait ensuite ce protocole à Santé Canada pour examen en déposant une demande d'essai clinique (DEC).

Santé Canada examine les DEC pour les essais cliniques à accès élargi comme tout autre essai clinique. L'information est examinée pour s'assurer que :

- le médicament de recherche sera utilisé de façon sécuritaire pour les participants proposés
- tout risque pour la santé et la sécurité associé au médicament sera traité de façon appropriée

Santé Canada examine également les données probantes fournies par le promoteur dans le cadre d'essais cliniques antérieurs ou d'autres études. Le promoteur doit démontrer que l'utilisation proposée du médicament de recherche dans une population élargie ne mettra pas en danger la santé et la sécurité des participants. Les promoteurs d'essais cliniques à accès élargi doivent également fournir des renseignements précis dans leur DEC qui permettront à Santé Canada d'évaluer en profondeur les risques uniques de l'essai dans une population élargie.

Cela pourrait avoir une incidence sur la façon dont les promoteurs définissent l'admissibilité des participants. Par exemple :

Il est possible que les participants éventuels :

- doivent recevoir le diagnostic d'un certain problème de santé pour être inclus
- doivent avoir essayé d'autres solutions thérapeutiques disponibles
- soient exclus pour des raisons de sécurité (par exemple, interactions potentiellement dangereuses avec d'autres médicaments)

Les participants éventuels admissibles à un essai clinique en cours peuvent :

- ne pas être autorisés à s'inscrire à un essai clinique à accès élargi
- être plutôt invités à s'inscrire à un essai clinique de confirmation en cours au lieu d'un essai clinique à accès élargi

Si la DEC satisfait aux exigences réglementaires, Santé Canada envoie une « lettre de non-objection » au promoteur dans le délai d'examen de 30 jours. Le lieu de l'essai clinique doit également être approuvé par un [comité d'éthique de la recherche](#) (CER), et le formulaire d'information sur le lieu de l'essai clinique doit être déposé auprès de Santé Canada, avant que le promoteur puisse commencer à inscrire des participants au lieu en question.

2.4 Trouver un essai clinique et y participer

2.4.1 Façon de trouver un essai clinique

Les personnes peuvent consulter la [base de données sur les essais cliniques](#) de Santé Canada pour obtenir des renseignements sur les essais cliniques en cours et fermés qui ont satisfait aux exigences réglementaires. Cela comprend l'état de tout essai pour une certaine maladie ou un médicament particulier.

Les participants éventuels peuvent trouver un essai clinique pour leur maladie en recherchant un médicament spécifique ou en recherchant leur problème de santé. Si une personne souhaite rechercher spécifiquement un essai clinique à accès élargi, elle peut taper le mot « élargi » dans la case de titre du protocole sous les critères de recherche (les promoteurs sont priés d'inclure les mots « accès élargi » dans le titre de leur protocole pour aider les participants éventuels à identifier le type d'essai).

De nombreux hôpitaux, organismes charitables, organismes de patients et autres organismes sans but lucratif tels que les organismes provinciaux d'essais cliniques ont également des liens vers des essais cliniques ou des moteurs de recherche sur leur site Web. Les participants éventuels sont encouragés à utiliser ces sites Web en plus de la base de données sur les essais cliniques pour rechercher les essais cliniques disponibles.

Santé Canada ne fait pas la promotion ni ne conçoit d'essais cliniques, et la base de données n'est pas un outil de recrutement. Les personnes qui souhaitent obtenir des renseignements supplémentaires sur les essais cliniques qui se trouvent dans la base de données devraient communiquer avec le promoteur de l'essai clinique et parler à un fournisseur de soins de santé (si possible).

S'il n'y a pas d'essai clinique disponible au Canada pour un médicament ou une affection spécifique, les personnes peuvent communiquer avec un fabricant de médicaments ou un autre promoteur potentiel pour leur demander d'envisager d'en entreprendre un. Santé Canada ne peut pas obliger un promoteur à présenter une demande d'essai clinique.

2.4.2 Participer à un essai clinique

Si une personne trouve un essai clinique en cours qui l'intéresse, elle peut communiquer directement avec le promoteur pour entamer le processus d'inscription. Il faut également communiquer avec le promoteur de l'essai clinique pour obtenir de plus amples renseignements sur les objectifs de l'essai, les critères d'inscription des participants, les sites potentiels de l'essai clinique et pour confirmer l'état de l'essai. Si les coordonnées du promoteur ne sont pas fournies dans la base de données sur les essais cliniques, les personnes peuvent avoir besoin de trouver les renseignements sur le site Web du promoteur.

Un promoteur établit les critères d'admissibilité pour l'inscription à un essai clinique à accès élargi.

Les participants éventuels peuvent être exclus en raison des risques potentiels pour l'innocuité posés par des conditions existantes ou des interactions dangereuses avec d'autres médicaments, ou s'ils n'ont pas essayé d'autres traitements disponibles. Les promoteurs établissent ces critères pour atténuer les risques posés par le médicament de recherche.

Une fois qu'un participant éventuel a communiqué avec le promoteur de l'essai clinique à accès élargi, il ou elle peut être sélectionné en vue de son inscription. Le promoteur prend la décision finale sur les personnes inscrites à un essai clinique à accès élargi, en fonction des critères d'admissibilité.

S'il y a un essai clinique de confirmation en cours en même temps que l'essai clinique à accès élargi pour le même médicament et la même affection, les promoteurs pourraient encourager les participants éventuels à s'inscrire d'abord à l'essai clinique de confirmation en cours, avant qu'ils ne puissent être pris en considération pour l'inscription à l'essai clinique à accès élargi. L'inscription à un essai clinique différent au lieu de l'essai clinique à accès élargi pourrait tout de même permettre aux participants d'avoir accès au médicament de recherche.

2.4.3 Donner un consentement éclairé

Les promoteurs sont tenus d'obtenir le consentement éclairé des participants éventuels jugés admissibles à un essai clinique à accès élargi.

Dans le contexte d'un essai clinique, le 'consentement éclairé' signifie qu'un participant éventuel est disposé à participer à un essai particulier, après avoir été pleinement informé de l'essai et avoir eu l'occasion de poser des questions. Le processus d'obtention du consentement pour un essai clinique comprend habituellement une rencontre en personne ou une communication entre le [chercheur qualifié](#) (ou d'autres personnes autorisées) et le participant éventuel.

Dans certains cas, le promoteur peut être en mesure de justifier l'obtention du consentement au moyen d'une plateforme de réunion virtuelle. Cela devrait se faire en temps réel et en face-à-face, au moyen de l'audio et de la vidéo.

Les promoteurs devraient s'assurer que les participants éventuels :

- sont pleinement informés de tous les aspects de l'essai qui sont pertinents à leur décision de participer ou non, y compris la couverture d'indemnisation potentielle s'ils subissent un préjudice pendant l'essai
 - cela est consigné dans un formulaire de consentement éclairé (élaboré par le promoteur, et examiné et autorisé par un comité d'éthique de la recherche)
- savent avec qui communiquer s'ils ont des questions au sujet de la recherche ou de la façon de mettre fin à leur participation à l'essai clinique
- disposent d'un numéro de téléphone à composer en tout temps ou savent avec qui communiquer s'ils subissent un préjudice lié à la recherche (par exemple, fournisseur de soins de santé local, chercheur qualifié, personnel de recherche)
- savent qui aura accès à ses renseignements personnels sur la santé recueillis pendant l'étude et comment ils seront recueillis, stockés et utilisés
- ont une preuve écrite de leur consentement éclairé, que le chercheur qualifié devrait également conserver

En plus des renseignements ci-dessus, les promoteurs devraient répondre à toutes les questions que les participants éventuels pourraient avoir au sujet de leur participation à l'essai clinique avant d'accepter de participer.

Les participants éventuels sont encouragés à consulter un fournisseur de soins de santé (si possible) et/ou une personne de confiance pour examiner et évaluer soigneusement les :

- avantages et les risques potentiels d'un médicament de recherche non approuvé
- préjudices et inconvénients possibles liés à la participation à un essai clinique

3. Renseignements pour les promoteurs et les fournisseurs de soins de santé

3.1 Considérations générales

Fabricants de médicaments : Les fabricants de médicaments qui souhaitent commercialiser leur médicament au Canada doivent d'abord déposer une présentation de drogue appropriée pour leur produit. Les fabricants de médicaments peuvent décider d'offrir (ou non) un accès potentiel à des médicaments de recherche par le biais d'un essai clinique à accès élargi.

Qui peut promouvoir un essai clinique à accès élargi : Le *Règlement sur les aliments et drogues* (le Règlement) définit un promoteur comme « une personne physique ou morale, établissement ou organisme qui mène un essai clinique ». Le promoteur n'est pas tenu d'être le fabricant du médicament. Cependant, un essai clinique à accès élargi implique toujours un fabricant, au moins en tant que fournisseur du médicament de recherche.

Les promoteurs d'essais cliniques à accès élargi peuvent avoir déjà mené un essai clinique pour le médicament de recherche choisi, mais ceci n'est pas requis.

Avantages de la réalisation d'un essai clinique à accès élargi : En plus de donner aux participants l'accès à des médicaments de recherche, ces essais peuvent aider les promoteurs à :

- mieux comprendre l'innocuité, la tolérabilité et les événements indésirables rares à long terme afin d'appuyer l'étiquetage proactif
- produire des données probantes complémentaires dans des contextes qui ressemblent plus au monde réel

Pour en savoir plus, consultez la section ci-dessous sur la [production de données probantes et la fiabilité des données](#).

Risques des essais cliniques à accès élargi : Les essais cliniques à accès élargi ne devraient pas remplacer, affecter ou décourager la tenue d'essais cliniques de confirmation, car ces derniers visent généralement à produire les données probantes requises pour l'autorisation de mise en marché. Par exemple, les promoteurs ne devraient pas :

- détourner l'approvisionnement en médicaments de recherche vers un essai clinique à accès élargi au détriment d'un essai clinique de confirmation
- rendre difficile le recrutement de participants à un essai de confirmation (comme l'utilisation de témoins et d'éventuels placebos peut inciter les participants aux essais cliniques à accès élargi)
- utiliser des données probantes provenant d'essais cliniques à accès élargi pour compléter des données ambiguës obtenues dans le cadre d'essais cliniques de confirmation

Pour ces raisons, les promoteurs doivent rendre compte de la façon dont ils prévoient de poursuivre les essais de confirmation prévus ou en cours dans le cadre de leur demande d'essais cliniques. Cela est décrit dans la section sur comment [Gérer les risques uniques](#).

Développement de médicaments axés sur le patient : Santé Canada appuie le [document de réflexion sur le développement de médicaments axés sur le patient de l'International Council for Harmonisation](#) (en anglais seulement). Dans la mesure du possible, les promoteurs devraient faire participer les participants, les membres de la famille ou les soignants à la conception et à la réalisation d'essais cliniques à accès élargi.

Participation autochtone : Les promoteurs d'essais cliniques à accès élargi devraient examiner attentivement la façon d'adapter les protocoles d'essai pour permettre la participation des Autochtones. Par exemple, les répondants devraient tenir compte de ce qui suit :

- les exigences en matière de formation et d'éducation pour les peuples autochtones qui participent à l'organisation d'essais cliniques à accès élargi et les promoteurs non autochtones qui cherchent à travailler avec les peuples et les communautés autochtones
- une couverture d'indemnisation pour les Autochtones, qui sont déjà désavantagés par les iniquités du système de soins de santé
- demander et obtenir l'approbation préalable de groupes locaux et territoriaux avant d'entreprendre des recherches sur les terres autochtones ou avec des participants autochtones
- comment correctement recueillir, stocker et utiliser les données personnelles sur la santé

Pour en savoir plus sur la recherche auprès des peuples autochtones :

- [Énoncé de politique des trois conseils : Éthique de la recherche avec des êtres humains – EPTC 2 \(2022\) – Chapitre 9 : Recherche impliquant les Premières Nations, les Inuits ou les Métis du Canada](#)

3.2 Autorisation d'un essai clinique à accès élargi

Les essais cliniques à accès élargi peuvent être entrepris lorsqu'un promoteur présente une demande d'essai clinique (DEC) ou une modification à un essai clinique existant (MDEC) et reçoit une lettre de non-objection, conformément aux articles [C.05.006](#) ou [C.05.008](#) du Règlement, respectivement.

Dans le cas où un programme international d'accès élargi cherche à ouvrir un volet au Canada, il devrait être ouvert au Canada en tant qu'essais cliniques à accès élargi, et les promoteurs devraient soumettre une nouvelle DEC ou une MDEC. Pour en savoir plus, consultez la section sur la [façon d'ouvrir au Canada un volet de programme international d'accès élargi](#).

Comme l'indique le Règlement, les promoteurs de tous les essais cliniques sont tenus de fournir des renseignements et des documents dans le cadre de leur DEC ou de leur MDEC. Ces renseignements doivent être suffisants pour que Santé Canada puisse évaluer les risques et les avantages du médicament et ceux associés à l'essai.

Les promoteurs d'essais cliniques à accès élargi sont tenus de fournir dans leur DEC ou leur MDEC des données probantes tirées d'études antérieures pour démontrer que le médicament de recherche est justifié :

- pour un accès élargi
- au sein d'une population étudiée plus grande

Ces études antérieures peuvent être menées par le même promoteur ou par d'autres.

Les promoteurs sont tenus de présenter des preuves solides dans leur DEC ou MDEC; cependant, il est reconnu que la quantité de données probantes disponibles pour référence dans la DEC peut dépendre de la population à l'étude. Par exemple, les données probantes peuvent être limitées dans certains domaines plus difficiles à étudier, comme les maladies rares et la pédiatrie.

Une DEC pour un essai clinique à accès élargi est la même que pour tout autre essai clinique et se compose généralement de trois parties (modules) :

- Module 1 - Renferme les renseignements administratifs et cliniques pertinents à l'essai clinique
- Module 2 - Contient les renseignements relatifs à la qualité (chimie et fabrication) sur le(s) produit(s) médicamenteux à utiliser dans le cadre de l'essai clinique
- Module 3 - Comporte des renseignements de soutien additionnels relatifs à la qualité

Une MDEC contiendrait principalement de l'information du module 1, mais tout changement à l'information sur la qualité nécessiterait également des informations supplémentaires des modules 2 et 3.

Pour en savoir plus sur les différents modules d'information d'une DEC et d'une MDEC, consultez les [lignes directrices sur la présentation d'une demande d'essai clinique](#).

Si la DEC ou la MDEC répond aux exigences réglementaires et est jugée acceptable, Santé Canada envoie une lettre de non-objection au promoteur dans la période d'examen de 30 jours. Le site de l'essai clinique doit également être approuvé par un [comité d'éthique de la recherche](#) (CER) et le formulaire d'information sur le lieu de l'essai clinique doit être déposé auprès de Santé Canada, avant que le promoteur puisse commencer à inscrire des participants au site.

Plus d'informations sur les formulaires d'information sur le lieu de l'essai clinique:

- [Section 2.7.3 de la ligne directrice sur les demandes d'essais cliniques](#)
- [Instructions pour remplir un formulaire d'information sur le lieu de l'essai clinique](#)

Un chercheur qualifié qui a besoin d'une substance contrôlée à des fins de recherche, y compris l'administration à des humains dans le cadre d'un essai clinique à accès élargi, doit également recevoir une autorisation du Bureau des substances contrôlées de Santé Canada. Cela se produit après qu'une lettre de non-objection pour l'essai clinique ou le volet d'accès élargi a été émise par Santé Canada. De plus amples renseignements sur le lancement d'un essai clinique à accès élargi avec des substances contrôlées se trouvent dans [cette section](#).

3.2.1 Considérations relatives au dépôt d'une demande d'essai clinique ou d'une modification

La question de savoir si le promoteur devrait soumettre une DEC ou une MDEC dépendra de la situation et du contexte de l'essai clinique à accès élargi.

Scénario A : Dans les cas où aucun essai clinique n'existe au Canada pour le médicament de recherche et l'indication choisies

Dans ce cas, le promoteur de l'essai clinique à accès élargi est tenu de soumettre une **nouvelle DEC**. Les exigences relatives à une nouvelle DEC sont décrites dans le Règlement ainsi que dans le [document d'orientation sur les DEC](#).

Scénario B : Dans les cas où un essai clinique antérieur existe pour le médicament et l'indication, mais qu'il est ou a été dirigé par un promoteur différent

Dans ce cas, le promoteurs du nouvel essai clinique à accès élargi est tenu de soumettre une **nouvelle DEC**, mais pourrait demander l'autorisation de faire référence dans leur demande à la fiche maîtresse du médicament de l'essai clinique précédent. Cette référence pourrait appuyer la DEC du nouveau promoteur et lui permettre de se référer à des renseignements et à des analyses supplémentaires produits par l'autre essai clinique. Voir la section de la [ligne directrice sur les DEC sur la référence à une fiche maîtresse de médicament](#) et la section ci-dessous sur les [exigences de qualité](#).

Scénario C : Dans les cas où le promoteur mène un essai clinique en cours et souhaite ouvrir un nouvel essai clinique à accès élargi ou ajouter une sous-étude à accès élargi

Il pourrait être avantageux pour les promoteurs d'ouvrir un essai clinique à accès élargi au moyen d'une **nouvelle DEC**, notamment une meilleure transparence pour les participants potentiels et une meilleure recherche dans les bases de données des essais cliniques.

Dans certaines situations, un promoteur peut être en mesure d'ajouter une sous-étude à accès élargi à un essai existant en déposant une **MDEC**. L'admissibilité à l'ajout d'une sous-étude à accès élargi par voie de

modification dépendrait des similitudes entre la sous-étude proposée à accès élargi et l'essai clinique en cours.

Considérations particulières pour la présentation d'une MDEC dans ce scénario :

- Les promoteurs qui proposent une sous-étude d'accès élargi à un essai existant devraient modifier le titre de l'essai existant en ajoutant les mots « ... avec une sous-étude à accès élargi » à la fin. Cela rendra les essais cliniques à accès élargi plus faciles à trouver et à rechercher pour les participants éventuels.
- Les promoteurs sont fortement encouragés à indiquer à l'avance leur intention d'ajouter une sous-étude à accès élargi à une date ultérieure, mais ce n'est pas une exigence. Les sous-études à accès élargi ajoutées après coup pourraient aussi être approuvées.
- Les sous-études à accès élargi peuvent avoir de différents échéanciers, des participants supplémentaires et des critères d'inclusion et d'exclusion différents de ceux de l'étude principale. Cependant, la sous-étude à accès élargi devrait s'inscrire dans un contexte clinique similaire à celui de l'étude principale.
- Dans leur MDEC, les promoteurs devraient décrire leur sous-étude à accès élargi en modifiant le protocole existant ou en ajoutant une nouvelle annexe ou un addenda propre au Canada au protocole.
- Pour les essais cliniques portant sur des substances contrôlées en vertu de la *Loi réglementant certaines drogues et autres substances*, les exemptions en vertu de l'article 56 sont accordées à un chercheur qualifié et sont spécifiques à l'emplacement, au praticien, à la substance et à sa quantité. Si la sous-étude à accès élargi propose d'autres emplacements ou praticiens que l'essai clinique principal, de nouvelles exemptions pourraient être requises pour accéder à la substance contrôlée. Veuillez consulter la [section sur les substances contrôlées](#) pour plus d'informations.

Santé Canada peut suggérer au promoteur de soumettre une nouvelle DEC au lieu d'une modification à un essai existant si Santé Canada estime que la portée d'une sous-étude à accès élargi proposée est très différente de celle de l'essai initial. Un changement dans la population proposée ne devrait pas entraîner une nouvelle DEC, car l'une des caractéristiques d'un essai clinique à accès élargi est de donner accès à des médicaments de recherche aux personnes qui ne peuvent pas participer à d'autres essais cliniques. Cependant, si le contexte clinique diffère considérablement, par exemple si le promoteur souhaite changer le médicament, l'indication ou la posologie, cela serait considéré comme un changement important de portée et pourrait nécessiter une nouvelle DEC.

Obtenez plus de [conseils sur le dépôt d'une MDEC](#).

3.2.2 Comment ouvrir au Canada un volet de programmes internationaux d'accès élargi

« L'accès élargi » fonctionne différemment dans de nombreux pays. Par exemple, le [programme d'accès élargi des États-Unis](#) (É.-U.) (en anglais seulement) est géré comme un programme d'accès à plusieurs niveaux pour les individus et les groupes. Il offre une voie potentielle pour les patients atteints d'une maladie grave ou potentiellement mortelle d'avoir accès à un médicament non autorisé pour un traitement en dehors des essais cliniques lorsqu'il n'existe pas d'options de rechange comparables ou satisfaisantes.

Le Programme d'accès spécial du Canada est semblable au niveau individuel du programme américain. Cependant, le Programme d'accès spécial du Canada ne comprend pas actuellement de niveaux pour l'accès à des groupes.

En vertu de la réglementation actuelle, aujourd'hui au Canada l'accès élargi à un médicament ne peut être obtenu que par le biais d'essais cliniques à accès élargi. Par conséquent, quiconque cherche à ouvrir au Canada un volet d'un programme international d'accès élargi pour plusieurs patients devrait le faire dans le

cadre d'un essai clinique à accès élargi. Ceux-ci doivent déposer une demande d'essai clinique auprès de Santé Canada et obtenir une lettre de non-objection.

3.2.3 Titres et protocoles des essais

Les promoteurs devraient identifier clairement les essais cliniques à accès élargi en nommant leur protocole d'essai en conséquence, en incluant les mots « accès élargi » dans le titre. Par exemple : « Protocole à accès élargi pour le traitement de [insérer l'affection] avec [insérer le médicament]... »

Les promoteurs qui proposent une sous-étude d'accès élargi à un essai existant (à titre de modification, par l'entremise d'une MDEC) devraient envisager d'ajouter « ... avec une sous-étude à accès élargi » à la fin du titre de l'essai existant. Cela permettra aux participants éventuels de trouver et de rechercher des essais cliniques à accès élargi au Canada.

Les promoteurs d'essais cliniques à accès élargi (ou de sous-études d'essais existants) devraient indiquer dans leur lettre d'accompagnement qu'ils offrent un accès élargi.

Dans certains cas, Santé Canada peut conclure qu'un essai clinique, qui n'a pas été identifié à l'origine comme un essai clinique à accès élargi dans la DEC, correspond effectivement à la définition d'un essai clinique à accès élargi. Santé Canada suggérera ensuite au promoteur que l'essai soit identifié comme tel, par souci de transparence et d'uniformité.

Les promoteurs sont encouragés à harmoniser leurs protocoles d'essai avec les principes énoncés dans la [ligne directrice M11 \(Clinical electronic structured harmonised protocol\) de l'International Council for Harmonisation](#) (en anglais seulement), qui favorise un contenu structuré et harmonisé du protocole, ainsi qu'une documentation claire des écarts et des justifications. L'harmonisation avec ces principes favorisera la transparence, améliorera l'efficacité de l'examen réglementaire et aidera à maintenir l'intégrité des essais.

Les essais cliniques à accès élargi peuvent être associés à des risques uniques, que Santé Canada évalue au cours d'un examen d'une DEC ou d'une MDEC. Comme il est décrit dans la section sur les [considérations spéciales](#), les promoteurs devraient s'assurer que les essais cliniques à accès élargi :

- n'exposent pas un plus grand nombre de participants à des risques injustifiés associés aux médicaments de recherche
- n'entravent pas le développement clinique du médicament
- ne permettent pas un large accès au marché du médicament avant l'autorisation de mise en marché

Les promoteurs devraient inclure dans leur DEC ou MDEC des renseignements sur la façon dont ils proposent d'aborder ces 3 risques, selon le cas. Par exemple, pour atténuer le risque d'entraver le développement clinique, les promoteurs sont encouragés à examiner d'autres essais cliniques prévus ou en cours dans la [base de données sur les essais cliniques](#) ou dans d'autres registres afin de déterminer si l'essai clinique à accès élargi proposé pourrait nuire au développement clinique du médicament au Canada.

3.2.4 Gérer les risques uniques liés aux essais cliniques à accès élargi

Une DEC ou MDEC pour un essai clinique à accès élargi devrait contenir suffisamment de renseignements et de preuves pour permettre à Santé Canada d'évaluer les risques uniques de l'essai clinique à accès élargi.

Le tableau 1 donne des exemples de renseignements qu'un promoteur peut envisager de soumettre dans le cadre de l'annexe du protocole dans une DEC, ou une annexe ou un addenda au protocole soumis dans le cadre d'une MDEC. Les exemples démontrent que l'étude intègre les mesures d'atténuation des risques proposées dans la conception de l'essai.

Chaque DEC ou MDEC est évaluée au cas par cas.

Tableau 1: Exemples de renseignements et de données probantes à inclure dans l'annexe

Risque à écarter	Renseignements et données probantes possibles à inclure
Exposer un plus grand nombre de participants à des risques injustifiés associés aux médicaments de recherche	Par exemple, on s'attend à ce qu'une population définie de participants tire de grands avantages du traitement avec le médicament de recherche parce que... • l'affection est grave, potentiellement mortelle ou débilitante • il y a un besoin médical non satisfait • le médicament présente une augmentation significative de l'efficacité ou une diminution significative du risque par rapport à un médicament existant commercialisé au Canada • la participation est limitée à des critères d'admissibilité proportionnels aux risques identifiés lors d'essais cliniques antérieurs avec le médicament de recherche
Entraver le développement clinique du médicament	Par exemple : • des renseignements sur les essais cliniques de confirmation en cours ou prévus par le promoteur à l'appui d'une éventuelle présentation de drogue future • si le promoteur mène un essai clinique traditionnel en même temps : prévoir, par exemple de façon définie dans l'essai ou le protocole d'accès élargi, de terminer l'inscription aux essais cliniques de phase 1 à 3 en cours avant le lancement d'un essai clinique à accès élargi (peut inclure la sélection et le triage des participants potentiels par le chercheur qualifié) • des renseignements généraux sur les essais cliniques en cours ou prévus d'autres promoteurs (trouvés dans la base de données sur les essais cliniques) qui peuvent être similaires à l'essai clinique à accès élargi en question, et comment ils peuvent différer • des critères d'inclusion définis pour les essais cliniques à accès élargi en fonction de l'exclusion des participants d'autres essais en cours, comme le confirment les données probantes

Risque à écarter	Renseignements et données probantes possibles à inclure
Permettre un large accès au marché du médicament avant l'autorisation de mise en marché	Par exemple : - le calendrier provisoire pour la mise en marché du médicament proposé au Canada - la date d'expiration proposée pour l'essai clinique à accès élargi - la taille proposée de la population de participants canadiens et la façon dont l'accès au médicament sera limité aux personnes ayant des besoins médicaux qui bénéficieront probablement de l'accès - des renseignements sur la façon dont le médicament pourrait passer d'un accès en vertu du Programme d'accès spécial à un accès en vertu d'un essai clinique à accès élargi

3.2.5 Surveillance et rapports continus sur les risques

Comme pour tout essai clinique, Santé Canada doit être informé de tout changement à la santé et à la sécurité des participants au moyen de la déclaration établie des effets indésirables graves. Pour de plus amples renseignements, suivez les instructions pour la [déclaration des réactions indésirables aux médicaments dans les essais cliniques](#).

Comme l'indique le tableau 1 ci-dessus, les essais cliniques à accès élargi comportent également des risques associés uniques, qui ne sont pas statiques. Les risques dépendent du contexte et évolueront en fonction de la progression du développement des médicaments et d'autres facteurs. Cela signifie qu'il n'y a peut-être pas de risque lorsque Santé Canada examine une DEC pour la première fois ou lorsque l'essai clinique à accès élargi commence, mais qu'il pourrait se développer par la suite.

Des événements ponctuels pourraient inciter Santé Canada à examiner ces risques continus. Par exemple:

- si Santé Canada prend connaissance d'un essai clinique de confirmation en cours au Canada qui ressemble à l'essai clinique à accès élargi
- si le promoteur annule ses plans de mise en marché du médicament

Afin d'être en mesure d'évaluer l'innocuité et l'évolution des risques d'un essai clinique à accès élargi en cours, Santé Canada **peut** demander des renseignements supplémentaires ou des mises à jour au promoteur après le début de l'essai. Un engagement peut être inclus dans la lettre de non-objection pour s'assurer que le répondant est au courant de cette possibilité.

Par exemple, on pourrait demander aux promoteurs de fournir les renseignements suivants :

- Le nombre de participants inscrits depuis le dernier rapport et le nombre total depuis le début de l'essai clinique à accès élargi
- Le nombre de personnes qui administrent le médicament au nom du chercheur qualifié (le cas échéant) depuis la dernière mise à jour et le nombre total depuis le début de l'essai clinique à accès élargi
- Toute nouvelle preuve concernant l'innocuité et l'efficacité du médicament de recherche dans la population élargie

- L'état d'avancement de tout essai de confirmation prévu, en cours ou terminé depuis le dernier rapport, ou d'autres engagements liés au développement clinique du médicament pris dans le cadre de la DEC ou MDEC
- Des mises à jour sur tout autre engagement pris dans la DEC ou MDEC, y compris les jalons proposés pour la mise en marché du médicament

Ce processus de surveillance des risques s'harmonise avec les normes internationales, telles qu'elles sont décrites dans la ligne directrice [E6 de l'International Council for Harmonisation sur les bonnes pratiques cliniques](#) (en anglais seulement).

Santé Canada peut suspendre l'autorisation de vendre un médicament aux fins d'un essai clinique s'il existe des motifs raisonnables de croire que les renseignements soumis au sujet de l'essai sont faux ou trompeurs (il peut y avoir d'autres motifs de suspension). Le pouvoir de suspendre est décrit au paragraphe [C.05.016\(1\)](#) du Règlement.

3.2.6 Mises à jour annuelles de la brochure du chercheur

En raison des risques continus et changeants liés à les essais cliniques à accès élargi décrits ci-dessus, les promoteurs de ces essais sont tenus de déposer leurs mises à jour annuelles de la brochure du chercheur sous forme d'avis (NDEC).

Pour plus d'information sur les mises à jour de la brochure du chercheur :

- [Section 2.8.5 de la ligne directrice sur les demandes d'essais cliniques](#)
- Annexe A de la [ligne directrice E6R3 sur les bonnes pratiques cliniques \(en anglais seulement\)](#)

3.2.7 Exigences en matière de qualité

Les exigences en matière de chimie et de fabrication pour les essais cliniques à accès élargi sont les mêmes que pour tous les essais cliniques. La portée et le détail des renseignements présentés à l'appui de la partie qualité d'une DEC devraient être suffisants pour évaluer adéquatement les caractéristiques du médicament.

Pour les demandes qui réfèrent à une fiche maîtresse du médicament, où des renseignements sur la chimie et la fabrication sont mentionnés, les promoteurs doivent toujours remplir le modèle approprié de résumé global de la qualité (module 2, [2.3]), y compris l'introduction et toutes les sections non couvertes par la lettre d'accès.

Les renseignements contenus dans la brochure du chercheur doivent être propres au produit de recherche utilisé dans l'essai clinique à accès élargi. Une brochure de chercheur fondée sur la littérature ne serait probablement pas appropriée pour un essai clinique à accès élargi, étant donné la nécessité de caractériser le produit de recherche fourni à une population élargie de participants.

De plus, les exigences en matière de qualité devraient généralement respecter la norme pour un essai clinique de phase 3, compte tenu de la vaste population de participants qui peuvent recevoir le médicament de recherche.

Pour obtenir des renseignements sur les exigences en matière de qualité, consultez le document d'orientation et l'avis suivants :

- [Ligne directrice en matière de qualité \(chimie et fabrication\) : demandes d'essais cliniques \(DEC\) pour les produits pharmaceutiques](#)
- [Exigences de qualité pour les médicaments biologiques expérimentaux utilisés dans les essais cliniques : Avis aux promoteurs d'essais cliniques](#)

3.3 Transparence, équité et impartialité

Les promoteurs sont fortement encouragés à enregistrer leurs essais cliniques dans un registre international acceptable par l'Organisation mondiale de la Santé pour faire preuve :

- de transparence au sujet des renseignements sur les essais cliniques
- d'équité et d'impartialité en matière d'accès pour les participants

L'enregistrement d'un essai clinique peut aider les promoteurs à attirer un plus grand nombre de participants éventuels, et il peut également aider les participants éventuels à trouver et à déterminer des options de traitement.

Un exemple de registre acceptable est le [registre des essais cliniques \(en anglais seulement\)](#) administré par les National Institutes of Health aux États-Unis.

Les promoteurs peuvent enregistrer leur essai une fois qu'ils ont reçu la lettre de non-objection de Santé Canada.

Pour en savoir plus :

- [Base de données sur les essais cliniques](#)
- [Ébauche de la ligne directrice sur l'enregistrement des essais cliniques et la divulgation publique des résultats](#)

Veuillez noter que L'enregistrement d'un essai clinique peut être requise si le promoteur est assujéti à une *Entente sur l'administration des subventions et des bourses des organismes par les établissements de recherche*. Pour en savoir plus, consultez [Énoncé de politique des trois conseils : Éthique de la recherche avec des êtres humains \(2022\)](#).

Les renseignements rendus publics par les promoteurs (par exemple, par l'entremise d'un site Web) concernant l'essai devraient inclure des coordonnées pour permettre aux participants éventuels ou à leurs fournisseurs de soins de santé de communiquer avec le promoteur de l'essai au sujet de l'inscription. L'information sur l'essai devrait être accessible et rédigée de manière à ce que les participants éventuels puissent le comprendre.

Les promoteurs devraient tenir compte de la façon dont ils transmettent l'information sur les essais cliniques à accès élargi avec des médicaments de recherche qui n'ont pas été examinés ou approuvés par Santé Canada. Les paragraphes 9(1) et 20(1) de la *Loi sur les aliments et drogues* (la Loi) interdisent la publicité d'un médicament ou d'un instrument d'une manière qui soit :

- fausse, trompeuse ou mensongère
- susceptible de créer une fausse impression quant à leur conception, leur fabrication, leur efficacité, l'usage auquel ils sont destinés, leur nombre, leur nature, leur valeur, leur composition, leurs avantages ou leur sûreté

La Loi définit la « publicité » (ou « annonce ») comme suit : « S'entend notamment de la présentation, par tout moyen, d'un aliment, d'une drogue, d'un cosmétique ou d'un instrument en vue d'en stimuler directement ou indirectement l'aliénation, notamment par vente ». Santé Canada se fondera, en principe, sur le sens ordinaire du mot « promouvoir », qui est d'encourager ou d'inciter la vente d'un produit de santé.

Pour en savoir plus, consultez le document suivant :

- [Document d'orientation sur la distinction entre les activités publicitaires et les autres activités pour les produits de santé](#)

Les promoteurs devraient être clairs et transparents quant au but, aux objectifs et aux risques et avantages potentiels de l'essai. Les attentes des participants devraient être gérées avec soin par les promoteurs tout au long de l'essai afin d'éviter toute idée fausse sur l'innocuité et l'efficacité du médicament.

3.4 Décentralisation : Déléguer des activités à l'extérieur du lieu principal d'essai clinique

On reconnaît de plus en plus la nécessité de modèles d'essais cliniques flexibles qui facilitent la participation plus facile et plus diversifiée. Au Canada, de nombreuses personnes vivent à l'extérieur des zones urbaines et loin des grands réseaux de recherche clinique. Il peut donc être difficile de recruter des personnes provenant de régions rurales ou éloignées qui font face à des défis logistiques ou financiers, ce qui a une incidence sur la capacité des participants potentiels d'accéder à des médicaments de recherche qui pourraient offrir des avantages. Des modèles d'essais cliniques flexibles peuvent aider à faciliter la participation des groupes sous-représentés ou en quête d'équité aux essais cliniques.

Les promoteurs peuvent choisir d'adopter un modèle décentralisé pour tout type d'essai clinique. Toutefois, dans les essais cliniques de confirmation, le fait de ne pas pouvoir se rendre à un site d'essais cliniques peut poser des défis en ce qui concerne l'évaluation normalisée du participant et la fiabilité des données recueillies.

Dans les essais cliniques à accès élargi, l'accent est mis sur l'accès aux médicaments prometteurs aux participants dans le besoin et sur l'inclusion d'une population de participants aussi diversifiée que possible. Pour cette raison, les promoteurs pourraient envisager d'adopter un modèle d'essai clinique décentralisé, où un chercheur qualifié superviserait les activités d'essais cliniques qui sont administrées en son nom par des personnes dans différents endroits physiques. Cela signifie que les activités d'essais cliniques pourraient être menées à l'extérieur de l'emplacement principal du site d'essai clinique, par exemple dans de petites collectivités ou des communautés autochtones fondées sur des distinctions.

Le lieu de l'essai clinique où se trouve le chercheur qualifié doit être identifié dans un formulaire d'information sur le site de l'essai clinique soumis à Santé Canada. Cependant, les lieux physiques supplémentaires où les activités d'essai clinique sont menées par d'autres personnes sous la supervision du chercheur qualifié (comme le cabinet d'un médecin, une pharmacie ou le domicile du participant) ne sont pas considérés comme des sites d'essais cliniques supplémentaires. Par conséquent, les emplacements supplémentaires n'exigent pas le remplissage des formulaires d'information sur le site de l'essai clinique ou l'approbation supplémentaire d'un CER.

Même s'ils ne nécessitent pas de formulaires d'information sur le site de l'essai clinique ou de nouvelle approbation de CER, tous les lieux où se déroulent des activités d'un essai clinique, y compris les endroits éloignés, sont considérés comme faisant partie du site d'essai clinique. À l'exception du domicile d'un participant, ces endroits peuvent être inspectés dans le cadre d'une inspection du site d'un essai clinique, surtout si le médicament y sera entreposé.

Que l'endroit soit inspecté ou non, des mesures de protection appropriées doivent être mises en place pour s'assurer que le médicament est entreposé, transporté et administré en toute sécurité.

Avec des mesures de protection appropriées fondées sur le risque pour les participants, les fournisseurs de soins de santé locaux, qui peuvent être situés à divers endroits, peuvent participer à l'administration des médicaments, à la surveillance de l'innocuité ou à d'autres activités liées à l'essai. La surveillance fondée sur les risques devrait tenir compte de la complexité du traitement, de la sécurité des participants et des compétences individuelles. Les fournisseurs locaux pourraient, par exemple, déjà fournir des soins de santé au participant (comme leur médecin de famille).

Les promoteurs pourraient également envisager de déléguer des activités à des organismes de recherche contractuels ou à d'autres fournisseurs de services, généralement au moyen d'accords enregistrés.

Les promoteurs et les personnes qui participent aux activités d'essai peuvent discuter et négocier les modalités des ententes avant de lancer un essai clinique à accès élargi. Par exemple, cela comprend la négociation :

- de toute différence dans les pratiques et les normes de traitement locales et le protocole de l'essai clinique à accès élargi
- de toute sorte de compensation financière pour les activités d'essais cliniques entreprises au nom du promoteur ou du chercheur qualifié

Quel que soit le modèle proposé, toutes les activités d'essais cliniques demeurent sous la supervision du chercheur qualifié. Le chercheur qualifié est ultimement responsable des décisions médicales prises dans le cadre de l'essai à tous les endroits associés à son site d'essai clinique.

3.5 Participation des fournisseurs de soins de santé

Les fournisseurs de soins de santé qui entreprennent ou participent à des activités au nom du chercheur qualifié (comme l'administration du médicament de recherche, le suivi des participants et la collecte de données) mènent des activités d'essai clinique.

Les fournisseurs de soins de santé qui participent aux activités d'un essai clinique à accès élargi peuvent vérifier que leurs rôles et responsabilités sont précisés dans une entente (comme le protocole de l'essai clinique ou dans le cadre de contrats supplémentaires) ou qu'ils sont supervisés adéquatement par le chercheur qualifié.

Des formulaires supplémentaires d'information sur le site de l'essai clinique et l'approbation supplémentaire d'un CER ne sont pas requis pour les emplacements physiques qui sont ajoutés à un lieu d'essai clinique existant, par exemple, l'ajout d'un bureau de fournisseur de soins de santé où le fournisseur de soins de santé mène des activités liées à l'essai clinique au nom du chercheur qualifié.

Ces activités doivent être clairement définies dans le protocole de l'essai et peuvent être consignées de manière appropriée dans le registre de délégation de l'essai. En fin de compte, le chercheur qualifié est responsable des décisions médicales prises relativement aux activités de l'essai, peu importe l'endroit où ces activités ont été menées.

Les fournisseurs de soins de santé liés à un établissement différent de celui du chercheur qualifié devraient connaître les politiques et les exigences locales et institutionnelles qui peuvent s'appliquer à leurs activités dans leur établissement. Autrement dit, des tierces parties peuvent avoir des responsabilités supplémentaires en vertu d'un comité local ou institutionnel d'éthique de la recherche.

Les fournisseurs de soins de santé qui ont la capacité juridique de promouvoir un essai clinique au Canada pourraient offrir de promouvoir un essai clinique à accès élargi ou d'ouvrir un nouveau site d'essai clinique dans le cadre d'un essai clinique à accès élargi existant. Le fabricant peut examiner les demandes de fourniture d'un médicament de recherche pour un essai clinique à accès élargi ou un autre site d'essai clinique, mais il n'est pas légalement tenu d'être d'accord de le faire.

3.6 Production de données probantes et fiabilité des données

Les présentations de drogues nouvelles nécessitent des preuves substantielles qui sont généralement produites à partir d'essais cliniques de confirmation (phase 3). Bien que les données probantes produites dans le cadre d'un essai clinique à accès élargi ne soient pas suffisantes pour appuyer une présentation de drogue nouvelle à elles seules, ces essais peuvent être conçus pour recueillir des données à long terme sur

l'innocuité ou la tolérabilité qui peuvent être utilisées pour enrichir les résultats des essais cliniques de confirmation dans une présentation de drogue nouvelle. Les données générées dans le cadre d'un essai clinique à accès élargi peuvent caractériser des effets tels que des effets indésirables rares ou des résultats à long terme qui ne peuvent apparaître que dans des populations plus grandes et plus diversifiées au fil du temps.

Les données probantes générées par les essais cliniques à accès élargi ne devraient jamais être utilisées pour compléter des données ambiguës ou non concluantes provenant d'autres essais cliniques contrôlés plus rigoureux, car cela peut avoir une incidence sur la perception de l'efficacité et l'innocuité du médicament. Si, dans une présentation de drogue nouvelle, un promoteur utilise des données probantes provenant d'essais cliniques à accès élargi pour enrichir les résultats d'essais de confirmation, il devrait préciser clairement la question de recherche de l'étude, la façon dont les données ont été recueillies et analysées, et ses limites.

Bien que le suivi de populations de patients spécifiques dans un environnement hautement spécialisé facilite la collecte de données contrôlées de haute qualité, cela peut aussi limiter la généralisation des conclusions dans des contextes réels. Selon le protocole de recherche proposé par le promoteur, les essais cliniques à accès élargi peuvent être en mesure de produire des données probantes sur l'utilisation du traitement du médicament de recherche dans un contexte plus général et plus proche des conditions réelles (p. ex., dans un cabinet de médecin). Par conséquent, les promoteurs peuvent vouloir considérer les données recueillies dans un essai clinique à accès élargi de la même manière que des [données du monde réel](#).

De nombreux intervenants du système de santé intègrent des [données probantes du monde réel](#) dans leur prise de décision. Cela comprend Santé Canada, l'Agence des médicaments du Canada (AMC) et l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (au Québec).

Santé Canada reconnaît que les données probantes du monde réel ont le potentiel de fournir un soutien précieux dans des contextes autres que les essais cliniques contrôlés, et continue d'explorer des moyens d'améliorer la capacité du Canada à tirer parti des données probantes du monde réel tout au long du cycle de vie du produit pharmaceutique. Les données du monde réel peuvent fournir des renseignements utiles pour améliorer une prise de décision plus rigoureuse en ce qui concerne l'innocuité et l'efficacité, ainsi que les habitudes d'utilisation et de traitement. De plus, les données probantes du monde réel ont le potentiel d'être un outil puissant pour prendre des décisions sur l'accès. Cependant, ceci comporte des défis, notamment le potentiel de biais (p. ex., confusion statistique) et des problèmes qui peuvent avoir une incidence sur la robustesse des résultats. Par conséquent, il faut en tenir compte lors de l'utilisation de données probantes réelles à l'appui des décisions réglementaires.

Les promoteurs peuvent consulter la publication suivante de Santé Canada pour obtenir de plus amples renseignements sur les méthodes de collecte de données et la façon dont les protocoles de recherche devraient être conçus pour assurer la haute qualité des données probantes du monde réel :

- [Éléments de la qualité des données et des données probantes du monde réel tout au long du cycle de vie des médicaments sur ordonnance](#)

Les directives suivantes de Santé Canada et de l'AMC jettent les bases de l'utilisation de données probantes du monde réel dans l'approbation réglementaire et les évaluations des technologies de la santé :

- [Orientations relatives aux preuves du contexte réel | CDA-AMC](#)

Les résultats d'un essai clinique à accès élargi pourraient avoir une incidence sur l'étiquette ou la monographie finale du produit ou nécessiter des modifications à l'étiquette ou à la monographie existante. Cela dépendra de la force de la preuve. Par exemple, une constatation d'effets indésirables graves pourrait modifier la monographie de produit en réduisant l'indication ou en ajoutant une mise en garde dans un encadré noir. Selon les résultats, les fabricants de médicaments pourraient être assujettis à des conditions

imposées par Santé Canada, comme l'obligation de mener des études post-commercialisation pour surveiller l'innocuité et l'efficacité à long terme du médicament.

3.7 Essais cliniques à accès élargi incluant des substances contrôlées

Les essais cliniques sont réglementés en vertu du titre 5 de la partie C du Règlement. Toutefois, les promoteurs qui souhaitent mener un essai avec une substance contrôlée figurant aux annexes I à V de la *Loi réglementant certaines drogues et autres substances* (LRCDAS) doivent également se conformer aux exigences de cette loi.

En vertu de la LRCDAS, toutes les activités associées aux substances contrôlées, y compris la vente, l'importation, l'exportation, la production, le transport et la possession de substances contrôlées, sont interdites à moins d'y être autorisées en vertu de ses règlements ou par une exemption. La possession n'est interdite que pour les substances contrôlées inscrites aux annexes I, II et III de la LRCDAS.

Un praticien (habituellement le chercheur qualifié) qui a besoin d'une substance contrôlée à des fins de recherche, ce qui comprend l'administration à des humains dans le cadre d'un essai clinique à accès élargi, doit recevoir une autorisation de Santé Canada. Pour ce faire, une demande distincte est présentée au Bureau des substances contrôlées, après que Santé Canada a émis une lettre de non-objection pour l'essai clinique à accès élargi.

Les demandes pour effectuer de la recherche avec une substance contrôlée qui est une drogue d'usage restreint inscrite à l'annexe de la partie J du *Règlement sur les aliments et drogues* exigent des documents justificatifs supplémentaires. À la réception d'une demande, le Bureau des substances contrôlées indiquera les documents justificatifs supplémentaires requis.

Avant d'accorder une exemption pour la recherche sur des substances contrôlées, Santé Canada confirme que :

- il existe un registre de manipulation
- le risque de détournement en transit est raisonnablement atténué
- le risque de détournement au lieu d'essai clinique ou aux endroits connexes est raisonnablement atténué

Les médicaments de recherche qui sont des substances contrôlées doivent être fournis par un distributeur autorisé à mener des activités réglementées avec la substance en vertu de la LRCDAS.

Si le fabricant autorisé est situé à l'extérieur du Canada, un distributeur autorisé par la LRCDAS doit importer la substance. Le distributeur autorisé doit obtenir une licence d'importation de Santé Canada. Seuls les distributeurs autorisés peuvent demander des licences d'importation.

Les exemptions pour la recherche avec des substances contrôlées dans un essai clinique sont propres à l'emplacement, au praticien, à la substance et à la quantité du médicament. Cela signifie que si un promoteur propose une sous-étude d'accès élargi à un essai existant et propose des emplacements ou des praticiens différents ou supplémentaires, de nouvelles exemptions peuvent être requises pour les nouveaux praticiens qui administrent le médicament et pour les nouveaux lieux où le médicament est entreposé.

Un promoteur devrait tenir compte des éléments suivants lors de la conception du protocole d'essai :

- Afin de réduire le nombre d'exemptions requises, les promoteurs sont invités à planifier à l'avance l'élargissement des sous-études sur les substances contrôlées, afin que tous les potentiels emplacements d'entreposage, praticiens et quantités soient identifiés dans une seule demande d'exemption. Tant que le médicament est entreposé uniquement dans des endroits déjà identifiés, une seule exemption peut être requise.

- Habituellement, les exemptions sont délivrées au chercheur qualifié d'un site d'essai clinique, qui serait responsable de la protection, du transport et de l'administration du médicament. Toutefois, dans le cadre d'un essai décentralisé, d'autres personnes (comme les médecins de famille) pourraient être autorisées à mener des activités au nom du chercheur qualifié, y compris l'administration et l'entreposage des médicaments. Dans ce cas, le chercheur qualifié aurait deux options en ce qui concerne l'exemption :
 - Le chercheur qualifié pourrait détenir l'exemption, par laquelle d'autres personnes pourraient être autorisées en vertu de l'exemption à administrer une quantité précise du médicament aux participants. Ces personnes autorisées devraient respecter les modalités de l'exemption et seraient liées par celles-ci. L'adresse d'entreposage de chaque lieu éloigné devrait être indiquée, et si le médicament doit être transporté au domicile d'un participant, le médicament doit être protégé pendant le transport. Dans cette approche, le chercheur qualifié détiendrait la responsabilité ultime, non seulement du médicament qu'il manipule personnellement, mais aussi du médicament fournis à autrui, y compris son entreposage et sa sécurité. Le chercheur qualifié devrait accepter la responsabilité de toutes les activités entreprises en son nom dans le cadre de l'essai.
 - Si le chercheur qualifié n'est pas disposé à être responsable de toutes les activités entreprises en son nom, chaque personne participant à des activités d'essai avec une substance contrôlée aurait besoin de sa propre exemption. Dans ce cas, ils auraient les mêmes responsabilités et exigences que le chercheur qualifié en ce qui concerne leur exemption, et une quantité déterminée de médicament leur serait autorisée. Ces personnes seraient ultimement responsables de toutes les activités visées par leurs exemptions, et non le chercheur qualifié. Ces personnes seraient responsables du maintien de leurs exemptions (renouvellement, etc.), indépendamment du chercheur qualifié.

Pour en savoir plus sur le processus de demande d'essais cliniques avec des substances contrôlées :

- [Substances contrôlées](#)

Pour présenter une demande d'utilisation d'une substance contrôlée pour des essais cliniques (doit être déposée par un chercheur qualifié) :

- [Formulaire de demande](#)

Les chercheurs devraient se familiariser avec tous les avis de Santé Canada aux intervenants sur les exigences relatives à la réalisation de recherches cliniques avec des substances contrôlées particulières.

Les chercheurs qui souhaitent effectuer un essai clinique à accès élargi avec une substance contrôlée devraient communiquer avec le Bureau des substances contrôlées pour obtenir de l'information sur les exigences connexes. Voir les [coordonnées](#).

Santé Canada mène également des activités de conformité et d'application de la loi pour toutes les substances contrôlées et leurs précurseurs ainsi que les activités menées en vertu de la LRCRAS et de ses règlements. Cela comprend les activités menées dans le cadre d'essais cliniques. La surveillance de la conformité et l'application de la loi aident à appuyer l'utilisation légitime des substances contrôlées, tout en réduisant le risque de détournement.

Pour obtenir de l'information sur les principes suivis par Santé Canada pendant la surveillance de la conformité et de l'application de la loi pour les substances contrôlées, consultez :

- [Politique de conformité et d'application de la loi pour les substances désignées et leurs précurseurs \(CS-POL-001\)](#)

4. Coordonnées

Si vous avez des questions concernant le présent document d'orientation :

Bureau des politiques, de la science et des programmes internationaux
Direction des médicaments pharmaceutiques
Direction générale des produits de santé et des aliments
Santé Canada
1600 rue Scott, Holland Cross - tour B
Indice de l'adresse: 3106B
Ottawa ON K1A 0K9
Courriel : policy_bureau_enquiries@hc-sc.gc.ca

Si vous avez des questions sur les essais cliniques avec des médicaments pharmaceutiques :

Bureau des essais cliniques
Direction des médicaments pharmaceutiques
Direction générale des produits de santé et des aliments
Santé Canada
1600 rue Scott, Holland Cross - tour B
Indice de l'adresse: 3105A
Ottawa ON K1A 0K9
Courriel : OCT_BEC_Enquiries_Enquetes@hc-sc.gc.ca

Si vous avez des questions sur les essais cliniques avec des médicaments biologiques ou radiopharmaceutiques :

Bureau des affaires réglementaires
Direction des médicaments biologiques et radiopharmaceutiques
Direction générale des produits de santé et des aliments
Santé Canada
100 promenade Églantine
Ottawa ON K1A 0K9
Courriel : brdd.ora@hc-sc.gc.ca

Si vous avez des questions sur la réalisation d'un essai clinique à accès élargi avec une substance contrôlée ou sur le processus d'exemption :

Bureau des substances contrôlées
Direction générale des substances contrôlées et du cannabis
Santé Canada
161 Goldenrod Drwy
Indice de l'adresse: 0300B
Ottawa ON K1A 0K9
Courriel : exemption@hc-sc.gc.ca

5. Glossaire

5.1 Définitions propres à la présente ligne directrice

Essai clinique à accès élargi :

Type d'essai clinique qui donne accès à des médicaments de recherche qui ont le potentiel de traiter des personnes atteintes de problèmes de santé qui ne sont pas admissibles à d'autres essais cliniques ou qui ne sont pas en mesure d'y participer.

Médicaments de recherche :

Médicaments pharmaceutiques, biologiques et radiopharmaceutiques à usage humain qui sont testés ou étudiés dans le cadre d'un essai clinique.

5.2 Définitions adaptées du Règlement sur les aliments et drogues

Remarque :

Ces définitions peuvent être modifiées si elles changent dans le Règlement sur les aliments et drogues.

Réaction indésirable :

Événement indésirable ou incident thérapeutique affectant la santé d'un participant d'essai clinique à qui une drogue a été administrée — qui peut ou non être causé par l'administration de la drogue.

Bonnes pratiques cliniques :

Pratiques cliniques généralement reconnues visant à assurer la protection des droits, la sûreté et le bien-être des sujets d'essai clinique et d'autres personnes ainsi que les bonnes pratiques cliniques visées à l'article [C.05.010](#).

Brochure du chercheur :

Document dans lequel figurent les données précliniques et cliniques d'une drogue.

Protocole :

Document qui expose les objectifs, le plan de travail, la méthodologie, les considérations statistiques et l'organisation d'un essai clinique.

Chercheur qualifié :

La personne qui est responsable auprès du promoteur de la conduite de l'essai clinique à un lieu d'essai clinique, qui est habilitée à dispenser des soins de santé en vertu des lois de la province où ce lieu d'essai clinique est situé.

Comité d'éthique de la recherche :

Organisme non affilié au promoteur (composé de chercheurs, de personnes ayant une expertise particulière et de membres de la communauté) et dont le mandat principal est d'approuver le lancement de la recherche biomédicale impliquant des participants humains et d'effectuer des examens périodiques de celle-ci afin d'assurer la protection de leurs droits, de leur sécurité et de leur bien-être.

Promoteur :

Une personne, établissement ou organisme qui mène un essai clinique.

5.3 Définitions tirées d'autres sources de Santé Canada (SC)

Placebo :

Traitement témoin qui ne contient pas l'ingrédient médicamenteux qui est donné à un groupe de sujets inscrits à un essai clinique. (Tirée des [définitions de la base de données sur les essais cliniques](#).)

Données du monde réel :

Données relatives à l'état des patients et/ou à la prestation des soins de santé recueillies régulièrement auprès de diverses sources. (Tirée de la publication de SC sur les [éléments de la qualité des données et des données probantes du monde réel tout au long du cycle de vie des médicaments sur ordonnance](#).)

Données probantes du monde réel :

Données probantes concernant l'utilisation, et les avantages ou les risques potentiels, d'un produit médical découlant de l'analyse des données du monde réel. (Tirée de la publication de SC sur les [éléments de la qualité des données et des données probantes du monde réel tout au long du cycle de vie des médicaments sur ordonnance](#).)