

TABLE DES MATIÈRES

INTRODUCTION	3
RECHERCHE CLINIQUE EN PÉDIATRIE, QUELS BESOINS, QUELLES SOLUTIONS ?	5
1. Qu'est-ce que la recherche clinique ? petits rappels	5
2. Pourquoi faut-il des médicaments adaptés aux enfants ?	6
3. La première réponse à ce déficit : les dispositifs européens et français	7
4. La recherche clinique et l'éthique	11
5. Position des associations vis-à-vis des essais cliniques	12
L'ENFANT N'EST PAS UN ADULTE EN MINIATURE : COMMENT S'INTÈGRENT LA PHYSIOLOGIE DE L'ENFANT ET SON DÉVELOPPEMENT DANS LES ÉTUDES CLINIQUES	13
1. Introduction : le passage du médicament dans l'organisme	13
2. L'enfant n'est pas un adulte miniature	14
3. Les principales différences physiologiques entre l'enfant et l'adulte intervenant dans le devenir du médicament dans l'organisme	15
4. Les conséquences à long terme de l'action des médicaments	17
5. Pratiques actuelles (utilisation avec AMM et hors AMM)	19
6. Conclusion	19
COMPRENDRE UN PROTOCOLE : LES POINTS CLÉS NÉCESSAIRES À UNE BONNE MÉTHODOLOGIE ET UNE BONNE PRATIQUE EN PÉDIATRIE	21
1. Les questions que l'on doit se poser à la lecture d'un protocole	21
2. L'essai est-il utile ?	21
3. Comment montrer de façon fiable qu'un traitement apporte un bénéfice ?	23
4. Sur quels critères va-t-on évaluer les résultats ?	29
5. Quel est le nombre de patients nécessaire à l'étude ?	30
6. Les spécificités pédiatriques à bien prendre en compte dans les essais	30
7. Quel est le rapport bénéfice/risque ?	30
8. Comment sont suivis les effets à long terme des enfants ayant participé à des essais ?	31
9. Conclusion	31

PLACE DES PARENTS DANS L'INFORMATION ET LE PROTOCOLE	33
1. Une information transparente	33
2. L'expérience de l'Unapecl	36
3. Avantages collatéraux de l'implication des parents dans la recherche	37
4. Conclusion	37
POUR ALLER PLUS LOIN	49
GLOSSAIRE	41