



La collaboration canadienne pour la santé de l'enfant :
efficacité et excellence dans la revue d'éthique de la recherche (CHEER)



Programme de recherche CHEER : Devis de l'étude

Veillez noter : Ce cours a été conçu pour être interactif et dynamique à l'aide des modules en ligne. Ce **guide accompagnateur de module** est une ressource créée pour compléter les diapositives en ligne. S'il y a une divergence entre ce guide et le module en ligne, veuillez vous référer au module.

TABLE DES MATIÈRES

| | |
|--|----|
| INTRODUCTION | 3 |
| SECTION 01 : Introduction au devis d'études pour la recherche en santé infantile | 4 |
| SECTION 02 : Considérations relatives devis d'étude d'une population | 13 |
| SECTION 03 : Procédures d'étude et interventions..... | 20 |
| SECTION 04 : Sélection et mesure des résultats de l'étude | 28 |
| CONCLUSION | 36 |

INTRODUCTION

Veillez consulter le module d'apprentissage en ligne pour profiter pleinement des interactions proposées dans ce document.

Pour être éthique, la recherche impliquant des enfants doit être scientifiquement fondée. Des études bien conçues fournissent les preuves nécessaires pour répondre aux besoins uniques des enfants en matière de santé. Il est essentiel d'inclure les enfants dans la recherche, plutôt que de les exclure, afin qu'ils aient un accès équitable aux progrès de la recherche et des soins cliniques. Le devis d'études sur la santé des enfants exige de prendre soigneusement en considération de nombreux facteurs scientifiques, pratiques et éthiques.

Résultats d'apprentissage du module

A l'issue de ce module, les apprenants seront capables de :

1. Définir les concepts et les termes clés utilisés dans le devis d'études sur la santé de l'enfant.
2. Décrire les considérations essentielles en matière de devis dans la recherche sur la santé de l'enfant, en intégrant les perspectives pratiques, éthiques et scientifiques pertinentes.
3. Identifier et utiliser les ressources pertinentes pour le devis d'études en santé infantile de haute qualité et ayant un impact.

PASSER À LA SECTION 01

SECTION 01 : INTRODUCTION AU DEVIS D'ÉTUDES POUR LA RECHERCHE EN SANTÉ INFANTILE

Une étude sur la santé de l'enfant bien conçue produit des résultats fiables et dignes de confiance tout en minimisant les risques pour les participants, ce qui contribue à améliorer les résultats pour la santé des enfants et de leurs familles. Des choix judicieux en matière de devis permettent aux équipes de recherche de répondre de manière efficace et efficiente à d'importantes questions de santé tout en respectant les besoins uniques des enfants en matière de développement et d'éthique. Dans cette section, vous découvrirez les différents types de devis d'étude couramment utilisés dans la recherche sur la santé des enfants.

Remarque : le terme "enfants" englobe les nourrissons, les jeunes enfants, les enfants d'âge préscolaire et les adolescents. Le terme "jeune" est souvent utilisé par les pouvoirs publics pour désigner les personnes âgées de 16 à 25 ans (c'est-à-dire les jeunes adultes). Tout au long du module, les termes "enfant" ou "enfants" seront principalement utilisés.

Le "décideur" peut être le(s) parent(s), le(s) tuteur(s), le(s) soignant(s), un représentant d'un service de protection de l'enfance, un travailleur social, un substitut légalement acceptable ou un décideur alternatif, un frère ou une sœur, ou tout autre parent. Le décideur est un tiers autorisé qui détient le droit légal de prendre des décisions au nom de l'enfant. Les chercheurs doivent être conscients des exigences légales et réglementaires applicables en ce qui concerne les décideurs légaux, car elles peuvent varier d'une juridiction à l'autre.

Types de devis d'étude dans la recherche sur la santé de l'enfant

Il existe deux grands types de devis d'étude clinique couramment utilisés dans la recherche sur la santé de l'enfant : l'**étude observationnelle** et l' **étude interventionnelle**.

Continuez la lecture pour en savoir plus sur chaque type de devis d'étude.

Études observationnelles

Les études observationnelles consistent à suivre les participants dans leur environnement naturel sans que l'équipe de recherche ne change quoi que ce soit. Par exemple, les chercheurs peuvent observer comment le régime alimentaire d'un enfant affecte sa croissance au fil du temps sans modifier ses habitudes alimentaires normales.

Études interventionnelles

Les études interventionnelles sont utilisées pour évaluer l'effet ou les résultats d'une intervention visant à améliorer la santé d'un enfant (par exemple, médicaments, changements de mode de vie ou mesures préventives telles que les vaccins). Ces études consistent généralement à répartir les participants dans différents groupes et à tester activement l'intervention afin de comparer les résultats.

Études observationnelles

Les principaux types d'études observationnelles sont les études de **cohorte**, les études **cas-témoins** et les études **transversales**. Ces études peuvent aider à identifier des modèles, des risques et des domaines potentiels pour de futures études dans le cadre de la recherche sur la santé de l'enfant.

Continuez la lecture pour en savoir plus sur ces trois types d'études observationnelles.

Études de cohorte

Dans les études de cohorte, les chercheurs suivent un groupe d'enfants au fil du temps afin d'observer comment certains événements, conditions ou comportements affectent leurs résultats. Par exemple, une étude de cohorte peut être utilisée pour examiner l'impact de la pollution de l'air sur le risque de développement de l'asthme chez les enfants.

Études cas-témoins

Dans les études cas-témoins (), les chercheurs comparent les "cas", c'est-à-dire les enfants atteints d'une maladie spécifique (par exemple, les enfants obèses), aux "témoins", c'est-à-dire ceux qui n'en sont pas atteints (par exemple, les enfants non obèses), afin d'identifier les facteurs de risque potentiels (par exemple, les habitudes alimentaires, le manque d'activité physique).

Études transversales

Dans les études transversales, les chercheurs recueillent des données à un moment donné, généralement auprès d'un grand groupe de personnes, afin d'étudier des relations. Par exemple, une étude transversale pourrait être utilisée pour déterminer s'il existe un lien entre le temps passé devant un écran et l'obésité chez les enfants.

Un autre type d'étude observationnelle pertinent, mais moins courant, est l'**étude de cas**. Une étude de cas, ou rapport de cas, est un rapport détaillé d'une seule personne sur un problème de santé ou un traitement spécifique. Elle est le plus souvent utilisée lorsque la situation est rare ou inhabituelle. Lorsque les détails individuels d'enfants souffrant de la même maladie ou du même traitement sont décrits et rapportés ensemble, il s'agit d'une **série de cas**.

Études interventionnelles

La forme la plus courante d'étude interventionnelle est l'**essai clinique**. Un essai clinique est un type de recherche qui teste la sécurité et l'efficacité d'une intervention chez les enfants. Dans les essais cliniques, en particulier ceux qui sont conçus pour tester l'efficacité plutôt que la sécurité, les enfants sont généralement répartis dans différents groupes afin que des comparaisons puissent être faites entre eux. Il existe de nombreux types de devis d'essais cliniques qui peuvent être utilisés pour répondre à des questions de recherche sur les enfants, en fonction de la question de recherche et de ce que l'on sait déjà sur l'intervention.

Les essais cliniques sont souvent menés en plusieurs phases, qui peuvent être mentionnées dans des documents tels que les formulaires de consentement. Chaque phase a un objectif spécifique : les phases initiales évaluent principalement la sécurité, tandis que les phases ultérieures peuvent comparer une intervention à ce qui est actuellement disponible à plus grande échelle. Par exemple,

une nouvelle crème contre l'eczéma peut d'abord être testée sur un petit nombre de participants pour en évaluer l'innocuité, puis sur un plus grand nombre de participants.

Continuez la lecture pour définir les phases des essais cliniques.

Phase 1

Un petit groupe de personnes participe à l'intervention pour en vérifier l'innocuité et les effets secondaires²

Phase 2

L'intervention est administrée pour voir si elle fonctionne et pour surveiller l'apparition d'autres effets secondaires²

Phase 3

Un groupe plus important de participants participe à l'intervention, et celle-ci peut être comparée aux traitements actuels pour en confirmer l'efficacité et la sécurité²

Phase 4

Après approbation, l'intervention est suivie dans la population générale pour détecter tout effet secondaire rare ou à long terme²

Un **essai contrôlé** est un type spécifique d'essai clinique dans lequel les résultats d'un groupe d'intervention (c'est-à-dire ceux qui reçoivent le traitement) sont comparés à ceux d'un groupe de contrôle (c'est-à-dire ceux qui ne reçoivent pas le traitement ou qui reçoivent un traitement standard). Cette comparaison aide les chercheurs à déterminer les effets réels de l'intervention.

Lorsque les participants sont assignés de manière aléatoire à l'intervention ou au groupe de contrôle - par exemple, au moyen de nombres aléatoires générés par un ordinateur - l'étude est appelée **essai contrôlé randomisé (ECR)**.

Il est important de noter que les essais cliniques sont soumis à des réglementations et à une surveillance spécifiques au Canada, notamment l'Énoncé de politique des trois conseils (EPTC 2), les lignes directrices du Conseil international d'harmonisation des exigences techniques des produits pharmaceutiques à usage humain (CIH), la législation pertinente en matière de protection de la vie privée, les comités d'éthique de la recherche (CÉR) locaux et Santé Canada.

Continuez la lecture pour en savoir plus sur certaines de ces réglementations.

[EPTC 2 \(2022\) - Chapitre 11 : Essais cliniques](#)

[Lignes directrices de la CIH](#)

[Santé Canada](#)

Si la plupart des essais cliniques impliquent des groupes de participants, il existe également des modèles spécialisés qui se concentrent sur des cas individuels. L'une de ces approches est l'essai N de

1", qui n'inclut qu'un seul participant. Dans ce type d'essai, un enfant passe d'un traitement à un traitement de comparaison (ou à l'absence de traitement), parfois dans un ordre aléatoire. Ce type d'essai permet d'étudier les traitements de maladies et d'affections rares/chroniques, ou lorsque différents enfants réagissent différemment à un même traitement.

Les essais cliniques sur un seul patient peuvent également être utilisés pour tester les thérapies géniques. Par exemple, un essai de thérapie génique sur un seul patient a été mené à l'Hospital for Sick Children pour Michael Pirovolakis, âgé de quatre ans, dans le but de traiter la maladie génétique ultra rare de Michael, la paraplégie spastique de type 50 (SPG50).

Continuez la lecture pour en savoir plus sur cet essai.

[Un essai clinique de thérapie génique sur un seul patient à SickKids ouvre la voie à une santé infantile de précision](#)

Conceptions de la recherche préclinique

Les études de recherche préclinique sur les enfants visent à comprendre les mécanismes biologiques, la sécurité et l'efficacité avant de mener des études de recherche clinique impliquant des enfants et leurs familles.

Les études précliniques peuvent contribuer à minimiser les risques avant d'impliquer des enfants dans la recherche clinique et à identifier des découvertes biologiques importantes qui nous aident à comprendre les causes et les traitements potentiels des maladies et affections pédiatriques.

Continuez la lecture pour découvrir quelques exemples d'études précliniques.

Études in vitro

Les études *in vitro* sont réalisées dans un environnement de laboratoire contrôlé, à partir d'échantillons biologiques tels que des cultures cellulaires ou des tissus.

Méthodes de calcul

Les méthodes informatiques peuvent utiliser des simulations informatiques pour prédire les réponses au traitement ou la progression de la maladie chez les enfants.

Études in vivo

Les modèles animaux (également connus sous le nom d'études *in vivo*) impliquent l'étude d'animaux juvéniles ou en gestation.

Études d'amélioration de la qualité (AmQ)

Les études d'amélioration de la qualité (AmQ) ou d'assurance de la qualité (AsQ) sont généralement conçues et menées pour mettre en œuvre des connaissances ou évaluer un processus ou un programme en termes de prestation de services de soins de santé. Ces types d'études ne sont pas considérés comme de la recherche. Contrairement à la recherche traditionnelle, qui se concentre sur la

production de nouvelles connaissances, les études d'AmQ/AsQ donnent la priorité aux applications pratiques, dans le monde réel.

Les études d'AmQ/AsQ, de par leur conception, n'augmentent pas le risque pour les enfants et ne représentent pas une charge excessive pour les patients ou le personnel.

Parfois, la ligne de démarcation entre la recherche et les études d'AmQ/AsQ n'est pas claire. Pour y remédier, l'ARECCI (A pRoject Ethics Community Consensus Initiative) a mis au point un outil qui permet de déterminer si une étude est susceptible d'être considérée comme une étude d'AmQ/AsQ (approbation éthique pas nécessairement requise) ou comme une étude de recherche (approbation éthique requise).

Continuez la lecture pour accéder à l'outil d'évaluation éthique de l'ARECCI.

[Outil d'évaluation éthique de l'ARECCI](#)

Note : Bien que l'outil ARECCI puisse aider à prévoir la nécessité d'une évaluation éthique, la détermination finale de la nécessité d'une évaluation éthique incombe toujours au CÉR local.

Répondez aux questions en utilisant vos connaissances des études d'AmQ/AsQ.

Question 1 de 2 : Les administrateurs d'un grand hôpital pédiatrique souhaitent recueillir et mesurer les données relatives à la performance des prestataires de soins de santé (par exemple, le temps passé avec les patients) à la suite d'une session de formation du personnel de l'hôpital. Leur objectif est d'améliorer les temps d'attente dans leur service d'urgence. Sur la base de cette description, cette initiative devrait-elle être considérée comme une étude d'AmQ/AsQ ou comme une étude de recherche ?

- a) AmQ/AsQ
- b) Étude de recherche

Retour d'information :

Bonne réponse : b

Étant donné que l'objectif de cette étude est d'évaluer et d'améliorer un processus local, elle serait typiquement considérée comme une étude d'AmQ/AsQ.

Question 2 sur 2 : Après avoir examiné les données, les administrateurs réalisent que leur session de formation a été très efficace et souhaitent partager les résultats avec d'autres. Ils envisagent de publier les résultats. Cela changerait-il votre opinion sur le fait de savoir s'il s'agit d'une recherche ou d'une AmQ/AsQ ?

- a) Oui
- b) Non

Retour d'information :

Bonne réponse : b

Les résultats des initiatives d'AmQ/AsQ peuvent être publiés et le sont souvent. Les résultats de l'AmQ/AsQ qui sont publiés doivent se rapporter spécifiquement à l'initiative ou au programme en question. Il faut veiller à ne pas faire de généralisations, car cela indiquerait que l'objectif est de contribuer à des connaissances généralisables, ce qui ferait passer l'étude de l'AmQ/AsQ à la recherche.

Choix d'un devis d'étude

Le choix d'un devis d'étude pour un projet de recherche sur la santé de l'enfant est une décision cruciale qui implique de mettre en balance plusieurs facteurs. Il est essentiel qu'une équipe pluridisciplinaire soit impliquée dans le processus de choix du devis de l'étude et qu'elle apporte l'expertise appropriée pour aider à prendre les meilleures décisions possibles en matière de devis. Les membres de l'équipe peuvent être des scientifiques, des cliniciens, des biostatisticiens, ainsi que des décideurs, des enfants, des membres de la communauté et d'autres personnes intéressées par l'étude. L'expérience vécue peut fournir des informations cruciales sur le devis de l'étude, ce qui peut contribuer à sa réussite.

Remarque : pour en savoir plus sur la manière d'impliquer les patients et le public dans la recherche, consultez le module sur *l'implication des patients et du public*.

L'équipe de recherche est généralement dirigée par un chercheur principal (CP), qui est responsable en dernier ressort de veiller à ce que le devis de l'étude corresponde à l'objectif de la recherche et à ce que toutes les autorisations éthiques nécessaires soient obtenues. Travailler en collaboration avec une équipe diversifiée sur le devis de l'étude peut aider à garantir que l'étude planifiée est solide, éthique et réalisable.

Lors de la sélection d'un devis d'étude pour la recherche sur la santé des enfants, l'équipe doit d'abord se demander si le devis d'étude correspond aux objectifs principaux de l'étude. Par exemple, si l'objectif est d'explorer la relation de cause à effet (par exemple, le nouveau médicament X améliore le symptôme Z), un devis expérimental serait le plus approprié. Si l'objectif est de décrire des tendances (par exemple, le facteur de risque Y est associé à l'affection Z), un devis d'observation serait le meilleur choix.

Continuez la lecture pour en savoir plus sur plusieurs autres considérations pertinentes lors du choix d'un devis d'étude pour un projet de recherche sur la santé de l'enfant.

Considération 1 : Préoccupations éthiques

Les enfants, en tant que population vulnérable, nécessitent des devis qui minimisent autant que possible les risques et le caractère invasif de l'étude. L'équipe chargée de l'étude doit trouver un équilibre entre les objectifs de l'étude et la charge et le risque potentiels pour les participants, quel que soit le type de devis.

Considération 2 : Faisabilité

Le budget de l'étude, les ressources, la taille de l'échantillon, ainsi que le niveau et le type d'expertise nécessaires pour mener à bien l'étude peuvent jouer un rôle dans les décisions de devis. Par exemple, les essais cliniques, bien qu'ils offrent le niveau le plus élevé de preuves scientifiques, nécessitent beaucoup de temps, d'argent et souvent une formation spécialisée. Les études d'observation, quant à

elles, peuvent constituer un moyen plus rentable et plus rapide de répondre à une question de recherche, mais elles fournissent des preuves causales moins définitives qui ont peu de chances d'être acceptables pour les régulateurs et les décideurs politiques. Le devis de l'étude doit s'aligner sur les ressources disponibles et les délais réalisables sans compromettre ses objectifs principaux.

Considération 3 : Acceptabilité

Le devis de l'étude doit être acceptable pour les participants et les communautés concernées et respecter les valeurs et pratiques culturelles pertinentes. Cet objectif peut être atteint grâce à des consultations sérieuses et à une conception conjointe de l'étude dès les premières phases.

Considération 4 : Généralisabilité

L'équipe chargée de l'étude doit décider si l'étude vise une large applicabilité (qui peut être mieux abordée par des études multi-sites dans différentes régions géographiques) ou des connaissances spécifiques et localisées (par exemple, des études menées sur un seul site, comme un hôpital pédiatrique).

Dans tous les cas, le devis d'étude choisi doit permettre de répondre à la question de recherche tout en respectant les principes éthiques de la recherche, en préservant la vie privée et en minimisant autant que possible le risque de préjudice pour les enfants et leurs familles. Si l'étude n'est pas conçue correctement, les résultats risquent de ne pas répondre à la question de recherche. Mener une recherche qui ne permet pas d'obtenir des réponses claires est généralement considéré comme contraire à l'éthique.

Pour votre intérêt, continuez la lecture pour accéder à d'autres ressources relatives au devis des études.

[Réseau de recherche sur la mère, l'enfant et l'adolescent \(MICYRN\)](#)

Organisation pancanadienne à but non lucratif qui facilite les études pédiatriques multijuridictionnelles. Il apporte son expertise et soutient la recherche en santé infantile de haute qualité au Canada.

[Clinical Research Study Designs : The Essentials](#)

Un article de 2019 rédigé par Chidambaram et Josephson décrivant les bases des devis d'étude de recherche clinique.

["Jargon Buster" pour les termes de recherche](#)

Un document "Jargon Buster" qui décrit les définitions et les concepts clés de la recherche et des devis en santé. Instituts de recherche en santé du Canada.

[Introduction to Clinical Trials and Regulations Course](#)

Un cours développé par N2 et le réseau de formation Increasing Capacity for Maternal and Paediatric Clinical Trials (IMPACT). Le cours est gratuit, mais vous devez créer un compte pour y accéder.

Guidance Document

Titre 5 de la partie C du Règlement sur les aliments et drogues « Drogues destinées aux essais cliniques sur des sujets humains ».

Maintenant que vous avez exploré les bases du choix d'un devis d'étude approprié pour la recherche en santé infantile, il est temps d'appliquer vos connaissances. Dans cette activité, vous examinerez une étude axée sur la relation entre les **habitudes naturelles de sommeil et la mémoire**.

L'objectif de cette étude est d'examiner la relation entre les habitudes naturelles de sommeil et les performances de la mémoire chez des enfants âgés de 9 à 12 ans qui se développent normalement et qui n'ont pas d'antécédents de troubles du sommeil diagnostiqués ou de commotions cérébrales récentes.

Répondez à la question en utilisant ce que vous avez appris dans cette section.

Question 1 de 1 : Compte tenu de l'objectif de l'étude, s'agit-il d'un devis observationnel ou d'un devis interventionnel ?

- a) Devis observationnel
- b) Devis interventionnel

Retour d'information :

Bonne réponse : a

Cette étude est observationnelle parce qu'elle explore une relation naturelle entre les habitudes de sommeil et la performance de la mémoire sans introduire d'intervention ou de manipulation expérimentale. Les chercheurs se contentent d'observer les comportements existants au sein d'une population spécifique, dans le but d'identifier des associations plutôt que de déterminer la cause et l'effet.

Dans la section 02, vous continuerez à travailler sur cette étude de cas, en vous concentrant sur la population étudiée.

Dans cette section, vous avez appris les bases du choix d'un modèle d'étude pour la recherche en santé infantile. Vous avez d'abord défini et comparé les deux principaux types de devis d'étude clinique : observationnel et interventionnel. Vous avez ensuite appris l'importance des devis de recherche préclinique pour minimiser les risques encourus par les enfants. Vous avez également découvert les études d'amélioration de la qualité et de l'assurance qualité comme moyen d'améliorer l'expérience de recherche elle-même. Enfin, vous avez découvert le processus de choix d'un devis d'étude et les facteurs qu'une équipe de recherche doit prendre en compte au cours de ce processus afin de respecter les principes éthiques de la recherche.

PASSER À LA SECTION 02

Liens de page :

https://ethics.gc.ca/eng/tcps2-eptc2_2022_chapter11-chapitre11.html

<https://www.canada.ca/en/health-canada/services/drugs-health-products/drug-products/applications-submissions/guidance-documents/international-council-harmonisation/guidelines.html>

<https://www.canada.ca/en/health-canada/services/clinical-trials.html>

<https://www.sickkids.ca/en/news/archive/2022/single-patient-gene-therapy-clinical-trial-carves-path-precision-child-health/>

https://arecci.albertainnovates.ca/?_gl=1%2A1ek12x8%2A_ga%2AMTMyNTU5NzMyOC4xNzM2NjA1ODY4%2A_ga_G52HF03V5D%2AMTczNjYwNTg2OC4xLjEuMTczNjYwNTg5MS4wLjAuMA

<https://www.micyrn.ca/>

<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC7331444/>

https://cihr-irsc.gc.ca/e/documents/cihr_jargon_buster-en.pdf

<https://www.impactrials.ca/online-learning>

<https://www.canada.ca/en/health-canada/services/drugs-health-products/compliance-enforcement/good-clinical-practices/guidance-documents/guidance-drugs-clinical-trials-human-subjects-gui-0100.html>

SECTION 02 : CONSIDÉRATIONS RELATIVES DEVIS D'ÉTUDE D'UNE POPULATION

Dans cette section, vous découvrirez les choix liés au devis de l'étude qui influencent l'admissibilité à une recherche en santé de l'enfant, notamment les critères d'inclusion et d'exclusion, les seuils d'âge et la terminologie utilisée, ainsi que les considérations d'équité pertinentes.

Définir la population de l'étude

Une décision essentielle en matière de conception consiste à définir des critères permettant de déterminer qui peut participer à l'étude et qui ne le peut pas. Il s'agit des critères d' **inclusion** et d'**exclusion** de l'étude, qui sont définis avant le début de l'étude.

Continuez la lecture pour comparer les critères d'inclusion et d'exclusion.

Critères d'inclusion

Les critères d'inclusion de l'étude définissent les caractéristiques que doivent présenter les participants pour être éligibles à l'étude, ce qui garantit que la population étudiée correspond aux objectifs de la recherche. Ces critères peuvent inclure

- Tranche d'âge spécifique (par exemple, 6-12 ans).
- État de santé ou diagnostic requis (par exemple, asthme).
- Stade défini ou gravité de la maladie (par exemple, légère à modérée).

D'autres facteurs peuvent englober des caractéristiques démographiques, telles que

- Race et ethnicité.
- Admissibilité en fonction du sexe.
- Résidence géographique.
- Compétences linguistiques.
- La présence de marqueurs biologiques ou de traits génétiques spécifiques, le cas échéant.

Cependant, les caractéristiques démographiques ne doivent être incluses que lorsqu'il y a une raison claire de le faire ; sinon, la recherche risque de ne pas être inclusive.

Critères d'exclusion

Les critères d'exclusion définissent les caractéristiques que les participants ne peuvent pas avoir et qui les empêcheraient de participer à l'étude. Les critères d'exclusion doivent être soigneusement choisis pour garantir la sécurité, la fiabilité des données et l'intégrité de l'étude, tout en n'excluant pas inutilement des participants qui pourraient bénéficier de la recherche ou de ses résultats. Il peut s'agir de caractéristiques telles que

- La présence d'autres conditions médicales qui pourraient interférer avec l'objectif de l'étude.
- Utilisation actuelle de médicaments ou de thérapies qui pourraient avoir un impact sur les résultats de l'étude.
- Incapacité de mener à bien les tâches de l'étude.

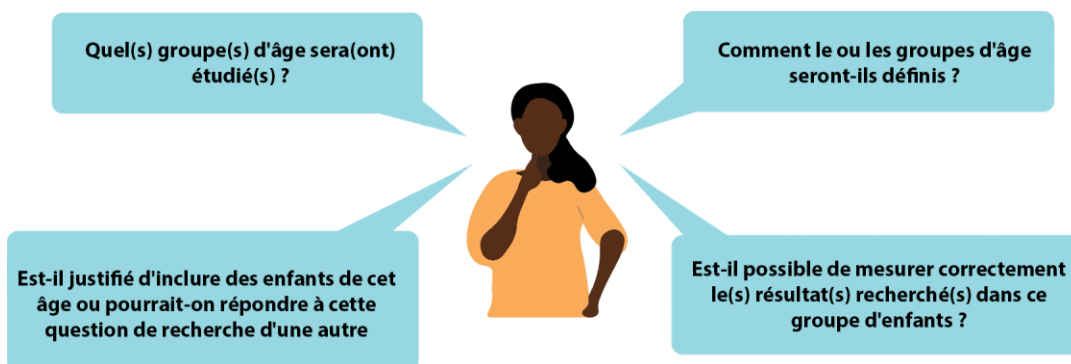
Les motifs d'exclusion doivent être clairs et justifiables.

Certains modèles d'étude peuvent comporter des critères très restrictifs. Par exemple, les essais cliniques comportent souvent une longue liste de critères d'inclusion et d'exclusion pour des raisons de sécurité et de réglementation. En revanche, les études d'observation sont généralement plus souples et permettent d'inclure un plus grand nombre d'enfants.

Dans tous les cas, les critères d'inclusion et d'exclusion doivent être adaptés pour garantir l'inclusion de participants capables de répondre à la question de recherche de l'étude et ne pas être inutilement restrictifs ou excluants.

Définition des âges dans la recherche sur la santé de l'enfant

Un aspect unique de la définition de la population dans la recherche sur la santé de l'enfant réside dans les décisions de devis nécessaires pour déterminer quel(s) groupe(s) d'âge sera(ont) éligible(s) pour l'étude et pour quelle(s) raison(s). Les enfants couvrent un large éventail d'âges et de stades de développement. Plusieurs questions doivent être prises en compte lors de la conception de l'étude :



Remarque : pour les études sur les médicaments, la tranche d'âge sélectionnée et les critères d'inclusion doivent également tenir compte de la biologie du développement et de la pharmacologie lors de la conception de l'étude.

Il est important de noter que les tranches d'âge et ce qui constitue les "nourrissons", les "enfants" et les "adolescents" peuvent varier selon les institutions, les organisations, les régions géographiques et les cultures. Les chercheurs doivent clairement communiquer et justifier la manière dont ils utilisent et appliquent les catégories d'âge pertinentes pour leur étude.

Consultez le tableau pour savoir comment la ligne directrice E11 du Conseil international d'harmonisation (CIH) définit les groupes d'âge par rapport à la terminologie pédiatrique du National Institute of Child Health and Human Development (NICHD).

| | |
|--|-------------------------------------|
| Ligne directrice ICH E11 (en anglais seulement) | NICHD Paediatric Terminology |
|--|-------------------------------------|

| | | | |
|-------------------------------|--|------------------------|---|
| Nouveau-nés prématurés | Nouveau-nés nés prématurément ; pas un groupe homogène | Prématurité néonatale | Période de la naissance au cours de laquelle un nouveau-né naît avant la fin de la période gestationnelle |
| Nourrissons à terme | 0 à 27 jours | Néonatale à terme | Naissance à 27 jours |
| Nourrissons et jeunes enfants | 28 jours à 23 mois | Enfance | 28 jours à 12 mois |
| | | Jeune enfant | 13 mois à 2 ans |
| Enfants | 2-11 ans | Petite enfance | 2 - 5 ans |
| | | Moyenne enfance | 6 - 11 ans |
| Adolescents | 12 à 16-18 ans (selon la région) | Début de l'adolescence | 12 à 18 ans |
| | | Fin de l'adolescence | 19 à 21 ans |

L'âge chronologique d'un enfant, basé sur sa date de naissance, n'est pas toujours le seul facteur pertinent dans la recherche sur la santé de l'enfant lors du choix du devis de l'étude. Pour les études impliquant des enfants souffrant de troubles du développement neurologique, la prise en compte de l'**âge mental** de l'enfant peut s'avérer tout aussi importante.

Continuez la lecture pour définir l'âge mental.

Âge mental

L'âge mental désigne le niveau de développement cognitif, émotionnel ou intellectuel atteint par un enfant par rapport aux capacités typiques attendues à un âge chronologique donné. Par exemple, un enfant de douze ans ayant des capacités cognitives comparables à celles d'un enfant de six ans aurait un âge mental de six ans.

L'âge mental est particulièrement important dans la conception d'études qui évaluent les résultats développementaux, cognitifs ou comportementaux, car il permet une stratification plus précise des participants que l'âge chronologique seul. Par exemple, une étude sur les interventions cognitives pourrait envisager de regrouper des enfants ayant un âge mental similaire (plutôt que leur âge chronologique) afin de garantir des mesures de base plus comparables et de réduire la variabilité au sein des groupes.

Pour les recherches portant sur la croissance et le développement des enfants nés prématurément, il peut être utile d'envisager l'utilisation de l'**âge corrigé** de l'enfant (plutôt que son âge gestationnel). Par exemple, si un bébé prématuré est né à 30 semaines de gestation et qu'il a six mois à sa date de naissance réelle, son âge corrigé serait de quatre mois, car il lui a manqué deux mois de croissance et

de développement dans l'utérus. L'âge corrigé permet de garantir que les recherches et les évaluations cliniques sont équitables et que les prématurés ne sont pas étiquetés à tort comme retardés simplement parce qu'ils sont nés tôt.

Concevoir des études inclusives et accessibles

Dans la recherche sur la santé de l'enfant, les critères d'inclusion et d'exclusion doivent être justes et équitables, afin d'éviter l'exclusion de participants pertinents pour la recherche. Travailler avec les membres de la population étudiée et/ou leurs communautés à un stade précoce de la conception de la recherche peut aider à garantir que des décisions appropriées et inclusives sont prises.

Au-delà des critères formels d'inclusion et d'exclusion, il existe d'autres aspects du devis de l'étude qui peuvent avoir un impact considérable sur les personnes pouvant participer aux études qui requièrent la participation active des enfants et de leur(s) décideur(s).

Continuez la lecture pour découvrir certains aspects du devis d'une étude qui peuvent avoir une incidence sur la participation.

Aspect 1 : Difficultés de programmation

Le calendrier, la fréquence et la durée des visites d'étude peuvent ne pas correspondre à l'emploi du temps d'une famille, y compris l'école, les activités parascolaires, le travail du ou des décideurs et d'autres obligations de soins.

Aspect 2 : Problèmes d'accessibilité

La logistique spécifique des transports et du stationnement, la mobilité et les capacités cognitives de l'enfant, ainsi que l'accessibilité du site de l'étude peuvent avoir un impact sur la participation à l'étude.

Aspect 3 : Obstacles à la communication

Les barrières linguistiques, le statut d'immigrant et les autres responsabilités du/des décideur(s) peuvent créer des obstacles à la participation si la conception de l'étude ne tient pas compte de ces facteurs et ne prévoit rien pour les atténuer.

Lorsque des études sont conçues pour les enfants, des mesures peuvent être prises pour s'assurer qu'elles sont inclusives et réalisables pour les familles.

Terminez l'activité de tri en associant les solutions potentielles aux obstacles à la participation.

Options : Difficultés de programmation, Problèmes d'accessibilité, Obstacles à la communication

1. Espaces adaptés aux enfants
2. Ajout de l'étude aux rendez-vous médicaux
3. Personnel bien formé
4. Aides à la mobilité
5. Personnel bilingue
6. Sites d'étude accessibles
7. Visites à distance ou virtuelles

Retour d'information :**Bonnes réponse :**

1. Problèmes d'accessibilité
2. Difficultés de programmation
3. Obstacles à la communication
4. Problèmes d'accessibilité
5. Obstacles à la communication
6. Problèmes d'accessibilité
7. Difficultés de programmation

Taille des échantillons dans les études sur la santé de l'enfant

La taille de l'échantillon correspond au nombre d'enfants inclus dans une étude. Dans la recherche sur la santé de l'enfant, le choix d'une taille d'échantillon appropriée est crucial pour s'assurer que l'étude répond à ses questions avec précision tout en minimisant les efforts inutiles ou les préjudices causés aux participants.

Si le nombre choisi est trop faible, les résultats risquent de ne pas pouvoir révéler les différences ou les effets réels, faute de données suffisantes.

Si la taille de l'échantillon est trop importante, les ressources limitées de la recherche risquent d'être gaspillées et plus d'enfants que nécessaire pourraient être impliqués, ce qui soulève des questions éthiques.

Par rapport à la recherche sur les adultes, le nombre de participants éligibles à la recherche sur la santé de l'enfant est beaucoup plus restreint. Les enfants ne représentent que 20 à 25 % de la population mondiale, et ce pourcentage diminue encore avec l'application des critères d'inclusion et d'exclusion de l'étude. Par exemple, si une étude vise à tester un traitement contre le cancer, la rareté des cancers infantiles limite encore le nombre de participants éligibles.

Pour éviter de surcharger les patients de demandes de recherche ou de procédures, pour certaines maladies pédiatriques, les familles et les cliniciens doivent examiner attentivement quelles études conviennent le mieux à l'enfant s'il existe plusieurs options. En outre, les CÉR peuvent évaluer s'il convient d'autoriser la réalisation simultanée, dans un même établissement, de plusieurs études portant sur la même population pédiatrique, car cela risque de surcharger les patients.

La détermination d'une taille d'échantillon appropriée, ou du nombre adéquat de participants, nécessite généralement l'aide d'un biostatisticien et est calculée à l'aide de techniques et de logiciels statistiques. La conception de l'étude peut également influencer les exigences en matière de taille de l'échantillon ; par exemple, les études à mesures répétées peuvent réduire le nombre de participants nécessaires.

Continuez la lecture pour en savoir plus sur les études à mesures répétées.

Étude à mesures répétées

Une étude à mesures répétées est un type de recherche où le même groupe de participants est mesuré plusieurs fois dans des conditions différentes ou à des moments différents. Cette approche permet de suivre l'évolution de chaque enfant au fil du temps (au lieu de comparer différents groupes). Un modèle à mesures répétées peut être soit observationnel, soit expérimental, en fonction de la manière dont l'étude est menée. Par exemple, le suivi de la tension artérielle des patients au départ, après 4 semaines et après 8 semaines de traitement.

D'autres moyens de maximiser le nombre de participants consistent à concevoir des études multi-sites, par exemple en recrutant dans plusieurs bureaux cliniques au lieu d'un seul, en évitant les critères d'inclusion et d'exclusion trop restrictifs et en concevant l'étude de manière à ce qu'elle soit accessible au plus grand nombre de patients possible.

Dans les études à long terme sur la santé des enfants, il est important de tenir compte des patients pédiatriques qui passent d'une catégorie d'âge à l'autre pour planifier la taille de l'échantillon. Le devis de l'étude et les plans statistiques doivent tenir compte de l'évolution du nombre de participants dans chaque groupe d'âge au fil du temps. Étant donné que tous les enfants n'iront pas jusqu'au bout d'une étude de longue durée, les chercheurs prévoient souvent un surnombre de 10 à 15 % au début de l'étude pour compenser les abandons potentiels.

Rappelons l'étude sur le sommeil et la mémoire présentée à la section 01. Dans cette activité, vous revisiterez l'étude en vous concentrant sur la façon dont la population étudiée est définie.

Explorez le tableau et évaluez la pertinence et l'équité des critères d'inclusion et d'exclusion.

En examinant les critères, demandez-vous s'ils ne risquent pas de limiter involontairement la participation de certaines populations ou de soulever des problèmes éthiques potentiels en matière d'équité et d'accessibilité. Plus précisément, réfléchissez à l'exclusion de :

- Enfants atteints de troubles du développement neurologique.
- Les enfants qui prennent des médicaments ou des compléments alimentaires qui affectent le sommeil.
- Les enfants ou leur(s) décideur(s) qui ne parlent pas couramment l'anglais.

| Critères d'inclusion | Critères d'exclusion |
|--|--|
| Entre 9 et 12 ans | Enfants présentant un diagnostic de troubles du développement neurologique (par exemple, trouble du déficit de l'attention/hyperactivité [TDAH]) |
| Pas d'antécédents de troubles du sommeil diagnostiqués (par exemple, apnée du sommeil) | Prise de médicaments ou de compléments alimentaires susceptibles d'avoir un impact sur le sommeil |
| Parler couramment l'anglais (décideur(s) et enfant) | Antécédents de traumatisme crânien ou de commotion cérébrale au cours de l'année écoulée |

Répondez à la question en utilisant votre connaissance des critères d'inclusion et d'exclusion.

Question 1 sur 1 : Comment ces critères peuvent-ils affecter la diversité du groupe de participants et, par conséquent, la généralisation des résultats de l'étude ? Un nombre suffisant de participants pourrait-il répondre à ces critères pour que l'étude puisse être menée à bien de manière réaliste ? Existe-t-il des mesures qui pourraient être prises pour s'assurer que la conception de l'étude est inclusive sans compromettre ses objectifs scientifiques ?

Retour d'information :

L'exclusion des enfants et de leur(s) décideur(s) sur la base de leur maîtrise de l'anglais affecterait la diversité du groupe de participants puisqu'elle exclurait une grande partie de la société canadienne, comme les personnes dont la langue maternelle est le français, l'inuktitut ou toute autre langue.

Rappelons que "l'objectif de cette étude est d'examiner la relation entre les habitudes naturelles de sommeil et les performances de mémoire chez des enfants au développement typique âgés de 9 à 12 ans qui n'ont pas d'antécédents de troubles du sommeil diagnostiqués ou de commotions cérébrales récentes" La recherche porte sur des enfants neurotypiques et, pour répondre à la question de recherche, les enfants ayant reçu un diagnostic de TDAH ou d'un autre trouble du développement neurologique doivent être exclus de cette recherche. L'inclusion d'enfants souffrant de troubles du développement neurologique ou de commotions cérébrales récentes pourrait ne pas leur être bénéfique. Dans une grande cohorte d'enfants, les données relatives aux enfants souffrant de troubles du développement neurologique ou de commotions cérébrales récentes seraient probablement éclipsées par le reste des données et il serait très difficile de tirer des conclusions pour ces populations spécifiques.

Cependant, la recherche sur cette population d'enfants est tout aussi importante que sur les autres populations d'enfants et les recherches futures pourraient mener la même étude sur les enfants souffrant de troubles du développement neurologique ou de commotions cérébrales afin de les comparer aux enfants ne présentant pas ces critères.

Dans la section 03, vous continuerez à travailler sur cette étude en explorant les concepts clés liés aux procédures d'étude dans la recherche sur la santé des enfants, y compris la façon dont les interventions sont introduites et testées, ainsi que d'importantes considérations pratiques et éthiques.

Dans cette section, vous avez appris l'importance de définir des critères d'inclusion et d'exclusion lors du choix d'un devis de recherche sur la santé de l'enfant. Vous avez comparé la manière dont différentes organisations classent les âges dans la recherche et vous avez également examiné l'impact de l'âge mental sur les résultats. Pour créer des études inclusives et accessibles, vous avez appris à travailler avec le(s) décideur(s) dès les premières étapes du choix d'un devis de recherche afin d'assurer une participation maximale. Enfin, vous avez appris à sélectionner un échantillon de taille appropriée pour répondre avec précision à votre question de recherche tout en minimisant les dommages causés aux participants.

PASSER À LA SECTION 03

SECTION 03 : PROCÉDURES D'ÉTUDE ET INTERVENTIONS

Dans cette section, vous serez initié aux concepts clés et aux considérations relatives aux procédures d'étude dans la recherche sur la santé de l'enfant. Vous en apprendrez également davantage sur les façons dont les interventions ou les traitements peuvent être étudiés dans le cadre d'essais cliniques, ainsi que sur les implications pratiques et éthiques qui en découlent.

Procédures d'étude à travers les plans d'étude

Concevoir des études pour des populations pédiatriques nécessite de prendre en compte à la fois l'enfant et son/ses décideur(s). Les plans d'étude et les procédures requises doivent être acceptables et pratiques pour encourager la participation tout en respectant les préférences des patients et en adhérant aux lignes directrices locales des CÉR. Par exemple, le comité d'éthique peut limiter le volume et la fréquence des prises de sang, en particulier lorsqu'elles sont effectuées uniquement à des fins de recherche.

La flexibilité dans la conception de l'étude en termes de procédures requises peut être essentielle pour éviter l'exclusion inutile d'enfants. Par exemple, si un enfant refuse une prise de sang pour un élément facultatif d'une étude, sa décision doit être respectée et le protocole de l'étude doit lui permettre de continuer à participer à d'autres aspects de l'étude.

Certains modèles d'étude ne requièrent que peu ou pas de participation active ou de procédures supplémentaires, au-delà du consentement éclairé.

Continuez la lecture pour en savoir plus sur certains modèles d'étude courants.

Études de cas

Les études de cas sont généralement basées sur les dossiers médicaux des patients et ne nécessitent aucun apport supplémentaire.

Études d'observation rétrospectives

Les études d'observation rétrospectives analysent les données ou les dossiers existants, en minimisant l'implication des participants.

Études d'observation prospectives

Les études observationnelles prospectives impliquent l'identification des participants et la collecte active de données au fil du temps. Ces études portent souvent sur le développement de pathologies, les effets de l'exposition (par exemple, le mode de vie ou les facteurs environnementaux), la progression de la maladie ou les résultats à long terme. Par exemple, les chercheurs peuvent recruter des enfants exposés au tabagisme passif et les suivre pendant dix ans pour étudier les affections respiratoires. Les études prospectives utilisent souvent des méthodes standardisées telles que les enquêtes ou les entretiens, ainsi que des étapes et des procédures pratiques telles que la mise à jour des coordonnées des participants et l'envoi de rappels pour compléter les procédures de l'étude.

Essais cliniques

Comme vous l'avez appris plus tôt dans la section 01, les essais cliniques exigent une participation active et un engagement important de la part des enfants et de leurs familles. Ils peuvent être intensifs en raison des nombreuses procédures, des mesures des résultats et des visites d'étude qu'ils impliquent. Avant le début d'un essai, le protocole de l'étude doit décrire en détail le devis, les procédures, le calendrier, le personnel responsable et le nombre de visites. Ces détails doivent être clairement communiqués aux enfants et à leurs familles au cours du processus de consentement éclairé afin de garantir la compréhension et la prise de décision en connaissance de cause.

Continuez la lecture pour accéder à une liste de contrôle des éléments à inclure dans les protocoles d'essais cliniques.

[Lignes directrices SPIRIT \(SPIRIT Reporting Guidelines\) pour la rédaction des protocoles d'essais cliniques d'intervention](#)

Interventions et comparateurs dans les essais cliniques pédiatriques

Les essais cliniques constituent le fondement de la médecine factuelle. La conception d'essais cliniques pédiatriques nécessite une attention particulière à l'**intervention de** l'essai (par exemple, ce qui est testé) et au **comparateur** (par exemple, ce contre quoi l'essai est testé).

Dans les études sur la santé des enfants, les **interventions de l'essai** impliquent souvent des dispositifs médicaux ou des médicaments. Les essais de dispositifs pédiatriques testent des dispositifs médicaux destinés aux enfants, tels que des moniteurs de glycémie ou des aides à la mobilité. Les essais de médicaments peuvent évaluer la sécurité et l'efficacité de nouveaux traitements, ou évaluer des médicaments existants en y apportant des modifications, telles que des doses différentes, des voies d'administration (par exemple, par voie orale ou intraveineuse) ou de nouveaux groupes d'âge (par exemple, tester chez des enfants âgés de deux à cinq ans un médicament déjà approuvé pour des enfants de six ans et plus).

Pour favoriser la réussite de l'administration des interventions, les protocoles d'essai doivent intégrer des stratégies adaptées aux besoins des enfants, telles que des techniques de distraction ou des outils audiovisuels. Les essais de médicaments et de dispositifs pédiatriques doivent également tenir compte des besoins anatomiques, physiologiques et développementaux uniques des enfants, qui diffèrent considérablement de ceux des adultes.

Continuez la lecture pour découvrir quelques exemples de la manière dont les essais pédiatriques adaptent les dispositifs et les interventions médicamenteuses pour répondre à ces besoins uniques.

Dispositifs

Lors de l'évaluation de l'utilisation de dispositifs médicaux dans le cadre d'essais pédiatriques, plusieurs facteurs doivent être pris en compte :

- Capacité à résister à la croissance et aux changements de développement (par exemple, un dispositif destiné à un enfant de deux ans peut ne pas être adapté ou fonctionner de la même manière que pour un enfant de cinq ans).
- Nécessité d'être plus petit et moins invasif que les dispositifs pour adultes.
- Capacité à résister à l'usure.

- Capacité des enfants et/ou de leur(s) décideur(s) à utiliser le dispositif facilement et en toute sécurité.
- Nécessité d'améliorer les dispositifs de sécurité afin de réduire les risques pour les jeunes utilisateurs.

Médicaments pédiatriques

Lors de l'évaluation de l'utilisation de médicaments dans le cadre d'essais pédiatriques, plusieurs facteurs doivent être pris en compte :

- Les doses doivent être soigneusement sélectionnées sur la base des meilleures informations disponibles, car les enfants, en particulier les nouveau-nés, métabolisent les médicaments différemment en raison de l'immaturation de leurs systèmes organiques (par exemple, le foie et les reins).
- Nécessité de formulations accessibles et adaptées à l'âge (par exemple, liquides ou comprimés à croquer), étant donné que de nombreux enfants de moins de sept ans ne peuvent pas avaler de pilules.
- Exigence d'un goût acceptable et palatable pour les enfants en cas d'ingestion orale.
- Flexibilité du protocole d'essai pour tenir compte des différentes doses et voies d'administration, lorsque cela est approprié et pertinent (par exemple, permettre d'écraser les pilules dans de la compote de pommes pour les enfants qui ont des difficultés à avaler).
- Préférence pour une fréquence d'administration minimale et un impact minimal sur le mode de vie (par exemple, une fois par jour serait probablement préférable à quatre fois par jour, ce qui pourrait nécessiter la prise de médicaments à l'école ou à la garderie).

Continuez la lecture pour accéder à un modèle de liste de contrôle et de guide qui peut vous aider à planifier et à rapporter les interventions de l'étude.

[Le modèle de description et de réplique des interventions \(TIDieR\)](#)

Choix du comparateur et utilisation de placebos dans les essais cliniques

Dans les essais cliniques, le choix du **comparateur**, ou groupe "témoin", c'est-à-dire ce contre quoi l'intervention va être testée, constitue une décision clé en matière de devis. La plupart des essais comportent un groupe de contrôle, mais il peut y en avoir plusieurs ou aucun.

Les groupes de contrôle doivent être choisis avec soin pour garantir leur validité scientifique tout en respectant les normes éthiques les plus strictes. Dans les essais cliniques, les chercheurs doivent justifier leur choix. Le devis des essais cliniques est centré sur le concept d'équilibre clinique.

Continuez la lecture pour définir l'équilibre clinique.

Équilibre clinique

L'équilibre clinique signifie qu'il existe une véritable incertitude de la part de la communauté d'experts concernés quant aux interventions les plus efficaces pour une pathologie donnée, de sorte qu'un essai est à la fois nécessaire et justifiable sur le plan^{éthique}⁵

Le choix du comparateur doit tenir compte des données actuelles, de la norme de soins actuelle (par exemple, le traitement habituel) et, si un placebo doit être utilisé comme comparateur, des risques éventuels de retarder le traitement actif.

Continuez la lecture pour définir ce qu'est un placebo.

Placebo

Un placebo est une thérapie inactive (telle qu'un médicament ou un dispositif) qui ressemble au traitement actif testé, mais qui n'a pas d'effet thérapeutique. Il s'agit généralement d'un comprimé ou d'une gélule sans ingrédient actif (par exemple, une pilule de sucre) ou d'un "traitement fictif" conçu pour imiter une procédure médicale (par exemple, une injection qui ne contient pas de médicament actif).

Les placebos peuvent être utilisés sur le site lorsqu'il n'existe pas de traitement standard ou lorsqu'il serait éthique de ne pas administrer de traitement, par exemple dans le cas d'affections légères ou spontanément résolutive. Les placebos peuvent être nécessaires pour démontrer l'efficacité réelle d'une intervention, en particulier dans les cas d'amélioration spontanée (c'est-à-dire lorsque les symptômes disparaissent avec le temps sans traitement).

Il est compréhensible que certaines personnes ne souhaitent pas participer à une étude s'il existe un bras placebo dans lequel elles n'ont aucune chance de recevoir un traitement actif ; cependant, il est important de noter que les participants ne doivent pas être privés de soins pour pouvoir participer à la recherche.

La chronologie présente quelques exemples d'utilisation éthique de placebos dans le cadre d'essais cliniques.

S'il existe un traitement standard, les essais cliniques peuvent comparer deux groupes : l'un recevant le traitement standard combiné à l'intervention de l'essai, et l'autre recevant le traitement standard seul. Cette approche garantit que tous les participants reçoivent un traitement dans le cadre de l'essai. Par exemple, les enfants participant à un essai sur le cancer peuvent recevoir une chimiothérapie standard en même temps qu'un nouveau traitement à l'étude, de sorte que tous reçoivent au moins le traitement standard habituel.

Une autre approche consiste à comparer une intervention de l'essai à un placebo. Cette approche peut être plus difficile à justifier d'un point de vue éthique, mais avec un devis d'essai approprié, il est possible d'en tenir compte ; par exemple, certains participants pourraient recevoir l'intervention avec retard, mais tous les participants finiraient par la recevoir.

Lorsqu'une étude implique l'utilisation de placebos, les participants doivent toujours en être informés. Ceci est particulièrement important pour les enfants, car les retards de traitement peuvent avoir un impact sur la croissance et le développement, ainsi que sur leur état de santé à long terme.

Selon la **Déclaration d'Helsinki**, les avantages, les risques, les inconvénients et l'efficacité d'une nouvelle intervention doivent être comparés à ceux de la ou des interventions les mieux éprouvées ; il existe toutefois des exceptions à cette règle.⁶

Continuez la lecture pour en savoir plus sur les exceptions à la Déclaration d'Helsinki.

Exceptions à la déclaration d'Helsinki

Les circonstances dans lesquelles la déclaration d'Helsinki est exemptée sont les suivantes :

- S'il n'existe pas d'intervention éprouvée, l'utilisation d'un placebo ou l'absence d'intervention sont acceptables.
- Si, pour des raisons méthodologiques impérieuses et scientifiquement fondées, l'utilisation d'une intervention autre que celle(s) ayant fait ses preuves est choisie, l'utilisation d'un placebo ou l'absence d'intervention est nécessaire pour déterminer l'efficacité ou la sécurité d'une intervention.
- Les participants qui reçoivent une intervention autre que celle(s) ayant fait ses preuves, un placebo ou aucune intervention, ne seront pas soumis à des risques supplémentaires de dommages graves ou irréversibles du fait qu'ils n'ont pas reçu l'intervention ayant fait ses preuves.

Il convient d'être extrêmement prudent pour éviter d'abuser de ces options.

Répondez aux questions en utilisant vos connaissances sur l'éthique des placebos.

Question 1 sur 2 : Est-il approprié d'étudier une nouvelle thérapie médicamenteuse pour l'épilepsie résistante au traitement contre un placebo chez les enfants âgés de 2 à 12 ans ?

- a) Oui
- b) Non

Retour d'information :

Bonne réponse : b

Comme il s'agit d'une épilepsie résistante au traitement, il n'existe actuellement aucun traitement efficace pour la maladie étudiée, de sorte qu'un placebo peut être justifié . Cela serait spécifique à l'étude et aux participants.

Question 2 sur 2 : Le fait de retarder l'essai d'un traitement contre le rhume des foins par rapport à un placebo est-il approprié chez les enfants ?

- a) Oui
- b) Non

Retour d'information :

Bonne réponse : a

Retarder le traitement du rhume des foins peut entraîner une gêne, mais ne présente qu'un danger minime pour les enfants. Après la période d'étude en aveugle, tous les enfants recevront un traitement actif.

L'utilisation de placebos chez les nouveau-nés, les nourrissons et les jeunes enfants doit faire l'objet d'une attention particulière, notamment lorsque l'intervention implique des injections. Les injections provoquent de la douleur et les chercheurs doivent en tenir compte lorsqu'ils choisissent un devis d'étude avec des injections de placebos (c'est-à-dire l'injection d'une substance inactive) dans le groupe de contrôle. Soumettre des nourrissons à une douleur inutile est **inacceptable** d'un point de vue éthique.⁷ Lorsque des injections de placebo sont nécessaires, des stratégies d'atténuation de la douleur telles que des analgésiques topiques (par exemple, des crèmes anesthésiantes pour la peau) doivent être mises en œuvre.

Continuez la lecture pour explorer trois alternatives permettant de minimiser ou d'éviter l'utilisation de placebos douloureux dans la recherche néonatale, tout en préservant l'intégrité de l'étude.

Alternative 1 : Injections "fictives"

Les **injections "fictives"** peuvent servir d'approche alternative au placebo. Par exemple, une infirmière de l'essai peut brièvement mettre le nourrisson hors de vue, appliquer un pansement à l'endroit où se serait trouvée l'injection et ramener l'enfant pour maintenir l'apparence d'une injection. Cette méthode peut contribuer à minimiser le biais de mesure pour l'équipe chargée de l'essai et le(s) décideur(s), tout en évitant une douleur inutile au nourrisson.

Alternative 2 : Choix du devis

Les risques associés à l'utilisation de placebos peuvent être minimisés par des choix de devis. Par exemple, dans les cas où le fait de retarder le traitement n'est pas préjudiciable, un essai peut utiliser un groupe témoin "liste d'attente". Dans ce cas, tous les participants finissent par recevoir l'intervention active, mais un groupe commence par recevoir un placebo pendant une période déterminée avant de passer au traitement actif.

Alternative 3 : Devis adaptatif des essais

Les devis adaptatifs peuvent contribuer à réduire l'utilisation des placebos. Ce type de devis permet de procéder à des ajustements en cours de route, par exemple en répartissant aléatoirement un plus grand nombre de participants dans les groupes de traitement, ce qui donne des résultats prometteurs sur la base des premières données. Cette approche permet de limiter l'exposition à un placebo tout en recueillant des preuves solides.

Si vous le souhaitez, vous pouvez consulter la liste des ressources disponibles pour approfondir vos recherches sur l'éthique des essais avec placebo.

[Cours sur le devis d'essais cliniques](#)

[L'éthique des essais contrôlés par placebo : Justifications méthodologiques](#)

[Le moment d'arrêter les injections de placebo dans les projets de recherche néonatale](#)

[Cadre non statique pour comprendre les devis adaptatifs : Une justification éthique dans les essais pédiatriques](#)

Rappelez-vous l'étude sur le sommeil et la mémoire que vous avez appliquée tout au long des sections 01 et 02. Vous avez précédemment identifié cette étude comme observationnelle, mais comme vous venez de l'apprendre, il existe différents types de devis d'observation, chacun ayant ses propres procédures en fonction de l'objectif de l'étude.

Répondez aux questions en utilisant ce que vous avez appris dans cette section.

Question 1 sur 1 : Pour l'étude sur le sommeil et la mémoire sur laquelle vous travaillez, quel type de devis d'étude observationnel décrit le mieux l'approche prévue pour la collecte des données ?

- a) Étude de cas
- b) Devis rétrospectif
- c) Devis prospectif

Retour d'information :

Bonne réponse : c

Il s'agit d'une étude prospective car elle implique la collecte de nouvelles données. Contrairement aux études rétrospectives, qui analysent des données existantes, cette étude observe les participants en temps réel. Il ne s'agit pas non plus d'une étude de cas, car elle se concentre sur un groupe plus large plutôt que sur un cas individuel.

Dans la section 04, vous reviendrez une dernière fois sur l'étude du sommeil et de la mémoire, en vous concentrant cette fois sur la définition et la mesure des résultats de l'étude.

À la fin de la section suivante, vous rassemblez tous les éléments pour achever votre devis d'étude, en appliquant tout ce que vous avez appris tout au long du module pour créer une étude sur la santé de l'enfant bien équilibrée.

Dans cette section, vous avez exploré la manière dont le choix d'un devis d'étude pour la population pédiatrique nécessite une attention particulière. Vous avez appris ce que sont les interventions et les comparateurs, et l'importance d'adapter le devis de l'étude pour tenir compte des différences d'âge et de développement entre les groupes. Il est essentiel de fournir des supports adaptés aux enfants pour garantir une sécurité et une efficacité maximales. Lors de la sélection d'un comparateur, les critères des essais pédiatriques doivent être significatifs, éthiques et alignés sur les normes actuelles et les meilleures pratiques, en particulier lorsque l'on envisage l'utilisation d'injections de placebo chez les nouveau-nés.

PASSER À LA SECTION 04

Liens de page :

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40294521/>

<https://www.bmj.com/content/348/bmj.g1687>

<https://www.impactrials.ca/online-learning>

<https://doi.org/10.1016/j.cct.2013.09.003>

<https://neonatalresearch.org/2022/10/27/time-to-stop-placebo-injections-in-neonatal-research-projects/>

<https://doi.org/10.1136/medethics-2021-107263>

SECTION 04 : SÉLECTION ET MESURE DES RÉSULTATS DE L'ÉTUDE

Dans cette section, vous apprendrez d'abord comment les résultats de l'étude sont classés. Vous explorerez ensuite la manière dont les résultats des études sur les enfants peuvent être sélectionnés, y compris le choix d'un ensemble de résultats de base. Ensuite, vous apprendrez comment les résultats de l'étude sont mesurés et quelles sont les considérations pratiques et éthiques à prendre en compte lors de la prise de décisions concernant les mesures au cours du choix du devis de l'étude. Enfin, vous serez initié à l'importance de communiquer les résultats de l'étude aux participants et à leurs familles.

Résultats de l'étude dans la recherche sur la santé de l'enfant

Les résultats sont ce qui est mesuré dans une étude sur la santé de l'enfant. Dans les essais cliniques, ils sont parfois appelés "critères d'évaluation". Les résultats mesurés sont ceux qui vont répondre à la question de recherche en fournissant les données nécessaires. De nombreux types de résultats peuvent être mesurés.

Voici quelques exemples de résultats d'études :

- L'efficacité du traitement (par exemple, l'amélioration des symptômes, comme la réduction de la douleur ou de la fièvre).
- Croissance et développement (par exemple, prise de poids et franchissement des étapes du développement).
- Capacités fonctionnelles (par exemple, capacité à aller à l'école).

Les résultats peuvent être classés comme **simples** ou **composites**.

Continuez la lecture pour en savoir plus sur chaque type de résultat.

Résultat unique

Un résultat unique mesure un résultat spécifique, tel que le décès. Cette approche est claire et facile à interpréter car elle évite toute confusion sur ce qui est mesuré.

Résultat composite

Un résultat composite combine plusieurs résultats, comme le nombre de participants décédés ou ayant subi un accident vasculaire cérébral non fatal. Si cette approche permet d'améliorer l'efficacité statistique en augmentant le nombre d'événements, elle n'est pas sans poser de problèmes. Les résultats combinés doivent évoluer dans la même direction (par exemple, les deux s'améliorent ou se détériorent ensemble), et les différences d'importance clinique ou les réponses inattendues peuvent rendre les résultats plus difficiles à interpréter.

Différents types de résultats peuvent être recueillis et il existe diverses méthodes pour recueillir et protéger les données des participants. Il est important de décider de la meilleure façon de recueillir les données sur les résultats et de prévoir les étapes nécessaires pour protéger les données des participants pendant la phase de conception de l'étude.

Note : Reportez-vous au module *Données de recherche* pour en savoir plus sur la manière de recueillir et de protéger les données des participants.

Sélection des résultats de l'étude

Le choix des éléments à mesurer dans une recherche sur la santé de l'enfant est une décision clé de l'étude. Les résultats sélectionnés devraient :

- Répondre directement à la question de recherche de l'étude.
- Être utile et significatif pour les personnes concernées par l'étude et ses résultats (par exemple, les enfants, leur(s) décideur(s), les professionnels de la santé et les décideurs politiques).
- Pouvoir être mesurés de manière sûre, précise et pratique chez les enfants.

Le choix des éléments à mesurer dans le cadre de l'étude peut conduire à d'autres décisions importantes en matière de devis.

Continuez la lecture pour savoir ce qu'il faut prendre en compte lors du choix d'une mesure des résultats de l'étude.

Fréquence

Réfléchissez à la **fréquence à laquelle** le résultat peut et doit être mesuré.

Rôles

Réfléchir à la **personne qui** effectuera la mesure et la collecte des données correspondantes (par exemple, une infirmière est-elle nécessaire ou un décideur peut-il le faire ?)

Lieu

Réfléchissez à l'**endroit où** le résultat peut être mesuré (par exemple, est-il possible de le mesurer à la maison ou nécessite-t-il une visite à l'hôpital ?)

Lorsqu'elles étudient le même état de santé, de nombreuses études sur la santé des enfants peuvent mesurer et rapporter des résultats différents. C'est un problème car il est difficile de comparer ou de combiner les résultats d'études sur la santé de l'enfant menées par des personnes différentes dans des lieux différents. Un **ensemble de résultats de base** peut s'avérer utile pour garantir que les résultats d'une étude sur la santé des enfants sont à la fois significatifs et pratiques, et que les résultats d'une étude peuvent être combinés ou comparés avec d'autres études similaires portant sur des enfants.

Continuez la lecture pour définir un ensemble de résultats fondamentaux.

Ensemble de résultats fondamentaux

Un ensemble de résultats fondamentaux est un ensemble minimum de résultats qui devraient être mesurés et rapportés dans tous les essais cliniques ou autres types d'études entreprises pour un état de santé spécifique.

Regardez [la vidéo](#) pour en savoir plus sur les ensembles de résultats fondamentaux.

Pendant que vous regardez, notez comment les ensembles de résultats fondamentaux sont élaborés en collaboration avec les patients, les chercheurs et les professionnels de la santé.

Transcription de l'enregistrement audio:

Bonjour, je m'appelle Laura. En tant que patiente souffrant d'asthme, je m'intéresse à la recherche dans le domaine de la santé. Je pense que la recherche est le meilleur moyen d'améliorer les traitements et d'en développer de nouveaux. C'est pourquoi je souhaite aider les chercheurs à concevoir des études qui améliorent la vie des gens. Les chercheurs développent et testent des traitements pour s'assurer de leur efficacité et de leur innocuité. Pour ce faire, ils examinent les effets des traitements sur les patients en mesurant les résultats. Par exemple, l'année dernière, j'ai participé à l'étude du Dr Smith qui a testé un nouveau traitement contre l'asthme. Le Dr Smith a mesuré la fréquence à laquelle j'utilisais mon inhalateur de secours avant et après avoir pris le nouveau traitement.

Mais il y a un problème, car les mêmes résultats ne sont pas toujours mesurés pour le même état de santé, et différents chercheurs à travers le monde mesurent souvent des résultats différents. Ainsi, par exemple, le Dr Lopez, en Espagne, pourrait s'intéresser au nombre de fois où les patients doivent être hospitalisés en raison de leur asthme, tandis que le Dr Bedi, en Inde, pourrait décider de mesurer la respiration sifflante nocturne. Lorsque ces études sur le traitement de l'asthme sont terminées, elles ne peuvent pas être comparées ou combinées, car elles ont utilisé des résultats différents. Il est alors difficile de savoir quel est le meilleur traitement. C'est un peu comme essayer de comparer des pommes avec des bananes. Ce problème ne concerne pas seulement l'asthme, mais de nombreuses maladies différentes qui affectent les patients dans le monde entier.

Alors, comment résoudre ce problème ? C'est très simple. Si toutes les études portant sur un état de santé particulier mesurent le même ensemble de résultats, il est facile de les comparer et de les combiner. Une fois approuvé, cet ensemble de résultats est appelé "ensemble de résultats fondamentaux". Mais pour décider quels résultats sont fondamentaux, il faut des discussions et l'apport des bonnes personnes. Les résultats fondamentaux doivent être pertinents pour les patients, comme moi, les professionnels de la santé et les chercheurs, afin que nous puissions concevoir des études plus pertinentes pour les patients. Les personnes qui travaillent sur les résultats fondamentaux doivent s'assurer que les patients et les professionnels de la santé ont leur mot à dire. Pour ce faire, ils utilisent souvent des "méthodes de consensus". Les méthodes de consensus comprennent des enquêtes, des réunions et des discussions au cours desquelles les opinions de chacun peuvent être entendues et prises en compte.

Lorsqu'un ensemble de résultats de base a été convenu, on espère que les chercheurs l'utiliseront dans toutes les études portant sur ce problème de santé. Les résultats pouvant être comparés et combinés, nous serons en mesure d'en apprendre davantage sur l'affection en question. À long terme, cela signifie que les traitements efficaces seront mis à la disposition des patients plus rapidement.

Fin de la transcription de l'enregistrement audio.



Le site web de l'initiative COMET (Core Outcome Measures in Effectiveness Trials) est un référentiel public, gratuit et consultable d'ensembles de résultats de fondamentaux. Il est tenu à jour par des mises à jour régulières des revues systématiques, des alertes de citations et des notifications de la part des développeurs des ensembles de résultats fondamentaux. Il existe de nombreux ensembles de résultats pédiatriques fondamentaux, et d'autres sont en cours de développement.

Pour votre intérêt, continuez la lecture pour rechercher des ensembles de résultats fondamentaux à l'aide de l'outil de recherche avancée de COMET.

[COMET Initiative - Recherche avancée](#)

Mesurer les résultats de l'étude

Une fois les résultats de l'étude choisis, la décision relative au devis de l'étude consiste à choisir la manière dont les résultats doivent être mesurés. Les mesures peuvent être obtenues de différentes manières, par exemple :

- Échelles d'évaluation clinique.
- Questionnaires.
- Tests de laboratoire.
- Examens physiques.
- Observations d'une image ou d'un comportement.
- Réponses à une seule question.

Pour les études sur la santé des enfants, il est essentiel que les résultats soient mesurés d'une manière qui soit adaptée à l'âge, qui corresponde à l'objectif visé et qui réduise autant que possible le fardeau imposé aux enfants et à leur(s) décideur(s). Par exemple, s'il s'agit d'un questionnaire d'étude que les enfants doivent remplir, il doit être facilement compréhensible par un enfant, saisir les informations importantes et pertinentes pour l'âge et l'état de l'enfant, et être aussi bref que possible.

Mesurer et comparer les résultats d'une étude dans le domaine de la recherche sur la santé de l'enfant peut présenter des défis uniques par rapport aux études sur les adultes. Le développement des enfants est variable, ce qui peut affecter l'applicabilité et la précision des outils d'évaluation. En règle générale, les enfants âgés de six ans peuvent répondre de manière fiable à certaines mesures de résultats. Cependant, dans certains cas, l'obtention de données précises peut être compliquée par la capacité limitée des enfants à exprimer leurs symptômes ou leurs expériences. Ainsi, des outils de mesure différents peuvent être nécessaires pour mesurer avec précision le même résultat à des âges différents.

Continuez la lecture pour découvrir d'autres considérations pratiques et éthiques à prendre en compte lors du choix d'un devis d'études sur la santé de l'enfant.

Considération 1 : Risques et inconvénients

Lorsque vous réfléchissez à la manière dont les résultats doivent être mesurés, vous devez évaluer le risque et les inconvénients potentiels liés à la mesure du résultat. Par exemple, si le résultat est une valeur de laboratoire, à quelle fréquence des analyses de sang doivent-elles être effectuées, et quelle est la détresse et la gêne occasionnées aux participants à l'étude et à leur(s) décideur(s) ?

Considération 2 : Programmation

Vous devez vous poser les questions suivantes : "À quelle fréquence le résultat doit-il être mesuré ?" et "Quelle est la flexibilité du calendrier de mesure ?". Par exemple, les familles ont un emploi du temps chargé et il peut être difficile pour elles de s'adapter à des mesures quotidiennes rigoureuses.

Considération 3 : Coûts

Certains outils de mesure des résultats peuvent être coûteux (par exemple, les questionnaires sous licence par rapport à ceux qui sont disponibles gratuitement et publiquement), de sorte que les budgets doivent être pris en compte lors de la prise de décision concernant la mesure.

Considération 4 : Traductions

Pour favoriser une communication efficace, il convient de déterminer si des traductions sont nécessaires et disponibles pour la ou les population(s) étudiée(s) que la recherche est censée servir.

Considération 5 : Partage des résultats

Évaluez, le cas échéant, les informations tirées des résultats qui pourront être partagées et communiquées aux participants. Certaines familles peuvent être désireuses de connaître les résultats des tests de l'étude, par exemple les résultats de tests neurocognitifs tels que le quotient intellectuel (QI) ou les résultats de tests génétiques. Il est important de faire preuve de transparence quant aux informations qui peuvent ou ne peuvent pas être communiquées aux participants et à leurs familles dans le cadre de l'étude. Les meilleures pratiques doivent être suivies lorsqu'elles sont disponibles et approuvées par le CÉR local.

Lorsqu'ils existent, les ensembles de résultats fondamentaux peuvent fournir des indications précieuses sur le choix des méthodes de mesure appropriées et doivent être consultés au cours du processus de choix du devis de l'étude.

Pour certains résultats, une décision de conception critique consiste à sélectionner l'outil de mesure le plus approprié lorsque plusieurs options sont disponibles. Par exemple, un examen des mesures de résultats dans les essais sur la dépression chez les adolescents a identifié 19 outils différents utilisés pour évaluer la gravité des symptômes de la dépression.⁹

Dans d'autres cas, la décision clé peut consister à déterminer qui fournira les données pour la mesure ou si plusieurs sources doivent être utilisées. Par exemple, certaines échelles d'évaluation du T

DAH comportent des versions pour le(s) décideur(s), pour l'enseignant et pour l'adolescent, ce qui peut donner des résultats différents en fonction du répondant.

Outre la consultation des patients partenaires, des cliniciens et des experts en science de la mesure, il existe divers conseils et ressources qui peuvent aider à guider le choix de la mesure.

Pour votre intérêt, cliquez sur les boutons pour accéder à ces ressources.

[Normes de consensus pour la sélection des instruments de mesure de la santé \(COSMIN\)](#)

COSMIN fournit des outils et des ressources librement accessibles pour guider la sélection des instruments de mesure des résultats.

[Système d'information sur la mesure des résultats rapportés par les patients \(PROMIS\)](#)

PROMIS a mis au point des mesures pédiatriques gratuites du fonctionnement, des symptômes, des comportements et des sentiments, qui peuvent être remplies par les enfants ou les décideurs, en fonction de leur âge.

[Compendium d'évaluation des résultats cliniques de la Food and Drug Administration \(FDA\)](#)

La FDA dispose d'une base de données de ce qu'elle considère comme des résultats "qualifiés" à utiliser dans les essais de médicaments.

[SPIRIT-Outcomes](#)

SPIRIT-Outcomes contient des considérations spécifiques aux résultats qui peuvent être utiles lors de l'élaboration d'un protocole d'étude.

[Consolidated Standards of Reporting Trials \(CONSORT\) Outcomes](#)

CONSORT-Outcomes comprend des lignes directrices pour la communication des résultats lors de la publication des résultats d'un essai.

Communication des résultats de l'étude

La communication des résultats de l'étude aux participants impliqués est un élément clé de la reconnaissance de leur contribution. Les participants et leurs familles ont souvent donné de leur temps et des données, il est donc important qu'ils soient informés de ce qui a été appris.

Continuez la lecture pour apprendre comment communiquer les résultats d'une étude.

Comment communiquer les résultats de l'étude

La communication des résultats de l'étude doit se faire dans un langage clair et simple, en évitant les termes techniques, et doit expliquer les résultats de l'étude, ce qu'ils signifient et comment ils pourraient être utilisés à l'avenir. Il est également important de faire preuve d'honnêteté en ce qui concerne les limites ou les résultats inattendus.

Le partage des résultats peut contribuer à renforcer la confiance dans le processus de recherche et encourager la participation à de futures études. Pour les familles dont les enfants souffrent d'une maladie chronique ou de longue durée, le partage des résultats de l'étude peut constituer une étape importante dans leur parcours de santé.

Vous avez maintenant exploré la manière dont les résultats sont sélectionnés, catégorisés, mesurés et communiqués dans le cadre de la recherche sur la santé de l'enfant. Revenez une dernière fois à l'étude sur le sommeil et la mémoire pour réfléchir au(x) résultat(s) à mesurer et à la manière de les évaluer.

Rappelez l'objectif de l'étude : Examiner la relation entre les habitudes naturelles de sommeil et les performances de mémoire chez des enfants âgés de 9 à 12 ans dont le développement est normal et qui n'ont pas d'antécédents de troubles du sommeil ou de troubles neurodéveloppementaux diagnostiqués.

Répondez à la question en utilisant ce que vous avez appris tout au long de cette section.

Question 1 de 1 : Parmi les mesures suivantes, lesquelles seraient appropriées pour mesurer les résultats de cette étude ? Cochez toutes les cases qui s'appliquent.

- a) Heures de sommeil enregistrées sur une période de deux semaines à l'aide d'un dispositif portable de suivi du sommeil
- b) Questionnaire rapporté par le décideur sur les changements d'humeur et de comportement de l'enfant depuis le début de l'étude
- c) Résultats d'un test de mémoire standardisé et adapté à l'âge de l'enfant
- d) Nombre de rendez-vous médicaux au cours de l'année écoulée

Retour d'information :

Bonnes réponse : a, c

Les heures de sommeil enregistrées à l'aide d'un tracker portable et les résultats d'un test de mémoire standardisé sont des mesures de résultats appropriées car elles correspondent directement à l'objectif de l'étude et peuvent être collectées de manière fiable chez les enfants d'âge scolaire.

Un questionnaire sur l'humeur et le comportement rapporté par le tuteur peut fournir un contexte utile, mais n'évalue pas directement la performance de la mémoire.

Le nombre de rendez-vous médicaux pris au cours de l'année écoulée n'a rien à voir avec la question de recherche et n'apporterait pas de données significatives pour y répondre.

Vous avez maintenant terminé le module et appliqué tous les concepts clés pour concevoir une étude complète et éthique sur la santé de l'enfant. Bravo !

Dans cette section, vous avez appris à sélectionner et à mesurer les résultats de l'étude pour la recherche en santé infantile. Vous avez comparé les définitions des résultats simples et composites et appris ce qu'il faut prendre en compte lors de la sélection d'un résultat à mesurer. Les ensembles de résultats fondamentaux vous ont également été présentés comme un moyen de garantir des résultats

mesurables et pratiques. Ensuite, vous avez appris à choisir une mesure pour le résultat de l'étude. Vous avez examiné certains facteurs susceptibles d'influer sur cette décision, notamment : la variabilité du développement, les risques, le calendrier, le coût, les traductions et la manière dont les données seront partagées. Enfin, vous avez appris à communiquer les résultats de la recherche aux participants et à leurs familles.

POURSUIVRE JUSQU'À LA CONCLUSION**Lien de page :**

<https://www.youtube.com/watch?v=g1MZi2mzK1U>

<https://www.comet-initiative.org/Studies>

<https://www.cosmin.nl/>

<https://www.healthmeasures.net/explore-measurement-systems/promis/intro-to-promis>

<https://www.fda.gov/drugs/development-resources/clinical-outcome-assessment-compendium>

<https://jamanetwork.com/journals/jama/fullarticle/2799547>

<https://jamanetwork.com/journals/jama/fullarticle/2799401>

CONCLUSION

Ce module présente les concepts clés et les termes fondamentaux du choix d'un devis de recherche sur la santé de l'enfant, y compris les différents modèles d'étude et les considérations critiques impliquées dans la planification d'une recherche pour les enfants. Vous avez exploré les décisions de devis essentielles, telles que la définition des critères d'inclusion et d'exclusion, la création d'études inclusives et accessibles aux enfants et à leur(s) décideur(s), et l'élaboration de plans et de procédures d'étude. Le module a également abordé la sélection et la mesure des résultats de l'étude, ainsi que les considérations relatives aux interventions et aux comparateurs pour les essais cliniques, le cas échéant.

En soulignant l'importance d'une recherche éthique et scientifique, ce module vous a permis d'acquérir les connaissances et les outils nécessaires pour concevoir des études sur la santé de l'enfant qui répondent à ses besoins uniques en la matière. En équilibrant les considérations pratiques, scientifiques et éthiques, vous êtes maintenant en mesure de contribuer à la recherche qui fait progresser les soins pédiatriques et garantit des avantages équitables pour tous les enfants.

Continuez la lecture pour accéder aux références de ce module.

Contenu du module et références iconographiques

- a) Adapté de la Canadian PBC Society. (n.d.). [Illustration du processus d'essai clinique]. Récupéré en juin 2025 sur <https://pbc-society.ca/clinical-trials/>(s'ouvre dans un nouvel onglet)
- b) Gouvernement du Canada. (2020, 5 mai). *Médicaments et produits de santé*. Récupéré en juin 2025 sur <https://www.canada.ca/fr/sante-canada/services/essais-cliniques.html>(s'ouvre dans un nouvel onglet)
- c) Conseil international pour l'harmonisation des exigences techniques relatives aux produits pharmaceutiques à usage humain. (2017, 18 août). *Addendum de Santé Canada sur la ligne directrice de l'ICH thème E11 Recherche clinique sur les produits médicinaux dans la population pédiatrique*. Récupéré en juin 2025 sur https://www.canada.ca/content/dam/hc-sc/migration/hc-sc/dhp-mps/alt_formats/pdf/prodpharma/applic-demande/guide-ld/clini/e11_addendum-fra.pdf(s'ouvre dans un nouvel onglet)
- d) van der Tweel, I., Askie, L., Vandermeer, B., Ellenberg, S., Fernandes, R. M., Saloojee, H., Bassler, D., Altman, D. G., Offringa, M., & van der Lee, J. H. (2012). Standard 4: Determining Adequate Sample Sizes *Pediatrics*. Récupéré en juin 2025 sur <https://doi.org/10.1542/peds.2012-0055G>(s'ouvre dans un nouvel onglet)
- e) Instituts de recherche en santé du Canada, Conseil de recherches en sciences naturelles et en génie du Canada et Conseil de recherches en sciences humaines du Canada. (2022). *Énoncé de politique des trois conseils : Éthique de la recherche avec des êtres humains, chapitre 11 : Essais cliniques*. Gouvernement du Canada. Récupéré en juin 2025 sur https://ethics.gc.ca/eng/tcps2-eptc2_2022_chapter11-chapitre11.html(s'ouvre dans un nouvel onglet)
- f) Déclaration d'Helsinki de l'Association médicale mondiale : Principes éthiques pour la recherche médicale impliquant des participants humains. (2025). *JAMA : The Journal of the American Medical Association*, 333(1), 71-74. Consulté en juin 2025 sur <https://doi.org/10.1001/jama.2024.21972>(s'ouvre dans un nouvel onglet)

- g) Theubo, M., O'Reilly, D., & Foran, A. (2022). No pain, neurodevelopmental gain: Time to avoid painful placebo injections in neonatal research. *Acta Paediatrica*, 111(8), 1476-1478. Consulté en juin 2025 sur <https://doi.org/10.1111/apa.16369>(s'ouvre dans un nouvel onglet)
- h) Core Outcome Measures in Effectiveness Trials Initiative. (n.d.). [Logo de l'initiative COMET]. Consulté en juin 2025 sur <https://www.comet-initiative.org/>(s'ouvre dans un nouvel onglet)
- i) Mew, E. J., Monsour, A., Saeed, L., Santos, L., Patel, S., Courtney, D. B., Watson, P. N., Szatmari, P., Offringa, M., Monga, S., & Butcher, N. J. (2020). Systematic scoping review identifies heterogeneity in outcomes measured in adolescent depression clinical trials (Revue systématique de la portée identifie l'hétérogénéité des résultats mesurés dans les essais cliniques sur la dépression chez les adolescents). *Journal of Clinical Epidemiology*, 126, 71-79. Consulté en juin 2025 sur <https://doi.org/10.1016/j.jclinepi.2020.06.013>