Innovation thérapeutique dans les maladies neuromusculaires de l'Enfant : Enjeux éthiques

Brigitte Chabrol, Isabelle Desguerre, Pierre Le Coz
Centre de référence des Maladies Neuromusculaires de l'enfant

Adv Exp Med Biol. 2010;686:493-511. **Ethical aspects on rare diseases.**

Barrera LA[1], Galindo GC.

In this chapter we discuss several of the most relevant subjects related to ethics on Rare Diseases.

Some general aspects are discussed such as **the socio-psychological problems** that confront the patients and their families that finally lead to marginalization and exclusion of patients affected by these diseases from the health programs, even in wealthy countries.

Then we address problems related to **diagnosis and some ethical aspects of newborn screening, prenatal, pre-implantation diagnosis and reference centers**, as well as some conditions that should be met by the persons and institutions performing such tasks. Alternatives of solutions for the most critical situations are proposed.

Subsequently the **orphan drugs subject** is discussed not only from the availability point of view, prizes, industrial practices, and purchasing power in developed and developing societies.

The **research related to rare disease in children** and other especially vulnerable conditions, the need for informed consent, review boards or ethics comities, confidentiality of the information, biobanks and pharmacogenetics are discussed.

HHS Public Access
Author manuscript
J Child Neurol. Author manuscript; available in PMC 2017 February 01.

Published in final edited form as:
J Child Neurol. 2017 February ; 32(2): 155–160. doi:10.1177/0883073816671236.

Spinal Muscular Atrophy Type I: Is It Ethical to Standardize Supportive Care Intervention in Clinical Trials?

Richard S. Finkel, MD[1], Kathie M. Bishop, PhD[2], and Robert M. Nelson, MD, PhD[3]

Ethical Challenges Confronted When Providing Nusinersen Treatment for Spinal Muscular Atrophy.

Burgart AM, et al, JAMA Pediatr. 2017 Dec 11

New treatments for serious conditions: Ethical implications

N M P King, C E Bishop

Cite this article as: N M P King, C E Bishop, New treatments for seriou
conditions: Ethical implications, *Gene Therapy* accepted article preview 3 Ma
2017; doi: 10.1038/gt.2017.32.

WJCP *World Journal of Clinical Pediatrics*

Submit a Manuscript: http://www.f6publishing.com
World J Clin Pediatr 2018 August 30; 7(3): 75-82
DOI: 10.5409/wjcp.v7.i3.75
ISSN 2219-2808 (online)

EDITORIAL

Innovation for rare diseases and bioethical concerns: A thin thread between medical progress and suffering

Alberto Tommasini, Andrea Magnolato, Irene Bruno

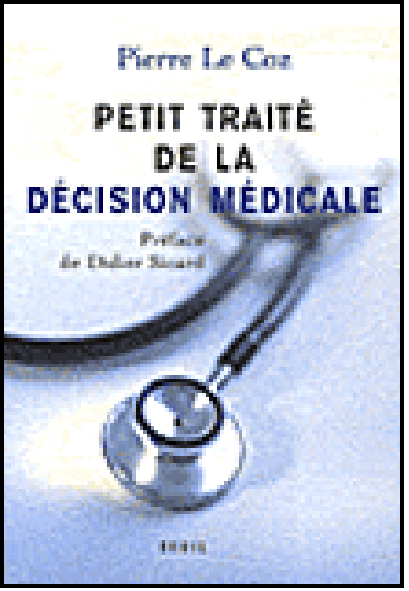
(1) Incertitudes sur le long terme

(2) Causes et conséquences de “l’overoptimism” and “hype” (Réseaux, association de patients ……) et lobbying

(3) Implications des coûts très élevés (non curatif, augmente le niveau de soin et les hospitalisations…..)

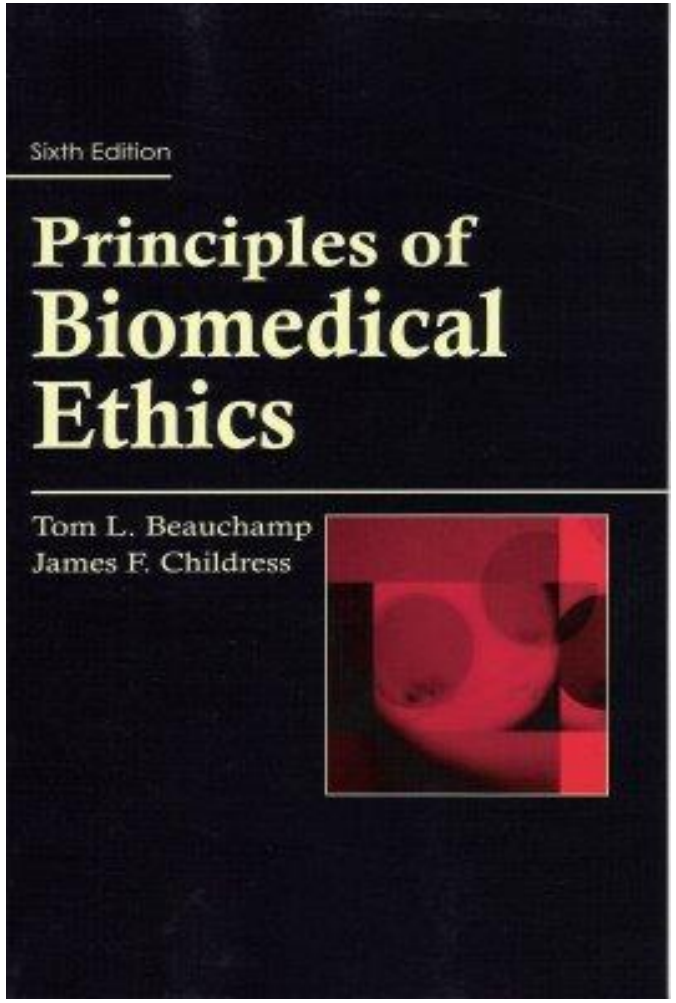
(4) Proposition de faire un dépistage néonatal pour traiter plus tôt: traitement présymptomatique ?

(5) Modification des “standard of care” plus invasif +++ (ventilation , gastrostomie).



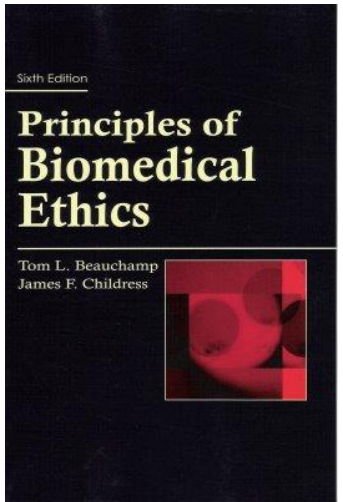
Prendre appui sur les 4 attentes morales de l'Homme

- **principe d'autonomie**
- **principe de bienfaisance**
- **principe de non-malfaisance**
- **principe de justice**



Prendre appui sur les 4 attentes morales de l'Homme

-1. Le principe d'autonomie



Principe d'Autonomie

Consentir
et comprendre

→ **VOLONTE**

→ **PENSEE**

(1) Incertitudes sur le long terme

(2) Causes et consequences de “l’overoptimism” and “hype” (Network, Parent Association) et lobbying

(3) Implications des coûts très élevés (non curatif, augmente le niveau de soin et les hospitalisations…..)

(4) Proposition de faire un dépistage néonatal pour traiter plus tôt: traitement présymptomatique ?

(5) Modification des “standard of care” plus invasif +++ (ventilation , gastrostomie).

(1) Effets incertains et inconnus d'un traitement nouvellement approuvé et nécessité d'un suivi à long terme

Plus d'informations seront nécessaires au fil du temps pour améliorer la connaissance du rapport bénéfices-risques des nouveaux traitements chez les patients (d'où l'importance des registres, des observatoires ….)

"Atul Gawande: l'incertitude est l'état fondamental de la médecine et la gestion de l'incertitude exige de la sagesse”

« sans la liberté de blâmer, il n'est pas d'éloge flatteur »

(Beaumarchais)

dans le même ordre d'idée, on pourrait dire :

Il n'est de consentement réel que si les personnes ont la possibilité de refuser

LA FOLLE JOURNÉE,

OU

LE MARIAGE DE FIGARO,

Comédie en cinq Actes, en Prose,

PAR M. DE BEAUMARCHAIS.

Représentée pour la première fois par les Comédiens Français ordinaires du Roi, le Mardi 27 Avril 1784.

En faveur du badinage,
Faites grace à la raison. *Vend. de la Piece.*

MANSEL

AU PALAIS-ROYAL,

Chez RUAULT, Libraire, près le Théâtre, N° 216.

M. DCC. LXXXV.

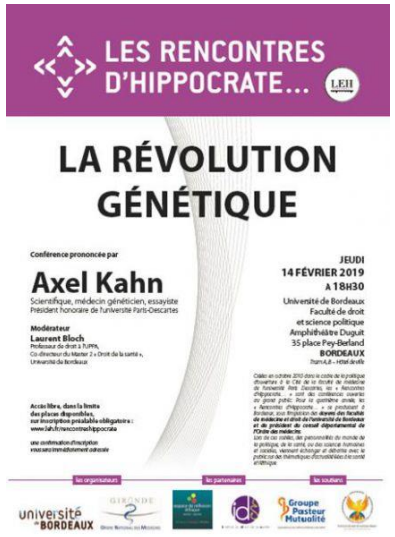
(2) Causes et conséquences du suroptimisme et du battage publicitaire (Réseaux , associations de patients)

Hype: consiste à surestimer les avantages potentiels et à sous-estimer les inconvénients potentiels.

Il est important de reconnaître les progrès, mais il est également essentiel que toutes les parties prenantes - scientifiques, médecins, journalistes, familles, groupes de défense et public - continuent à essayer de faire la distinction entre un espoir légitime et un battage médiatique indu.

Attention au terme de guérison , **préférer celui de *" modifications de l'histoire naturelle"***

LE PRINCIPE D'AUTONOMIE DE PENSEE SE CONCRETISE A TRAVERS LA REGLE DU CONSENTEMENT LIBRE ET ECLAIRE .



>> Pour être lucide et éclairé, le patient ne doit pas être bercé de promesses trop « révolutionnaires »…

(1) Incertitudes sur le long terme

(2) Causes et consequences de “l’overoptimism” and “hype” (Network, Parent Association) et lobbying

(3) Implications des coûts très élevés (non curatif, augmente le niveau de soin et les hospitalisations…..)

(4) Proposition de faire un dépistage néonatal pour traiter plus tôt: traitement présymptomatique ?

(5) Modification des “standard of care” plus invasif +++ (ventilation , gastrostomie).

(3) Implications des coûts de traitement élevés

prix du médicament, mais aussi des hospitalisations récurrentes et du temps médical

Des molécules coûteuses qui soulèvent la question de l'accès aux soins dans le monde

TABLEAU 1

	Indication	Company	Cost per patient (Y)
Soliris	Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH)	Alexion Pharmaceuticals	$409 500
Elaprase	Hunter's Syndrome	Shire	$375 000
Naglazyme	Maroteaux-Lamy Syndrome	BioMarin Pharmaceuticals	$365 000
Cinryze	Hereditary Angioedema	ViroPharma	$350 000
Myozyme	Pompe Disease	Genzyme	$300 000
Arcalyst	Cryopyrin-Associated Periodic Syndromes	Regeneron Pharmaceuticals	$250 000
Replagal	Fabry Disease	Shire	$210 000
Ceezyme	Gaucher Disease	Genzyme	$200 000
Fabrazyme	Fabry Disease	Genzyme	$200 000
Aldurazyme	Hurler's Syndrome	Genzyme/BioMarin Pharmaceuticals	$200 000
Kuvan	Hyperphenylalaninemia	BioMarin Pharmaceuticals	$107 000
Advate	Hemophilia (Severe)	Baxter	$100 000
Firdapse	Lambert-Eaton Myasthenic Syndrome	BioMarin Pharmaceuticals	$58 000
Tracleer	Pulmonary Arterial Hypertension	Actelion	$40 000

Source : www.biotech-intelligence.com

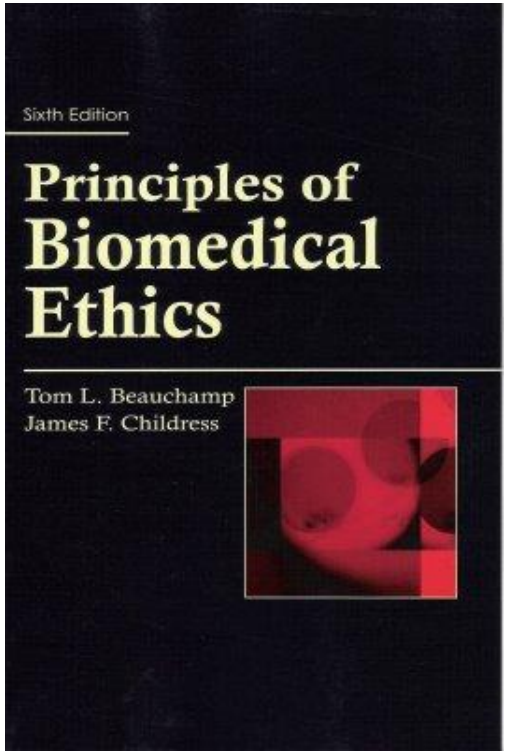
TABLEAU 2

	Indication	Company	2010	2009	Growth (%)
Advate	Hemophilia (Severe)	Baxter	$1 800 000 000	$1 651 000 000	9,02 %
Tracleer	Pulmonary Arterial Hypertension	Actelion	$1 748 000 000	$1 464 000 000	19,40 %
NovoSeven	Hemophilia (Severe)	Novo Nordisk	$1 440 000 000	$1 369 000 000	5,19 %
Kogenate	Hemophilia (Severe)	Bayer HealthCare	$1 342 000 000	$1 279 000 000	4,93 %
Cerezyme*	Gaucher Disease	Genzyme	$720 000 000	$793 000 000	-9,21 %
Soliris	Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria	Alexion Pharmaceuticals	$541 000 000	$387 000 000	39,79 %
Myozyme	Pompe Disease	Genzyme	$412 000 000	$325 000 000	26,77 %
Elaprase	Hunter's Syndrome	Shire	$404 000 000	$353 000 000	14,45 %
Replagal	Fabry Disease	Shire	$351 000 000	$194 000 000	80,93 %
Naglazyme	Maroteaux-Lamy Syndrome	BioMarin Pharmaceuticals	$193 000 000	$169 000 000	14,20 %
Fabrazyme*	Fabry Disease	Genzyme	$188 000 000	$430 000 000	-56,28 %
Cinryze	Hereditary Angioedema	ViroPharma	$177 000 000	$97 000 000	82,47 %
Aldurazyme	Hurler's Syndrome	Genzyme/BioMarin Pharmaceuticals	$167 000 000	$155 000 000	7,74 %
Kuvan	Hyperphenylalaninemia	BioMarin Pharmaceuticals	$99 000 000	$77 000 000	28,57 %
Arcalyst	Cryopyrin-Associated Periodic Syndromes	Regeneron Pharmaceuticals	$21 000 000	$18 000 000	16,67 %
Firdapse	Lambert-Eaton Myasthenic Syndrome	BioMarin Pharmaceuticals	$6 000 000	$0	na

* les taux de croissance négatifs des ventes de ces médicaments sont la conséquence des problèmes GMP rencontrés par Genzyme

Source : www.biotech-intelligence.com

- 4. Le principe de justice



Principe de justice

Les attentes en termes de justice

1. Attente individuelle : être traité à l'égal de tout autre, sans discrimination (justice égalitaire)

2. Attente de la société: l'Etat a le devoir d'optimiser les ressources rares (justice distributive)

POUR KANT (« déontologisme » ou « égalitarisme »), l'homme à la différence des choses ou des animaux ne peut pas être traité en termes de retour sur investissement

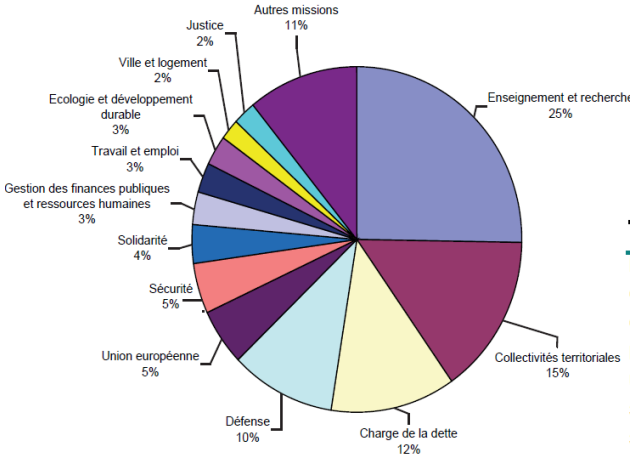
- La personne n'a pas seulement une valeur relative, c'est-à-dire un prix, mais une valeur intrinsèque, c'est-à-dire une dignité ».

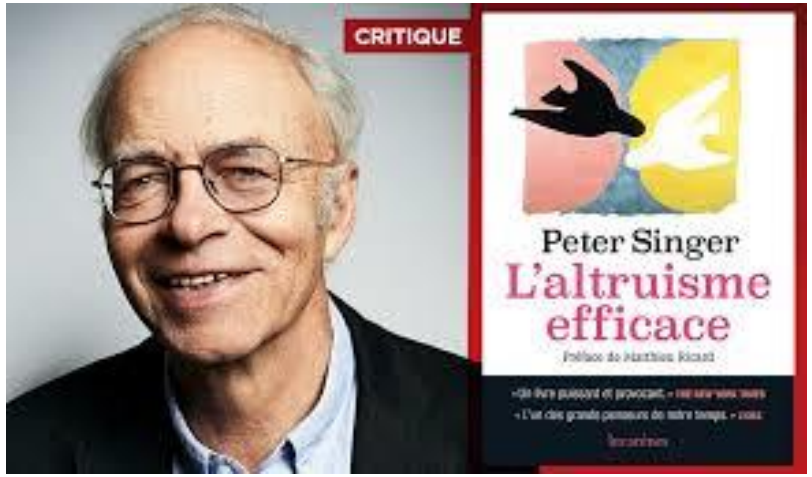
E. KANT, ***Fondements de la métaphysique des mœurs***

trad. V. Delbos 1957, [1785] ***Delagrave*****, p.108.**

DU POINT DE VUE DE LA JUSTICE SOCIALE, les investissements publics doivent être rentables

>> il faut calculer ce qui permet d'augmenter le différentiel entre la somme des souffrances et la quantité de bien-être (position dite de *l'altruisme efficace* défendue par l'utilitariste australien peter singer)





Bienfaisance : Traiter le patient comme une « fin en soi »

- « *Agis de telle sorte que tu traites l'humanité aussi bien dans ta personne que dans la personne de tout autre , toujours en même temps comme une fin et jamais simplement comme un moyen* »

(Emmanuel Kant)

Le patient s'attend à ce que *son* bien passe avant tous les autres biens (richesse, notoriété, publications, etc.)

(1) Incertitudes sur le long terme

(2) Causes et consequences de “l’overoptimism” and “hype” (Network, Parent Association) et lobbying

(3) Implications des coûts très élevés (non curatif, augmente le niveau de soin et les hospitalisations…..)

(4) Proposition de faire un dépistage néonatal pour traiter plus tôt: traitement présymptomatique ?

(5) Modification des “standard of care” plus invasif +++ (ventilation , gastrostomie).

(4)Implications pour le dépistage néonatal: traitement présymptomatique pour une maladie rare?

Critères de dépistage néonatal en France:

La maladie est un problème de santé publique. Sa fréquence minimale est de l'ordre de 1/15 000.

La maladie doit être connue et détectable avant que des dommages irréversibles ne se produisent et ***est sensible à un traitement efficace et éprouvé***

Le marqueur doit être fiable, facile à doser avec une technique robuste et peu coûteuse.

Les parents doivent avoir des informations spécifiques sur le programme en place.

L'intérêt, le rapport coût-bénéfice et le rapport coût-efficacité doivent être démontrés non seulement en termes financiers, mais aussi en termes de bénéfice personnel pour le patient

L'organisation doit être définie avec un accès identique au test et une efficacité comparable pour l'ensemble de la population (800.000 naissances / an)

Presymptomatic Diagnosis of Spinal Muscular Atrophy Through Newborn Screening

Yin-Hsiu Chien, MD, PhD[1,2], Shu-Chuan Chiang, MS[1], Wen-Chin Weng, MD, PhD[2], Ni-Chung Lee, MD, PhD[1,2], Ching-Jie Lin, MS[1], Wu-Shiun Hsieh, MD[2], Wang-Tso Lee, MD, PhD[2], Yuh-Jyh Jong, MD, PhD[3,4,5], Tsang-Ming Ko, MD[6], and Wuh-Liang Hwu, MD, PhD[1,2]

Objective To demonstrate the feasibility of presymptomatic diagnosis of spinal muscular atrophy (SMA) through newborn screening (NBS).

Study design We performed a screening trial to assess all newborns who underwent routine newborn metabolic screening at the National Taiwan University Hospital newborn screening center between November 2014 and September 2016. A real-time polymerase chain reaction (RT-PCR) genotyping assay for the *SMN1/SMN2* intron 7 c.888+100A/G polymorphism was performed to detect homozygous *SMN1* deletion using dried blood spot (DBS) samples. Then the exon 7 c.840C>T mutation and *SMN2* copy number were determined by both droplet digital PCR (ddPCR) using the original screening DBS and multiplex ligation-dependent probe amplification (MLPA) using a whole blood sample.

Results Of the 120 267 newborns, 15 tested positive according to the RT-PCR assay. The DBS ddPCR assay excluded 8 false-positives, and the other 7 patients were confirmed by the MLPA assay. Inclusion of the second-tier DBS ddPCR screening assay resulted in a positive prediction value of 100%. The incidence of SMA was 1 in 17 181 (95% CI, 1 in 8323 to 1 in 35 468). Two of the 3 patients with 2 copies of *SMN2* and all 4 patients with 3 or 4 copies of *SMN2* were asymptomatic at the time of diagnosis. Five of the 8 false-positives were caused by intragenic recombination between *SMN1* and *SMN2*.

Conclusion Newborn screening can detect patients affected by SMA before symptom onset and enable early therapeutic intervention. A combination of a RT-PCR and a second-tier ddPCR can accurately diagnose SMA from DBS samples with no false-positives. *(J Pediatr 2017;190:124-9).*

Trial registration ClinicalTrials.gov NCT02123186.

(1) Uncertain and unknown effects of a newly approved treatment and the necessity of long-term follow-up

(2) Causes and consequences of overoptimism and hype (Network, Parent Association)

(3) Implications of high treatment costs (price of the medication but also recurrent hospitalisations and medical time consuming)

(4) Implications for newborn screening: presymptomatic treatment for DMD?

(5) Modifications des recommandations de prise en charge avec mise en place de techniques plus invasives (ventilation assistée, gastrostomie…).

Le diagnostic prénatal : une prise en charge avant la naissance

Mis à jour le : 23.10.13

La loi de bioéthique encadre strictement les activités de diagnostic prénatal. L'Agence de la biomédecine veille à son application pour garantir la qualité et la sécurité des soins dispensés dans le cadre de ces activités.

Le diagnostic prénatal sert à détecter chez l'embryon ou le fœtus in utero des maladies particulièrement graves d'origine génétique, infectieuse ou autre. L'objectif est de pouvoir ainsi proposer aux parents de soigner l'enfant à naître ou de les aider à se préparer à l'accueillir.
D'autres affections par leur gravité et leur caractère incurable amèneront l'équipe pluridisciplinaire de diagnostic prénatal (CPDPN) à informer de cette situation les couples ; au-delà de l'information, le CPDPN est seul compétent pour délivrer le cas échéant une attestation de gravité qui rendrait licite une interruption médicale de grossesse (IMG). Les couples prennent ensuite la décision de poursuivre ou non la grossesse.

Caractère incurable

? ? ? ?

Prise en charge: soins palliatifs

Amyotrophie spinale type 1 : enquête multicentrique des pratiques de soins et d'accompagnement palliatif sur deux périodes successives de 10 ans

Multicentric study of medical care and practices in spinal muscular atrophy type 1 over two 10-year periods

C. Barnérias[a], S. Quijano[b], M. Mayer[c], B. Estournet[b], J.-M. Cuisset[d], S. Sukno[e], S. Peudenier[f], C. Laroche[g], S. Chabrier[h], P. Sabouraud[i], C. Vuillerot[j], B. Chabrol[k], C. Halbert[k], C. Cancès[l], P. Beze-Beyrie[m], A. Ledivenah[n], M.-L. Viallard[n], I. Desguerre[a,*]

Archives de Pédiatrie 2014;21:347-354

Prise en charge: soins palliatifs

Résumé

État actuel du problème. La place des soins palliatifs dans des pathologies neurodégénératives de l'enfant a conduit la commission neuromusculaire de la Société française de neuropédiatrie à réaliser une enquête à propos de l'amyotrophie spinale de type 1, pathologie génétique neuromusculaire le plus souvent léthale avant l'âge de 1 an.

Matériel et méthode. Une enquête rétrospective multicentrique auprès de neuropédiatres intégrés dans des centres de référence des maladies neuromusculaires pédiatriques a été réalisée sur deux périodes de 10 ans (1989–1998 et 1999–2009).

Résultats. La période (1989–1998) avait inclus 12 centres avec 106 patients, la période (1999–2009), 13 centres avec 116 enfants. La comparaison des données des deux périodes a révélé une histoire naturelle de la maladie comparable : âge moyen d'apparition des premiers signes cliniques de 2,1 mois [0–5,5 mois], âge médian au diagnostic de 4 mois [0–9 mois] versus (vs) 3 mois, âge médian de décès de 7,5 mois [0–24 mois] vs 6 mois. Les modalités de soins avaient évolué avec des soins devenus plus actifs : kinésithérapie motrice (90 %), kinésithérapie respiratoire (93 %), les installations de confort (61 % vs 26 %), nutrition entérale par sonde gastrique (54 % vs 24 %). Les aides respiratoires au domicile étaient plus utilisées dans la seconde période : aspiration nasopharyngée dans 64 % des cas (vs 41 %), oxygène dans 8 % et ventilation non invasive dans 7 %. Le délai moyen entre le diagnostic et le décès était resté très court : 4 mois vs 3 mois. Le décès avait eu lieu au domicile dans 23 % vs 17 % et dans un service de pédiatrie pour 62 % vs 41 %. L'usage de traitements antalgiques et sédatifs au moment du décès était rapporté dans 60 % des cas : morphiniques 40 % (vs 18 %), benzodiazépines 48 % (vs 29 %). Au moment du décès, le support respiratoire était variable : oxygénothérapie (55 %), ventilation non invasive (9 %), ventilation mécanique assistée (2 %).

Discussion et conclusion. Ces résultats confirment une évolution de nos pratiques et le développement des soins palliatifs chez l'enfant avec des positions différentes des standards de soins nord-américains et plus proches de la réflexion des équipes anglo-saxonnes. Une étude prospective dans le cadre d'un Programme hospitalier de recherche clinique (PHRC) national 2011 a débuté en juin 2012 impliquant les familles dans l'évaluation de ses soins.

Abstract

Background: Humanistic burden considers the impact of an illness on a patient's health-related quality of life (HRQoL), activities of daily living (ADL), caregiver health, and caregiver QoL. Humanistic burden also considers treatment satisfaction and adherence to treatment regimens. Pompe disease is an autosomal recessive, progressive, multisystemic neuromuscular disease. Approval of enzyme-replacement therapy (ERT) markedly improved prognosis for patients, but considerable morbidity and a substantial humanistic burden remain. This article characterizes the humanistic burden of Pompe disease through a systematic literature review.

Methods: A systematic search of MEDLINE® and Embase® with back-referencing and supplementary literature searches was performed to retrieve data from interventional and non-interventional studies on the humanistic burden of Pompe disease. Publications were screened according to predefined criteria, extracted, and assessed for quality. Extracted data were narratively synthesized.

Results: No publications on the humanistic burden of infantile-onset Pompe disease (IOPD) were identified. As such, of 17 publications included here, all are in patients with late-onset Pompe disease (LOPD). Thirteen publications were initiated after approval of ERT, two were initiated before, and two overlapped the approval of ERT. The review shows that LOPD patients have a significantly lower HRQoL than the general population, even if treated with ERT. On transitioning to ERT, treatment was associated with improvement in the physical component score of the SF-36 and fatigue, although the SF-36 mental component score remained stable. Physical HRQoL remained below population norms after 4 years of ERT. Significantly more ERT-treated patients reported pain than controls, and bodily pain worsened in later years following ERT initiation. Treatment-naïve LOPD patients had significantly poorer ADL functioning compared with the general population, although ERT stabilized deteriorating functioning impairment. ERT studies showed caregivers provide 17.7 h/week informal care on average. Fifty percent, 40% and <20% of caregivers reported mental health, physical health, and financial/relational problems, respectively. In ERT-naïve patients, wheelchair use and home ventilatory support was associated with lower physical HRQoL and ADL functioning. In ERT-treated patients, key factors predicting worse HRQoL and ADL functioning were higher respiratory distress, poorer sleep quality, greater pain, and more fatigue.

Conclusions: Pompe disease has a substantial humanistic burden, with strong inter-relationships among and between humanistic burden parameters and clinical progression.

Keywords: Pompe, Humanistic burden, Quality of life, Daily living, Caregiver burden

Schoser *et al. BMC Neurology* (2017) 17:202
DOI 10.1186/s12883-017-0983-2

BMC Neurology

RESEARCH ARTICLE Open Access

The humanistic burden of Pompe disease: are there still unmet needs? A systematic review

Benedikt Schoser[1*], Deborah A. Bilder[2], David Dimmock[3], Digant Gupta[4], Emma S. James[5] and Suyash Prasad[5]

(5) **Modifications des recommandations de prise en charge avec mise en place de techniques plus invasives**

Place des techniques de ventilation assistée

« Ajouter de la vie aux jours lorsqu'on ne peut plus ajouter des jours à la vie »
« Jean Bernard »

« Le médecin doit s'abstenir de toute obstination déraisonnable et peut renoncer à entreprendre ou poursuivre des traitements qui apparaissent inutiles, disproportionnés ou qui n'ont d'autre effet que le seul maintien artificiel de la vie » code la santé publique , article R4127-37, Loi Clayes- Leonetti

« Intérêt Premier de l'Enfant » Article 3_ 1de la convention internationale des droits de l' Enfant

Neuromuscular diseases - New possibilities, new dilemmas

Thomas Sejersen
Karolinska University Hospital, Karolinska Institutet,
Stockholm, Sweden
thomas.Sejersen@ki.se

-The challenges that arise when what's possible changes dilemmas

Conclusions

New therapies for SMA and DMD come with new dilemmas. However, the basis of the Hippocratic oath remains:

"Apply, for the benefit of the sick, all measures required, avoiding those twin traps of overtreatment and therapeutic nihilism"

ELSEVIER

Seminars in
Pediatric
Neurology

Ethical Challenges in Early-Phase Pediatric Research for Life-Limiting Illness

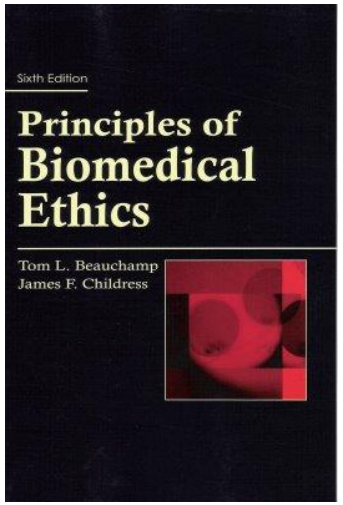
Yoram Unguru, MD, MS, MA[*,†]

Research with children is necessary to assure more effective treatments and potential cures of childhood illnesses. Ethical conduct of research requires minimizing the inherent risks of research, especially when it involves vulnerable populations such as children. Duchenne muscular dystrophy (DMD) is a progressive and fatal disease with no Food and Drug Administration–approved treatment. Clinical trials investigating so-called gene therapies are viewed by many in the DMD community with great promise. The goal of research is to secure generalizable knowledge and not directly benefit patients, yet many parents of boys with DMD hope, and even expect, that their sons will derive medical benefit by participating in early-phase "gene therapy" trials, raising concern for the therapeutic misconception. Physician-investigators must assist patient-subjects to distinguish realistic from unrealistic hope while maintaining reasonable expectations. In this article, I examine the therapeutic misconception and related concepts as framed within the context of "gene therapy" for DMD.

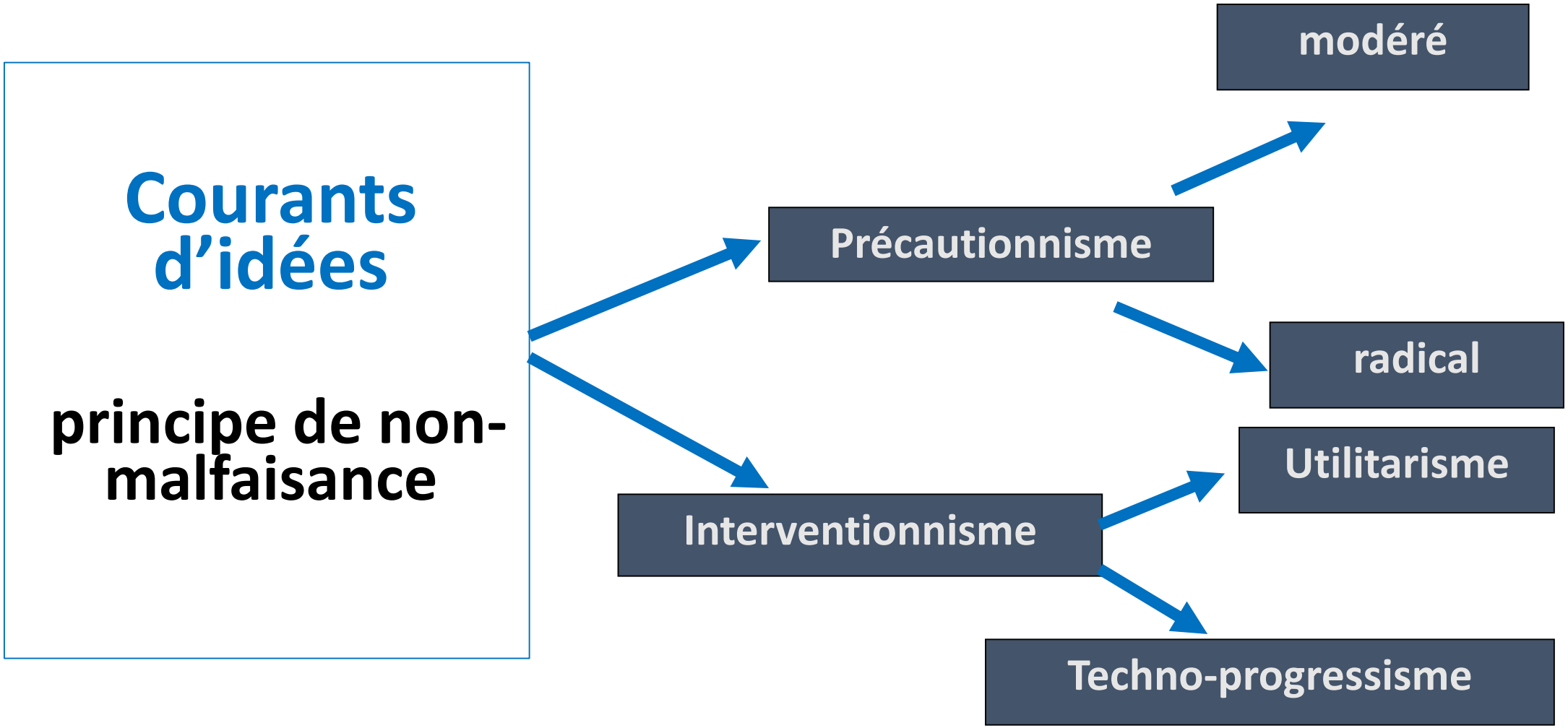
Semin Pediatr Neurol 22:177-186 © 2015 Elsevier Inc. All rights reserved.

Prendre appui sur les 4 attentes morales de l’Homme

- **3. Le principe de non-malfaisance**



quelle place pour le principe de non-malfaisance dans les décisions AUX CONSEQUENCES INCERTAINES?



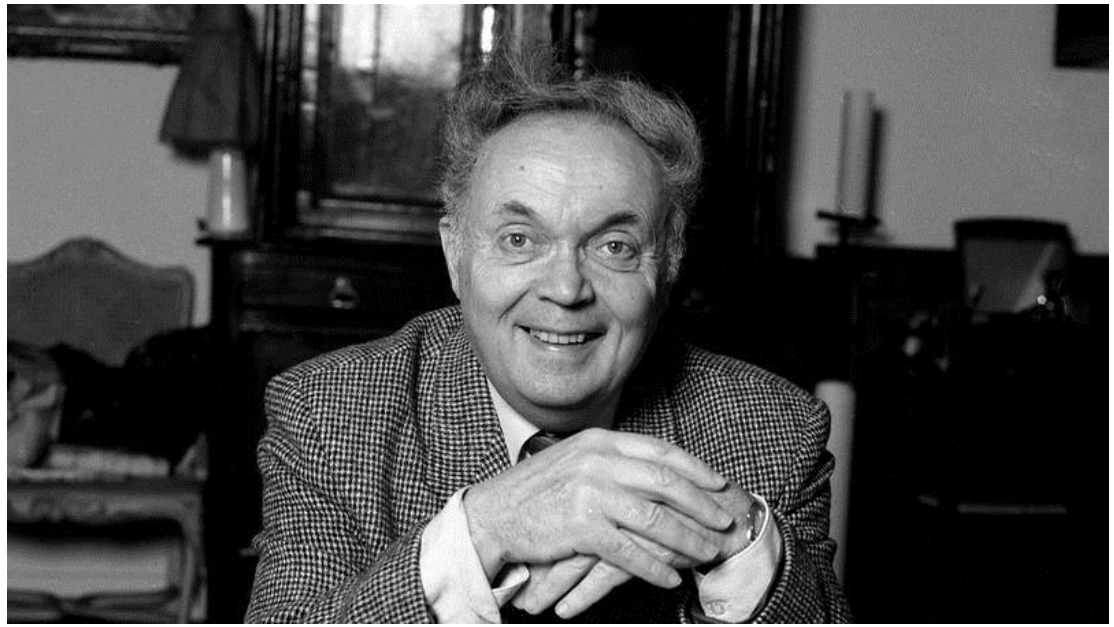
Précautionnisme radical

- ***« Agis de telle façon que les effets de ton action soient compatibles avec la permanence d'une vie authentiquement humaine sur terre »***

Jonas, H., Le Principe responsabilité : une éthique pour la civilisation technologique (1979).

INTERVENTIONISTE TECHNO-PROGRESSISTE

- **« je veux que la science progresse à toute vitesse, alors que la morale suive, que tout le monde suive et renie ses archaïsmes ! »**



Nouveaux traitements versus essais cliniques: principe éthique d'autonomie du patient

« Therapeutic misconception »

- Une idée fausse thérapeutique existe lorsque les individus ne comprennent pas que l'objectif principal de la recherche clinique est de produire des connaissances généralisables, et que les sujets participant à l'essai puissent bénéficier des résultats de l'étude ou d'autres aspects de l'essai clinique.

« Therapeutic misestimation »

- Surestimation des bénéfices attendus et sous-estimation des risques potentiels

Nouveaux traitements : principe éthique d'autonomie du patient

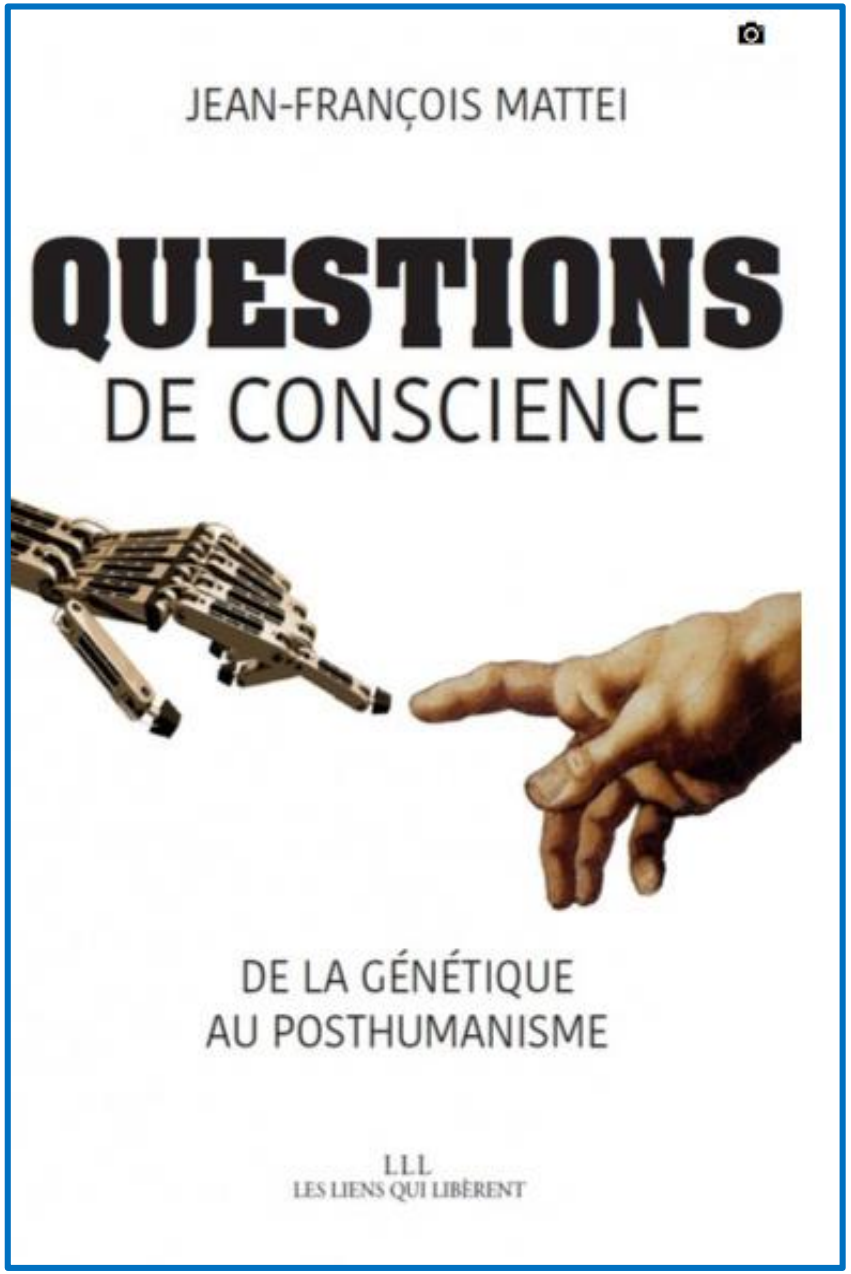
Optimisme Thérapeutique :	**Optimisme Utopique**
▪ Bonne compréhension du traitement ▪ Objectifs de traitement bien définis ▪ Équilibre risque / bénéfice bien compris ▪ ***Espoir positif vers une amélioration, pas vers une guérison***	▪ Des attentes disproportionnées par rapport aux objectifs définis ▪ Risques mal évalués ▪ Le traitement vu comme une panacée, entraînant de faux espoirs ▪ ***En attente de "miracles"***

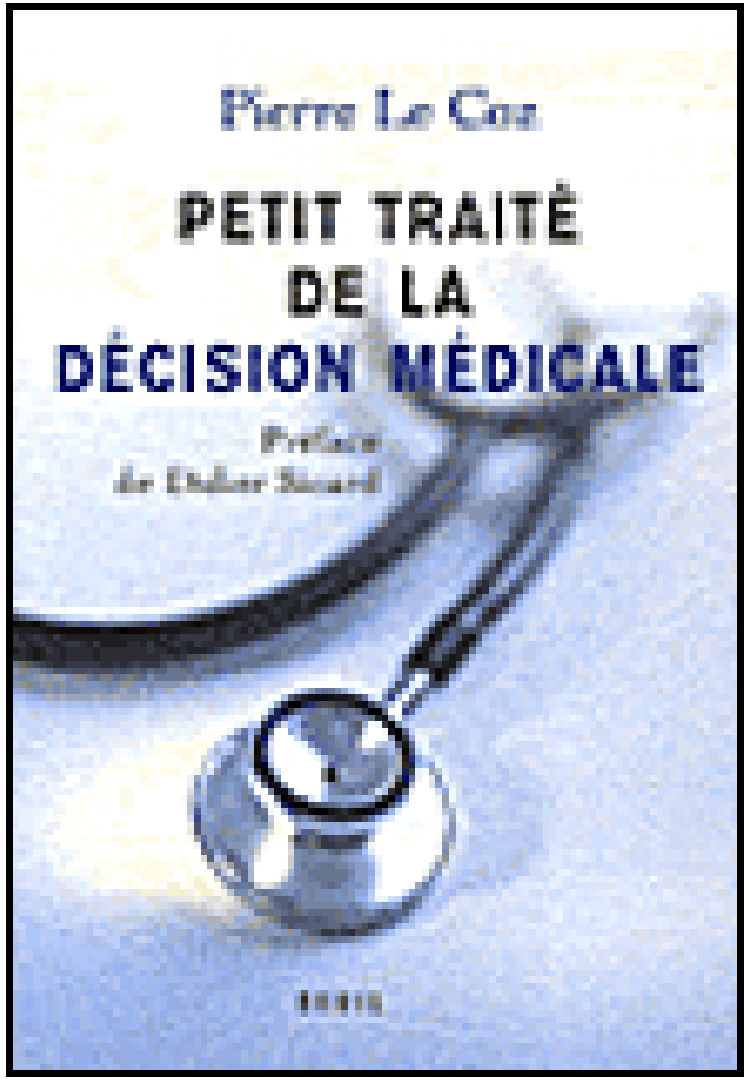
Technologie convergente :

Frontière incertaine entre réparation de l'homme et son amélioration

La culture du doute est necessaire pour armer notre pensée face aux défis à venir

Réflexion éthique, philosophique, et politique





Ethique de la décison médicale: autour de 4 concepts

- Autonomie
- Bienfaisance
- Non malfaisance
- Justice