Choix stratégique

Le choix du critère principal d'évaluation, dans un essai mené en vue d'obtenir une autorisation de mise sur le marché (AMM) d'un médicament, est un élément stratégique pour les firmes. Il est plus simple et moins coûteux de choisir un critère de survenue fréquente, sensible à de petites variations, facile à évaluer, qu'un critère pertinent mais peu fréquent, ou peu reproductible, ou difficile à chiffrer.

Pour l'évaluation des gélules contenant des protéines d'arachide afin de désensibiliser des patients allergiques à l'arachide (Palforzia°) (lire p. 167-170), le critère principal d'évaluation choisi était un test de tolérance standardisé, réalisé à l'hôpital. Dans ces conditions particulières, les données d'évaluation ont montré une diminution de la fréquence et de la gravité des réactions allergiques provoquées lors de ce test. Mais l'analyse des événements indésirables a mis en évidence une plus grande fréquence des réactions allergiques dans la vie quotidienne des patients par rapport à un placebo, y compris de réactions graves.

Il y a quelques mois, nous avons présenté l'évaluation de la fenfluramine, un amphétaminique proposé dans une forme grave d'épilepsie chez les enfants (Fintepla°) (n° 456, p. 736). L'efficacité avait été évaluée sur la fréquence des crises convulsives, nettement réduite. Mais l'analyse des événements indésirables montrait une plus grande fréquence des états de mal convulsif, des crises convulsives prolongées exposant à des séquelles neurologiques graves.

Certains critères d'évaluation faciles à étudier rapidement masquent parfois des résultats qui comptent vraiment pour les patients. Les choisir permet aux firmes d'obtenir plus facilement l'AMM et les chiffres d'affaires souhaités. Ce n'est certainement pas une garantie de qualité pour mieux soigner.

Information fournie par les firmes

Nous cotons sur 4 niveaux l'information reçue des firmes que nous avons interrogées.

Information approfondie, détaillée et adaptée, des données non publiées jusqu'au conditionnement.

Information limitée à des données publiées, administratives, ou de conditionnement.

Information minimale, ou limitée ou presque à des éléments administratifs et de conditionnement.

Rétention d'information.

COTATIONS PRESCRIRE - Nouvelles substances, indications, posologies, formes, etc.

Notre appréciation globale, symbolisée par une expression du bonhomme Prescrire, alias Gaspard Bonhomme, porte sur le progrès thérapeutique, tangible pour le patient, apporté par chaque nouvelle spécialité dans une indication précise : balance bénéfices-risques du médicament par rapport aux autres thérapeutiques disponibles.

BRAVO
Appréciation d'exception attribuée à un progrès thérapeutique majeur, d'efficacité et d'intérêt évidents dans un domaine où nous étions totalement démunis.

INTÉRESSANT
Apporte un progrès thérapeutique important mais avec certaines limites.

APPORTE QUELQUE CHOSE
L'apport est présent mais limité ; il est à prendre en compte sans toutefois devoir bouleverser le domaine de la thérapeutique considéré.

ÉVENTUELLEMENT UTILE
Intérêt thérapeutique supplémentaire minime. Il y a peu d'arguments devant conduire à changer d'habitude de prescription en dehors de cas particuliers.

N'APPORTE RIEN DE NOUVEAU
Il s'agit d'une nouvelle substance sans plus d'intérêt clinique démontré que les autres substances du même groupe, et parfois d'un me-too, voire d'une quasi-copie.

PAS D'ACCORD
Médicament qui ne présente aucun avantage évident mais qui a des inconvénients possibles ou certains.

LA RÉDACTION NE PEUT SE PRONONCER
Nous réservons notre jugement dans l'attente d'une évaluation plus approfondie du médicament.

Téléchargé sur prescrire.org le 18/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement