LES PALMARÈS PRESCRIRE 2023

Les trois Palmarès annuels de *Prescrire* sont élaborés en toute indépendance par la Rédaction (règlements disponibles sur Prescrire.org).

Le Palmarès 2023 des médicaments

Chaque mois, dans la rubrique "Rayon des Nouveautés", la Rédaction de *Prescrire* aide à faire le tri parmi les très nombreuses nouveautés médicamenteuses, en distinguant celles qui sont à ajouter à la liste des moyens thérapeutiques utiles pour mieux soigner de celles qui sont à écarter des soins. Pour cela, la Rédaction analyse de façon méthodique les données d'évaluation disponibles et pertinentes concernant les nouveaux médicaments, nouvelles indications, nouvelles formes pharmaceutiques et nouveaux dosages. Le Palmarès 2023 des médicaments a été élaboré à partir des synthèses publiées dans *Prescrire* au cours de l'année 2023.

Depuis 43 ans, l'équipe pluriprofessionnelle de *Prescrire* travaille en totale indépendance vis-à-vis des firmes du domaine de la santé.

En 2023, pas de Pilule d'Or et seulement un médicament primé

En 2023, aucun des médicaments analysés par *Prescrire* n'a apporté de progrès thérapeutique décisif à même de justifier une Pilule d'Or. Seul un médicament est primé, et est inscrit au Tableau d'Honneur.

Tableau d'Honneur : le blinatumomab (Blincyto°) dans la leucémie aiguë lymphoblastique lors d'une première rechute à haut risque chez les enfants. Environ 15 % à 20 % des enfants atteints d'une leucémie aiguë lymphoblastique (LAL) ont une rechute après un traitement de première ligne. La rechute est dite à haut risque quand elle survient dans les 18 mois suivant le diagnostic ou dans les 6 mois après la fin du traitement de première ligne. Le traitement est alors le plus souvent constitué de plusieurs phases de chimiothérapie, sans protocole de référence.

Chez les enfants atteints d'une LAL avec chromosome Philadelphie négatif ayant une première rechute à haut risque, le *blinatumomab* (un anticorps monoclonal anti-CD19 et anti-CD3) a été évalué en traitement dit de consolidation versus chimiothérapie dans un essai randomisé, sans procédure d'aveugle, chez 108 patients. Après un suivi d'au moins 31 mois pour la moitié des patients, la mortalité a été d'environ 17 % dans le groupe *blinatumomab* versus 43 % dans le groupe chimiothérapie. Des données avec plus de recul ont été publiées après la mise à jour de la recherche documentaire de notre texte (1). Selon ces données, obtenues après un suivi d'au moins 44 mois pour la moitié des patients, la mortalité à 4 ans a été estimée à 23 % dans le groupe *blinatumomab* versus 51 % dans le groupe témoin. Ces différences de mortalité sont statistiquement significatives.

Un autre essai randomisé, sans procédure d'aveugle, a comparé le *blinatumomab* à une posologie différente de celle préconisée dans le résumé des caractéristiques (RCP) européen, versus chimiothérapie. Les résultats ont aussi montré une diminution de la mortalité dans le groupe *blinatumomab*.

Le *blinatumomab* expose notamment à des : troubles neurologiques, pancréatites, syndromes de lyse tumorale, atteintes hématologiques. Dans ces essais, les effets indésirables graves du *blinatumomab* ont paru moins fréquents que ceux des chimiothérapies. Mais l'absence de procédure d'aveugle fragilise ces données.

Une diminution notable de la mortalité, démontrée dans deux essais randomisés comparatifs chez des enfants atteints d'une LAL en première rechute à haut risque, est un progrès net qui justifie l'inscription du *blinatumomab* au Tableau d'Honneur de ce Palmarès.

Le cas du *blinatumomab* illustre le fait que la balance bénéfices-risques d'un médicament dépend de la situation clinique. En effet, faute de démonstration d'un avantage clinique, la balance bénéfices-risques du *blinatumomab* est défavorable chez les adultes atteints d'une LAL en rémission avec des cellules tumorales résiduelles (lire n° 443, p. 653-654).

©Prescrire

1- Locatelli F et coll. "Improved survival and MRD remission with blinatumomab vs. chemotherapy in children with first high-risk relapse B-ALL" *Leukemia* 2023 ; **37** (1) : 222-225.

Pilule d'Or

Une Pilule d'Or est attribuée à un médicament qui constitue un progrès thérapeutique décisif dans un domaine où patients et soignants étaient particulièrement démunis

Non attribuée en 2023

Tableau d'Honneur 2023

Un médicament inscrit au Tableau d'Honneur apporte un progrès net pour certains patients par rapport aux moyens thérapeutiques déjà disponibles, avec certaines limites

Blincyto° (*blinatumomab*) Amgen

Dans la leucémie aiguë lymphoblastique lors d'une première rechute à haut risque, chez les enfants (n° 472)

Cité au Palmarès

Un médicament Cité au Palmarès contribue à améliorer, modestement, les moyens de prise en charge des patients

Aucun médicament cité en 2023

Téléchargé sur prescrire.org le 09/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement