Changer les règles

Un essai clinique est conçu pour répondre à une question principale. Et toute la méthodologie de l'essai est généralement élaborée dans cet objectif, notamment le choix du critère principal d'évaluation, le nombre de patients à inclure et l'analyse statistique des données. L'ajout d'autres critères d'évaluation dans le protocole démultiplie les comparaisons et les tests statistiques et augmente la probabilité d'observer des différences "statistiquement significatives" par le seul fait du hasard. En fait, en l'absence de différence statistiquement significative sur le critère principal, les analyses sur les autres critères d'évaluation servent surtout à formuler des hypothèses, plus qu'à démontrer des faits.

Dans l'essai versus placebo qui a évalué le tériflunomide (Aubagio°) chez les enfants et adolescents atteints d'une sclérose en plaques, il n'a pas été observé de différence statistiquement significative entre les groupes sur le critère principal d'évaluation d'une éventuelle efficacité (lire p. 419-420). Mais l'Agence européenne du médicament a donné un avis favorable à une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans cette tranche d'âge en prenant en compte les résultats sur un autre critère, avec un niveau de preuves hasardeux, et en mettant en avant les données d'efficacité du tériflunomide chez les adultes.

Changer les règles du jeu quand le résultat est décevant avec celles fixées est une tactique gagnante pour certains : pour la firme qui obtient ce qu'elle a demandé, et pour l'Agence qui évite de jouer le rôle ingrat de "gendarme du médicament" en s'opposant à une AMM.

En pratique, ce sont des patients qui risquent d'être les perdants de cette tactique, vu que ce médicament expose à des effets indésirables parfois graves.

Information fournie par les firmes

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

Information approfondie et adaptée à notre demande.

Information adaptée à notre demande, mais incomplète.

Information minimale, ou limitée à quelques éléments accessibles par ailleurs.

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 08/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement