Prononcer l'incertitude

Chaque mois, Prescrire examine dans quelle mesure les nouveaux médicaments et les nouvelles indications ou nouvelles formes de médicaments apportent ou non un progrès thérapeutique. Pour cela, la Rédaction analyse de façon méthodique les données d'évaluation, en les confrontant au meilleur choix thérapeutique disponible.

Dans certains cas, on manque de données probantes dans une situation clinique où on ne connaît pas de traitement efficace et suffisamment sûr. C'est le cas ce mois-ci avec l'avapritinib (Ayvakyt°) dans certaines tumeurs stromales digestives, et avec l'onasemnogène abéparvovec (Zolgensma°) dans l'amyotrophie spinale proximale (lire p. 575 et p. 571). Les données de leur évaluation à court terme montrent un vraisemblable allongement de la durée de vie dans une maladie mortelle. Mais l'évaluation initiale montre aussi que ces médicaments exposent peut-être à des effets indésirables particulièrement graves. Tous ces résultats reposent uniquement sur des essais non comparatifs, où peu de patients sont inclus, ce qui les rend très incertains. En somme, des résultats fragiles qui vont plutôt dans le sens d'un progrès, mais avec peu de garanties : des données complémentaires pourraient confirmer les résultats encourageants concernant l'efficacité, ou au contraire, montrer que ces médicaments n'apportent en réalité pas de progrès, ne sont pas plus efficaces qu'un placebo, et seraient finalement plus dangereux qu'utiles.

C'est le sens de la cotation "La Rédaction ne peut se prononcer" : non pas une esquive pour éviter de prendre position, mais un constat nuancé et prudent, qui illustre les incertitudes, jusqu'à ce que des résultats d'évaluation plus étoffés éclairent bien mieux des décisions thérapeutiques importantes.

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