Persévérance

Depuis des dizaines d'années, on sait que pour obtenir des données de haut niveau de preuves d'évaluation clinique d'un traitement, il vaut mieux effectuer des essais comparatifs randomisés en double aveugle.

Dans les dossiers d'évaluation présentés par les firmes aux agences du médicament en vue d'une autorisation de mise sur le marché (AMM), on trouve souvent un essai de ce type. Et il est fréquent que l'intérêt des résultats soit cependant altéré par tel ou tel biais, ou par la difficulté à extrapoler les résultats à de nombreux patients (lire par exemple le cas de l'association sacubitril + valsartan (Entresto°), dans ce numéro pages 645-650).

Parfois, les agences se contentent de données pas vraiment comparatives, comme pour le sonidégib (Odomzo° ; pages 652-654).

Mais le cas de l'idébénone dans la neuropathie héréditaire de Leber est hors norme (Raxone° ; pages 651-652). Dans l'essai comparatif présenté par la firme, le médicament n'a pas été plus efficace qu'un placebo. Logiquement, l'Agence européenne du médicament a refusé l'AMM.

Sans se décourager, la firme a alors ajouté des données non comparatives à sa demande d'AMM. Non comparatives, et non probantes. Et l'Agence a fini par donner un avis favorable pour ce médicament sans efficacité clinique démontrée au-delà de l'efficacité d'un placebo, mais avec des effets indésirables ! Face à l'obstination des firmes à faire valoir leurs intérêts, et aux faiblesses des agences et des décideurs politiques, les patients et les soignants ont aussi à persévérer fort dans leurs exigences : en exigeant toujours et encore des médicaments correctement évalués et qui apportent un progrès tangible pour les patients.

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