

## Trop court terme

*Certaines maladies évoluent lentement, avec leurs principales complications des années, voire des décennies, après le diagnostic.*

*Dans l'intérêt des patients, on s'attend à ce que l'autorisation de mise sur le marché (AMM) d'un nouveau médicament repose sur une évaluation d'une durée qui approche la durée d'exposition au médicament dans la vraie vie. On connaîtrait non seulement ses éventuels effets à court terme mais aussi ses effets à long terme, sur la maladie ou liés au médicament. Pourtant, cette démarche n'est pas souvent suivie : en général, l'évaluation est effectuée à court terme, ou à un terme ne permettant de mettre en évidence que des frémissements d'effets, souvent très incertains.*

*Trois nouveaux exemples : l'acide obéticholique (Ocaliva<sup>o</sup>) évalué pendant seulement un an dans la cholangite biliaire primitive (p. 326-327), le canakinumab (Ilaris<sup>o</sup>) dans des fièvres récurrentes héréditaires (p. 334-336) et la mercaptamine en collyre (Cystadrops<sup>o</sup>) dans la cystinose (p. 331-333), chacun évalué pendant quelques mois. Une évaluation étriquée, menant à une AMM trop précoce, qui ne permet pas de savoir ce qu'apporte réellement le médicament au-delà d'extrapolations hasardeuses.*

*Les patients sont ainsi conduits à prendre des médicaments dont les effets à court terme sont relativement cernés, sauf ceux qui sont peu fréquents, mais avec une grande incertitude sur les effets à long terme. Au fil du temps, si l'efficacité se révèle marginale par rapport aux effets indésirables alors mieux connus, ce n'est que tardivement que l'on réalise que la balance bénéfiques-risques est défavorable. Au final, ce sont les patients qui paient les pots cassés de ce défaut d'évaluation. Le retrait d'AMM du daclizumab (Zinbryta<sup>o</sup>) en est un exemple (p. 328-330).*



### 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.