

## Réalité

*Le concept de thérapie génique est séduisant : quand une maladie est causée par l'altération d'un gène, remplacer le gène défectueux pourrait conduire à la guérison.*

*Mais en réalité, une fois administrée au patient, pendant combien de temps la "copie" du gène va-t-elle conduire à la synthèse de la protéine fonctionnelle ? Quelques mois ? quelques années ? toute la vie ? La réponse à cette question est importante, car si la synthèse de la protéine fonctionnelle diminue au cours du temps et que des troubles persistent ou réapparaissent, alors l'espoir de guérison est anéanti.*

*Le valoctocogène roxaparvovec (Roctavian<sup>o</sup>) est une thérapie génique autorisée dans l'hémophilie A (lire "Valoctocogène roxaparvovec et hémophilie A" p. 656-657). Les premières données d'évaluation clinique montrent qu'après son administration, certains patients ont pu arrêter les perfusions régulières de facteur VIII de la coagulation. Mais ces données montrent aussi que pour certains d'entre eux (dont le nombre augmente au fil des années), cet arrêt a été temporaire, avec la nécessité de recourir de nouveau au long cours à un traitement préventif des hémorragies.*

*Très souvent, dans le domaine de la santé, il y a loin de la théorie à la pratique et du concept séduisant à la réalité des soins. Quel que soit le type de thérapie, il est important de prendre en compte la réalité des données d'évaluation et d'échanger avec le patient sur les bénéfices prévisibles, les incertitudes et les risques auxquels la thérapie expose.*



### 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.



#### **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.



#### **INTÉRESSANT**

Apporte un progrès thérapeutique important mais avec certaines limites.



#### **PAS D'ACCORD**

Médicament qui ne présente aucun avantage évident mais qui a des inconvénients possibles ou certains.



#### **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.



#### **LA RÉDACTION NE PEUT SE PRONONCER**

Nous réservons notre jugement dans l'attente d'une évaluation plus approfondie du médicament.



#### **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.