

## Pas d'accord !

Quand un nouveau médicament n'a pas d'efficacité clinique démontrée et qu'il semble exposer à des risques graves, il paraît évident qu'il est plus dangereux qu'utile, d'où notre cotation "Pas d'accord". Mais même quand ils ont une certaine efficacité, certains médicaments sont plus dangereux qu'utiles.

Dans les anémies liées à une insuffisance rénale chronique, les époétines sont la référence, malgré leurs limites. Dans les bêta-thalassémies, les transfusions régulières sont un premier choix, malgré leurs contraintes et la surcharge en fer qu'elles entraînent. Deux nouveaux médicaments semblent avoir une certaine efficacité clinique dans chacune de ces situations : le roxadustat (Evrenzo<sup>®</sup>) dans l'insuffisance rénale chronique et le luspatercept (Reblozyl<sup>®</sup>) dans les bêta-thalassémies. Mais à bien analyser leur évaluation, leur efficacité clinique est marginale comparée à leurs risques : augmentation de la mortalité chez certains patients avec le roxadustat (lire p. 807), atteintes rénales graves et peut-être cancers avec le luspatercept (lire p. 819).

Face à des résultats en faveur d'une certaine efficacité d'un nouveau médicament, il est tentant de minimiser les risques observés dans les essais, et de sous-estimer ceux qui sont prévisibles, surtout face aux contraintes et limites du traitement de référence. Mais quand le médicament est plus dangereux qu'utile, il est alors préférable de protéger les patients.

C'est aussi le sens de notre cotation "Pas d'accord", qui annonce clairement que l'évaluation du médicament montre une balance bénéfices-risques trop déséquilibrée, malgré les espoirs ou les promesses qui accompagnent la nouveauté.



### 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.