

# RAYON DES NOUVEAUTÉS

## C O T A T I O N P R E S C R I R E

### Nouvelles substances - Nouvelles indications

Notre appréciation globale (symbolisée par une expression du bonhomme Prescrire, alias Gaspard Bonhomme) porte sur le progrès thérapeutique, tangible pour le malade, apporté par chaque nouvelle spécialité dans une indication précise : valeur absolue du médicament jugée sur sa balance bénéfices-risques, mais aussi valeur relative 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 peut s'agir d'une nouvelle substance mais dans une classe déjà abondamment fournie et qui n'a pas d'intérêt clinique supplémentaire démontré ; ou bien, plus souvent, c'est une simple copie.



**LA RÉDACTION NE PEUT SE PRONONCER** : nous réservons notre jugement dans l'attente d'une évaluation plus approfondie du médicament.



**PAS D'ACCORD** : médicament qui ne présente aucun avantage évident mais qui a des inconvénients possibles ou certains.

### Substances copiées

Nous cotons sur 4 niveaux l'intérêt d'une substance, dans l'indication où cet intérêt est le plus grand : lire "les Copies du mois" dans ce numéro.

### 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 restreinte aux éléments administratifs et à des données publiées.



Information minimale, limitée ou presque à des éléments administratifs.



Rétention d'information.

## LE MOT DE GASPARD

### Orphelins

Dans le Rayon des nouveautés de ce numéro, nous analysons le dossier d'évaluation de deux médicaments dits orphelins, destinés au traitement de maladies rares : le *tafamidis* (Vyndaqel<sup>®</sup>) (page 808) et l'*acide carglumique* (Carbaglu<sup>®</sup>) (page 813). Pourquoi *Prescrire* s'intéresse-t-elle à des médicaments, dont l'utilisation reste confidentielle du fait du peu de patients concernés ? Pourquoi analyser le dossier de médicaments prescrits seulement par des soignants hyperspécialisés ?

L'information des soignants sur les médicaments, quel que soit leur degré de spécialisation, est largement entre les mains de l'industrie pharmaceutique, qui par nature est juge et partie. Mais l'intérêt des patients est d'être entourés par des soignants qui partagent un socle d'informations communes, fiables, notamment sur la balance bénéfices-risques de leurs traitements et des différentes autres options thérapeutiques.

En pratique, si ces médicaments "orphelins" sont prescrits par des spécialistes, ce sont ensuite souvent des soignants de premier recours qui sont confrontés à la gestion de ces médicaments, en particulier celle des effets indésirables.

Par définition chacune de ces maladies est rare, mais les maladies rares sont nombreuses. La probabilité est forte qu'un soignant soit confronté à au moins une maladie rare chez un des patients qui le sollicitent. Ces textes ne sont pas destinés à être mémorisés sur le champ. Ils font partie du système documentaire *Prescrire*, et chaque abonné peut y accéder facilement, grâce au moteur de recherche du site [www.prescrire.org](http://www.prescrire.org) (ou de la bibliothèque électronique *Prescrire*), le moment venu.