

## Exclus

Choisir un traitement dépend de critères propres au patient : son état de santé, ses antécédents de traitements, ses préférences, etc. Et aussi de critères propres au traitement, notamment son efficacité dans la situation clinique en question, ses effets indésirables connus et ceux prévisibles. Les essais comparatifs apportent beaucoup d'informations à ce sujet, à condition que les critères d'évaluation soient utiles pour les patients et que les effets indésirables soient correctement rapportés.

La demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) du régorafénib (Stivarga<sup>o</sup>) dans le carcinome hépatocellulaire repose justement sur un essai randomisé, en double aveugle versus un comparateur adéquat, avec comme critère principal la durée de vie. Dans cet essai, les participants qui ont reçu du régorafénib ont globalement vécu un peu plus longtemps que les autres, avec des effets indésirables acceptables au vu des résultats (lire pages 893-894). Serait-ce pour autant le meilleur choix pour tous les patients ?

Pas sûr... car les promoteurs de l'essai ont inclus uniquement des patients en bon état général, malgré la maladie et les traitements déjà reçus. Pour les patients plus abattus, il n'y a pas d'évaluation. Du fait de leur état de santé, vont-ils aussi tirer un bénéfice du traitement, et si oui, de quelle ampleur ? Chez eux, les effets indésirables vont-ils être plus fréquents ou plus graves, au point d'inverser la balance bénéfices-risques ? Pourquoi ne pas avoir évalué le médicament chez ces patients ? Pour les protéger ? Pour gonfler les résultats d'efficacité ? Pour éviter la manifestation de certains effets indésirables ?

Exclure certains patients des essais crée du flou, et cela complique le choix des soignants et des 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.



#### 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.