Investir dans des essais informatifs

Combien coûtent les essais cliniques fournis par les firmes en vue d'obtenir une autorisation de mise sur le marché (AMM) pour un médicament ?

Quelques dizaines de millions d'euros en moyenne seulement par essai. Les dossiers de demande d'AMM comportent notamment les résultats d'essais cliniques dits pivots, car cruciaux pour documenter la balance bénéfices-risques d'un médicament dans la situation clinique donnée. Des auteurs de plusieurs instituts de santé publique étatsuniens ont estimé le coût des 138 essais "pivots" correspondant aux 59 spécialités pharmaceutiques autorisées par l'Agence étatsunienne du médicament (FDA) en 2015 et 2016 (**a**)(1). Le coût des essais a été estimé en utilisant un outil de modélisation habituellement utilisé par les firmes pharmaceutiques et les entreprises d'essais cliniques qui prend en compte de très nombreuses données de coûts réels en provenance de 60 pays (1).

Selon cette étude, le coût médian d'un essai a été estimé à 19 millions de dollars US. Les extrêmes ont été 2,1 millions de dollars US pour un essai sur 4 patients pour un médicament orphelin, et 347 millions de dollars US pour un essai de non-infériorité évaluant un médicament versus comparateur de référence sur un critère clinique (1). La moitié des essais ont coûté entre 12 millions et 33 millions de dollars US par essai (1).

Ces coûts démontrent au passage le caractère improbable et contestable des estimations habituellement répandues, allant jusqu'à plusieurs milliards de dollars, pour les coûts totaux de recherche et développement d'un nouveau médicament (2).

Les preuves solides coûtent plus cher. Les coûts moyens estimés pour ces essais variaient de façon prévisible avec leur durée et leur taille. Vingt millions de dollars US pour les essais durant moins de 26 mois versus 52 millions pour les essais plus longs. Six millions de dollars US quand moins de 100 patients étaient inclus versus 77 millions avec plus de 1 000 patients (1).

La nature du comparateur et le recours à un critère d'évaluation clinique pèsent aussi sur la facture. Treize millions de dollars US sans groupe témoin, versus 29 millions en cas de comparaison avec un placebo, et 49 millions avec un comparateur actif. Les essais utilisant des critères d'évaluation intermédiaires n'ont coûté en moyenne que 24 millions de dollars US, versus 65 millions avec un critère d'évaluation clinique (1).

Les essais plus informatifs sont donc plus chers. C'est le prix de leur utilité pour les patients et les soignants : ils aident à faire de meilleurs choix thérapeutiques (3).

Dans un contexte où la majorité des médicaments mis sur le marché n'apportent pas de véritable progrès thérapeutique, il est peu probable que les firmes conduisent, sans contrainte, des essais plus coûteux mais plus informatifs, qui risquent de leur être défavorables. Le système est faussé depuis des décennies.

Quand les pouvoirs publics vont-ils inverser la tendance ?

©Prescrire

a- *Seulement 16 des 59 médicaments ont suivi la procédure standard d'AMM de la FDA, exigeant au moins deux essais pivots. Les 43 autres médicaments ont suivi l'une ou l'autre des procédures allégées d'AMM. Quelques dossiers comportaient plus de deux essais pivots, en raison d'indications multiples (réf. 1).*

Extraits de la veille documentaire Prescrire

1- Moore TJ et coll. "Estimated costs of pivotal trials for novel therapeutic agents approved by the US food and drug administration, 2015-2016" *JAMA Intern Med* 2018 ; 10.1001/jamainternmed.2018.3931 : 5 pages.
2- Prescrire Rédaction "Nouveaux médicaments des cancers : mal évalués, peu efficaces et trop chers" *Rev Prescrire* 2018 ; **38** (412) : 134.
3- Ross JS "Clinical trials - We get what we pay for" *JAMA Intern Med* 2018 ; 10.1001/jamainternmed.2018.3930 : 1 page.

Téléchargé sur prescrire.org le 20/04/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement