

## LE MOT DE GASPARD

### Garanties

Les médicaments destinés à des malades atteints de maladies rares sont de plus en plus nombreux, en particulier les médicaments dits “orphelins” dans l’Union européenne. Ils sont vendus et pris en charge par la collectivité à raison de milliers d’euros par mois et par malade, pour des traitements souvent non curatifs et prolongés indéfiniment. Mais tous ne sont pas précieux.

La balance bénéfices-risques du *rufinamide* (Inovelon<sup>o</sup>) dans le syndrome épileptique dit de Lennox-Gastaut est très incertaine (lire page 94). La balance bénéfices-risques de l’*idursulfase* (Elaprase<sup>o</sup>) dans la mucopolysaccharidose de type II (alias syndrome de Hunter) est défavorable ; les réactions d’hypersensibilité sont avérées, mais pas les bénéfices pour les patients qui ont participé à l’évaluation clinique initiale (lire page 93). L’emploi de ces médicaments en dehors d’essais cliniques est prématuré.

Le recul est indispensable. C’est grâce à des années de recul que l’intérêt majeur de l’*acide carglumique* (Carbaglu<sup>o</sup>) s’est confirmé pour les malades atteints d’un trouble très particulier du cycle de l’urée (lire page 85). C’est grâce à des années de recul qu’un effet indésirable grave de la *mercaptopurine* (alias *cystéamine*) (Cystagon<sup>o</sup>) sur les vaisseaux est devenu perceptible, revers de son efficacité dans la cystinose (lire page 110). Au moins l’évaluation initiale de ces médicaments était-elle déjà probante.

Mais malgré le recul de plusieurs années de traitement de centaines de patients, force est de constater que l’*alpha-1 antitrypsine* (Alfalastin<sup>o</sup>) n’apporte pas de progrès tangible à ceux dont l’emphysème est lié à un déficit en cette substance (lire page 92).

En fait, les patients atteints de maladies rares, comme les autres patients, ont besoin que l’autorisation de mise sur le marché (AMM) des médicaments apporte des garanties concrètes, et pas seulement des espoirs.



## COTATION PRESCRIRE

### 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.

### Médicaments avec publicité grand public

Notre appréciation globale (symbolisée par un feu tricolore) porte sur les garanties de sécurité qu’offre la spécialité dans le cadre de la promotion directe auprès du grand public pour susciter des achats.



**D’ACCORD** : la spécialité a une balance bénéfices-risques bien connue et nettement favorable. Son utilisation en automédication est acceptable.



**PRUDENCE** : la spécialité peut être utilisée en automédication, mais avec certaines précautions.



**PAS D’ACCORD** : la balance bénéfices-risques de la spécialité est défavorable dans le cadre de l’automédication.

### Substances copiées

Nous cotons sur 4 niveaux l’intérêt d’une substance, dans l’indication où cet intérêt est le plus grand : lire dans ce numéro page 102.

### 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.