

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[°]) dans le syndrome épileptique dit de Lennox-Gastaut est très incertaine (lire page 94). La balance bénéfices-risques de l’*idursulfase* (Elaprase[°]) 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[°]) 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 *mercaptamine* (alias *cystéamine*) (Cystagon[°]) 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[°]) 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.

