

LE MOT DE GASPARD

Pari

Il faut du temps, beaucoup de temps, pour connaître toutes les propriétés d'un médicament. Ainsi le *thalidomide* (Thalidomide Pharmion° ; dans ce numéro page 12). Dans les années 1950, il était exploité comme sédatif. Après le désastre de ses effets tératogènes, l'attention s'est portée sur son effet immunodépresseur.

Il a été de plus en plus étudié dans le traitement du myélome. Peu à peu, on est arrivé à ce qu'en 2008, une autorisation de mise sur le marché (AMM) le place en traitement de première ligne du myélome des malades âgés.

Cette AMM repose principalement sur 2 essais cliniques. Les résultats du premier essai ont montré un gain de survie d'environ 18 mois. Les résultats d'une analyse intermédiaire de l'autre essai allaient dans le même sens. C'est beaucoup mieux que dans de nombreuses demandes d'AMM en oncologie, appuyées sur des résultats beaucoup plus modestes, et pourtant suffisant aux agences du médicament pour accepter l'AMM.

Mais l'évaluation d'un médicament ne se résume pas à un dossier de demande d'AMM.

Les résultats complets du deuxième essai n'ont finalement pas montré de gain réel de survie. Les résultats de trois autres essais sont devenus disponibles : il n'est apparu de gain de survie que dans un seul de ces trois essais. L'enthousiasme initial s'est dissipé. Le progrès apporté par le *thalidomide* dans le myélome des malades âgés est vraisemblablement modeste, compte tenu des effets indésirables.

L'octroi d'une AMM d'un médicament repose sur le pari que les premières données réunies seront à peu près confirmées par la suite. Quand les agences du médicament n'exigent pas assez de recul ni au moins un essai de confirmation, les patients risquent fort d'être les victimes d'un pari hâtif et imprudent.

A stylized signature of 'Gaspard' in black ink, with a small cartoon character wearing a white cap and a red cross on its forehead, positioned above the 'p'.