

RAYON DES NOUVEAUTÉS

C O T A T I O N P R E S C R I R E

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.

Substances copiées

Nous cotons sur 4 niveaux l'intérêt d'une substance, dans l'indication où cet intérêt est le plus grand : lire "les Copies du mois" dans ce numéro.

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.

LE MOT DE GASPARD

Dispense

Obtenir une AMM oblige une firme pharmaceutique à évaluer le médicament dans les situations cliniques précisées par l'AMM, de sorte qu'en général utiliser une spécialité pharmaceutique dans le cadre de l'AMM expose les patients à moins de risques et d'incertitudes que l'utilisation hors AMM. Mais de nombreuses situations peu fréquentes sont jugées peu rentables par les firmes, qui ne demandent pas d'AMM dans ces conditions. Patients et soignants sont alors tentés par des utilisations hors AMM malgré les risques, et, a priori, l'absence de prise en charge par l'assurance maladie.

Un arrêté du ministère de la santé, suite à un avis de la Haute autorité de santé, a rendu en 2011 la *mélatonine* (Circadin^o) prise en charge sur une base forfaitaire et par dérogation dans certaines situations hors AMM concernant des enfants dont le sommeil est perturbé par certaines maladies neurologiques rares (lire dans ce numéro p. 739). La HAS a constaté en 2010 que les données d'évaluation sont « *limitées et de faible niveau de preuves* ». Elle s'est prononcée pour une prise en charge hors AMM, à condition d'un simple suivi de cohorte visant à mieux connaître les effets indésirables et à préciser les « *posologies effectives* ».

La HAS a pourtant constaté que des centaines d'enfants sont concernés en France ; ce qui permet de mener des essais comparatifs solides. Il y avait là une bonne occasion de conditionner la prise en charge à la conduite de tels essais, avec une forme pédiatrique adaptée, en vue de cerner beaucoup mieux la balance bénéfices-risques de la *mélatonine* dans cette situation et de décider alors en connaissance d'étendre l'AMM, ou pas, et de mettre un terme le cas échéant à certaines prises en charge d'un emploi injustifié.

Tous les patients ont besoin d'accéder à des soins de qualité. Sans dispense.