

Hâte, sans précipitation

La mucoviscidose est une maladie rare, d'évolution lente, sans traitement curatif connu. Elle altère progressivement la vie et elle l'écourte. D'où de grandes attentes des patients, de leur entourage et de leurs soignants. Cela justifie-t-il d'évaluer les médicaments chez peu de patients, durant peu de temps, sur des critères sans corrélation démontrée avec l'évolution clinique ? C'est pourtant ainsi qu'ont été évalués l'ivacaftor (Kalydeco[®]) et l'association ivacaftor + lumacaftor (Orkambi[®]) chez les enfants âgés de 2 ans à 12 ans atteints d'une mucoviscidose (lire p. 177-178).

La mucoviscidose est une maladie rare, mais plusieurs dizaines de milliers de patients en sont atteints dans le monde. Inclure dans des essais un nombre suffisant de patients, et obtenir ainsi une évaluation de niveau de preuves acceptable, permet aussi une meilleure extrapolation des résultats à un grand nombre de patients.

La mucoviscidose est d'évolution lente. On ne connaît pas de critères intermédiaires satisfaisants pour évaluer l'effet d'un traitement. Il est donc nécessaire que les essais cliniques réalisés chez ces patients aient une durée suffisamment longue, afin de mesurer correctement l'efficacité éventuelle du médicament sur des critères cliniques, concrets pour les patients. Même si cela allonge les essais. Une évaluation suffisamment longue est aussi une opportunité d'en savoir plus sur les effets indésirables.

La gravité de la mucoviscidose justifie une certaine hâte dans la recherche de traitements efficaces sans trop d'effets indésirables. Mais avec suffisamment de patients et des critères d'évaluation pertinents pour eux. Même si cela nécessite de prendre du temps. De la hâte, mais sans précipitation.



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 limitée à des données publiées, administratives, ou de conditionnement.



Information minimale, ou limitée ou presque à des éléments administratifs et de conditionnement.



Rétention d'information.

COTATIONS PRESCRIRE - Nouvelles substances, indications, posologies, formes, etc.

Notre appréciation globale, symbolisée par une expression du bonhomme Prescrire, alias Gaspard Bonhomme, porte sur le progrès thérapeutique, tangible pour le patient, apporté par chaque nouvelle spécialité dans une indication précise : balance bénéfices-risques du médicament 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 s'agit d'une nouvelle substance sans plus d'intérêt clinique démontré que les autres substances du même groupe, et parfois d'un me-too, voire d'une quasi-copie.



PAS D'ACCORD

Médicament qui ne présente aucun avantage évident mais qui a des inconvénients possibles ou certains.



LA RÉDACTION NE PEUT SE PRONONCER

Nous réservons notre jugement dans l'attente d'une évaluation plus approfondie du médicament.