

## Méthode au service des patients

Pour les patients atteints d'une maladie grave, le temps est compté, surtout quand l'évolution est rapide. Des considérations physiologiques, des effets observés in vitro ou chez des animaux, des observations empiriques de guérison sont autant de bonnes raisons pour effectuer des essais comparatifs de traitements. Cependant, même quand le temps presse, avant d'exposer de nombreux patients en dehors du cadre de la recherche clinique, un minimum de connaissance est crucial. Que sait-on du risque d'aggraver l'état de santé de certains patients ? Les effets indésirables connus ou prévisibles sont-ils acceptables au regard du peu de certitudes sur son efficacité clinique ?

Parfois, après de premiers résultats parcellaires justifiant de poursuivre la recherche, des données plus solides démontrent l'efficacité clinique. Comme c'est le cas par exemple avec l'abémaciclib (Verzenios<sup>o</sup>) chez des patientes atteintes d'un cancer du sein. L'utilisation de ce médicament devient ainsi justifiée (lire "Abémaciclib avec plus de recul" p. 331-332). Mais parfois, après l'obtention de premières données fragiles jugées "prometteuses", des résultats avec un meilleur niveau de preuves ne montrent pas d'efficacité clinique. On réalise alors tardivement que des patients ont été exposés aux effets indésirables graves d'un médicament sans efficacité clinique, comme avec l'olaratumab (ex-Lartruvo<sup>o</sup>) dans les sarcomes des tissus mous, finalement retiré du marché mondial en 2019 (lire n° 434 p. 943-944).

L'évaluation des traitements avec méthode, fondée sur des essais conçus pour que les résultats soient probants, avec un niveau de preuves suffisant et des critères d'évaluation cliniques et concrets pour les patients, est le meilleur moyen de garantir une utilisation des médicaments à bon escient, sans nuire inutilement.



### 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.