

## Essais avant AMM : trop peu de patients

Combien de personnes ont été exposées à un nouveau médicament avant qu'une autorisation de mise sur le marché (AMM) soit accordée ? Une équipe a étudié les AMM européennes accordées entre 2000 et 2010 (a)(1).

**Trop peu de patients, trop peu de temps.** Selon cette étude, les 161 nouveaux médicaments non "orphelins" autorisés pendant cette période ont été testés en moyenne chez environ 1 700 personnes (1). 56 % des médicaments ont été testés chez moins de 2 000 personnes, et 12 % chez moins de 500 personnes.

Pour les médicaments destinés à une utilisation au long cours, le nombre de personnes incluses dans les essais a été en général un peu plus élevé : en moyenne 2 340 personnes. Mais seulement 30 % de ces médicaments ont été testés au moins 12 mois chez plus de 1 000 patients (1).

Pour ces auteurs, le nombre de patients inclus dans les essais avant AMM est insuffisant pour évaluer efficacité et risques à long terme des médicaments (1).

**AMM au rabais.** Il n'existe pas de nombre minimal légal de personnes à inclure dans les essais cliniques avant AMM. Le nombre retenu est souvent le minimum nécessaire pour obtenir une puissance statistique suffisante en termes d'efficacité (1,2).

Les agences du médicament acceptent trop souvent des évaluations au rabais : absence de comparaison contre traitement de référence, évaluation sur des critères intermédiaires, etc. Le faible nombre de personnes sur lesquelles le médicament a été évalué est un autre exemple du faible niveau d'exigence envers les firmes. Aux dépens des patients qui sont notamment soumis au risque d'effets nocifs mal connus voire insoupçonnés au cours des essais (3).

Une surveillance après commercialisation ne peut pas remplacer une évaluation initiale de qualité. La protection des patients passe par une évaluation exigeante avant AMM. C'est dans ce sens que doit évoluer la législation encadrant les essais cliniques, et non l'inverse.

©Prescrire

a- Les auteurs de cette étude travaillaient dans des universités néerlandaises ou dans les agences du médicament néerlandaise et britannique (réf. 1).

Extraits de la veille documentaire Prescrire.

1- Duijnhoven RG et coll. "Number of patients studied prior to approval of new medicines : a database analysis" *PLoS Med* 2013 ; **10** (3) : e1001407.

2- Prescrire Rédaction "Puissance d'une étude comparative. À prendre en compte pour interpréter certains résultats" *Rev Prescrire* 2008 ; **28** (298) : 634-636.

3- Prescrire Rédaction "Puissance d'une étude : à propos de la détection d'un effet tératogène" *Rev Prescrire* 2013 ; **33** (358) : 587.

