

## Des gagnants et des perdants

Dans l'Union européenne, depuis le milieu des années 2000, l'autorisation de mise sur le marché (AMM) d'un médicament peut être conditionnelle, c'est-à-dire accordée à condition que la firme apporte par la suite les données justifiant une AMM standard, "pleine et entière". L'objectif affiché est louable : donner accès plus rapidement à un médicament dans des situations où patients et soignants sont démunis.

En contrepartie, les patients sont exposés à des médicaments moins connus, avec un risque plus grand qu'ils s'avèrent plus dangereux qu'utiles, et que certains patients se retrouvent perdants. Autrement dit, le service rendu aux firmes par les AMM conditionnelles est certain, celui rendu aux patients beaucoup moins.

Ainsi, le rucaparib a été autorisé en 2019 avec une AMM conditionnelle dans certains cancers de l'ovaire, alors qu'aucunes données comparatives n'étaient disponibles et que le bénéfice clinique présumé n'était qu'une hypothèse.

L'Agence européenne du médicament (EMA) s'est prononcée favorablement à l'octroi de l'AMM, sans attendre les résultats d'un essai clinique comparatif en cours, en faisant le choix d'exposer des patientes à ce médicament à l'intérêt incertain. Depuis, les résultats de cet essai ont montré que le rucaparib était moins efficace que d'autres cytotoxiques (lire p. 903). Et l'EMA a rétrogradé en proposant le retrait de cette indication en 2022 : trop tard pour les patientes exposées pendant ce laps de temps, alors que d'autres options plus efficaces étaient disponibles.

Dans ce même numéro (p. 893), nous présentons le pralétinib dans certains cancers bronchiques, avec une AMM conditionnelle octroyée sans attendre les résultats d'un essai comparatif en cours, et déjà des effets indésirables fréquents et graves. Un pari lucratif pour la firme, dont on ne saura que dans quelques années si les patients en sortent gagnants... ou non.



### 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.



#### **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.



#### **INTÉRESSANT**

Apporte un progrès thérapeutique important mais avec certaines limites.



#### **PAS D'ACCORD**

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



#### **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.



#### **LA RÉDACTION NE PEUT SE PRONONCER**

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



#### **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.