

Les Palmarès Prescrire 2014



Palmarès des médicaments, Palmarès du conditionnement, Palmarès de l'information : les trois Palmarès annuels de *Prescrire* sont élaborés en toute indépendance par la Rédaction. Ils complètent le bilan annuel publié en début de chaque année. Les règlements des Palmarès sont disponibles sur www.prescrire.org.



Palmarès 2014 des médicaments

Le Palmarès des médicaments porte sur les médicaments présentés dans le "Rayon des Nouveautés" durant l'année 2014.

Chaque mois, la Rédaction de *Prescrire* présente une analyse comparative et méthodique des données disponibles sur les nouveaux médicaments commercialisés, ou sur de nouvelles indications thérapeutiques. L'objectif est de distinguer parmi la masse des nouveautés commerciales et le "bruit" promotionnel, ce qui mérite d'être intégré en pratique dans la liste des moyens thérapeutiques déjà existants, ou de remplacer d'anciens médicaments pour mieux soigner. Mais aussi de signaler les nouveautés qui sont à écarter.

Ce travail est mené selon des procédures rigoureuses, détaillées en introduction du bilan 2015 des médicaments à écarter, pages 144 et 145, et sur le site www.prescrire.org. Ces procédures incluent notamment une recherche documentaire méthodique, le recours à un groupe de relecteurs spécifique pour chaque projet de synthèse et divers contrôles qualité vérifiant la cohérence du texte avec l'ensemble des données référencées.

En toute indépendance. Ce travail est mené par la Rédaction de *Prescrire* en totale indépendance vis-à-vis des firmes et des institutions : son financement repose exclusivement sur les abonnés, sans subvention ni aucun fonds publicitaire. La publication du bilan financier annuel de *Prescrire*, dans chaque numéro du mois de mars, témoigne de cette indépendance.

Pilule d'Or

Depuis 1981, la "Pilule d'Or" est attribuée aux médicaments qui constituent un progrès thérapeutique décisif dans un domaine où patients et soignants étaient totalement démunis.



2014	ORPHACOL° (acide cholique) Cell Therapies Research & Services (CTRS) Au vu de la gravité de certains déficits héréditaires en acides biliaires, le plus souvent mortels dans l'enfance, l' <i>acide cholique</i> est un progrès majeur qui augmente largement l'espérance de vie à condition que le traitement soit commencé tôt (n° 373)
2007 (n° 292)	CARBAGLU° (acide carglumique) (ré-analyse avec recul)
2006 (n° 280)	ORFADIN° (nitisinone)
1998 (n° 192)	CRIXIVAN° (indinavir)
1996 (n° 169)	DIGIDOT° (anticorps antidigitaliques) (1)
1992 (n° 125)	SURFEXO° (surfactant pulmonaire) (1)
1989 (n° 92)	EPREX° (époétine alfa) • MECTIZAN° (ivermectine)
1988 (n° 81)	LARIAM° (méfloquine) • RETROVIR° (zidovudine)
1987 (n° 71)	LUTRELEF° (gonadoréline) • DÉCAPEPTYL° (triptoréline)
1986 (n° 61)	ZOVIRAX° intraveineux et comprimés (aciclovir)
1983 (n° 31)	LOPRIL° (captopril)
1981 (n° 10)	VACCIN HEVAC B° (vaccin hépatite B)

Aucune Pilule d'Or n'a été attribuée en 1982, 1984, 1985, 1990, 1991, 1993, 1994, 1995, 1997, 1999, 2000, 2001, 2002, 2003, 2004, 2005, 2008, 2009, 2010, 2011, 2012 et 2013.

1- Spécialité qui n'est plus commercialisée en France.

En fin d'année, le Palmarès des médicaments est élaboré à partir des synthèses publiées dans l'année, et à la lumière de l'évolution des données disponibles depuis la publication en cours d'année.

L'amélioration primée dans ce Palmarès peut consister en un supplément d'efficacité, une moindre fréquence ou une moindre gravité des effets indésirables (à efficacité similaire), ou la possibilité d'utiliser le médicament plus facilement ou plus sûrement. Le règlement du Palmarès des médicaments est disponible sur le site www.prescrire.org.

2014 : un bon cru. Cette année, le Palmarès des médicaments prime cinq médicaments : une Pilule d'Or, ce qui n'était plus arrivé depuis six ans, trois médicaments inscrits au Tableau d'honneur, et un cité au Palmarès.

Trois des médicaments primés à ce Palmarès (Orphacol°, Glivec° et Pheburane°) sont des traitements de maladies rares.

Pilule d'Or pour Orphacol° (acide cholique). Pour le traitement de patients atteints de rares déficits héréditaires de la synthèse d'acides biliaires primaires, l'*acide cholique* (Orphacol°) apporte un progrès majeur dans une maladie le plus souvent mortelle dans l'enfance. Il permet d'augmenter largement l'espérance de vie, à condition que le traitement soit commencé tôt. Ce médicament était utilisé de longue date, mais seulement sous autorisation temporaire. La Pilule d'Or vient récompenser le développement et une commercialisation importante pour les patients, menée jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne.

Trois médicaments honorés et un cité. Chez les enfants atteints d'une forme rare de leucémie aiguë lymphoblastique, avec chromosome Philadelphie, l'*imatinib* (Glivec°), un inhibiteur de tyrosine kinases, apporte un allongement important de la survie. Toutefois, Glivec° n'a pas été commercialisé à cette occasion avec une forme pédiatrique adaptée aux enfants.

Les accès de paludisme graves sont rares en France, mais une des causes principales de mortalité dans le monde. L'*artésunate* intraveineux (Malacef°) est devenu le traitement de référence des accès graves de paludisme. Il est dis-

Tableau d'honneur	
Les médicaments sont inscrits au Tableau d'honneur parce qu'ils apportent un progrès net pour certains patients par rapport aux moyens thérapeutiques déjà disponibles, avec certaines limites.	
2014	<ul style="list-style-type: none"> • GLIVEC° (<i>imatinib</i>) Novartis Pharma – Leucémie aiguë lymphoblastique chez les enfants (n° 371) • MALACEF° (<i>artésunate intraveineux</i>) Titulaire de l'AMM en Chine : Guilin Pharmaceutical, importateur et distributeur en France : ACE Pharmaceuticals – Accès graves de paludisme (n° 369) • SOVALDI° (<i>sofosbuvir</i>) Gilead Sciences – Hépatite C (n° 372)
2010 (n° 328)	• Glivec° (<i>imatinib</i>) (tumeurs stromales digestives inopérables ou métastasées, avec du recul)
2007 (n° 292)	• Glivec° (<i>imatinib</i>) (leucémie myéloïde chronique, avec du recul) • Herceptin° (<i>trastuzumab</i>)
2006 (n° 280)	• Egaten° (<i>triclabendazole</i>)
2005 (n° 269)	• Varivax° (<i>vaccin varicelle</i>)
2004 (n° 258)	• Diacomit° (<i>stiripentol</i>) • Fuzeon° (<i>enfuvirtide</i>) • Morphine Aguetant° sirop (<i>morphine buvable</i>) (1)
2003 (n° 247)	• Carbaglu° (<i>acide carglumique</i>) • IvheBex° (<i>immunoglobuline de l'hépatite B</i>) • Meningitec° (<i>vaccin méningococcique C conjugué</i>)
2002 (n° 236)	• Replagal° (<i>agalsidase alfa</i>) (2) • Ceprotin° (1) - Protexel° (<i>protéine C humaine</i>) • Stromectol° (<i>ivermectine</i>) (gale)
2001 (n° 225)	• Estérasine° (<i>inhibiteur de la C1 estérase</i>) (1) • Trolovol° (<i>pénicillamine</i>) (chélateur)
2000 (n° 214)	• Remicade° (<i>infliximab</i>)
Des médicaments ont été inscrits au Tableau d'honneur, tous les ans de 1981 à 2007. Aucun médicament n'a été inscrit au Tableau d'honneur en 2008, 2009, 2011, 2012 et 2013. Une liste complète des médicaments inscrits au Tableau d'honneur de 1981 à 2013 figure dans le numéro 364 page 85	

1- Spécialité qui n'est plus commercialisée en France ; 2- De nouvelles données après l'inscription au Tableau d'honneur nous ont fait réviser notre cotation, lire n° 241, p. 498-499

Cité au Palmarès	
Les médicaments cités au Palmarès contribuent à améliorer, modestement, les moyens de prise en charge des patients.	
2014	<ul style="list-style-type: none"> • PHEBURANE° (<i>phénylbutyrate de sodium en granulés enrobés</i>) Lucane Pharma – Déficits de la synthèse de l'urée (n° 373)

ponible en France dans le cadre d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) protocolisée. Fin 2014, aucune firme n'a déposé de demande d'AMM auprès de l'Agence européenne du médicament.

Chez nombre de patients atteints d'hépatite C chronique, quand un traitement médicamenteux est justifié, le *sofosbuvir* (Sovaldi°), un inhibiteur de la polymérase NS5B, est un antiviral au moins aussi efficace que les inhibiteurs de la protéase virale, qui raccourcit le traitement, ce qui réduit la toxicité des autres antiviraux. Cependant, des incertitudes entourent son efficacité clinique à long terme et ses effets indésirables. Son prix exorbitant, déconnecté des coûts de recherche et de fabrication, met en danger l'assurance solidaire.

Pour les patients atteints d'un désordre rare du cycle de l'urée, le *phénylbutyrate de sodium* prolonge la survie, mais avec des bénéfices modestes sur le retard psychomoteur. L'enrobage des granulés de *phénylbutyrate de sodium* de Pheburane° est un progrès, car il masque le mauvais goût de cette substance qui cause nausées et vomissements gênant l'observance.

Année d'exception ou début d'une tendance ? Il faut remonter à près de vingt ans pour constater un Palmarès des médicaments aussi fourni. Espérons pour les patients que cette année ne soit pas qu'une exception, mais le début d'une tendance durable.

©Prescrire