



Les critères du Progrès Thérapeutique

Jean-Louis Montastruc

QU 'EST-CE QUE L 'INNOVATION EN MATIERE DE MEDICAMENT ?

1-CONCEPT COMMERCIAL

tout produit *nouvellement* commercialisé

- nouvelles substances
- me-too
- nouvelles indications
- nouvelles formes galéniques...

2-CONCEPT TECHNOLOGIQUE

Innovations Industrielles

- utilisation des biotechniques
- nouveau système d 'administration
- isomère
- métabolite...

3-CONCEPT MEDICAL

- **Progrès thérapeutique** : bénéfice pour les patients par rapport aux médicaments déjà existants

**TOUTE INNOVATION N 'EST PAS
UN PROGRES !
3 CRITERES**

1-EFFICACITE

2-EFFETS INDESIRABLES

3-PRATICITE

-Puis en dernière ligne, coût

1-EFFICACITE

1-CRITERES D'EFFICACITE TANGIBLES POUR LE MALADE (CRITERES « CLINIQUES »)

- ⌘ vie plus longue (mortalité)
- ⌘ moins de séquelles (morbidité)
- ⌘ Qualité de vie

2-ATTENTION AUX PSEUDO-CRITERES (CRITERES « INTERMEDIAIRES »)

- ⌘ biologiques
- ⌘ Radiologique

OBJECTIFS D'UN MEDICAMENT

1. Objectifs Thérapeutiques

- Améliorer la qualité de vie
 - Diminuer la durée d'un épisode de rhume
 - Diminuer l'intensité de douleurs
 - Diminuer la fréquence des crises d'angor
- Améliorer la survie
 - Réduire le risque de mort après un infarctus
 - Diminuer la mortalité de l'HTA

Pratique
Clinique

2. Objectifs qui ne sont pas Thérapeutiques («opérateurs»)

- Réduire la PSA dans HTA
- Réduire le cholestérol
- Augmenter la densité osseuse
- Réduire la VS dans Polyarthrite rhumatoïde
- Restaurer la perméabilité coronaire à la phase aigue de infarctus

Recherche

OBJECTIFS D'UN MEDICAMENT

- **Essai CAST**
- **Critère intermédiaire**
 - **troubles du rythme à ECG**



- **Autant de morts US que Corée + Vietnam !!!**

CRITERES INTERMEDIAIRES VERSUS CRITERES CLINIQUES

- **Alpha-bloquants**
 - Abaissent PSA
 - Augmentent risque d'Insuffisance cardiaque (% diurétiques) (Essai ALLHAT)
- **Alpha 2 agonistes (antiHTA « centraux »)**
 - Abaissent PSA
 - Augmentent mortalité (% diurétiques) (Essai ALLHAT)
- **Rosiglitazone ex AVANDIA^o**
 - Diminue HbA1c
 - Augmente risque d'infarctus du myocarde
- **Cérvastatine (ex Cholstat^o Staltor^o)**
 - Abaisse chiffres lipidiques plus que autres statines
 - Augmente le risque de décès par rhabdomyolyse
- **Fibrates**
 - Diminuent risque coronaire, revascularisation coronaire, progression albuminurie...
 - Sans modifier mortalité totale (Lancet 2010, 375, 1875)

2-EFFETS INDESIRABLES

- ⌘ **Trop souvent considérés comme secondaires**
- ⌘ **Connaître fréquence et « gravité »**
- ⌘ **Nécessairement mal connus au moment de l'AMM +++**
- ⌘ **Insuffisamment diffusés**

3-PRATICITE

⌘ **Modalités du traitement**

⌘ **Difficultés de prise**

⌘ **Difficultés d 'administration**

⌘ **Conditions de stockage (pays chauds)**

⌘ **Qualité et sécurité du conditionnement**

⌘ **Commodité du conditionnement**

⌘ **Si aboutit à une meilleure observance**

⌘ **progrès thérapeutique en soi**

PRUDENCE VIS A VIS DES

« NOUVEAUTES »

- **Progrès thérapeutique**

- pas un critère des Agences pour AMM++

- **Véritable innovation Médicale (progrès pour nos malades)**

- rarissime PAS D'URGENCE+++

- **Le Médecin doit être chiche de ses engouements afin de ne pas brûler ce qu'il a trop tôt adoré**

COMMENT S 'INFORMER ?

- **ASMR et analyse du dossier**
 - www.has.sante.fr
- **Recevoir les Visiteurs Médicaux ???**
- **Lire les sources indépendantes**
 - **La Revue Prescrire**
 - www.prescrire.org
 - **BIP**
 - www.bip31.fr