

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[®]) chez des patientes atteintes d'un cancer du sein. L'utilisation de ce médicament devient ainsi justifiée (lire "Abémaciclib avec plus de recul" p. 166-167). 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.

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.

Compétence 4