



Le « Right to try », accès accéléré aux traitements expérimentaux pour les patients en phase terminale : quelle valeur ajoutée ?

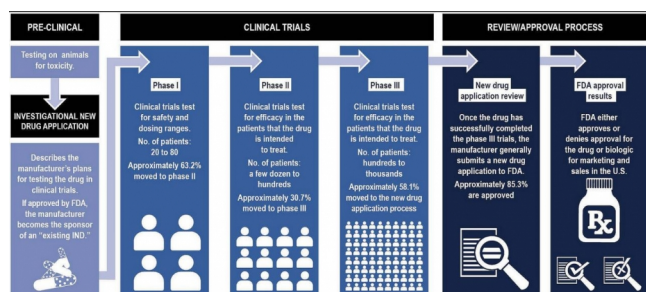
Publié le vendredi 9 février 2018

Voir en ligne : <https://www.france-science.org/Le-Right-to-try-acces-accelere-aux.html>

Donald Trump vient d'entrer dans le débat sur le « **Right to try** », une mesure permettant aux patients en **phase terminale** d'avoir accès à des **traitements médicamenteux expérimentaux**. Dans son premier discours sur l'état de l'Union tenu le jeudi 30 janvier dernier devant le Congrès, le Président des Etats-Unis s'affirme **en faveur** de l'élévation de cette loi au niveau **fédéral**.

Le « Right to try »

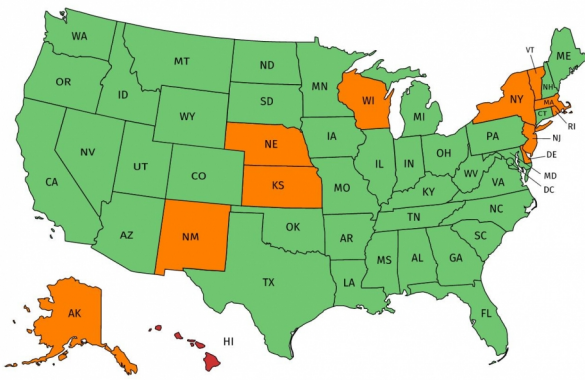
Aux Etats-Unis, le « Right to try » fait référence aux lois passées dans des Etats stipulant que les patients en phase terminale peuvent avoir accès à des traitements expérimentaux ayant validé les essais cliniques de Phase I, mais **n'ayant toutefois pas (encore) été approuvés par la Food and Drug Administration (FDA)**. Cela signifie que ces traitements ne possèdent pas d'Autorisation de Mise sur le Marché.



La figure ci-dessus indique les différentes étapes du développement d'un médicament aux Etats-Unis. Lors de la Phase I des études cliniques, la sûreté et la posologie d'un traitement sont évaluées. A ce stade du développement, il est toutefois impossible de prédire l'efficacité et l'innocuité du traitement.

38 Etats ont à ce jour adopté le « Right to try »

Le Colorado a été le premier Etat à voter en faveur de la loi en mai 2014. Depuis, 37 autres Etats ont également pris cette décision, souvent de façon unanime. La figure 2 représente la situation dans les différents Etats à ce jour.



« Right to try map » : en vert figurent les Etats dans laquelle la loi est en vigueur. En rouge, les Etats dans lesquels la loi a été refusée. Crédits : <http://righttotry.org>

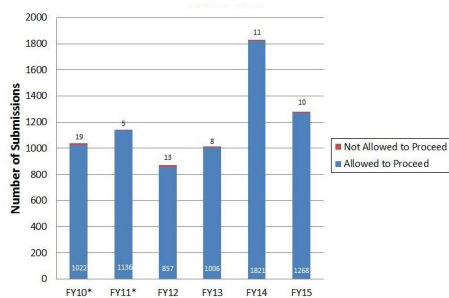
Elever le « Right to try » au niveau fédéral

“We also believe that patients with terminal conditions should have access to experimental treatments that could potentially save their lives.”

En prononçant ces mots, le Président Trump démontre sa volonté d'élever la loi sur le « Right to try » au niveau fédéral, et non plus simplement Etat par Etat.

Quelles modifications seraient induites par un tel changement ? A l'heure actuelle, la FDA possède déjà un **programme permettant aux patients en phase terminale d'avoir accès aux « Investigational New Drugs »**. Ce programme est amorcé par la requête du patient en phase terminale, sous réserve d'acceptation d'encadrement du protocole par un médecin. Il s'agit ensuite de contacter l'entreprise pharmaceutique pour demander la permission de tester le traitement. Avec ces 2 accords –médecin et laboratoires- une demande en bonne et due forme est adressée par le médecin à la FDA.

Ce processus est remarquablement efficace puisqu'entre 2010 et 2015, la FDA a accepté les requêtes de plus de 99% des patients (voir figure ci-dessous). Le dossier à constituer est court et le temps de traitement par les autorités seulement de l'ordre de quelques heures à quelques jours.



Si la loi sur le « Right to try » venait à entrer en vigueur au niveau fédéral, l'intervention de la FDA dans le processus « d'essai clinique individualisé » pourrait être remise en question, et le dialogue s'effectuerait **directement entre le patient, son (ses) médecin(s), et l'entreprise pharmaceutique** proposant le traitement. La FDA se présentant comme garant de la sécurité des patients, une absence de régulation de la part de l'agence pourrait entraîner un scepticisme de la population ainsi que des professionnels de santé vis-à-vis du **maintien de l'intégrité de la santé des patients** lors du déroulement des essais thérapeutiques.

Dans le cadre de cette loi, les laboratoires pharmaceutiques ne seraient pas tenus de répondre favorablement à une demande. Même si la loi prévoit que la FDA n'aura pas le droit de tenir compte des effets délétères de médicaments utilisés dans ce cadre lors du processus d'approbation de mise sur le marché (un point qui fait scandale auprès de nombreux professionnels de santé), on peut imaginer que les industriels soient quand même frileux à l'idée de risquer un refus de la FDA en cas d'effets secondaires graves par exemple.

La raison derrière toute l'agitation législative à ce sujet, dans les Etats d'abord, au niveau fédéral maintenant n'est pas très claire, mais est marquée par la politisation à ses différentes étapes. Ainsi, le promoteur initial du

« Right to try » dans les Etats est l'Institut Goldwater, [un groupe de pression libertarien très marqué à droite](#) . Plus récemment, la discussion du texte fédéral au Sénat a été la conséquence d'un accord passé entre le sénateur Lamar Alexander, responsable du comité de la Santé, de l'Education, du Travail et des Retraites, et le sénateur Johnson, promoteur de la loi. [Ce dernier avait menacé de barrer le passage d'un texte essentiel à la FDA](#) . Le Sénat a voté pour le « Right to try » à l'unanimité en août 2017 (et le texte sur la FDA à 94 contre 1...). Plusieurs commentateurs suggèrent que le « Right to try » vise à neutraliser la FDA qui est régulièrement sous le feu de groupes libertariens.

La dernière étape, franchie par l'intervention du Président Trump, ne semble pas démentir l'importance politique de ce sujet.

Rédacteurs :

- Jean Rosenbaum, Attaché pour la Science et la Technologie, Consulat Général de France à Los Angeles, attache-sdv.la@ambascience-usa.org
- Raphaël Dubois, Attaché Adjoint pour la Science et la Technologie, Consulat Général de France à Los Angeles, deputy-sdv.la@ambascience-usa.org