

UTILISATION DE MÉDICAMENTS ÉMERGENTS DANS UN CENTRE HOSPITALIER UNIVERSITAIRE MÈRE-ENFANT

Claire Lambert de Cursay¹, candidate au Pharm.D., Éline Pelletier¹, B.Pharm., M.Sc.,
Jean-François Bussières^{1,2}, B.Pharm., M.Sc., M.B.A, F.C.S.H.P., F.O.P.Q.

1 - Unité de Recherche en Pratique Pharmaceutique, CHU Sainte-Justine, Montréal (Québec) Canada;

2 - Faculté de pharmacie, Université de Montréal, Montréal (Québec) Canada

Introduction : Un programme d'autorisation et de suivi de l'utilisation de médicaments émergents est en place depuis 2014 dans notre établissement. Il concerne les médicaments obtenus par le Programme d'accès spécial (PAS), très coûteux ou utilisés hors monographie (HM) et pour lesquels peu de documentation scientifique est publiée.

Objectif : Décrire l'utilisation des médicaments émergents en pédiatrie dans un centre hospitalier universitaire.

Méthodologie : Les demandes d'utilisation reçues entre le 01/10/2015 et le 31/03/2018 ont été évaluées rétrospectivement. Neuf variables ont été collectées à partir d'un formulaire structuré. Un suivi d'efficacité et d'innocuité a été fait à partir des dossiers médicaux. Des statistiques descriptives ont été effectuées.

Résultats : Quatre-vingt-huit demandes (41 médicaments, 71 patients) ont été effectuées. Les demandes concernaient des médicaments coûteux (80 %, 70/87), des utilisations HM (57 %, 50/87) ou des PAS (16 %, 14/87). Une majorité des demandes (72 %, 63/88) concernaient des patients d'oncologie. Ils étaient utilisés en 1^{re} intention (20 %, 17/86), 2^e (29 %, 25/86), 3^e (19 %, 16/86) et 4^e intention ou plus (32 %, 28/86). 43 % des demandes étaient justifiées par des études cliniques randomisées contrôlées. L'efficacité attendue a été atteinte pour 50 % (44/88) des demandes. On a rapporté quatre cas de toxicité : une épistaxis (défibrotide), deux toxicités neurologiques (brentuximab), une toxicité cutanée (sorafenib).

Conclusion : Les émergents concernaient majoritairement les médicaments coûteux et les patients d'oncologie. Seulement la moitié des traitements émergents avaient atteint leurs objectifs d'efficacité au moment de l'évaluation. Peu de toxicités ont été rapportées. Il est possible d'encadrer l'utilisation de médicaments émergents par un programme structuré.