



**Élargir l'accès aux traitements médicaux efficaces du cancer et des maladies rares ou orphelines, y compris les médicaments, les vaccins, les dispositifs médicaux, les outils de diagnostic, les aides techniques, les thérapies cellulaires et géniques et les autres technologies sanitaires ; et améliorer la transparence des marchés de médicaments, de vaccins et d'autres produits sanitaires**

**Rapport du Directeur général**

1. Le présent rapport expose les progrès réalisés dans la mise en œuvre de la résolution WHA70.12 (2017) sur la lutte contre le cancer dans le cadre d'une approche intégrée, dans l'accès à des produits sanitaires contre les maladies rares ou orphelines<sup>1</sup> (partie A) et dans la mise en œuvre de la résolution WHA72.8 (2019) intitulée « Améliorer la transparence des marchés de médicaments, de vaccins et d'autres produits sanitaires » (partie B).

**A. ACCÈS À DES PRODUITS SANITAIRES SÛRS, EFFICACES, DE QUALITÉ ET ABORDABLES CONTRE LE CANCER ET LES MALADIES RARES OU ORPHELINES**

**Contexte**

2. Des vaccins, des médicaments, des dispositifs médicaux, des outils de diagnostic *in vitro* et des aides techniques sûrs, efficaces, de qualité et abordables sont nécessaires à la prévention, au diagnostic et au traitement du cancer et d'autres maladies non transmissibles telles que le diabète et les maladies

---

<sup>1</sup> Maladies touchant un petit nombre de patients, y compris des maladies d'origine génétique, des formes peu fréquentes de cancer, des maladies auto-immunes, des maladies d'origine toxique, des maladies infectieuses et des malformations congénitales.

rare ou orphelines, ainsi qu'au suivi, à la réadaptation et aux soins palliatifs pour les personnes atteintes de ces maladies. Cette nécessité est prise en compte dans des résolutions, des stratégies et des rapports.<sup>1</sup>

3. Malgré des progrès récents, l'accès à des produits de santé sûrs, appropriés, efficaces et de qualité demeure problématique à l'échelle mondiale. Par exemple, seulement une personne sur 10 ayant besoin d'une aide technique y a accès.<sup>2</sup> Même lorsque des médicaments sont disponibles, les dispositifs médicaux associés souvent ne le sont pas. Ainsi, très peu de pays fournissent des bandelettes réactives dans le cadre des programmes de prise en charge du diabète pour faciliter le contrôle de la glycémie chez les sujets insulinodépendants.

4. Des problèmes se posent dans l'ensemble du système de santé, en particulier dans les pays à faible revenu : investissements insuffisants dans la recherche-développement, absence de politiques efficaces de sélection des produits sanitaires, financement et gestion des dépenses inadéquats, faibles capacités de réglementation, infrastructure médiocre, ressources insuffisantes pour les achats et la gestion de la chaîne d'approvisionnement, et prescription inappropriée et usage irrationnel des produits sanitaires.

5. Comme de nombreux patients paient les produits sanitaires par leurs propres moyens, même les produits peu onéreux sont parfois inabordables. Les maladies chroniques nécessitent des soins au long cours et représentent donc une charge plus lourde pour les patients et pour les pouvoirs publics. Les maladies rares ou orphelines touchent un petit nombre de patients et leur prise en charge présente des difficultés spécifiques, notamment compte tenu de la nécessité de soins complexes et spécialisés. Ces maladies ne sont pas toujours considérées comme une priorité dans les programmes de couverture sanitaire universelle et peuvent donc ne pas être prises en compte dans les achats publics et les remboursements.

## Enjeux particuliers

6. Le vaccin contre l'hépatite B prévient les cancers et d'autres maladies liés au virus de l'hépatite B. En 2019, la série de trois doses de vaccin antihépatite B figurait dans le calendrier national de vaccination de 191 des 194 États Membres et 85 % des nourrissons dans le monde recevaient trois doses du vaccin. Cependant, 43 % seulement des nouveau-nés ont reçu une dose à la naissance, laquelle empêche la transmission du virus de l'hépatite B de la mère à l'enfant. Seuls 129 États Membres suivent la recommandation de l'OMS de vacciner à la naissance. Dans la Région africaine, où les taux de prévalence de l'hépatite B dans la population sont élevés, une dose à la naissance est administrée dans 28 % des États Membres seulement.

7. Le vaccin antipapillomavirus humain est un moyen efficace de prévenir le cancer du col de l'utérus. Le nombre de pays qui introduisent ce vaccin a augmenté ces dernières années, mais les pays à faible revenu ou à revenu intermédiaire de la tranche inférieure ont encore du retard. Dans certains pays, le prix élevé du vaccin et le nombre limité de fournisseurs constituent des obstacles à l'accès. D'autres difficultés tiennent aussi à la stratégie de livraison, à la qualité du plan d'introduction du vaccin

---

<sup>1</sup> Résolution WHA73.2 sur la stratégie mondiale en vue d'accélérer l'élimination du cancer du col de l'utérus en tant que problème de santé publique, et les objectifs et cibles qui y sont associés, pour la période 2020-2030 ; résolution WHA71.8 (2018) sur l'amélioration de l'accès aux technologies d'assistance ; résolutions WHA67.20 (2014) sur le renforcement des systèmes de réglementation des produits médicaux, WHA63.22 (2010) sur la transplantation d'organes et de tissus humains et WHA60.29 (2007) sur les technologies sanitaires ; et document A72/17 sur l'accès aux médicaments et aux vaccins.

<sup>2</sup> OMS, Banque mondiale. *Rapport mondial sur le handicap*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2012 ([http://apps.who.int/iris/bitstream/10665/44791/1/9789240688193\\_fre.pdf](http://apps.who.int/iris/bitstream/10665/44791/1/9789240688193_fre.pdf), consulté le 27 octobre 2020), et OMS, UNESCO, OIT et International Disability and Development Consortium. *Réadaptation à base communautaire – Guide de RBC. Module Santé*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2011 ([https://apps.who.int/iris/bitstream/handle/10665/44523/9789242548051\\_sant%c3%a9\\_fre.pdf?sequence=34&isAllowed=y](https://apps.who.int/iris/bitstream/handle/10665/44523/9789242548051_sant%c3%a9_fre.pdf?sequence=34&isAllowed=y), consulté le 27 octobre 2020).

dans le calendrier national, à la stimulation insuffisante de la demande et à un manque de confiance dans le vaccin, parfois en raison de rumeurs. Les pénuries mondiales risquent de compromettre l'introduction du vaccin dans les pays à revenu faible ou intermédiaire.

8. Pour de nombreuses maladies rares ou orphelines, il n'existe aucun traitement. Lorsqu'un traitement existe, sa disponibilité dépend parfois de la législation et de la réglementation nationales, y compris des politiques nationales relatives aux médicaments orphelins, et des désignations et des autorisations de mise sur le marché des médicaments orphelins.

9. Les thérapies cellulaires, les thérapies géniques et les thérapies géniques *ex vivo* peuvent répondre aux besoins médicaux des personnes atteintes de certains cancers et certaines maladies rares ou orphelines. La nature des thérapies cellulaires, des thérapies géniques et des thérapies géniques *ex vivo* varie et le cadre réglementaire pertinent et les évaluations ne sont pas harmonisés ou n'existent tout simplement pas. Le prix élevé et les obstacles liés aux brevets limitent à quelques pays à revenu élevé l'accès à ces produits : la thérapie par lymphocytes T à récepteur antigénique chimérique, par exemple, coûte plusieurs centaines de milliers de dollars des États-Unis et la thérapie génique pour l'amyotrophie spinale coûte des millions de dollars.

10. Le manque de technologies adaptées aux utilisateurs et au contexte est l'un des problèmes spécifiques aux dispositifs médicaux, aux outils de diagnostic *in vitro* et aux aides techniques. Il y a peu de travaux de recherche-développement sur une conception rentable, adaptée aux utilisateurs et au contexte, et les progrès sont principalement destinés aux pays à revenu élevé. Il y a peu de soutien pour la maintenance, les réparations et l'accès aux réactifs, aux consommables et aux pièces de rechange, et une pénurie de personnels de santé. L'accès aux dispositifs médicaux est compliqué par l'absence d'un système commun de dénomination qui permettrait d'identifier plus de 7000 types de dispositifs différents.

11. La plus grande partie du matériel médical servant au diagnostic et au traitement du cancer se trouve dans des hôpitaux spécialisés. Les services proposant des aides techniques sont souvent indépendants et ne sont pas intégrés à tous les niveaux de soins.

### **Progrès accomplis**

12. Le Secrétariat a aidé les pays à mettre en œuvre et à suivre les programmes de vaccination contre l'hépatite B et le papillomavirus humain et à améliorer les pratiques relatives aux achats. Il favorise la transparence de la tarification dans le cadre du Mécanisme d'information sur les marchés pour l'accès aux vaccins.<sup>1</sup> Le Groupe stratégique consultatif d'experts de l'OMS sur la vaccination a élaboré des recommandations pour faire face aux pénuries et examiné des données factuelles pour une utilisation plus efficace des vaccins. L'OMS a entamé un dialogue mondial sur l'accès aux vaccins contre le papillomavirus humain afin de faciliter un accès équitable aux doses disponibles. Les stratégies visant à éliminer les hépatites virales et le cancer du col de l'utérus devraient permettre de progresser plus vite.

13. Le Secrétariat a élaboré des normes visant à garantir la qualité, la sécurité et l'efficacité des vaccins contre le papillomavirus humain, et a apporté son soutien aux fabricants, aux autorités de réglementation et à d'autres acteurs afin de faciliter la convergence des réglementations et de permettre la préqualification par l'OMS. L'innocuité des vaccins contre le papillomavirus humain fait l'objet d'une surveillance continue et l'examen des données a montré un excellent profil de sécurité. Le Secrétariat a effectué des évaluations des vaccins après leur introduction dans les pays et a fourni des conseils sur l'amélioration des programmes.

---

<sup>1</sup> Voir [https://www.who.int/immunization/programmes\\_systems/procurement/v3p/platform/en/](https://www.who.int/immunization/programmes_systems/procurement/v3p/platform/en/) (consulté le 15 octobre 2020).

14. Un rapport sur la tarification des médicaments contre le cancer<sup>1</sup> présente des options pour rendre ces médicaments plus abordables et plus accessibles, notamment en assurant la transparence des prix et en ciblant les mesures incitatives pour la recherche sur les cancers qui touchent relativement moins de personnes. Le Secrétariat a entamé des discussions sur les politiques, y compris lors du Forum pour une tarification équitable, en 2019. Le rapport de l'OMS sur le cancer fournit des orientations sur certains points concernant le système de santé.<sup>2</sup> Le Secrétariat a élaboré des lignes directrices cliniques pour aider les États Membres et a mis au point une série d'outils d'accompagnement. L'Initiative mondiale OMS de lutte contre le cancer de l'enfant est l'une des initiatives de l'Organisation relatives au cancer.

15. Les médicaments contre le cancer et les maladies rares ou orphelines inscrits sur la Liste modèle OMS des médicaments essentiels représentent une faible proportion du nombre total de médicaments contre le cancer et les maladies rares ou orphelines homologués et mis sur le marché dans le monde. Cette liste aide les États Membres à privilégier le financement, l'achat et le remboursement des médicaments essentiels.

16. En 2018, l'OMS a lancé un projet pilote de préqualification des produits biothérapeutiques destinés au traitement du cancer. Douze produits biosimilaires et sept produits pour les maladies tropicales négligées ont été préqualifiés. Une procédure d'évaluation des risques facilite l'accès à d'autres produits. L'OMS a défini des normes et des critères afin de garantir l'innocuité et l'efficacité des produits utilisés pour les thérapies cellulaires et géniques et a adopté des documents de référence concernant les normes de mesure. Elle attribue des dénominations communes internationales, y compris pour les thérapies cellulaires, les thérapies géniques et les thérapies géniques *ex vivo* (telles que les thérapies par lymphocytes T à récepteur antigénique chimérique et les thérapies géniques de substitution pour les troubles génétiques rares). Les dénominations communes internationales sont publiées avec des définitions harmonisées dans la revue *WHO Drug Information*. Elles sont essentielles pour identifier clairement, prescrire et utiliser les substances complexes.

17. Un certain nombre de produits de thérapie génique ont été homologués, comme les produits pour les thérapies par lymphocytes T à récepteur antigénique chimérique contre les tumeurs à lymphocytes B et une immunothérapie oncolytique pour le traitement du mélanome métastatique. Cela a été possible grâce aux progrès de la recherche-développement et de la réglementation.

18. Le Secrétariat collabore avec Rare Diseases International pour définir la politique internationale et renforcer les capacités des systèmes de santé à surmonter les difficultés liées aux maladies rares. Les activités sont axées sur l'harmonisation de la définition des maladies rares à l'échelle internationale et sur la mise en place d'un réseau mondial de centres d'excellence pour ces maladies.

19. Le Secrétariat collabore avec le Réseau mondial pour la greffe de sang et de moelle osseuse pour mieux informer sur la disponibilité et l'accès aux greffes, renforcer les capacités de réglementation, améliorer la gouvernance pour lutter contre les pratiques illégales et contraires à l'éthique, améliorer les connaissances et soutenir l'innovation et la recherche de nouveaux produits.

20. Le Secrétariat a récemment établi des lignes directrices pour améliorer l'accès aux dispositifs médicaux, dont la Liste modèle OMS des dispositifs de diagnostic *in vitro* essentiels, sur laquelle sont inscrits des tests de dépistage du cancer et du diabète, la liste des dispositifs médicaux prioritaires pour

---

<sup>1</sup> *Technical report: pricing of cancer medicines and its impacts*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2018 (<https://apps.who.int/iris/handle/10665/277190>, consulté le 15 octobre 2020).

<sup>2</sup> *WHO report on cancer: setting priorities, investing wisely and providing care for all*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2020 (<https://apps.who.int/iris/handle/10665/330745>, consulté le 15 octobre 2020).

---

la prise en charge du cancer et les directives techniques et spécifications de l’OMS pour les dispositifs médicaux destinés à dépister et à traiter les lésions précancéreuses du col de l’utérus.

21. Le Secrétariat a récemment établi des lignes directrices pour améliorer l’accès aux aides techniques, dont la liste des aides techniques prioritaires et l’outil d’évaluation rapide des aides techniques. Il aide les États Membres à évaluer la demande d’aides techniques et les obstacles à l’accès à ces aides, et à réglementer, financer, acheter et fournir des aides techniques. Les évaluations des capacités des pays avec l’outil de l’OMS sont effectuées conjointement par l’Organisation, le Global Disability Innovation Hub et la Clinton Health Access Initiative.

### **Voie à suivre**

22. La collaboration doit être renforcée pour orienter la recherche-développement et l’innovation en vue de favoriser la mise au point de solutions abordables permettant de dispenser des soins de santé primaires dans les pays à revenu faible ou intermédiaire pour la prise en charge du cancer, d’autres maladies non transmissibles, comme le diabète et des maladies rares ou orphelines.

23. Le Secrétariat continuera d’aider les États Membres à sélectionner des produits sanitaires essentiels et prioritaires en établissant, à cette fin, des listes modèles et des spécifications techniques afin d’orienter les achats. Il continuera de travailler à la normalisation de la nomenclature et de la désignation des dispositifs médicaux. Il élabore également un module de formation en ligne afin que les personnels possèdent les compétences nécessaires pour fournir une gamme d’aides techniques.

24. L’OMS poursuivra ses activités pour le renforcement des systèmes de réglementation, y compris au moyen de méthodes d’harmonisation et d’homologation, afin de garantir l’innocuité, l’efficacité et l’assurance de la qualité des produits sanitaires, et de renforcer la capacité des États Membres à réglementer les dispositifs médicaux, les outils de diagnostic *in vitro* et les aides techniques.

25. Le Secrétariat donnera des orientations et assurera une formation afin que les produits sanitaires contre le cancer, le diabète et les maladies rares ou orphelines soient utilisés correctement, et pour promouvoir la formation d’ingénieurs biomédicaux, de scientifiques de laboratoire et de pathologistes.

## **B. AMÉLIORER LA TRANSPARENCE DES MARCHÉS DE MÉDICAMENTS, DE VACCINS ET D’AUTRES PRODUITS SANITAIRES**

26. Pour décrire les progrès réalisés à ce jour et la voie à suivre en ce qui concerne la mise en œuvre de la résolution WHA72.8, cette partie du rapport fait référence aux sections pertinentes de la Stratégie mondiale et du Plan d’action pour la santé publique, l’innovation et la propriété intellectuelle, ainsi qu’au projet de feuille de route pour l’accès aux médicaments, aux vaccins et aux autres produits sanitaires, 2019-2023.

27. Certains pays se sont engagés politiquement à améliorer la transparence des marchés. La Région européenne prévoit de convoquer en 2021 une réunion de ses États Membres et des parties prenantes concernées afin d’examiner comment améliorer la transparence et rendre plus abordables les médicaments novateurs coûteux. La Région de la Méditerranée orientale examine une proposition visant à mettre en place des mécanismes pour améliorer la collaboration et l’échange d’informations entre les pays sur les prix des médicaments et des vaccins. Le Secrétariat a soulevé cette question par l’intermédiaire du Réseau d’informations sur la tarification et le remboursement des produits

pharmaceutiques. Il continue d'étudier la faisabilité et l'intérêt potentiel d'une plateforme internationale de données et de forums pour l'échange d'informations sur les prix et les approches tarifaires.

28. Des travaux sont en cours dans la Région européenne et dans la Région des Amériques pour étudier les obstacles législatifs à la transparence, étant donné l'impossibilité reconnue de promouvoir la transparence des prix et de la tarification en vertu des lois et des accords commerciaux (confidentiels) sur de nombreux territoires.

29. L'OMS a publié des lignes directrices actualisées sur les politiques de tarification des produits pharmaceutiques dans les pays. Le Secrétariat collabore avec le Gouvernement argentin à l'établissement de l'ordre du jour du Forum pour une tarification équitable de 2021.

30. Les données factuelles sur l'impact potentiel de la promotion de la transparence des prix et de la tarification des produits pharmaceutiques à partir d'études comparatives demeurent limitées. Les travaux en cours sur l'indicateur 3.b.3 des objectifs de développement durable, relatif à l'accès aux médicaments, donneront des informations sur l'accessibilité économique. Les États Membres ont utilisé l'application mobile et la plateforme d'analyse de données MedMon de l'OMS pour surveiller les prix dans les secteurs public et privé et pour évaluer le respect des politiques de tarification.<sup>1</sup> De nombreux États Membres ont indiqué avoir présenté des informations sur les prix des médicaments dans le domaine public, dans le cadre d'une démarche ordinaire.

31. Conformément à la Stratégie mondiale et au Plan d'action pour la santé publique, l'innovation et la propriété intellectuelle, l'OMS continue à préconiser et à promouvoir énergiquement le renforcement des informations sur le statut des brevets et les bases de données sur l'octroi de licences pour les produits sanitaires, et assure aux acteurs de la santé publique, en particulier aux organismes chargés des achats, un meilleur accès à ces informations. MedsPaL, une base de données publique sur les brevets et les licences établie par le Medicines Patent Pool, contient des informations sur le statut des brevets concernant des médicaments pour le traitement de l'infection à VIH, de l'hépatite C et de la tuberculose, ainsi que d'autres médicaments essentiels brevetés, dans les pays à revenu faible ou intermédiaire.

32. L'OMS finalise son troisième rapport mondial sur l'accès au traitement de l'hépatite C. Ce rapport, qui sera une mise à jour des rapports précédents publiés en 2016 et en 2018, donnera des informations sur le diagnostic de l'hépatite C. En mettant l'accent sur certains pays où la charge de l'infection par le virus de l'hépatite C est élevée, le rapport soulignera les réalisations récentes et fournira des informations actualisées sur l'hétérogénéité et la complexité des stratégies nationales et des conditions d'accès aux produits diagnostiques et pharmaceutiques, y compris la tarification des produits et la disponibilité des informations sur la situation des brevets, qui déterminent l'action de lutte contre l'hépatite à l'échelle nationale.

## **Voie à suivre**

33. Malgré les progrès accomplis, beaucoup reste à faire. En 2021, le Forum pour une tarification équitable sera un événement important pour évaluer les enseignements tirés et réaffirmer l'engagement des États Membres et de toutes les parties prenantes concernées en faveur de l'accessibilité économique des produits sanitaires et de la transparence des prix et des coûts. Le Secrétariat continuera de fournir

---

<sup>1</sup> MedMon – WHO Essential Medicines and Health Products Price and Availability Monitoring Mobile Application (<https://www.who.int/medicines/areas/policy/monitoring/empmedmon/en/>, consulté le 15 octobre 2020).

un soutien technique et des conseils aux États Membres dans leurs efforts pour assurer et contrôler la transparence des marchés des produits sanitaires.

34. Un engagement politique renouvelé reste essentiel si l'on veut que les pays progressent vers la transparence des marchés de produits sanitaires. Pour porter ses fruits, la collaboration exige des efforts accrus pour mobiliser des ressources et renforcer les capacités.

### **MESURES À PRENDRE PAR LE CONSEIL EXÉCUTIF**

35. Le Conseil est invité à prendre note du rapport et à fournir des orientations sur l'accès aux thérapies cellulaires et géniques et à d'autres technologies sanitaires pour les maladies rares ou orphelines.

= = =