



Projets de stratégie et de plan d'action mondiaux pour la santé publique, l'innovation et la propriété intellectuelle

Modèles pour la fixation des priorités en matière de recherche-développement

Rapport du Secrétariat

1. Le présent document contient une brève description de trois approches couramment utilisées pour fixer les priorités en matière de recherche en santé :

- la matrice de l'approche combinée pour la fixation des priorités
- la matrice des aspects stratégiques
- l'approche suivie dans le projet des médicaments prioritaires pour l'Europe et le monde.

La matrice de l'approche combinée

2. En 1990, la Commission de la Recherche en Santé pour le Développement a souligné la nécessité d'établir de meilleures priorités pour la recherche en santé au niveau national et au niveau mondial.¹ En 1996, le Comité ad hoc sur la Recherche en Santé concernant les options d'intervention futures a proposé une méthodologie de base pour fixer les priorités concernant l'allocation des ressources à la recherche-développement et a défini cinq mesures d'évaluation.²

¹ Commission on Health Research for Development, *Health Research: an essential link to equity in development*. New York, Oxford University Press, 1990.

² Investing in health research and development: report of the Ad Hoc Committee on Health Research Relating to Future intervention Options (document TDR/Gen/96.1).

3. Cette approche a ensuite été développée par le Forum mondial pour la recherche en santé, devenant la matrice de l'approche combinée, un outil qui permet de classer, d'organiser et de présenter l'important volume d'informations à prendre en considération dans la fixation des priorités ; de définir les lacunes de la recherche en santé ; et de définir les priorités de la recherche en santé.¹

4. L'objectif principal est d'aider les décideurs à faire des choix rationnels en matière d'investissement afin d'obtenir la réduction la plus importante et/ou la plus rentable de la charge de morbidité au niveau mondial ou national. Les priorités doivent être fixées par tous les acteurs de façon transparente et par itérations. L'approche doit être pluridisciplinaire, associant les sciences biomédicales, la santé publique, l'économie, les sciences de l'environnement, l'éducation et les sciences sociales et comportementales.

5. La matrice de l'approche combinée associe les considérations aussi bien économiques qu'institutionnelles comme indiqué ci-dessous dans le cadre d'un même outil pour la fixation des priorités. L'approche tient compte des cinq étapes de la méthode du Comité ad hoc sur la Recherche en Santé concernant les options d'intervention futures ainsi que des facteurs ci-après : comportement individuel et communautaire ; rôle des secteurs institutionnels autres que la santé qui ont une influence profonde sur le bien-être de la population ; et effet des politiques gouvernementales macroéconomiques sur la santé.

6. **Considérations économiques pour la fixation des priorités**

a) **Charge de morbidité.** Cette charge est déterminée en calculant les années de vie en bonne santé perdues en raison de la mortalité, de la morbidité ou de l'incapacité prématurées.

b) **Déterminants.** Les facteurs à l'origine de la persistance de la charge sont analysés. Ils comprennent l'insuffisance des connaissances sur l'affection ou la maladie, le manque d'outils, la non-utilisation des outils existants, leurs limites et les facteurs extrasanitaires.

c) **Niveau actuel des connaissances.** On évalue la base de connaissances actuellement disponible pour résoudre le problème de santé visé et la possibilité d'appliquer des solutions, ainsi que le coût et l'efficacité des interventions existantes.

d) **Coût et efficacité.** Le potentiel de recherche-développement est rapproché d'autres interventions possibles et l'on examine la possibilité de réduire les coûts par les progrès ultérieurs de la recherche. On peut ainsi comparer les interventions et les appliquer à des groupes de population plus importants. Ces données peuvent être difficiles à obtenir.

e) **Flux de ressources.** On calcule le niveau actuel des investissements consacrés à la recherche concernant la maladie visée et/ou le déterminant. Dans la plupart des pays en développement, il est toutefois difficile d'obtenir des données ventilées dans ce domaine.

7. **Considérations institutionnelles pour la fixation des priorités**

a) **Niveau individuel et niveaux des ménages et de la communauté.** On examine les éléments pertinents pour la réduction de la charge de morbidité qui peuvent être modifiés au

¹ Ghaffar A, de Francisco A. Matlins, eds. *The Combined Approach Matrix: a priority-setting tool for health research*. Genève, Global Forum for Health Research, 2004.

niveau individuel ou à celui des ménages ou de la communauté (par exemple par les soins primaires et la prévention au niveau individuel – vaccination, par exemple – ainsi que par l'éducation) .

b) **Ministère de la santé et autres institutions sanitaires.** On procède à une évaluation de la contribution qu'apportent le ministère de la santé et les systèmes de recherche en santé à la lutte contre la maladie ou l'affection visée. L'évaluation couvre les interventions biomédicales, les politiques et les structures qui réduisent la charge d'une affection donnée, et la capacité potentielle de la communauté de la recherche à fournir des outils permettant de réduire la charge de la maladie.

c) **Secteurs extrasanitaires.** Les activités de tous les autres ministères qui contribuent à améliorer la santé sont passées en revue. Les domaines visés sont notamment l'éducation (par exemple pour les efforts concernant le tabagisme et les infections sexuellement transmissibles), les transports (par exemple pour les activités visant à réduire les accidents de la circulation) et la protection de l'environnement (par exemple pour les initiatives visant à réduire les risques environnementaux).

d) **Politiques macroéconomiques.** On s'intéresse aux éléments au niveau gouvernemental ou supranational susceptibles de jouer un rôle dans la lutte contre la maladie.

8. Le Forum mondial pour la recherche en santé estime indispensable de réexaminer constamment les priorités et les mécanismes de fixation des priorités, car les priorités de la recherche varient dans le temps en fonction de l'évolution de la situation épidémiologique, démographique et économique.

La matrice des aspects stratégiques

9. Le Programme spécial PNUD/Banque mondiale/OMS de recherche et de formation concernant les maladies tropicales a été créé en 1975 pour faire face aux besoins en matière de recherche sur les maladies tropicales négligées. En réponse à l'importance accordée à la planification fondée sur des bases factuelles pour l'établissement de priorités dans la stratégie 2005-2006, le Programme spécial a mis au point sa matrice des aspects stratégiques qui est fondée sur la matrice de l'approche combinée.

10. Cette approche envisage à la fois les besoins et les occasions en matière de recherche. Celles-ci comprennent des occasions de caractère général, comme les nouvelles connaissances de base en génomique et en santé, et des occasions spécifiques telles que la découverte d'un produit pharmaceutique déterminé susceptible d'être mis au point ou la conception d'un outil d'intervention radicalement nouveau. L'approche vise à dépasser le cadre des buts habituels à court ou à moyen terme et à envisager sérieusement des interventions dans un cadre à plus long terme ou pouvant sembler dépasser le cadre des compétences techniques actuelles.

11. Afin de créer la matrice des aspects stratégiques, on procède à une analyse en sept étapes composée des réponses données aux questions ci-après concernant des maladies déterminées : Quelles sont la nature et l'ampleur de la charge de morbidité et quelles sont les tendances épidémiologiques ? Quelle est la stratégie actuelle de lutte contre la maladie ? Quels sont les principaux problèmes à résoudre et les principaux défis à relever pour la lutte contre la maladie ? Quelles sont les recherches qui s'imposent pour faire face à ces problèmes et relever ces défis ? Quelles sont les activités de recherche-développement actuellement menées et les occasions en matière de recherche ? Quels sont

les avantages comparatifs offerts par le Programme spécial ? Quel accent stratégique le Programme spécial doit-il mettre sur la recherche concernant la maladie en question ?

12. Les résultats du processus analytique sont résumés dans la matrice des aspects stratégiques qui englobe, concernant chaque maladie, une série de catégories pour les résultats escomptés, correspondant aux principaux domaines de recherche-développement du Programme spécial :

- nouvelles connaissances fondamentales importantes pour une lutte efficace contre les maladies infectieuses, concernant l'influence des facteurs biologiques, sociaux et économiques, ainsi que les aspects pertinents pour le système de santé ;
- outils destinés à combattre et prévenir les maladies infectieuses ;
- méthodes d'intervention pour l'application de ces outils aux niveaux clinique et communautaire ;
- stratégies de mise en oeuvre des méthodes d'intervention et recommandations concernant leur application au niveau national.

13. La matrice des aspects stratégiques définit les orientations stratégiques du Programme spécial pour cinq ans, mais elle est régulièrement réexaminée et mise à jour à mesure que les nouveaux besoins, occasions ou approches de recherche apparaissent, à condition qu'ils soient fondés sur des bases factuelles et acceptés par les pairs.

L'approche suivie dans le projet des médicaments prioritaires pour l'Europe et le monde

14. Le projet des médicaments prioritaires pour l'Europe et le monde¹ envisage l'innovation pharmaceutique du point de vue de la santé publique, sur la base de principes d'équité, de données factuelles et de l'efficacité. L'objectif est d'établir un programme de santé publique pour la mise au point de médicaments afin d'orienter l'appui fourni par l'Union européenne. L'élaboration du programme est fondée sur le repérage des maladies importantes pour la santé publique pour lesquelles on constate des « lacunes pharmaceutiques ». Dans le cas de ces maladies, ou bien le traitement pharmaceutique fait défaut (en raison d'une insuffisance des connaissances scientifiques ou d'un non-fonctionnement du marché) ou il est inadéquat (du fait de son inefficacité, de préoccupations concernant l'innocuité, ou de mécanismes de distribution ou de formulations qui ne conviennent pas au groupe cible).

15. Au cours de la première phase, trois méthodes complémentaires ont été utilisées pour établir une liste préliminaire de maladies prioritaires et de lacunes pharmaceutiques afin de surmonter les insuffisances d'une approche particulière.

16. La méthode 1 a associé l'analyse de l'information démographique, les données sur la charge de morbidité et, si possible et dans la mesure où cela était approprié, les données relatives aux essais cliniques de la Cochrane Database of Systematic Reviews. Un classement a été établi sur la base des informations concernant la charge de morbidité afin de déterminer les maladies et les affections

¹ Priority medicines for Europe and the World (document WHO/EDM/PAR/2004.7).

majeures à l'origine de la plus grande partie de la charge totale des années de vie perdues ajustées sur l'incapacité et de la charge de mortalité totale (dans le cas du projet, à la fois dans les pays de l'Union européenne et ailleurs). La base de données de Cochrane a ensuite été utilisée pour déterminer de façon quantitative l'efficacité clinique des interventions pharmaceutiques disponibles pour le traitement des maladies qui constituent une lourde charge épidémiologique et économique pour les pays. Lorsque les examens ont déterminé l'existence d'une lacune thérapeutique, la maladie ou l'affection a été introduite dans la liste préliminaire.

17. La méthode 2 a été utilisée lorsque les données sur la charge de morbidité ou l'efficacité du traitement faisaient défaut. Des priorités ont été fixées sur la base d'informations comprenant des projections des tendances des maladies, celles-ci découlant principalement d'avis consensuels, d'observations et de bases cliniques. On a aussi tenu compte des priorités fixées dans les récentes résolutions de l'Assemblée de la Santé afin d'inclure d'autres maladies et problèmes (par exemple la résistance aux antimicrobiens) dans la liste préliminaire.

18. La méthode 3 a été utilisée pour les maladies négligées ou dans les cas de non-fonctionnement du marché. Afin de fixer des priorités, notamment pour des groupes de patients particuliers, les lacunes pharmaceutiques potentielles ont été examinées sur la base de critères faisant intervenir des notions telles que la justice sociale, la solidarité sociale et l'équité.

19. Au cours de la deuxième phase, les maladies et affections pour lesquelles des lacunes pharmaceutiques étaient constatées et qui étaient définies comme telles dans la liste préliminaire ont été examinées minutieusement sur la base des critères ci-après fondés sur la matrice de l'approche combinée : ampleur et nature de la charge de morbidité ; type de stratégie de lutte ; raisons expliquant la persistance de la charge de morbidité ; leçons à tirer de recherches antérieures et/ou en cours sur les interventions pharmaceutiques contre la maladie ou l'affection visée ; approvisionnement actuel de produits à utiliser contre la maladie ou l'affection ; occasions de recherche sur de nouvelles interventions pharmaceutiques ; écart entre les travaux de recherche actuels et potentiels susceptibles de modifier la situation, dont le coût est abordable, et qui pourraient être entrepris a) dans les cinq ans ou b) à plus long terme ; et lacunes concernant les occasions de recherche en matière pharmaceutique. Sur la base de ces examens, des recommandations ont été formulées pour chaque maladie ou affection sur les mesures nécessaires afin de combler la lacune pharmaceutique observée.

20. Bien que présentées séparément, ces trois approches ont en fait des points communs. La matrice des aspects stratégiques du Programme spécial a été fondée sur la matrice de l'approche combinée, mais elle met l'accent sur les maladies tropicales. Le projet des médicaments prioritaires pour l'Europe et le monde utilise des éléments et des analyses de la matrice des aspects stratégiques, mais couvre des maladies de type I, de type II et de type III et utilise des critères tels que les projections et considérations de solidarité sociale en plus des critères de charge de morbidité et d'efficacité clinique. Ces approches ont été largement présentées et examinées ; il est généralement accepté qu'elles offrent une base solide et rationnelle pour fixer des priorités de recherche répondant aux besoins de la santé publique mondiale.¹

= = =

¹ D'autres approches pour fixer les priorités sont présentées dans les documents suivants : The Council on Health Research for Development. *Priority setting for health research: towards a management process for low and middle income countries*. Genève, 2006 ; Gibson JL, Martin DK, Singer PA. Priority setting for new technologies in medicine: a transdisciplinary study. *BMC Health Services Research*, 2002, 2:14.