



---

## **Progrès en matière d'usage rationnel des médicaments, et notamment amélioration des médicaments destinés aux enfants**

### **Amélioration des médicaments essentiels destinés aux enfants**

#### **Rapport du Secrétariat**

1. L'Assemblée de la Santé a adopté de nombreuses résolutions sur les questions pharmaceutiques telles que l'usage rationnel des médicaments (la dernière en date sur ce sujet étant la résolution WHA47.13), les critères applicables à la promotion des médicaments (résolution WHA41.17), le programme d'action de l'OMS pour les médicaments essentiels (résolution WHA45.27), le rôle du pharmacien (résolution WHA47.12), la stratégie pharmaceutique révisée (résolution WHA52.19), la stratégie pharmaceutique de l'OMS (résolution WHA54.11) et le cadre mondial pour l'élargissement de l'accès aux médicaments essentiels qui l'accompagne, la résistance aux antimicrobiens (résolution WHA58.27) et la santé publique, l'innovation, la recherche essentielle en santé et les droits de propriété intellectuelle (résolution WHA59.24). Mais il n'a été expressément demandé dans aucune résolution jusqu'à présent que des mesures soient prises pour promouvoir l'amélioration des médicaments essentiels destinés aux enfants. Le présent rapport a été établi pour répondre à la demande d'un Etat Membre qui souhaitait que le Conseil exécutif examine la question.

2. On estime qu'il meurt chaque année 10,5 millions d'enfants de moins de cinq ans. Beaucoup meurent de maladies contre lesquelles il existe un traitement : la plus fréquente est la pneumonie, et parmi les autres figurent la diarrhée, l'infection à VIH, le SIDA et le paludisme. Deux des objectifs du Millénaire pour le développement consistent à réduire sensiblement ce taux inacceptable de mortalité de l'enfant : l'objectif 4 – réduire de deux tiers, entre 1990 et 2015, le taux de mortalité des enfants de moins de cinq ans – et l'objectif 6 – d'ici à 2015, avoir stoppé la propagation du VIH/SIDA et commencé à inverser la tendance actuelle, et avoir maîtrisé le paludisme et d'autres maladies et commencé à inverser la tendance actuelle. Il semble toutefois, d'après les données récentes, que peu de pays soient en bonne voie d'atteindre ces objectifs alors qu'il existe des interventions efficaces contre beaucoup des affections visées, du moins pour les adultes. Les interventions prévoient l'utilisation de « médicaments essentiels », ceux qui répondent aux besoins sanitaires prioritaires de la population.<sup>1</sup> Mais beaucoup de ces médicaments essentiels n'existent pas sous forme pédiatrique ou, si c'est le cas, ne sont pas disponibles dans les pays à faible ou moyen revenu. Ainsi, lors de la dernière

---

<sup>1</sup> OMS, Série de Rapports techniques, N° 933, 2006.

évaluation en date (et bien qu'on manque de données récentes), les pays en développement disposaient d'antibiotiques contre la pneumonie pour moins de 20 % des cas. Une étude préliminaire entreprise récemment par l'OMS a mis en lumière des problèmes analogues de disponibilité de médicaments essentiels comme le cotrimoxazole en suspension buvable utilisé pour la prise en charge des enfants VIH-positifs.<sup>1</sup> Il a été établi que l'absence de ces produits essentiels est l'une des principales raisons pour lesquelles les pays ne progressent pas assez vite dans la réalisation des objectifs du Millénaire pour le développement.

3. Les raisons pour lesquelles les médicaments à usage pédiatrique sont introuvables ont été exposées dans plusieurs études et se répartissent en quatre grandes catégories : manque d'informations scientifiques ; lacunes au niveau du développement des médicaments ; inefficacité relative de la loi du marché ; manque de personnel, manque de connaissances et informations insuffisantes sur la prescription là où sont assurés les soins pour que les professionnels de santé et autres soignants soient capables d'utiliser correctement les médicaments destinés aux enfants.

4. L'information scientifique manque dans plusieurs domaines. L'efficacité et l'innocuité de nombreux médicaments n'ont pas été correctement testées chez l'enfant, de sorte que les autorités de réglementation ne peuvent approuver leur usage pédiatrique. Pour déterminer la posologie, on considère donc souvent l'enfant comme un adulte de petite taille. Beaucoup se sont préoccupés de savoir s'il était bon de procéder à l'essai clinique de nouveaux médicaments chez l'enfant, en particulier dans les pays en développement. Les médicaments en associations fixes sont un exemple important à cet égard. Pour le traitement de maladies comme le paludisme, l'infection à VIH et la tuberculose, on recommande des associations de ce type, car elles limitent le nombre de comprimés que les malades doivent prendre et favorisent ainsi l'observance du traitement. Mais comme les médicaments en associations fixes ne sont pas une priorité sur le marché des pays développés (parce qu'il y a relativement peu d'enfants atteints de ces maladies dans ces pays), leur utilisation chez l'enfant n'a guère été étudiée. Le développement d'associations fixes à usage pédiatrique a donc pris beaucoup de retard par rapport aux besoins des pays en développement.

5. On observe des carences similaires dans d'autres grands domaines thérapeutiques comme le traitement des maladies chroniques de l'enfant, y compris l'épilepsie et le diabète, et la prise en charge au stade terminal. Dans certains cas, l'absence de médicaments essentiels pour les enfants vient de ce qu'il n'existe pas de formes galéniques à usage pédiatrique. Les sirops conviennent bien pour les enfants de moins de trois ans, mais d'autres présentations telles que comprimés à mâcher faiblement dosés ou petits granulés sont parfois plus faciles à avaler pour les enfants et à administrer pour les soignants. Or ces formes galéniques sont encore rares.

6. Le fait que peu de médicaments appropriés soient développés et l'inefficacité relative de la loi du marché sont étroitement liés. Les fabricants ne sont guère disposés à entreprendre la recherche-développement de médicaments destinés aux enfants, car le marché de ces produits est réduit et imprévisible. Même lorsqu'il existe des formes galéniques pour enfants, il est rare qu'elles soient disponibles dans les pays à faible revenu. Cela tient principalement à leur prix élevé et au manque de moyens pour acheter les médicaments et assurer l'approvisionnement. Comme le montrent les difficultés rencontrées dans l'achat et la distribution des sirops pour enfants, il faut une capacité d'entreposage suffisante pour expédier d'importants volumes et de grosses bouteilles. Quant aux prix, les sirops peuvent coûter jusqu'à 500 % plus cher que les médicaments comparables pour adultes. De plus, dans certains pays, le système de remboursement des médicaments est fondé sur la liste nationale

---

<sup>1</sup> Meeting Report, Joint WHO-UNICEF Consultation on Essential Medicines for Children, Genève, 9-10 août 2006, disponible à l'adresse <http://www.who.int/medicines/publications/UNICEFconsultation.pdf>.

des médicaments essentiels et, si les médicaments essentiels à usage pédiatrique n'y figurent pas, ils ne sont pas forcément remboursés.

7. Le manque de moyens et d'informations pour pouvoir faire un bon usage des médicaments a été constaté pour plusieurs maladies importantes. C'est ainsi que, dans certains endroits, d'après des données récentes, seulement 20 % des soignants savent identifier les premiers signes de la pneumonie et la moitié environ des enfants chez qui l'on soupçonne une pneumonie suivent un traitement approprié. En ce qui concerne le VIH et le paludisme, on ignore encore au juste la bonne posologie pour certains médicaments essentiels chez l'enfant de moins de trois ans. Quand on ne dispose que de comprimés pour adultes, il peut s'avérer impossible de donner la bonne dose à un enfant, quand bien même elle serait connue.

8. L'OMS collabore avec les gouvernements, d'autres organisations du système des Nations Unies, des universités, le secteur privé, des organisations non gouvernementales et des organismes de financement sur plusieurs fronts pour faciliter l'accès aux médicaments essentiels destinés aux enfants, et elle a étudié certaines des activités entreprises par les Etats Membres. Les importantes initiatives prises en Amérique du Nord en matière de développement et de réglementation des médicaments y ont en effet quelque peu amélioré la situation et des mesures analogues seront appliquées en Europe en 2007. Mais il est peu probable que ces initiatives, qui associent mesures incitatives et obligations concernant le développement de médicaments, parviennent à résoudre le problème dans les pays en développement si l'on n'agit pas au niveau mondial. Il est attesté que des moyens limités de réglementation entravent l'accès au traitement de l'infection à VIH dans certaines Régions, car l'homologation de nouveaux médicaments contre le VIH s'en trouve retardée. Il en va probablement de même pour l'homologation de médicaments contre d'autres maladies. En concertation avec des experts techniques et d'importants partenaires, l'OMS a commencé à élaborer un plan de travail complet pour élargir l'accès aux médicaments essentiels destinés aux enfants.

9. La liste modèle OMS des médicaments essentiels est d'une utilité cruciale pour promouvoir l'accès aux médicaments en général. Il est ressorti d'une analyse de la quatorzième liste modèle qu'au moins 20 médicaments qui peuvent s'avérer essentiels pour les enfants et qu'on peut se procurer sur le marché des pays développés ne figurent pas dans la liste et que 20 autres susceptibles d'être essentiels pour les enfants n'ont pas de forme pédiatrique.<sup>1</sup> On a donc entrepris de revoir et d'actualiser la liste en conséquence ; c'est un premier pas important vers l'élaboration de normes mondiales, mais il faut aller plus loin. Les fabricants de produits pharmaceutiques doivent concevoir de nouvelles formes galéniques et de nouveaux dosages pouvant être utilisés chez des enfants d'âges différents et faciles à stocker, manipuler et administrer. Il faudrait fixer des normes définissant les formes galéniques idéales pour les enfants et les spécifications pharmaceutiques indispensables. De telles normes aideront les fabricants de produits (y compris de génériques) et contribueront à accroître l'offre à des prix abordables. En ce qui concerne le développement de médicaments, il faut fixer des normes mondiales et instaurer les moyens nécessaires pour réaliser des essais cliniques appropriés et conformes à l'éthique chez l'enfant afin de trouver d'autres médicaments sûrs et efficaces. Il faut aussi perfectionner et tester les méthodes de contrôle de l'innocuité des médicaments chez l'enfant une fois qu'ils ont été approuvés. Une première série de consultations d'experts et de partenaires du développement de produits pharmaceutiques a eu lieu sur les mesures à prendre.

10. Une fois que des médicaments adaptés et efficaces sont mis à disposition, il faut veiller à ce qu'ils soient utilisés correctement. Pour cela, les agents de santé doivent savoir comment prescrire,

---

<sup>1</sup> Meeting Report, Joint WHO-UNICEF Consultation on Essential Medicines for Children, Genève, 9-10 août 2006, disponible à l'adresse <http://www.who.int/medicines/publications/UNICEFconsultation.pdf>.

dispenser et administrer les médicaments destinés aux enfants. Il existe des exemples de programmes de formation des agents de santé communautaires qui contribuent à une meilleure utilisation des antibiotiques chez les enfants atteints de pneumonie. D'autres exemples montrent cependant qu'il faut appliquer davantage de directives comme celles sur la dose appropriée de supplément de vitamine A. Le fait de fournir, par des moyens technologiques appropriés, des informations et des directives fondées sur des données probantes aux prescripteurs là où sont assurés les soins est une stratégie essentielle pour parvenir à une meilleure utilisation des médicaments ; les directives thérapeutiques de l'OMS pourraient servir de base à cette approche. Les directives thérapeutiques de l'OMS applicables aux enfants sont en train d'être examinées afin de s'assurer qu'elles reposent sur des données probantes et répondent pleinement aux besoins des Etats Membres. L'OMS travaille également de concert avec des instituts universitaires dans le cadre du projet International Child Health Review Collaboration, processus dynamique qui consiste à actualiser les données scientifiques sur lesquelles reposent ces directives ; les agents de santé peuvent prendre part au processus via Internet.<sup>1</sup>

11. Pour entreprendre les activités qui contribueront à élargir l'accès aux médicaments essentiels destinés aux enfants, l'OMS, les Etats Membres, les organisations du système des Nations Unies et d'autres partenaires encore doivent collaborer ensemble pour suivre une approche mondiale. Une approche en deux phases est proposée : premièrement, en s'appuyant sur le savoir-faire et l'expérience des Régions, instaurer des normes et critères mondiaux de sélection, de qualité, de distribution et d'achat des médicaments essentiels destinés aux enfants et instaurer des systèmes de financement appropriés ; deuxièmement, en s'inspirant du plan de travail dont il est fait mention au paragraphe 8 ci-dessus, créer des programmes régionaux et des programmes de pays complets prévoyant des stratégies qui, en faisant appel à des technologies novatrices, garantissent le développement, la mise à disposition et l'usage approprié des médicaments.

## MESURES A PRENDRE PAR LE CONSEIL EXECUTIF

12. Le Conseil exécutif est invité à examiner le projet de résolution suivant :

Le Conseil exécutif,

Ayant examiné le rapport sur les progrès en matière d'usage rationnel des médicaments, et notamment l'amélioration des médicaments destinés aux enfants ;<sup>2</sup>

RECOMMANDE à la Soixantième Assemblée mondiale de la Santé d'adopter la résolution suivante :<sup>3</sup>

La Soixantième Assemblée mondiale de la Santé,

Ayant examiné le rapport sur les progrès en matière d'usage rationnel des médicaments, et notamment l'amélioration des médicaments destinés aux enfants ;

---

<sup>1</sup> Duke T. et al. Accessing and understanding the evidence. *Bulletin de l'Organisation mondiale de la Santé*, 2006 ; 84(12) : 922.

<sup>2</sup> Document EB120/37.

<sup>3</sup> Voir le document EB120/37 Add.1 pour les incidences administratives et financières qu'aura cette résolution pour le Secrétariat.

Rappelant les résolutions WHA39.27, WHA41.16 et WHA47.13 sur l'usage rationnel des médicaments, WHA41.17 sur les critères éthiques applicables à la promotion des médicaments, WHA43.20 et WHA45.27 sur le programme d'action de l'OMS pour les médicaments essentiels, WHA47.12 sur le rôle du pharmacien à l'appui de la stratégie pharmaceutique révisée de l'OMS, WHA49.14 et WHA52.19 sur la stratégie pharmaceutique révisée, WHA54.11 sur la stratégie pharmaceutique de l'OMS et WHA58.27 intitulée « Améliorer l'endiguement de la résistance aux antimicrobiens » ;

Saluant les efforts que fait l'OMS en collaboration avec les gouvernements, d'autres organisations du système des Nations Unies, des universités, le secteur privé, des organisations non gouvernementales et des organismes de financement dans les domaines qui contribuent à faciliter l'accès à de meilleurs médicaments pour les enfants ;

Ayant à l'esprit les principaux éléments du cadre mondial de l'OMS pour élargir l'accès aux médicaments essentiels ;

Souhaitant contribuer à ce que le personnel soignant et les personnes qui s'occupent d'enfants sélectionnent et utilisent les médicaments destinés aux enfants en se fondant sur des bases factuelles ;

Constatant que des initiatives régionales ont été prises pour résoudre les problèmes d'accès aux médicaments essentiels destinés aux enfants ;

Souhaitant rendre plus accessibles les médicaments essentiels destinés aux enfants, condition nécessaire pour atteindre les résultats sanitaires définis dans les objectifs du Millénaire pour le développement ;

Consciente que les difficultés d'accès aux médicaments essentiels de qualité garantie continuent d'entraîner un risque important de morbidité et de mortalité chez les enfants, en particulier les enfants de moins de cinq ans ;

Reconnaissant que de nombreux pays n'ont pas les moyens requis pour réglementer et contrôler les médicaments destinés aux enfants ;

Constatant que de nombreux fabricants de médicaments essentiels n'ont ni développé ni produit de médicaments dont la forme galénique et le dosage soient adaptés aux enfants ;

Notant avec préoccupation que les investissements dans les essais cliniques, le développement et la fabrication de médicaments destinés aux enfants sont insuffisants ;

1. PRIE les Etats Membres :

- 1) de faire en sorte que des médicaments appropriés soient développés contre les maladies qui touchent les enfants et que ces médicaments fassent l'objet d'essais cliniques de grande qualité et conformes à l'éthique ;
- 2) de promouvoir l'accès aux médicaments essentiels destinés aux enfants en les incluant dans les listes de médicaments et les systèmes d'achat et de

remboursement nationaux, et de concevoir des mesures pour surveiller et faire baisser les prix ;

3) de prendre des dispositions pour déterminer les formes galéniques et les dosages qui conviennent pour les enfants, et d'encourager leur fabrication et leur homologation ;

4) de créer des conditions propices à l'homologation rapide des médicaments pédiatriques bien conçus, de grande qualité et d'un prix abordable, conjuguée à des méthodes novatrices pour contrôler leur innocuité ;

2. PRIE le Directeur général :

1) de fixer des normes mondiales pour les essais cliniques de médicaments essentiels destinés aux enfants, de promouvoir la cohérence de ces essais au niveau mondial, de sélectionner lesdits médicaments en s'aidant de directives cliniques fondées sur des bases factuelles et de promouvoir l'adoption de ces normes par les Etats Membres et les organismes internationaux de financement, en privilégiant pour commencer les traitements du VIH/SIDA, de la tuberculose, du paludisme et des maladies chroniques ;

2) de promouvoir l'élaboration de normes et critères internationaux de qualité et d'innocuité des formes galéniques destinées aux enfants, et les fonctions de réglementation nécessaires pour les appliquer ;

3) de mettre à disposition des directives thérapeutiques fondées sur des bases factuelles et des informations indépendantes sur la posologie et la sécurité des médicaments essentiels destinés aux enfants, et de collaborer avec les Etats Membres à l'application de ces directives afin que prescripteurs et patients fassent un usage rationnel de ces médicaments grâce aux informations qui leur sont communiquées par des moyens technologiques appropriés ;

4) de collaborer avec les gouvernements, d'autres organisations du système des Nations Unies, des organismes donateurs et des organisations non gouvernementales pour réunir le financement qui permettra de rendre plus accessibles les médicaments destinés aux enfants ;

5) de faire rapport à l'Assemblée de la Santé par l'intermédiaire du Conseil exécutif sur les progrès accomplis, les problèmes rencontrés et les mesures concrètes nécessaires pour faciliter encore l'accès aux médicaments destinés aux enfants.

= = =