



Amélioration des médicaments 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. Parmi les objectifs pour le développement liés à la santé adoptés au niveau international, notamment ceux contenus dans la Déclaration du Millénaire, deux 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.¹ 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 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.² Il a été établi que l'absence de ces produits essentiels est l'une des principales raisons

¹ OMS, Série de Rapports techniques, N° 933, 2006.

² 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>.

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 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.¹ 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, 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

¹ 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>.

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.¹

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.

12. Le Conseil exécutif a examiné le rapport à sa cent vingtième session.²

13. A sa quinzième réunion (19-23 mars 2007), le Comité OMS d'experts de la Sélection et de l'Utilisation des Médicaments essentiels a recommandé que le Conseil exécutif soit prié d'examiner la création d'un sous-comité d'experts de la sélection et de l'utilisation des médicaments essentiels destinés aux enfants,³ en proposant le mandat suivant :

- établir une liste modèle OMS des médicaments essentiels destinés aux enfants, sur la base de leurs besoins cliniques et de la charge de morbidité ;
- déterminer les critères d'adéquation des formes galéniques des médicaments destinés aux enfants, plus particulièrement en ce qui concerne les conditions prévalant dans les pays en développement ;
- examiner la faisabilité de la fabrication de formulations appropriées en ce qui concerne les médicaments prioritaires pour lesquels on ne dispose d'aucune forme galénique pédiatrique, en examinant notamment les conditions d'utilisation dans les situations où les ressources sont limitées et la disponibilité de données sur l'efficacité et l'innocuité pour les classes d'âge appropriées ;
- définir les lacunes de la recherche clinique concernant l'innocuité et l'efficacité des médicaments essentiels destinés aux enfants afin d'améliorer la prescription et la posologie sous-optimales et de faciliter l'approbation de formulations pédiatriques ;
- faire rapport au Comité d'experts de la Sélection et de l'Utilisation des Médicaments essentiels en 2009.

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

² Voir le document EB119/2006-EB120/2007/REC/2, procès-verbal de la sixième séance de la cent vingtième session du Conseil, procès-verbal de la huitième séance, section 2, et procès-verbal de la dixième séance.

³ Ce point est inscrit à l'ordre du jour provisoire de la cent vingt et unième session du Conseil exécutif (24-26 mai 2007).

MESURES A PRENDRE PAR L'ASSEMBLEE DE LA SANTE

14. L'Assemblée de la Santé est invitée à examiner le projet de résolution contenu dans la résolution EB120.R13.

= = =