DOCUMENT

La Société internationale des revues indépendantes sur le médicament (International Society of Drug Bulletins - ISDB) rassemble plus de 80 revues de thérapeutique dans le monde, destinées aux médecins, aux pharmaciens ou aux patients.

Toutes les revues membres de l'ISDB sont indépendantes de l'industrie pharmaceutique. La *revue Prescrire* participe activement à cette société.

Les revues de l'ISDB directement impliquées dans l'évaluation des nouveaux médicaments se sont réunies à Paris, avec des experts internationaux, les 15 et 16 novembre 2001, et ont élaboré une déclaration commune sur les éléments précis qui permettent de considérer un nouveau médicament comme un véritable progrès thérapeutique.

La Déclaration de l'ISDB sur le Progrès thérapeutique reproduite ci-contre en version française est diffusée dans le monde entier, dans le but d'une prise de conscience collective de toutes les personnes et organismes concernés. Le progrès thérapeutique dans le domaine du médicament existe, mais il est noyé dans un foisonnement d'illusions et il n'est pas assez stimulé.

Forte de son expérience accumulée depuis plus de 20 ans dans l'analyse de tous les nouveaux médicaments commercialisés en France, la *revue Prescrire* s'associe pleinement à la Déclaration de l'ISDB.

La revue Prescrire

Ce que sont les véritables progrès thérapeutiques dans le domaine du médicament

Le texte intégral de la Déclaration de l'ISDB

"L'ISDB (International Society of Drug Bulletins) encourage la publication d'une information indépendante de qualité sur les médicaments et les thérapeutiques, à usage des professionnels de santé et du public, dans le monde entier.

L'ISDB a réuni un groupe de travail pour préciser ce qui constitue un véritable progrès thérapeutique, de son point de vue et du point de vue des patients. Ce groupe de travail s'est réuni à Paris (France), les 15 et 16 novembre 2001, et l'ISDB a rendu publique la présente déclaration.

I- Objet et contexte

La présente déclaration trouve principalement son origine dans les pratiques de l'industrie pharmaceutique et des instances de régulation du médicament (agences du médicament, etc.) qui brouillent la distinction entre les véritables progrès thérapeutiques et les simples nouveautés.

L'"innovation" est une question centrale pour tous ceux qui sont concernés par les traitements médicamenteux : le public, les professionnels de santé et ceux qui les informent, les autorités sanitaires et les agences du médicament, les organismes d'assurance maladie et l'industrie pharmaceutique. Parmi eux, les professionnels de santé jouent un rôle clé en s'assurant de la valeur des nouveaux traitements médicamenteux, et en prenant la décision de les prescrire et celle de les dispenser. Leur savoir-faire doit cependant s'appuyer sur une information indépendante. Les patients et le public (lire en encadré [*page 145*]) se reposent sur les professionnels de santé pour s'assurer que leurs intérêts sont défendus au mieux.

L'industrie pharmaceutique veut donner l'impression que les traitements innovants (*) sont tellement nombreux et importants qu'il est impératif d'en accélérer le développement et le processus d'enregistrement, afin que les patients y aient rapidement accès. Cependant, les professionnels de santé qui travaillent pour des revues thérapeutiques indépendantes ont montré que cette impression est trompeuse. Certaines revues de l'ISDB évaluent en effet de manière critique les données relatives à tous les médicaments nouvellement commercialisés : leurs conclusions permettent de savoir si ces nouveautés élargissent les moyens thérapeutiques disponibles (médicamenteux ou non), et jusqu'à quel point. Globalement, seul un faible pourcentage des médicaments nouvellement autorisés chaque année apportent un réel avantage aux patients, par comparaison avec ce qui existe déjà.

La Déclaration de l'ISDB sur le Progrès thérapeutique met au premier rang les besoins des patients et des professionnels de santé, et vise à définir le progrès thérapeutique en termes d'avantages comparatifs. Les besoins des patients comprennent à la fois leurs besoins individuels et les besoins collectifs de la population.

Le terme "innovation" recouvre trois concepts :
- le concept commercial désigne n'importe quel *produit nouvellement commercialisé* : nouvelles substances, y compris les "me-too" (**), nouvelles indications, nouvelles formes galéniques et nouvelles méthodes de traitement ;
- le concept technologique se rapporte aux *innovations industrielles*, telles l'utilisation des biotechniques, ou l'introduction d'un nouveau système d'administration pour un médicament (patch, spray, etc.), ou la sélection d'un isomère ou d'un métabolite ;
- le concept de *progrès thérapeutique* prend en compte les nouveaux traitements qui apportent un bénéfice aux patients par comparaison avec les traitements déjà existants.

Il est dans l'intérêt de l'industrie pharmaceutique de

**- L'expression "traitement innovant" signifie ici une innovation concernant les substances médicamenteuses (y compris les médecines traditionnelles), leurs différentes formes galéniques et indications, qu'il s'agisse de traitements curatif ou préventif.*
***- NDT (note des traducteurs) : "me-too", en anglais pour "moi aussi", désigne une substance développée pour pénétrer un créneau commercial déjà occupé par une spécialité à base d'une substance voisine, sans apporter de bénéfice nouveau ; la firme pharmaceutique voulant simplement "elle aussi" une part du marché.*

Téléchargé sur prescrire.org le 06/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement

brouiller la distinction entre ces trois concepts. Et au nom de ses prétendues "innovations", l'industrie pharmaceutique dicte sa politique aux agences du médicament, tout en bombardant de publicités les professionnels de santé et le public. Les autorités sanitaires, les organismes qui prennent financièrement en charge les médicaments et les agences du médicament devraient agir dans l'intérêt supérieur du public, et rejeter la prétention des industriels à faire passer toute nouveauté comme étant toujours un progrès thérapeutique.

II- Identifier les progrès thérapeutiques

Lorsqu'on cherche à savoir si un nouveau médicament représente un progrès thérapeutique, il est essentiel de considérer son efficacité, ses effets indésirables et sa contribution à l'amélioration des modalités de traitement. Efficacité, effets indésirables et modalités de traitement sont liés : ces éléments doivent être examinés en même temps, et être réévalués au fur et à mesure qu'apparaissent de nouvelles données. L'évaluation continue des anciennes substances est essentielle : elle permet d'éliminer les médicaments qui ne présentent plus d'intérêt, et d'identifier de nouvelles manières ou de meilleures manières d'utiliser les médicaments déjà sur le marché. Un progrès thérapeutique ne devrait pas être considéré isolément, mais en lien avec les problèmes de coût et de qualité pharmaceutique (lire en encadré [page 145]).

1. Efficacité

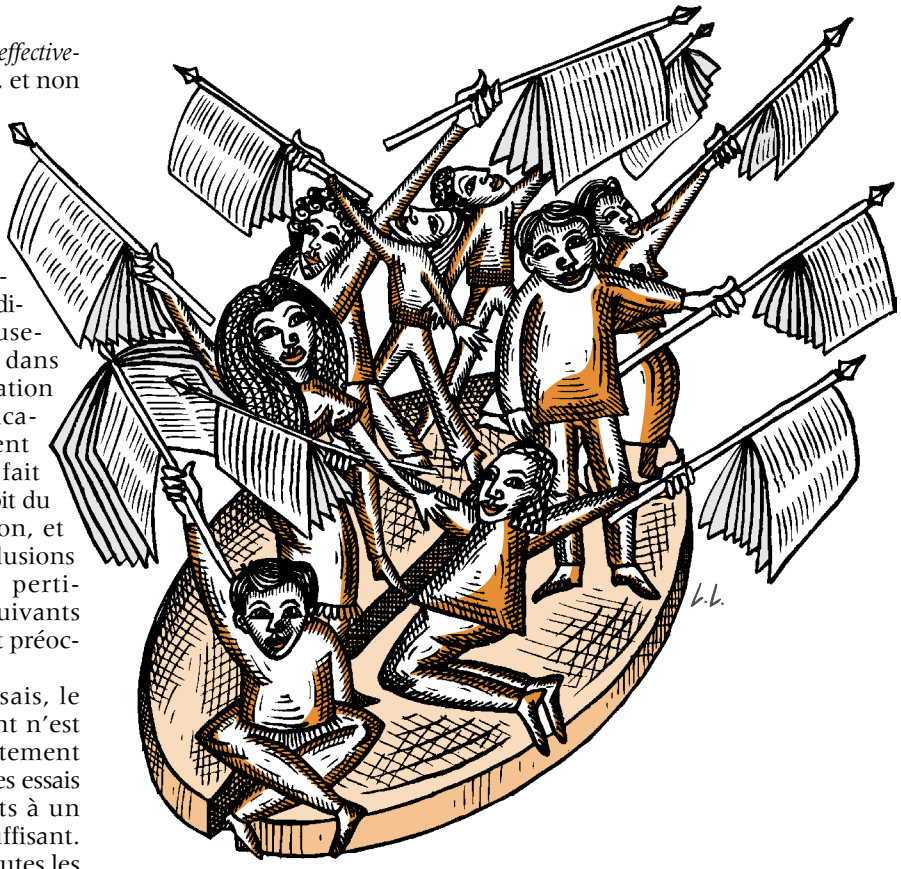
L'efficacité concerne les performances attendues d'un médicament (par exemple un effet antidouleur ou un effet contraceptif). Lorsqu'on la considère comme un des critères du progrès thérapeutique, l'efficacité doit être évaluée en pratique clinique quotidienne [*NDT : "effectiveness" des anglo-saxons*], et non seulement dans le cadre des essais cliniques ["*efficacy*"].

Les essais comparatifs sont considérés comme la méthode de référence pour établir l'efficacité des médicaments. Malheureusement, ceux contenus dans les dossiers d'évaluation des nouveaux médicaments sont souvent inadéquats, soit du fait de leur conception, soit du fait de leur réalisation, et amènent à des conclusions douteuses ou non pertinentes. Les points suivants sont particulièrement préoccupants.

a- Dans certains essais, le nouveau médicament n'est pas comparé au traitement le plus performant. Ces essais exposent les patients à un niveau de soins insuffisant. Et en outre, ils ont toutes les chances d'aboutir à des résultats biaisés en faveur du nouveau médicament. Des essais comparatifs contre placebo sont même parfois effectués alors qu'il existe un traitement au rapport bénéfices/risques favorable. Ces cas extrêmes sont absolument inacceptables.

b- Certains essais utilisent des critères de jugement qui ne sont pas de nature à emporter la conviction, qui ne sont pas cliniquement pertinents, qui sont méthodologiquement peu fiables, ou qui exposent au risque d'une interprétation trompeuse de la significativité statistique (par exemple, des critères de jugement intermédiaires ou des critères définis a posteriori, des échelles d'évaluation et des mesures cliniquement non validées dans l'affection ou la population de patients concernées, des combinaisons de critères de jugement de pertinence inégale).

c- Certains essais sont menés dans des populations et/ou dans des contextes qui ne représentent pas ceux où sera utilisé le nouveau traitement.



d- Les essais dits de non-infériorité, ou d'équivalence, représentent une large proportion des essais cliniques menés sous l'égide des industriels. Très controversés, ils sont particulièrement préoccupants. La réalisation de ces essais, qui ne sont souvent conçus que pour répondre à des exigences réglementaires, pose à l'évidence des problèmes éthiques : on trompe les patients inclus dans ces essais en leur faisant espérer une amélioration des soins ; la recherche ne vise pas à répondre à des besoins réels, mais se plie au plan de développement marketing de la firme.

2. Effets indésirables

Les nouveaux médicaments sont généralement autorisés sur la base d'études testant leur efficacité, les données relatives aux effets indésirables étant considérées comme secondaires.

On doit considérer les effets indésirables fréquents, mais aussi ceux qui sont rares mais graves. Au moment de la mise sur le marché d'un nouveau médicament, il faut rester prudent devant un profil d'effets indésirables apparemment acceptable, car les effets rares ne pourront être connus que lorsqu'une population suffisamment importante aura été exposée au médicament.

Les études de toxicité dites précliniques sont rarement publiées, et demeurent souvent inaccessibles. Des études animales ont parfois été menées, mais bien souvent, personne ne peut le savoir. Or toutes ces données sont nécessaires pour une évaluation indépendante de la sécurité d'emploi.

Nombre d'agences du médicament et d'organismes de pharmacovigilance ne publient aucune information concernant les effets indésirables des médicaments, ou très peu, que ce soit pour les professionnels de santé ou pour le public. ▶▶

Téléchargé sur prescrire.org le 06/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement

DOCUMENT

3. Modalités de traitement

Cet aspect comprend la commodité d'emploi des médicaments et des dispositifs qui les accompagnent, ainsi que la fiabilité du conditionnement. Si elle aboutit à un meilleur suivi du traitement prescrit, une amélioration dans ce domaine peut être un progrès en soi. Mais il convient de rester prudent devant la mise en exergue d'une amélioration de l'observance ou de la facilité d'emploi qui ne s'appuie sur aucune donnée pertinente.

L'observance d'un traitement dépend du caractère pratique du schéma d'administration pour les patients et pour les professionnels de santé, de la durée du traitement, des conditions de stockage (notamment sous les climats chauds), ainsi que de la qualité et de la sécurité du conditionnement. Elle dépend aussi de l'information destinée aux patients et de la commodité d'utilisation du conditionnement.

Mais une amélioration de la commodité d'utilisation peut représenter un danger si elle augmente les risques d'effets indésirables.

III- Obstacles à l'émergence des progrès thérapeutiques

Toutes les parties concernées par la recherche et le développement des nouveaux traitements partagent la responsabilité de susciter et de façonner le progrès thérapeutique.

1- Autorités sanitaires et responsables d'agences du médicament

Le manque de transparence et de contrôle démocratique des agences du médicament entrave la prise en compte des besoins du public, tout comme la part que représentent les redevances versées par les industriels lors des demandes d'autorisation de mise sur le marché dans le budget des agences du médicament (souvent plus de 50 %). En situation de prestataires de service, les agences du médicament nationales et internationales entrent de plus en plus en compétition pour obtenir ces redevances. Ce qui peut conduire certaines agences à être moins exigeantes vis-à-vis des industriels. En outre, les standards de travail de ces agences et leur cadre légal varient d'un pays à l'autre. Lorsque des accords de reconnaissance mutuelle existent, une firme pharmaceutique est libre de retirer un dossier à une agence du médicament ayant détecté un problème, pour le soumettre à une autre agence plus laxiste.

Il est courant de mesurer la performance d'une agence du médicament au nombre d'autorisations de mise sur le marché accordées et à la rapidité des procédures, mais pas à la qualité de ses décisions. Cette qualité est insuffisante lorsque, au moment d'autoriser un nouveau médicament insuffisamment évalué, les agences sont incapables d'imposer aux industriels la réalisation d'études complémentaires concernant l'efficacité ou les effets indésirables. Un tel laxisme est inacceptable, même pour des médicaments visant à traiter des affections potentiellement mortelles.

Les industriels font pression sur les agences du médicament pour accélérer les autorisations de mise sur le marché en réponse aux exigences liées à l'harmonisation réglementaire internationale. Ce qui empêche la reconnaissance des véritables progrès thérapeutiques.

La qualité et la pertinence des données cliniques exigées pour une demande d'autorisation de mise sur le marché sont inappropriées. Les autorités sanitaires et le législateur ont galvaudé le concept d'"innovation". En Europe, l'exigence d'un « *intérêt thérapeutique significatif* » de la directive 87/22/EEC du Conseil européen de 1986 n'a pas été reprise dans le règlement 2309/93 du Conseil européen de 1993.

2- Institutions consacrées à la santé

Le financement de la recherche et du développement des médicaments par les organismes publics, les fournisseurs de soins et les systèmes d'assurance maladie a diminué au fil des années. Autrement dit, les essais ne présentant pas d'intérêt pour les industriels ne sont pas financés de manière suffisante : traitements non médicamenteux (chirurgie, kinésithérapie, médecines alternatives) ; comparaisons entre multiples médicaments ; comparaisons avec des médicaments qui ne sont plus brevetés ; essais concernant des traitements d'affections chroniques ou terminales qui ne sont pas commercialement attractives mais représentent une charge importante pour le système de soins ; essais concernant des médicaments orphelins et des maladies délaissées.

3- Chercheurs

En raison d'un financement public insuffisant, et de la pression irrésistible (et économiquement attirante) des projets de recherche financés par l'industrie, le monde universitaire n'a plus guère d'influence sur le choix des priorités de recherche en matière de progrès thérapeutiques.

Les études à court terme, à des fins de publication, ont pris le pas sur l'évaluation en thérapeutique des découvertes prometteuses issues des phases pilote de recherche.

Les praticiens qui s'occupent des besoins de la majorité des patients atteints d'affections chroniques et complexes (souvent peu intéressantes pour l'industrie) n'ont que rarement l'occasion de jouer un rôle dans la production des nouveaux savoirs concernant les stratégies de traitement et de prévention (qui ne reposent pas seulement sur des médicaments).

Les institutions du domaine de la santé n'envisagent pas l'évaluation de l'utilité des "innovations" comme un investissement productif pour le système de soins.

À quelques exceptions près, importantes mais marginales, les patients ne jouent qu'un rôle très limité dans le développement, la conduite active ou le suivi des essais cliniques comparant des traitements médicamenteux et non médicamenteux dans les domaines où cela se justifie.

4- Industrie pharmaceutique

Dans la mesure où l'industrie pharmaceutique domine la recherche thérapeutique, celle-ci est focalisée sur les médicaments, et subordonnée aux stratégies marketing des firmes et non aux besoins réels des patients. En outre, une grande partie de la recherche industrielle vise à capter des parts de marché pour des affections que l'on sait déjà traiter correctement. Fortes de leur quasi monopole sur la recherche, les firmes pharmaceutiques en viennent à penser qu'il est normal qu'elles contrôlent totalement les résultats des essais cliniques et qu'elles en soient propriétaires.

Il faut insister sur les dangers que représente cette manipulation directe ou indirecte de l'information s'agissant des dossiers de demande d'autorisation de mise sur le marché. La situation actuelle menace l'indépendance de la recherche clinique et la notion même de "médecine fondée sur les niveaux de preuves". En

Téléchargé sur prescrire.org le 06/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement

effet, l'évaluation des bénéfices et des risques des médicaments, ainsi que l'élaboration des recommandations pour la pratique se fondent alors sur des informations biaisées.

IV- Obstacles à la reconnaissance des progrès thérapeutiques par les professionnels de santé et par le public

La qualité de l'information sur les nouveaux traitements médicamenteux dépend de l'équilibre des pouvoirs entre les acteurs concernés : le public ; les professionnels de santé et ceux qui leur fournissent l'information ; les autorités sanitaires et les agences du médicament ; les organismes d'assurance maladie ; et les firmes pharmaceutiques.

1- L'information sur les nouveaux médicaments provient essentiellement de l'industrie pharmaceutique, qui investit lourdement dans la promotion de ses nouveautés. La propagande industrielle vise à brouiller la distinction entre nouveauté commerciale, innovation technologique et progrès thérapeutique, ce qui conduit les professionnels de santé et le public à succomber à la tactique du marketing et aux allégations des visiteurs médicaux et de la publicité.

En banalisant ou en dissimulant les résultats d'essais qui ne collent pas à leur stratégie marketing, et en ne réalisant pas les études post-commercialisation réclamées par les agences du médicament, les firmes pharmaceutiques trompent les professionnels de santé et le public. De plus, elles les empêchent d'identifier rapidement les réels progrès thérapeutiques. Un tel comportement est en contradiction avec la Déclaration d'Helsinki de l'an 2000 (***), dont l'article 16 stipule : « *Le plan de toutes les études doit être accessible* ». Et qui ajoute dans son article 27 : « *Les résultats négatifs aussi bien que les résultats positifs doivent être publiés ou rendus accessibles au public* ».

2- La pression des firmes pharmaceutiques sur les gouvernements peut avoir un impact important. Au Royaume-Uni par exemple, lorsque le National Institute for Clinical Excellence (NICE) a rendu un avis défavorable sur le *zanamivir* (avis qui a malheureusement été totalement transformé par la suite), le fabricant a multiplié les menaces, y compris celle de déménager ses unités de recherche et développement. En tant que source de revenus d'exportations et d'impôts pour les gouvernements, l'industrie pharmaceutique a les moyens de peser sur les décisions officielles concernant les nouveaux médicaments.

3- Les agences du médicament maintiennent un secret excessif sur leurs processus de décision, et ne permettent pas aux professionnels de santé et au public d'accéder rapidement aux informations pertinentes, en partie en raison d'une interprétation restrictive des impératifs de confidentialité.

4- La publication et l'accès aux informations sur les nouveaux médicaments se heurtent à plusieurs obstacles.

Il a été montré que la clause de confidentialité qui interdit aux investigateurs de publier les résultats d'un essai sans l'accord de son financeur est une cause de biais de publication et une atteinte à l'objectivité de l'information.

De nombreux supports d'information, ainsi que de nombreux organismes de formation continue dépendent financièrement de ressources provenant de la publicité pour des médicaments, ce qui fait obstacle à l'objectivité de l'information.

Les associations professionnelles sont rarement prêtes à engager les fonds nécessaires à la production d'une information véritablement indépendante. Il faut également dénoncer les leaders d'opinion qui participent au lancement des nouveaux médicaments moyennant des contreparties financières de la part des firmes.

Les journalistes grand public et les agences de presse sont souvent partie prenante des campagnes de promotion des industriels, dans la mesure où ils reçoivent une information biaisée et où ils manquent d'indépendance.

La disparition de facto de l'interdiction de la publicité pour les médicaments de prescription en direction du grand public, qui se déguise parfois en campagnes d'information sur les maladies, fournit au public une information biaisée.

Les associations de patients sont de plus en plus une source d'information sur les médicaments et les traitements. Mais leur faiblesse et leur dépendance vis-à-vis des subventions des industriels sont inquiétantes.

V– Propositions

Préambule

Les acteurs qui définissent et font respecter la réglementation concernant le développement et la mise sur le marché des médicaments se trouvent presque tous dans les pays riches.

Les problèmes que nous avons énumérés jusqu'ici sont particulièrement aigus dans les pays pauvres, qui doivent absolument faire passer les besoins des patients et des populations avant les intérêts commerciaux de l'industrie pharmaceutique.

On constate une aggravation des inégalités quand les véritables progrès thérapeutiques sont inaccessibles pour des raisons économiques ou logistiques. Et du fait de la pression commerciale, les fausses innovations mettent en péril les structures de santé publique déjà fragiles dans ces pays pauvres.

On a beaucoup parlé récemment du problème des brevets et de leurs contraintes, mais il ne doit pas être considéré isolément. Le concept de médicament essentiel et les politiques de santé qui en dépendent doivent être élargies et renforcées pour couvrir tous les progrès dans le traitement des affections anciennes aussi bien que des maladies émergentes.

Les propositions générales qui suivent ont donc une signification toute particulière pour les pays pauvres.

1- Pour identifier les progrès thérapeutiques

a- Efficacité. L'efficacité d'un nouveau médicament doit être évaluée en fonction de la mortalité globale (chaque fois que c'est pertinent), de la morbidité, et de la qualité de vie appréciée du point de vue du patient. Les traitements destinés aux affections chroniques supposent des essais à long terme. Des essais testant la supériorité d'un traitement sur un autre sont nécessaires lorsqu'un traitement correctement évalué existe déjà. Ces exigences sont conformes à la dernière version de la Déclaration d'Helsinki (octobre 2000) (***), qui souligne : « *Les avantages, les risques, les contraintes et l'efficacité d'une nouvelle méthode doivent être évalués par comparaison avec les meilleures méthodes diagnostiques,* ►►

****- NDT : le texte intégral de la 5e révision de la Déclaration d'Helsinki (octobre 2000) a été publiée dans le n° 219 p. 542-543 de la revue Prescrire.*

Téléchargé sur prescrire.org le 06/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement

DOCUMENT

▶ *thérapeutiques ou de prévention en usage »* (article 29).

b- Effets indésirables. Un nouveau médicament peut représenter un progrès thérapeutique s'il offre une meilleure sécurité d'emploi que les traitements existants, à condition que les données de pharmacovigilance à court, moyen et long termes soient prises en compte. Toutes les informations sur les effets indésirables des médicaments, y compris les données de pharmacovigilance, devraient être rendues publiques à partir de la date de première commercialisation.

Pour qu'un nouveau médicament soit accepté comme un progrès thérapeutique sur la base d'une meilleure sécurité d'emploi, plusieurs années de pharmacovigilance active sont nécessaires.

Les éléments suivants sont indispensables :
- des études de pharmacovigilance bien conçues, telles que des études cas-témoin et de vastes études de suivi, dans le but de fournir une description claire du profil d'effets indésirables, comprenant les interactions médicamenteuses et les effets indésirables dans les groupes à haut risque, tels les personnes âgées, les enfants, les femmes enceintes ou les patients atteints d'insuffisance rénale ;
- des essais comparatifs randomisés de grandes dimensions et à long terme, dont le critère de jugement soit la mortalité globale, pour évaluer les effets indésirables des traitements préventifs (antihypertenseurs ou hypolipidémiants par exemple).

Les substances qui nécessitent une surveillance étroite devraient être inscrites sur une liste internationale mentionnant leur année de première commercialisation. Cette liste devrait être accessible dans le monde entier, aux professionnels de santé comme aux patients. Dans chaque pays, il devrait exister une liste de substances à surveiller en priorité, comme il en existe dans certains pays. Les substances de cette liste devraient être identifiées comme telles sur l'étiquetage de leur conditionnement et sur la notice d'information du patient.

Le rapport bénéfices/ risques d'un nouveau médicament devrait être réévalué au moins tous les 5 ans en fonction des nouvelles données.

c- Modalités de traitement. Avant commercialisation, des études devraient être menées pour évaluer les modalités de traitement, le bon suivi de la posologie, et la bonne compréhension de la notice d'information. La réglementation sur les médicaments devrait inclure cette exigence aussi rapidement que possible.

2 – Pour les autorités sanitaires et les agences du médicament

a- Les agences du médicament doivent se rappeler qu'elles sont d'abord au service du public et non de l'industrie pharmaceutique : leur responsabilité vis-à-vis de la santé publique devrait passer avant leur souci de servir les intérêts de l'industrie. L'Agence européenne du médicament devrait être rattachée à la Direction générale "Santé et protection des consommateurs", et non à la Direction générale "Entreprise" de la Commission européenne.
b- Les responsables des politiques de santé devraient prendre l'initiative d'améliorer le cadre légal de la santé publique afin que les agences du médicament facilitent l'accès des professionnels de santé et du public à l'information pertinente. Les agences du médicament devraient rendre accessibles aux professionnels de santé et au public un registre des essais cliniques soumis à l'appui des demandes d'autorisation de mise sur le marché. Ce registre devrait comprendre tous les essais, terminés ou non, ainsi que leurs protocoles.
c- Les décisions des agences du médicament devraient être renforcées par la nomination de représentants (indépendants de l'industrie) du public et des professionnels de santé dans leurs instances dirigeantes.
d- Toutes les agences du médicament devraient publier tous les ans un rapport sur la manière dont les conflits d'intérêts ont été traités.
e- Les agences du médicament devraient publier les données d'évaluations comparatives, afin que les professionnels de santé et le public puissent distinguer les médicaments utiles des faux-semblants commerciaux.
f- Lorsqu'une firme pharmaceutique retire une demande d'autorisation de mise sur le marché à la suite d'un problème soulevé par une agence du médicament, la communauté internationale devrait être informée, et cette information devrait obligatoirement être déclarée par la firme lors de toute demande d'autorisation de mise sur le marché auprès d'une autre agence.
g- L'effet attendu d'un nouveau médicament sur la santé devrait non seulement être pris en compte pour octroyer l'autorisation de mise sur le marché, mais il devrait aussi apparaître explicitement sur les documents d'information approuvés par l'agence du médicament : les résumés des caractéristiques des produits destinés aux professionnels de santé, comme les notices destinées aux patients.
h- Les agences du médicament devraient améliorer la surveillance des nouveaux médicaments après leur commercialisation.

3 – Pour les gouvernements et les organisations internationales

Les organisations internationales et les gouvernements devraient allouer une part des budgets de soins et de recherche à des essais cliniques de grandes dimensions répondant aux besoins de santé de la population et concernant des traitements médicamenteux ou non. Ces priorités de la recherche

CONTRIBUTIONS
Les participants et relecteurs ci-dessous ont contribué aux versions successives de la Déclaration de l'ISDB sur le Progrès Thérapeutique, dont l'élaboration s'est étalée sur plusieurs mois.
Membres du groupe de travail : Danielle Bardelay, *La revue Prescrire* (ISDB), France ; Wolfgang Becker-Brüser, *Arznei-Telegramm* (ISDB), Allemagne ; Hirokuni Beppu, *The Informed Prescriber* (ISDB), Japon ; Pierre Chirac, Médecins Sans Frontières, France ; Joe Collier, *Drug and Therapeutics Bulletin* (ISDB), Royaume-Uni ; Gita Fernando, *Sri Lanka Prescriber* (ISDB), Sri Lanka ; Maria Font, *Dialogo sui Farmaci* (ISDB), Italie ; Rokuro Hama, *Kusuri-no-check* (ISDB), Japon ; Andrew Herxheimer, DIPEx, Royaume-Uni ; Christophe Kopp, *Prescrire International* (ISDB), France ; Ksenija Makar-Ausperger, *Pharmaca Drug Bulletin* (ISDB), Croatie ; Gilles Mignot, *La revue Prescrire* (ISDB), France ; José Recalde, *Boletín Terapéutico Andaluz* (ISDB), Espagne ; Keiko Sakaguchi, *Kusuri-no-Check* (ISDB), Japon ; Andrea Tarr, *Drug and Therapeutics Bulletin* (ISDB), Royaume-Uni ; Gianni Tognoni, *Informazioni sui Farmaci* et *Ricerca & Pratica* (ISDB), Italie ; Bruno Toussaint, *La revue Prescrire* (ISDB), France ; Élisabeth Veyriac, *La revue Prescrire* (ISDB), France ; Bozidar Vrhovac, *Pharmaca Drug Bulletin* (ISDB), Croatie.
Relecture critique : Gilles Bardelay, *La revue Prescrire*, France ; Paul Blake, Martindale The Complete Drug Reference, Royaume-Uni ; Marc Bogaert, *Folia Pharmacotherapeutica*, Belgique ; Isabelle Breton, *La revue Prescrire*, France ; Jules Desmeules, *Pharma-Flash*, Suisse ; Silvio Garattini, Mario Negri Institute, Italie ; Ellen 't Hoen, Médecins sans Frontières, Pays-Bas ; Mohan Joshi, *Drugs and Therapeutics Letter*, Népal ; Jacques Juillard, *La revue Prescrire*, France ; Marc Legrelle, *La revue Prescrire*, France ; Joel Lexchin, Health Action International, Canada ; Dinesh Mehta, British National Formulary, Royaume-Uni ; Jean Louis Montastruc, Université de Toulouse, France ; Jean-Pierre Noiry, *La revue Prescrire*, France ; Jörg Schaaber, *Pharma-Brief*, Allemagne ; Molly Thomas, *Rational Drugs*, Inde.
Traduction en français : Jean Doubovetzky et Christophe Kopp.
Financement : L'ensemble des travaux de préparation et la réunion à Paris ont été financés exclusivement par les revues de l'ISDB.

Téléchargé sur prescrire.org le 06/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement

clinique devraient être définies notamment par les professionnels de santé et le public. Des financements à la hauteur des besoins devraient être dégagés pour des essais sans intérêt pour l'industrie : médicaments non brevetables ; traitements non médicamenteux ; comparaisons entre plusieurs médicaments ; recherches sur la prise en charge d'affections chroniques ou terminales sans intérêt commercial ; médicaments orphelins et maladies négligées.

Les financements publics devraient être garantis sur plusieurs années, et à une hauteur suffisante pour rétablir l'équilibre entre la recherche commanditée par l'industrie et la recherche consacrée aux besoins de la santé publique.

4 – Pour les professionnels de santé et le public

a- Aux niveaux national et international, les professionnels de santé et les organisations de patients devraient identifier les besoins de recherche correspondant à des maladies en attente de progrès thérapeutiques.
b- Les patients devraient être partie prenante de la conception des essais, en particulier en ce qui concerne le choix des critères de jugement et des mesures de résultats (par exemple qualité de vie, pénibilité des soins), ainsi que l'information des participants. Les protocoles d'essais devraient spécifier la manière dont les participants sont informés du déroulement et des résultats des essais.
c- Les professionnels de santé devraient être en mesure de comparer les nouveaux traitements à ceux qui existent déjà, afin d'identifier de manière fiable les progrès thérapeutiques. Ils devraient être formés à l'utilisation des concepts fondamentaux de la "médecine fondée sur les preuves" (synthèses méthodiques, niveaux de preuve, pertinence des critères de jugement), ainsi qu'aux concepts des rapports bénéfices/risques et coût/bénéfices. Quand ils prescrivent ou dispensent un traitement nouvellement commercialisé, les professionnels de santé devraient disposer de toutes les informations permettant d'en expliquer les avantages et les inconvénients par comparaison avec les traitements de référence, afin que les patients puissent faire un choix informé et comprennent que tout effet inattendu ou indésirable doit être signalé.
d- L'utilisation des sources indépendantes d'information comparative sur les médicaments doit être fortement encouragée. La formation initiale et continue sur les médicaments doit demeurer indépendante de l'industrie pharmaceutique.
e- Les comités d'éthique ne devraient pas approuver d'essai s'il n'est pas précisé par écrit que tous les résultats seront rendus publics dès l'autorisation de mise sur le marché du médicament.
f- Les professionnels de santé devraient admettre qu'il est de leur responsabilité de donner un avis impartial et informé aux organismes officiels et aux médias, et reconnaître publiquement les limites de leurs connaissances.
g- Les journalistes, les rédacteurs et les responsables de publications devraient être encouragés à vérifier leurs sources auprès d'experts indépendants et informés, pour éviter de devenir, à leur insu, les complices des campagnes de promotion des médicaments. Ce point est particulièrement d'actualité en raison de la pression actuellement exercée par l'industrie pharmaceutique pour obtenir l'arrêt de l'interdiction de la publicité auprès des "consommateurs" pour les médicaments de prescription. ”

© ISDB

À PROPOS DU TERME "CONSOMMATEUR"

Les publications médicales utilisent de plus en plus le terme de *consommateur* à la place de ceux de "malade" ou de "patient". En réalité, un consommateur est « *une personne qui achète des biens ou des services pour la satisfaction de ses besoins personnels* » (Dictionnaire Collins). Le terme *consommateur* est donc bien plus qu'un euphémisme ou une atténuation du mot "malade". En effet, son utilisation tend à nier le rôle des médecins, des pharmaciens et de la relation entre les patients et les professionnels de santé. Le terme *consommateur* suppose que le malade est informé de manière indépendante et fiable, et qu'il peut faire un choix parmi les médicaments en vente pour traiter n'importe lequel de ses problèmes de santé : c'est rarement le cas.

La connotation commerciale du mot *consommateur* est évidente. Il insiste implicitement, et parfois à tort, sur le rôle des traitements médicamenteux, et tend à faire oublier les options de traitement non médicamenteuses (chirurgie, surveillance attentive, psychothérapie, etc.). Ceux qui y ont intérêt préfèrent le terme *consommateur* parce qu'il est en phase avec les concepts de publicité directe au grand public, de commerce électronique des médicaments et de stratégie industrielle de contournement des professionnels de santé, ces derniers étant perçus comme des freins à l'expansion du marché du médicament.

Informer les malades et le public, et en faire des partenaires engagés dans les soins de santé est un objectif louable. Mais le terme *consommateur* devrait être évité dans la description de la relation entre les patients et les médicaments. Selon les cas, il devrait être remplacé par "le public", "les malades" ou "les patients" (notamment pour ceux qui prennent un traitement prophylactique, par exemple pendant la grossesse ou pour prévenir le paludisme, et qui ne sont pas "malades").

LA FIXATION DU PRIX DES MÉDICAMENTS

Que ce soit dans les pays riches ou les pays pauvres, l'accès aux progrès thérapeutiques dépend de la capacité financière de se procurer les médicaments et de la qualité des systèmes de dispensation.

Lorsqu'il est trop onéreux pour que les populations concernées en bénéficient, le progrès thérapeutique demeure illusoire, puisque l'amélioration de la santé qu'on peut en attendre ne se concrétise pas.

Le coût prétendument croissant de la recherche et du développement des nouveaux médicaments sert depuis longtemps d'excuse à l'augmentation des prix des médicaments réclamée par les industriels. Mais le prix d'un médicament n'est pas tant lié aux coûts de la recherche et du développement ou aux progrès thérapeutiques (voir le prix élevé des médicaments "me-too") qu'aux coûts croissants de leur promotion et au laisser-faire des décideurs de santé publique et des organismes d'assurance maladie, acheteurs de médicaments.

Les décideurs nationaux de santé publique et les organismes d'assurance maladie devraient assurer la transparence de la fixation du prix des médicaments et des coûts de recherche et développement. Ils devraient résister aux pressions des firmes pharmaceutiques qui veulent fixer le prix international des médicaments au niveau maximum acceptable pour les pays riches. Le prix est un obstacle majeur du passage de l'efficacité telle qu'évaluée dans les essais cliniques à un progrès thérapeutique qui bénéficie réellement aux malades et au public.

© ISDB

Téléchargé sur prescrire.org le 06/05/2024
Copyright(c)Prescrire. Usage personnel exclusivement