



La sélection des médicaments essentiels



Juin 2002
Organisation mondiale de la Santé
Genève

Le concept des médicaments essentiels

Les médicaments essentiels sont ceux qui satisfont aux besoins prioritaires de la population en matière de soins de santé. Ils sont choisis compte tenu de leur intérêt en santé publique, des données sur leur efficacité et leur innocuité, et de leur coût/efficacité par rapport à d'autres médicaments. Les médicaments essentiels ont pour but d'être disponibles à tout moment dans le cadre de systèmes de santé fonctionnels, en quantité suffisante, sous une forme appropriée, avec une qualité assurée, accompagnés d'une information adéquate et à un prix accessible pour les individus et les communautés. La mise en oeuvre du concept des médicaments essentiels est destinée à être souple et adaptable à de nombreuses situations ; c'est à chaque pays qu'il incombe de déterminer quels sont exactement les médicaments qu'il considère comme essentiels.

Après la vaccination contre les maladies courantes de l'enfance, l'utilisation appropriée des médicaments essentiels est l'un des éléments des soins de santé modernes qui possède le meilleur rapport coût/efficacité. La sélection des médicaments essentiels est l'un des principes de base de toute politique pharmaceutique

Encadré 1 Points clés

- ❖ L'accès aux médicaments essentiels dépend de quatre facteurs : sélection rationnelle, prix accessibles, financement durable et systèmes de santé fiables.
- ❖ La sélection des médicaments essentiels, de préférence en relation avec des directives cliniques normalisées, est une étape cruciale pour assurer l'accès aux soins de santé et promouvoir l'usage rationnel des médicaments par les professionnels de santé et les consommateurs.
- ❖ L'adoption officielle du concept des médicaments essentiels identifie les priorités pour l'engagement des gouvernements dans le secteur pharmaceutique en général, et plus particulièrement dans l'approvisionnement du secteur public en médicaments et dans le remboursement des médicaments dans le cadre de l'assurance-maladie.
- ❖ L'établissement de procédures systématiques et transparentes en vue de définir la ou les listes nationales de médicaments essentiels, sur la base de directives de traitement reposant sur des bases factuelles.

nationale car elle aide à fixer les priorités pour tous les aspects du système pharmaceutique. Il s'agit d'un concept mondial qui peut être appliqué dans tous les pays, dans le secteur privé comme dans le secteur public et à différents niveaux du système de soins de santé.

Avantages

La sélection soignée d'une gamme limitée de médicaments essentiels améliore la qualité des soins, la gestion des médicaments (et aussi la qualité des médicaments prescrits), et le rapport coût/efficacité de l'utilisation des ressources sanitaires. De nombreuses études ont montré l'impact des directives cliniques et des listes de médicaments essentiels sur la disponibilité et le bon usage des médicaments dans les systèmes de soins de santé. Ces différents aspects sont encore plus importants dans les contextes de faibles ressources où la disponibilité des médicaments dans le secteur public est souvent irrégulière. Dans de telles conditions, les mesures visant à assurer un approvisionnement régulier en médicaments essentiels se traduiront par de réels gains en matière de santé et par une confiance accrue du public dans les services de santé.

Un concept mondial

Fin 1999, 156 pays disposaient d'une liste officielle de médicaments essentiels, et 127 d'entre eux l'avaient actualisée au cours des cinq années précédentes (Figure 1). La plupart des pays disposent de listes nationales et certains de listes au niveau de la province ou de l'Etat. Les listes nationales de médicaments essentiels suivent en général de près les directives nationales concernant la pratique clinique, qui sont utilisées pour la formation et la supervision des agents de santé. Aucun gouvernement ni système d'assurance-maladie ne peut se permettre de fournir ou de rembourser tous les médicaments existants sur le marché. Les listes de médicaments essentiels servent donc de guide pour l'achat et la distribution de médicaments dans le secteur public, les systèmes de remboursement des dépenses pharmaceutiques, les dons de médicaments et la production pharmaceutique locale. De nombreuses organisations internationales, dont l'UNICEF et le HCR, ainsi que des organisations non gouvernementales et des organismes internationaux de distribution à but non lucratif ont adopté le concept des médicaments



essentiels. Plusieurs pays développés suivent également la même approche (Encadré 3).

Le concept des médicaments essentiels est adapté aux défis actuels

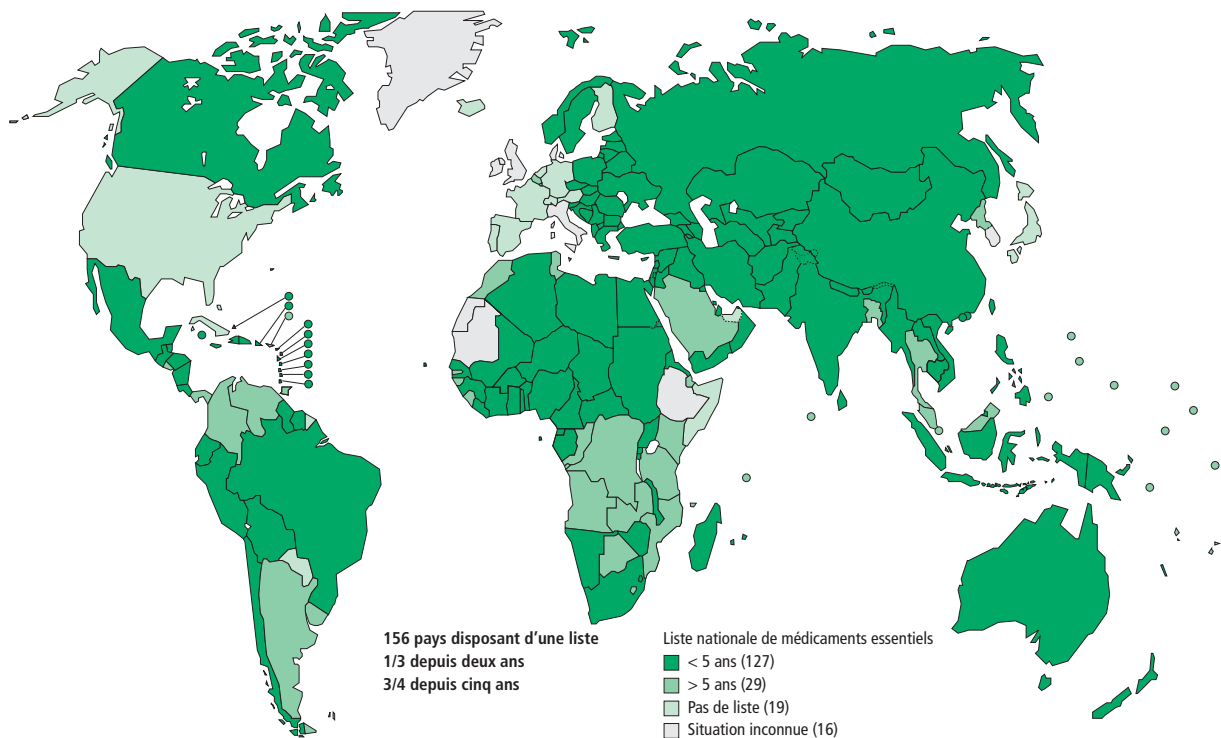
L'émergence de nouvelles épidémies comme le VIH/SIDA, l'augmentation généralisée de maladies infectieuses comme le paludisme et la tuberculose, l'émergence de la résistance aux antimicrobiens et l'augmentation des maladies chroniques dans de nombreuses régions du monde font que le concept des médicaments essentiels est plus important que jamais. Dans de nombreux pays développés, les dépenses pharmaceutiques totales augmentent de 10 à 18 % par an, beaucoup plus vite que l'indice des prix à la consommation ou le PNB. Cette augmentation est essentiellement liée à l'introduction de nouveaux médicaments plus coûteux et à l'augmentation générale de la consommation pharmaceutique. Dans les pays en développement, les nouvelles associations antipaludiques peuvent coûter 30 à 200 fois plus que la chloroquine. Les médicaments utilisés pour le traitement de la tuberculose multirésistante peuvent coûter 1 à 30 fois plus que le traitement habituel selon la stratégie DOTS ; et le traitement du VIH/SIDA par des antirétroviraux peuvent coûter entre US \$400 et US\$ 2500 par an.

Encadré 2 Applications pratiques du concept des médicaments essentiels

- ❖ Formation de base et formation en cours d'emploi des dispensateurs de soins de santé
- ❖ Achats et distribution dans le secteur public
- ❖ Remboursement des médicaments dans le cadre de l'assurance-maladie
- ❖ Dons de médicaments et aide internationale
- ❖ Systèmes de surveillance de la disponibilité et des prix
- ❖ Education du public

La plupart des budgets pharmaceutiques des pays en développement se situent au-dessous de US \$30 par personne et par an, et 32 pays disposent de moins de US \$2 par personne et par an. Il est donc vital que les pays s'attachent à la fois à augmenter le financement des médicaments dans le cadre du budget général de la santé et à appliquer le concept des médicaments essentiels de façon à atteindre les meilleurs résultats sanitaires possibles avec les ressources disponibles.

Figure 1 Pays disposant d'une liste nationale de médicaments essentiels*



* Pays disposant d'une liste officielle sélective pour la formation, l'approvisionnement et le remboursement. Certains pays ont des listes au niveau de l'Etat ou de la province en plus ou en remplacement des listes nationales.
Source : OMS, World Drug Situation Survey, 1999.

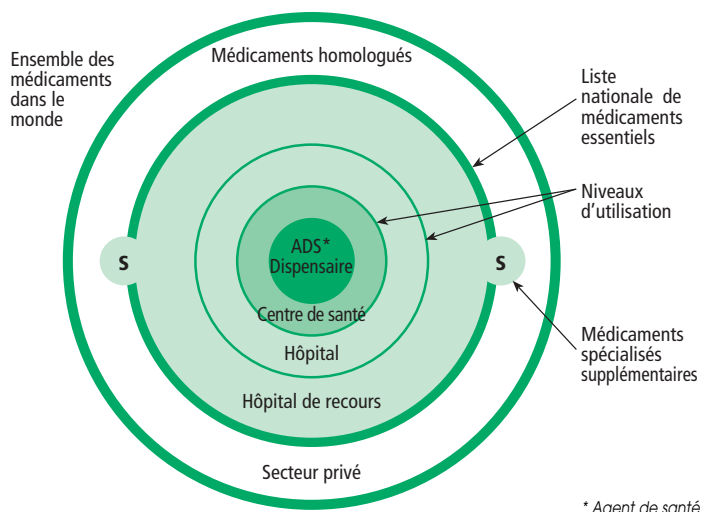
Encadré 3 Exemple de concept des médicaments essentiels dans un pays développé

En Australie, le Pharmaceutical Benefit Scheme assure le remboursement total ou partiel de plus de 80 % des médicaments prescrits dans les établissements de soins de santé primaires. Au cours des années, le système a élaboré une procédure très systématique de décision concernant les médicaments qui seront remboursés, avec notamment des examens systématiques de leur efficacité, de leur innocuité et une comparaison de leur rapport coût/efficacité. A la suite de ces consultations, seuls environ 650 principes actifs entrant dans la composition d'environ 1100 formes pharmaceutiques (1600 produits) sont remboursés dans le cadre du système.

La sélection des médicaments essentiels

La sélection des médicaments essentiels comporte deux étapes. Tout d'abord, l'autorisation de mise sur le marché d'un produit pharmaceutique est habituellement accordée sur la base de l'efficacité, de l'innocuité et de la qualité de ce produit, et rarement sur la base d'une comparaison avec d'autres produits déjà sur le marché ou d'après des considérations de coût. Cette décision réglementaire définit la disponibilité d'un médicament dans le pays. De plus, la plupart des systèmes publics d'approvisionnement en médicaments et d'assurance-maladie ont des mécanismes de limitation des achats ou de limitation du remboursement des médicaments. Ces décisions sont nécessairement fondées sur un processus d'évaluation reposant sur une comparaison entre divers médicaments et sur des considérations de qualité-prix. Cette deuxième étape conduit à l'établissement d'une liste de médicaments essentiels. Le mieux est d'établir une liste des médicaments essentiels pour

Figure 2 La cible des médicaments essentiels : la liste de médicaments essentiels au niveau national ou au niveau des établissements est un sous-ensemble de médicaments homologués, répartis selon le niveau de soins



les différents niveaux de soins, en s'appuyant sur les directives cliniques normalisées concernant les maladies et affections courantes qui peuvent et doivent être diagnostiquées et traitées au niveau en question.

Critères de sélection

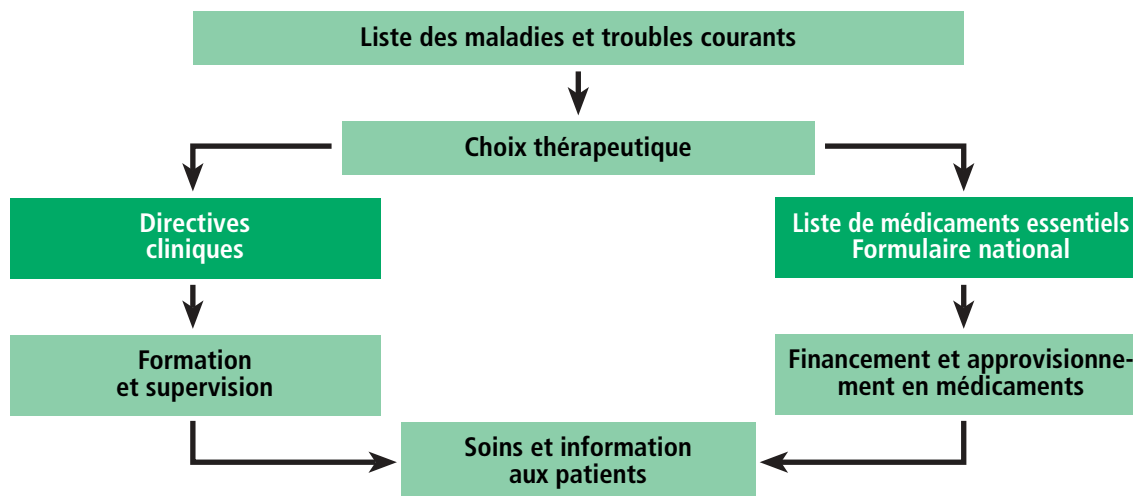
Le traitement recommandé et le choix des médicaments à utiliser dépend de nombreux facteurs tels que le tableau épidémiologique, les moyens de traitement disponibles, la formation et l'expérience du personnel, les ressources financières, ainsi que des facteurs génétiques, démographiques et environnementaux. Le Comité OMS d'experts de la sélection et de l'utilisation des médicaments essentiels retient les critères suivants :

- Seuls seront sélectionnés les médicaments pour lesquels il existe des données sûres et suffisantes en matière d'efficacité et d'innocuité dans divers contextes.
- Le rapport coût/efficacité relatif est un point majeur à envisager lors du choix de médicaments à l'intérieur de la même catégorie thérapeutique. Lors de la comparaison de différents médicaments, on devra prendre en considération non seulement le coût unitaire, mais aussi le coût total du traitement, et on le comparera avec son efficacité.
- Dans certains cas, le choix pourra également être influencé par d'autres facteurs, tels que les propriétés pharmacocinétiques, ou par des considérations locales telles que l'existence d'installations de fabrication ou de stockage.
- Chaque médicament choisi doit être disponible sous une forme dont la qualité peut être garantie, y compris en ce qui concerne sa biodisponibilité ; sa stabilité dans les conditions prévues de stockage et d'utilisation devra être démontrée.
- La plupart des médicaments essentiels devront être présentés en formulations à un seul principe actif. Les associations en proportions fixes ne sont choisies que s'il est démontré qu'elles présentent un avantage du point de vue de l'effet thérapeutique, de l'innocuité ou de l'observance par rapport à chaque constituant administré séparément, ou qu'elles diminuent l'émergence de la pharmacorésistance dans le paludisme, la tuberculose et le VIH/SIDA.

Comment établir une liste nationale de médicaments essentiels

Le processus de sélection des médicaments revêt une importance cruciale. Une liste de médicaments essentiels qui est imposée d'en haut ne reflétera pas les besoins des utilisateurs et ne sera pas acceptée. Il est donc très important que le processus soit consultatif et transparent, que les critères de sélection soient explicites, que la sélection des médicaments soit reliée à des directives cliniques normalisées reposant sur des bases factuelles, que les directives cliniques et la liste soient stratifiées par niveau de soins, et que ces deux documents soient régulièrement réexaminés et mis à jour. Un réexamen

Figure 3 La liste des problèmes de santé courants guide l'élaboration de directives cliniques, la liste de médicaments essentiels, la formation, le financement et l'approvisionnement, tous éléments conduisant à une amélioration des soins aux patients



des directives cliniques et de la liste doit être effectué au moins un an sur deux, et leur utilisation et leur impact doivent être suivis.

Un comité permanent devra être désigné pour fournir des avis techniques. Ce comité pourra être constitué de personnes appartenant à différents domaines, comme la médecine, les soins infirmiers, la pharmacologie, la pharmacie, la santé publique, la consommation, et également des agents de santé de base. Des consultations formelles et informelles peuvent être organisées avec les parties intéressées, y compris des représentants d'organisations professionnelles, de l'industrie pharmaceutique, d'organisations de consommateurs et des départements officiels du budget et des finances. Cependant, la sélection finale des médicaments par les membres du comité devra être réalisée de façon indépendante.

Le comité devra accepter le principe important selon lequel toutes les données n'ont pas le même poids. Par exemple, les résultats d'un examen systématique d'essais cliniques pèsent davantage que ceux d'une étude d'observation sans groupe témoin, et beaucoup plus que les observations personnelles des divers experts. Le poids de la recommandation est déterminé par celui des données.

Comment mettre en œuvre une liste nationale de médicaments essentiels

Lorsque les directives cliniques et la liste des médicaments essentiels seront finalisées et imprimées, elles devront être largement diffusées. Pour les mises à jour, il peut être utile de publier une brochure d'information qui récapitule les modifications ou d'informer des modifications au moyen d'une lettre d'information ou d'un bulletin pharmaceutique. L'usage prévu, la légitimité et

Encadré 4 Facteurs clés de la mise en œuvre réussie d'une liste de médicaments essentiels

- ❖ Etablir un processus transparent pour la création et la mise à jour de la liste de médicaments essentiels, permettre aux principales parties prenantes de donner leur avis, mais assurer un processus scientifique et reposant sur des bases factuelles.
- ❖ Relier la liste de médicaments essentiels aux directives cliniques pour le diagnostic et le traitement, en faisant appel à la fois à des spécialistes et à des dispensateurs de soins de santé primaires.
- ❖ Obtenir le soutien actif des sommités médicales, des spécialistes, des établissements de formation, des organisations professionnelles, des organisations non gouvernementales et du public.
- ❖ Diffuser largement la liste des médicaments essentiels, les formulaires et les directives cliniques dans tous les établissements de soins de santé et à tous les dispensateurs de soins de santé, à la fois sous forme imprimée et sous forme électronique.
- ❖ Envisager le lancement de nouvelles listes ou de listes révisées avec la participation des responsables des pouvoirs publics, par exemple le Ministre de la Santé ou le Président, et en lui assurant une importante couverture médiatique.
- ❖ Indiquer clairement l'autorité légale ou administrative spécifique de la liste des médicaments essentiels pour la formation, les achats, le remboursement et l'information du public.
- ❖ Envisager d'établir une « soupape de sécurité » administrative ou budgétaire pour la fourniture limitée et l'utilisation de médicaments ne figurant pas sur la liste, par exemple par certains services spécialisés.
- ❖ Mettre à jour régulièrement la liste de façon qu'elle reflète les progrès thérapeutiques et les changements intervenus au niveau du coût, du tableau de la résistance et de l'intérêt du point de vue de la santé publique.

l'autorité de la liste devront être clairs pour tous les utilisateurs. Les facteurs clés d'une mise en œuvre réussie sont énumérés dans l'encadré 4.

Encadré 5 L'accès aux médicaments essentiels fait partie des droits humains fondamentaux

- ❖ La possession du meilleur état de santé qu'il est capable d'atteindre constitue l'un des droits fondamentaux de tout être humain, quelles que soient sa race, sa religion, ses opinions politiques, sa condition économique ou sociale.¹
- ❖ Toute personne a droit à un niveau de vie suffisant pour assurer sa santé, son bien-être et ceux de sa famille, notamment pour l'alimentation, l'habillement, le logement, les soins médicaux ainsi que pour les services sociaux nécessaires.²
- ❖ Les gouvernements et la communauté internationale sont tenus de réaliser progressivement le droit à la santé, en se chargeant de la prophylaxie et du traitement des maladies, ainsi que de la lutte contre ces maladies, et par la création de conditions propres à assurer à tous des services médicaux et une aide médicale en cas de maladie.³
- ❖ L'accès aux services médicaux et à une aide médicale inclut naturellement la fourniture des médicaments essentiels pour la prévention et le traitement des maladies prévalentes.⁴

Sources :

¹ Constitution de l'Organisation mondiale de la Santé, comprenant les amendements adoptés jusqu'au 31 décembre 2000. Documents fondamentaux. Quarante-troisième édition, Genève, 2001.

² Déclaration universelle des droits de l'homme. Adoptée par l'Assemblée générale des Nations Unies le 10 décembre 1948.

³ Conseil économique et social des Nations Unies. Pacte international relatif aux droits économiques, sociaux et culturels. Adopté le 16 décembre 1966.

⁴ Conseil économique et social des Nations Unies. Comité des Droits économiques, sociaux et culturels. Vingt-deuxième session, Genève 25 avril-12 mai 2000. Application du Pacte international relatif aux droits économiques, sociaux et culturels. Observation générale N° 14.

Documents de référence disponibles auprès de l'OMS

La liste modèle OMS des médicaments essentiels

La liste modèle OMS est mise à jour tous les deux ans depuis 1997. La liste modèle de 2002 contient 325 principes actifs et est divisée en une liste principale et une liste complémentaire. Les médicaments sont désignés par leur dénomination commune internationale (DCI) ou leur nom générique sans faire référence à des noms de spécialités ni à des fabricants. La liste modèle représente à la fois un produit modèle et un processus modèle.

En tant que produit modèle, la liste modèle OMS vise à identifier les médicaments d'un bon rapport coût/efficacité pour les maladies prioritaires, avec les raisons de leur inclusion dans la liste, en relation avec des directives cliniques reposant sur des bases factuelles et en insistant particulièrement sur les aspects relatifs à la santé publique et les considérations de qualité-prix.

La mise à jour de la liste modèle se fait selon les procédures recommandées par l'OMS pour l'élaboration de directives pour la pratique clinique. Les éléments clés en sont une approche systématique de la collecte et de l'examen des données et un processus de développement transparent comportant plusieurs séances d'examen externe. Ce processus est destiné à servir de modèle pour l'élaboration ou la mise à jour de directives cliniques et de listes de médicaments essentiels au niveau national et au niveau des établissements.

Infothèque OMS sur les médicaments essentiels

Il est important que des comités de sélection au niveau national ou au niveau des établissements aient accès à l'information qui a servi de base pour la sélection des médicaments essentiels, par exemple les résumés de directives cliniques OMS pertinentes, les examens systématiques les plus importants, les documents importants cités en référence, une indication des coûts, des informations sur la nomenclature, et les normes d'assurance qualité. Ces informations sont regroupées dans une infothèque (*WHO Essential Medicines Library*) disponible sur le site Web de l'OMS, sous forme de CD-ROM et en version imprimée.

L'infothèque OMS sur les médicaments essentiels contient également le formulaire modèle de l'OMS (*WHO Model Formulary*), qui présente un modèle d'information sur tous les médicaments figurant dans la liste modèle OMS des médicaments essentiels. Outre le fait qu'il s'agit d'un document de référence utile à chaque prescripteur, ce formulaire est principalement destiné à servir de référence et de point de départ pour l'élaboration de formulaires nationaux et de formulaires des établissements de santé.

Documents clés

Quick JD, Rankin JR, Laing RO, O'Connor RW, Hogerzeil HV, Dukes MNG, Garnett A. *Managing Drug Supply*. West Hartford, Kumarian Press, 1997: Chapters 10-12.

*Organisation mondiale de la Santé. *How to Develop and Implement a National Drug Policy*, 2nd ed. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2001.

Organisation mondiale de la Santé. *Development of WHO Practice Guidelines: Recommended Process*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2001.

*Organisation mondiale de la Santé. *Stratégie pharmaceutique de l'OMS : cadre d'action pour les médicaments essentiels et politiques pharmaceutiques 2000-2003*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2000 (document WHO/EDM/2000.1).

*Organisation mondiale de la Santé. *WHO Global Strategy for Containment of Antimicrobial Resistance*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2001 (document WHO/CDS/CSR/DRS/2001.2).

*Organisation mondiale de la Santé. *Sélection et utilisation des médicaments essentiels, comprenant la douzième liste modèle OMS des médicaments essentiels*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2002 (sous presse).

*Organisation mondiale de la Santé. *Procédures pour la mise à jour et la diffusion de la liste modèle OMS des médicaments essentiels*. Document EB109/8 (annexe 1), décembre 2001.

*Organisation mondiale de la Santé. *WHO Model Formulary*. Genève, Organisation mondiale de la Santé, 2002 (sous presse).

Les documents marqués d'un astérisque sont également disponibles sur <http://www.who.int/medicines/>



Contacts au siège de l'OMS :

Médicaments essentiels et politique pharmaceutique Groupe Technologie de la santé et produits pharmaceutiques Siège de l'OMS, Genève, Suisse :

Dr. Jonathan Quick
Directeur, Département Médicaments essentiels et politique pharmaceutique
Tél. : +41 22 791 4443 Courrier électronique : quickj@who.int

Dr. Hans Hogerzeil
Coordonnateur de l'équipe Politique, accès, et usage rationnel
Tél. : +41 22 791 3528 Courrier électronique : hogerzeilh@who.int

Dr. Lembit Rägo
Coordonnateur de l'équipe Qualité et innocuité des médicaments
Tél. : +41 22 791 4420 Courrier électronique : ragol@who.int

Dr. Germán Velásquez
Coordonnateur de l'équipe Programme d'action pharmaceutique
Tél. : +41 22 791 3509
Courrier électronique : velasquezg@who.int

Dr Xiaorui Zhang
Coordinateur par intérim de l'équipe Médecine traditionnelle
Tél. : +41 22 791 3639 Courrier électronique : zhangx@who.int

Contacts dans les bureaux régionaux de l'OMS :

Bureau régional pour l'Afrique :

Dr. Moses Chisale
Médicaments et vaccins essentiels
Tel : +263 4 728 991 Courrier électronique : chisalem@afro.who.int

Dr. Ossy Kasilo
Conseiller sur les médecines traditionnelles
Tél. : +263 4 790 233 Courrier électronique : kasiloo@afro.who.int

Bureau régional pour les Amériques :

Dr. Caridad Borrás
Coordonnateur du programme Médicaments essentiels et technologie de la santé
Tél. : +1 202 974 3238 Courrier électronique : borrasca@paho.org

Dr. Rosario D'Alessio
Conseiller pharmaceutique régional
Tél. : +1 202 974 3282 Courrier électronique : dalessir@paho.org

Bureau régional pour la Méditerranée orientale :

M. Peter Graaff
Conseiller régional, Médicaments essentiels et produits biologiques
Tél. : +20 3 483 0096 Courrier électronique : graaff@emro.who.int

Bureau régional de l'Europe :

M. Kees de Joncheere
Produits pharmaceutiques
Tél. : +45 3 917 1432 Courrier électronique : cjo@who.dk

Bureau régional pour l'Asie du Sud-Est :

Dr. Krisantha Weerasuriya
Conseiller régional, Médicaments et vaccins essentiels
Tél. : +91 11 331 7804
Courrier électronique : weerasuriyak@whosea.org

Bureau régional pour le Pacifique occidental :

Dr. Budiono Santoso
Conseiller régional
Tél. : +63 2 528 9848
Courrier électronique : santosob@wpro.who.int

Dr. Chen Ken
Conseiller sur les médecines traditionnelles
Tél. : +63 2 528 9948
Courrier électronique : chen@who.org.ph

© Organisation mondiale de la Santé, 2002

Tous droits réservés. Il est possible de se procurer les publications de l'Organisation mondiale de la Santé auprès de l'équipe Marketing et diffusion, Organisation mondiale de la Santé, 20 avenue Appia, 1211 Genève 27 (Suisse) (téléphone : +41 22 791 2476 ; télécopie : +41 22 791 4857 ; adresse électronique : bookorders@who.int). Les demandes relatives à la permission de reproduire ou de traduire des publications de l'OMS – que ce soit pour la vente ou une diffusion non commerciale – doivent être envoyées à l'unité Publications, à l'adresse ci-dessus (télécopie : +41 22 791 4806 ; adresse électronique : permissions@who.int).

Les appellations employées dans la présente publication et la présentation des données qui y figurent n'impliquent de la part de l'Organisation mondiale de la Santé aucune prise de position quant au statut juridique des pays, territoires, villes ou zones, ou de leurs autorités, ni quant au tracé de leurs frontières ou limites. Les lignes en pointillés sur les cartes représentent des frontières approximatives dont le tracé peut ne pas avoir fait l'objet d'un accord définitif.

La mention de firmes et de produits commerciaux n'implique pas que ces firmes et ces produits commerciaux sont agréés ou recommandés par l'Organisation mondiale de la Santé, de préférence à d'autres de nature analogue. Sauf erreur ou omission, une majuscule initiale indique qu'il s'agit d'un nom déposé.

L'Organisation mondiale de la Santé ne garantit pas l'exhaustivité et l'exactitude des informations contenues dans la présente publication et ne saurait être tenue responsable de tout préjudice subi à la suite de leur utilisation.