

Lors des essais cliniques, les médicaments essentiels sont les meilleurs comparateurs

Jean-Claude Salomon (janvier 2015)

En dehors de leurs indications thérapeutiques, les médicaments essentiels (ME) ont d'autres fonctions. Dans cette note nous évoquons la fonction référentielle qui doit leur être assignée.

Si pour une indication donnée, ils ont effectivement un rapport bénéfice/risques plus favorable que les autres médicaments, dont ils partagent les indications, ils sont logiquement le meilleur choix comme médicament de référence lors des essais cliniques comparatifs. Tout nouveau médicament candidat pour accéder au marché devra donc faire la preuve par comparaison avec le ME de référence – soit d'un bénéfice plus grand, soit des risques moindres, soit des deux à la fois. Et ce de façon répétée, lors d'études cliniques sur des séries de patients randomisés suffisantes et indépendantes les unes des autres.

Toutes choses impliquant la rigueur des conditions méthodiques concernant les biais repérés que les cliniciens chercheurs ont pour tâche d'éviter. Cette fonction de référence doit être un des critères majeurs exigibles par les comités d'éthique soucieux de remplir scrupuleusement leur office.

Cette exigence permettra par étapes successives de faire accéder au statut de ME tout nouveau médicament, qui au terme d'une série d'essais se montrerait supérieur à un ME de la liste. Toute autre façon de faire serait porteuse de préjudice au détriment des patients participants aux essais et plus encore au détriment de tous les patients auxquels serait prescrit un médicament aux mérites contestables.

Les comités d'éthique et les associations de malades devront user de vigilance pour contribuer à prévenir les essais fautifs en se référant chaque fois que nécessaire au ME existant.

Les ME sont aussi des substances stratégiques. Aujourd'hui on observe que de plus en plus de firmes multinationales ont externalisé la production de substances actives médicamenteuses. La place occupée par des producteurs en Inde, en Chine ou au Brésil augmente d'année en année. Peu à peu les industries occidentales laissent échapper leurs capacités de production et leurs savoirs faire. Ceci expose gravement les populations de nos pays en cas de crises politiques et/ou économiques aux risques de rupture des approvisionnements¹. Ce qui serait sans importance pour des médicaments non essentiels, aurait une importance vitale pour les ME. Il faut donc sans tarder constituer des stocks de sécurité et relocaliser la production des substances actives de la liste de ME dans les pays européens. L'autorité publique compétente doit sur ce sujet exercer sa responsabilité dès maintenant.

¹ Matières premières pharmaceutiques, Mondialisation et Santé publique,
http://www.acadpharm.org/dos_public/Recommandations_MatiEres_premiEres_pharma_Conseil_22.06.2011_%28VF%29.pdf