



Les associations, la recherche et l'accès aux nouveaux médicaments

Les associations de malades jouent depuis quelques années un rôle important dans la recherche et l'expérimentation des médicaments. Elles deviennent ainsi de véritables interlocuteurs de l'industrie pharmaceutique et des autorités publiques.

Dans le domaine de la santé, les associations ont depuis longtemps exercé une influence sur le cours de la recherche. Cette influence s'est considérablement transformée tant dans ses finalités que dans ses modalités. Les ligues et les associations philanthropiques du début du siècle, animées par des femmes du monde et des personnalités médicales et politiques [1, 2], organisaient de vastes opérations de collecte de fonds destinés à la recherche. Elles déléguaient aux experts attirés des domaines scientifiques et médicaux le soin d'en définir les objectifs et les modalités, puis d'en évaluer les résultats. Ce rapport à l'exclusivité des spécialistes va être progressivement remis en cause. À partir des années cinquante, les associations créées autour des maladies chroniques rompent avec le modèle des ligues. La composante charitable et mondaine disparaît, et on assiste à une implication plus grande des malades et de leurs familles. Le rapport au monde médical est durablement transformé. Dans le cas des maladies aiguës, en situation de crise, les patients s'en remettaient essentiellement à leur médecin dans l'espoir d'une guérison rapide. Avec la chronicisation de la maladie, les patients sont conduits, au quotidien et dans la durée, à réaliser des arbitrages entre différents aspects — médicaux mais aussi psychologiques, sociaux ou économiques [3, 4]. Dans cette optique de gestion de la maladie, les associations autour des maladies chroniques sont intervenues pour constituer des réseaux de volontaires et de professionnels répondant à des besoins spécifiques (services d'aides à domicile, par exemple), pour obtenir de l'État des garanties concernant les droits sociaux des malades ou pour organiser des groupes de soutien. Concernant la recherche ou la mise à disposition des nouveaux médicaments, elles ont joué essentiellement un rôle de relais pour des informations validées par les autorités médicales. La plupart de ces associations sont d'ailleurs restées fortement encadrées par les spécialistes des pathologies concernées [5].

Au cours de la dernière décennie, l'Association française contre les myopathies (AFM) et les associations

de lutte contre le sida ont donné à l'implication directe des malades et de leurs proches, dans l'orientation et l'organisation de la recherche, un impact et une visibilité sans précédent. Avec les fonds collectés chaque année par le Téléthon, l'AFM est devenue un acteur clé dans les processus de constitution des connaissances scientifiques. Elle a notamment orienté le choix des thèmes et des équipes de recherches dans les organismes publics, et créé des débouchés attractifs pour que les firmes privées investissent dans des pathologies jugées jusqu'alors peu rentables. Elle a joué un rôle majeur dans l'élaboration d'une cartographie du génome humain, avec la création d'une infrastructure technologique (le Généthron) et contribué, par la constitution de groupes de malades, à identifier de nouvelles maladies et à formaliser des connaissances les concernant. Ce mode d'intervention associatif sur les orientations de la recherche, a pu être analysé comme la construction d'un modèle de « coproduction des savoirs » [6]. Il est fortement lié aux capacités financières de l'AFM qui lui confèrent un poids décisif en tant que promoteur et financeur des recherches. De leur côté, les associations de lutte contre le sida ont élaboré d'autres modalités d'intervention.

Les associations et les essais thérapeutiques

Le groupe interassociatif TRT5, composé initialement des associations Act-Up Paris, Actions Traitements, Aides, Arcat-sida, Vaincre le sida, entend faire valoir les intérêts des personnes atteintes par le VIH dans la recherche et l'accès aux nouveaux médicaments¹. La création, en 1989, de l'Agence nationale de recherches sur le sida (ANRS) a joué un rôle important dans la formation de ce groupe. Jusqu'alors les associations allaient, en ordre dispersé, chercher auprès d'une diversité d'acteurs (chercheurs, firmes, cliniciens, etc.) des informations sur les mécanismes de la maladie et les médicaments en cours d'évaluation. Dès sa création l'ANRS est devenue un interlocuteur central concernant les essais thérapeutiques. À la demande des associations, des réunions de concertation ont été mises en place, en 1993, autour des protocoles d'essais soutenus par l'Agence [7], avant même leur soumission à un Comité consultatif de protection des personnes dans la recherche biomédicale². Ces réunions constituent, à ce titre, une innovation institutionnelle au-delà des obligations juridiques générales. Dans le cas d'une pathologie létale, en l'absence de traitement efficace, certaines associations ont considéré les essais comme un mode d'accès à des médicaments porteurs d'espoirs et exprimé des critiques virulentes concernant les éléments constitutifs de la méthodologie des essais : l'existence d'un groupe de patients recevant un placebo ou un traitement de

1. Nous reprenons les résultats d'un travail réalisé dans le cadre d'un doctorat de sociologie (EHESS), sous la direction de C. Herzlich. Ce travail s'inscrit dans un programme de recherches engagé au Cermes par N. Dodier, avec le soutien de l'ANRS et de Sidaction.

2. Les CCPPRB ont été créés en 1988, par la loi Huriet-Sérusclat.



« référence » dont les limites d'efficacité étaient connues ; la longue durée des essais visant, en l'absence de marqueurs de substitution validés, à établir l'efficacité des molécules sur des critères cliniques ; le principe du double-aveugle, laissant patient et clinicien dans l'ignorance des produits reçus. Dans ces réunions de concertation, les militants associatifs examinent, au cas par cas, les formulaires de recueil du consentement et les notes d'information destinées aux patients. Ils se livrent notamment à des opérations de « traduction », en proposant de substituer à des termes jugés trop spécialisés, des termes plus compréhensibles. Ils entendent faire prendre en compte les aspects concrets de la vie des patients inclus dans l'essai. Ces interventions associatives ne sont pas anodines. Elles peuvent faire émerger des difficultés de mise en œuvre de l'essai et entraîner des modifications substantielles. Elles façonnent, par ailleurs, face à leurs interlocuteurs, un véritable « modèle » de l'engagement des patients atteints par le VIH dans les essais. Plutôt que de promouvoir l'engagement altruiste dans la recherche, elles mettent en avant un patient qui fait des choix éclairés et rationnels en fonction des avantages et des inconvénients de l'essai. Un patient qui, parce qu'il est en rapport avec une diversité d'instances (médias, entourage, associations), est particulièrement au fait des dernières avancées de la science, et dispose de compétences et d'appuis qui lui sont propres. Dans ce modèle, la relation médecin/malade n'est plus le lieu exclusif de l'information et de la décision en matière de soins.

Interlocuteurs des pouvoirs publics et de l'industrie pharmaceutique

Au-delà de l'examen des protocoles d'essais, le groupe interassociatif TRT5 intervient régulièrement auprès des firmes pharmaceutiques, de l'Agence du médicament, des prescripteurs et des malades, pour accélérer la circulation des nouveaux médicaments avant leur AMM [8]. Au nom d'un rapport compassionnel aux patients en situation d'urgence thérapeutique, les associations de lutte contre le sida se sont mobilisées pour que soit donnée à ces patients la possibilité d'avoir accès à des molécules qui ne sont encore ni totalement évaluées, ni validées. Ce mode de circulation des molécules, en marge des essais cliniques contrôlés et de la mise sur le marché des médicaments a été progressivement encadré, et le dispositif réglementaire des autorisations temporaires d'utilisation (ATU), mis en place en 1994, est aujourd'hui particulièrement utilisé dans le cadre du sida. Le groupe interassociatif TRT5 influe notamment, par ses actions auprès des firmes pharmaceutiques et de l'Agence du médicament, sur l'identification des molécules concernées par ce dispositif, les attentes vis-à-vis des données relatives à leur efficacité et la définition des patients susceptibles d'en bénéficier. Une spécificité de ce mode d'intervention associatif est d'articuler une démarche de négociations au sein de nouveaux espaces de discussions avec les experts ou les représentants des autorités administratives et des prises de positions publiques dans les médias.

L'épidémie du sida a été fortement médiatisée et a donné une place particulière aux questions relatives aux modalités de la recherche scientifique et aux conditions de mise en circulation des innovations biomédicales [9], les associations ont souvent joué un rôle important en tant qu'initiateurs des débats publics. L'évaluation des données fournies par la science n'est plus réglée dans les sphères réservées aux spécialistes attirés des domaines scientifiques et médicaux, mais fait l'objet de l'intervention d'une large palette d'acteurs.

Au-delà de ces expériences, l'implication des associations dans le domaine de la recherche et de la circulation des médicaments s'inscrit dans un mouvement plus général. Le rôle des associations de patients comme interlocuteurs de l'industrie pharmaceutique, des organismes publics de recherches et des agences d'enregistrement des médicaments est devenue une question d'actualité. En 1997, et 1999, l'organisation, avec la participation du Syndicat national de l'industrie pharmaceutique (Snip), de séminaires sur la méthodologie des essais thérapeutiques, destinés aux associations de malades, témoigne de l'intérêt croissant des firmes pour l'engagement des associations sur les questions relatives à la recherche. Au milieu des années quatre-vingt-dix, la création d'Eurordis (European organization for rare disorders) s'inscrit dans une dynamique de lobbying auprès des autorités publiques et des firmes. Elle s'est inspirée de l'expérience américaine, et son organigramme traduit la présence de militants issus de l'AFM ou des associations de lutte contre le sida françaises. Son objectif est de favoriser la découverte et la mise à disposition de nouveaux traitements, en faisant notamment adopter, au niveau européen, une réglementation sur les médicaments orphelins. La détermination des mesures incitatives susceptibles de rendre attractifs les investissements concernant la recherche sur les maladies rares, et la définition même du caractère rarissime de ces maladies, représentent un enjeu important à la fois pour les firmes, les États et les associations de malades. En 1997, un accord a été passé entre la Ligue contre le cancer et la Fédération nationale des centres anticancéreux, concernant la mise en œuvre d'essais thérapeutiques et a conduit récemment à la création d'un comité de patients consulté notamment pour donner un avis sur la rédaction des notes d'information et des formulaires de recueil de consentement. Un forum destiné aux patients et aux associations a été organisé dans le cadre du 9^e Congrès international sur les traitements anticancéreux, début 1999. Des activistes américaines sont intervenues pour faire part de l'expérience de la *Breast cancer coalition*, créée en 1991. Des cliniciens ont appelé à la création de groupes de pression animés par des malades eux-mêmes, afin d'accélérer l'enregistrement en Europe de certains médicaments, grâce à leur capacité à mobiliser les médias, sur le modèle des associations de lutte contre le sida. Il reste à voir comment, et jusqu'à quel point, ces initiatives récentes vont transformer la recherche médicale et les modalités de régulation du marché du médicament. ■

Bibliographie

1. Pinell P. *Naissance d'un fléau. Histoire de la lutte contre le cancer en France, 1890-1940*. Paris : 1992, Métailié.
2. Bach M-A. La sclérose en plaques entre philanthropie et entraide : l'unité introuvable. *Sciences Sociales et Santé*, 1995, 13 (4) : 5-36.
3. Herzlich C., Pierret J. *Malades d'hier, malades d'aujourd'hui. De la mort collective au devoir de guérison*. Paris : 1984, Payot.
4. Baszanger I. Les maladies chroniques et leur ordre négocié. *Revue Française de Sociologie*, 1986, 27 : 3-27.
5. Carricaburu D. L'association française des hémophiles face au danger de contamination par le virus du sida : stratégie de normalisation de la maladie et définition collective du risque. *Sciences Sociales et Santé*, 1993, 11 (3-4) : 55-82.
6. Rabeharisoa V., Callon M. L'implication des malades dans les activités de recherche soutenues par l'Association française contre les myopathies. *Sciences Sociales et Santé*, 1998, 16 (3) : 41-65.
7. Barbot J. Agir sur les essais thérapeutiques. L'expérience des associations de lutte contre le sida en France. *Revue d'Epidémiologie et de santé publique*, 1998, 46 : 305-315.
8. Barbot J. Science, marché et compassion. L'intervention des associations de lutte contre le sida dans la circulation des nouvelles molécules. *Sciences Sociales et Santé*, 1998, 16 (3) : 67-95.
9. Dodier N. La prise de parole publique sur les observations scientifiques. *Réseaux*, à paraître.