

## Document des associations de parents du sous groupe de travail « médicaments utilisés en pédiatrie »

### Thème : Règlement européen relatif aux médicaments à usage pédiatrique.

27 juillet 2016

#### Propositions des associations de parents

##### Préambule

Avant tout, nous tenons à préciser que les associations de parents souhaitent que les propositions ci-dessous couvrent l'ensemble des pathologies des enfants et que les améliorations souhaitées servent à tous les enfants européens. Les traitements des maladies pédiatriques nécessitent un arsenal thérapeutique complet comprenant souvent plusieurs médicaments ; aucune piste de progrès ne doit être négligée. Pas de priorisation.

##### Problème posé : accélérer l'accès des enfants à des médicaments spécifiques

- Augmenter les moyens humains à l'EMA pour réduire la file d'attente des dossiers PIP
- Rémunérer le travail des agences nationales sur les dossiers pédiatriques au même niveau que celui des dossiers adultes
- Augmenter à l'ANSM les personnels dédiés aux médicaments pédiatriques
- Réduire le nombre des waivers en ne considérant pas la pathologie adulte traitée mais le mécanisme d'action qui peut concerner des maladies infantiles différentes de celles de l'adulte
- Dans les maladies sans traitement efficace, imposer un PIP dès les phases précoces d'essai clinique chez l'adulte; probablement dès l'entrée en phase 2 plutôt que 1.
- S'appuyer sur des suivis de cohorte gérés sur le long terme par le laboratoire concerné et sur le long terme permettant d'inclure des enfants de manière plus simple (gérer la problématique réelle du nombre d'inclusions et la puissance statistique). Donc permettre un accès encadré à la molécule avec une acquisition progressive d'éléments de preuve. Tout particulièrement pour les utilisations hors AMM chez l'enfant.
- Encourager le travail des réseaux européens et les recherches européennes sur la pédiatrie

##### Problème posé : connaître les besoins à couvrir au niveau européen

- Reprendre l'état des lieux européen de 2011 et le confronter avec les besoins actuels des thérapeutes français puis européens
- Comparer cet état des lieux avec les marchés du médicament pédiatrique en Europe afin d'affiner les niches qui nécessitent des efforts financiers.
- Etablir le bilan des études réalisées par les industriels et les institutionnels dans toutes les pathologies pédiatriques depuis le règlement pédiatrique
- Etudier les recherches académiques qui peuvent servir de preuves pour les développements industriels afin de ne pas refaire des essais cliniques inutiles.
- Revoir l'ensemble des formes galéniques en fonction des âges des enfants et notamment pour les prématurés
- Mettre en place des observatoires et analyses sur les conséquences à long terme des traitements pédiatriques, notamment dans les maladies chroniques de l'enfant

### Problème posé : inciter/contraindre les industriels à réaliser des PIP

- favoriser une recherche sur les essais cliniques avec des petits échantillons et instaurer des suivis à long terme afin d'aider les industriels à investir dans la recherche clinique en pédiatrie. Validation du concept de qualité des petits échantillons pour la pédiatrie.
- Mettre au point des formations européennes sur les essais en pédiatrie pour les industriels et les institutionnels
- En cas de mauvaise volonté avérée et sans réponse de l'industriel aux sollicitations de l'EMA, explorer les contraintes, en partenariat avec les industriels qui développent déjà les médicaments pédiatriques
- Les incitations économiques ont parfois des effets pervers en terme d'inflation des prix. Une nouvelle voie pourrait être explorée : créer un label/sigle reconnaissant publiquement la responsabilité sociétale des industriels dans le développement des médicaments pédiatriques et les autorisant à une communication grand public encadrée sur une période donnée.

### Problème posé : garder le leadership de la France dans ce dossier

- Créer un groupe de travail français pluri pathologies et pluri disciplinaire sur la révision du règlement pédiatrique européen, avec un leader indépendant
- Favoriser la participation des équipes françaises aux essais cliniques pédiatriques européens et analyser les obstacles
- Synchroniser le travail des institutions notamment ANSM, HAS, DGS, etc...
- Développer un portail électronique d'information sur les médicaments pédiatriques destiné aux familles et aux jeunes malades (compréhensible et adapté)

### Conclusion

Il faut rendre plus performant le règlement européen ; il n'est pas sûr que sa révision soit indispensable. Des préconisations simples peuvent déjà améliorer son application.

Hélène Gaillard, Alliance maladies rares

Hélène Pollard, Sol en Si

Catherine Vergely, UNAPECLE

Christophe Duguet, AFM Telethon

