

Révision du Règlement européen relatif aux médicaments à usage pédiatrique.

Positions des associations de parents

Décembre 2016

Propositions des associations de parents

Préambule

Avant tout, nous tenons à préciser que les associations de parents demandent que les propositions ci-dessous couvrent l'ensemble des pathologies des enfants et que les améliorations proposées 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. Aucune priorisation n'est acceptable.

OBJECTIF: accroître la performance du règlement européen

A/ accélérer l'accès des enfants à des médicaments spécifiques, et pour cela :

- Réduire la file d'attente des dossiers PIP à l'EMA
- Rémunérer le travail des agences nationales sur les dossiers pédiatriques au même niveau que celui des dossiers adultes
- Renforcer le personnel dédié aux médicaments pédiatriques à l'EMA et dans les agences nationales
- 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 la mise en place des essais cliniques de Phase 2 chez l'adulte.
- S'appuyer sur des suivis de cohortes gérés par les laboratoires et/ou les institutionnels, permettant un suivi au long terme des enfants et un retour d'informations consolidées pour faciliter les inclusions (nombre réel d'inclusions et puissance statistique). Donc permettre un accès encadré à la molécule avec une acquisition progressive d'élément de preuve, tout particulièrement pour les utilisations hors AMM chez l'enfant. A noter que des « cohortes » sur des anciennes molécules devraient être incitées.
- Encourager le travail des réseaux européens et les recherches européennes sur la pédiatrie

B/ identifier 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'identifier les « niches » qui nécessitent des efforts financiers.
- Etablir le bilan des études réalisées par les industriels et les structures académiques dans les pathologies pédiatriques
- Recenser et suivre les recherches académiques en cours ou terminées pouvant servir de preuves pour des développements industriels sans essais cliniques supplémentaires .

- Revoir et adapter l'ensemble des formes galéniques pédiatriques en fonction des âges des enfants et notamment pour les prématurés
- Mettre en place un observatoire des conséquences à long terme des traitements pédiatriques, notamment dans les maladies chroniques de l'enfant

C/ : inciter/contraindre les industriels à réaliser des PIP

- Favoriser les essais cliniques sur de petits échantillons et instaurer des suivis à long terme pour inciter 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 voie nouvelle pourrait être explorée : création d'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.

D/ : développer l'information des familles

- Développer un portail électronique d'information sur les médicaments pédiatriques, compréhensible et adapté, destiné aux familles, aux jeunes malades
- Exiger des promoteurs le recensement des essais en cours et la diffusion des résultats à destination des parents afin qu'ils soient informés des possibilités de traitement

Conclusion

Pour 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/ TRT-5
 Catherine Vergely, UNAPECLE
 Christophe Duguet, AFM Telethon

