

Numero unique de document : GT162016031
Date document : 17/11/2016
Direction : Evaluation
Pôle : Accès Innovation et Développement
Personne en charge : Sylvie Benchetrit

GT 16 Pédiatrie – N° 2016-03

Séance du 28 novembre 2016 de 14h à 18h en salle A015

Programme de séance		
	Sujets abordés	Action (pour audition, information, adoption ou discussion)
1.	Introduction	
1.1	Ordre du jour	Pour adoption
1.2	CR du GT 16 Pédiatrie – N° 2016-02	Pour adoption
2.	Dossiers thématiques	
2.1	- GT 16 pédiatrie : dates 2017	Pour information / discussion
2.2	- Présentation du bilan à 10 ans EMA-PDCO sur le règlement pédiatrique ; retours de la réunion ANSM et des commentaires du sous-groupe du Comité d'Interface des associations patients dédié à la pédiatrie, retour du Comité Pharmaceutique exceptionnel dédié à la Commission Européenne et des commentaires de la France discutés. La phase de consultation vient d'être ouverte par la Commission Européenne.	Pour information / discussion
2.3	- Retour discussion EMA-FDA "strategic document of the Gaucher paediatric development"	Pour information / discussion
2.4	- Retour workshops 2 ^e semestre 2016 sur les nouveau-nés (EMA FDA INC) et du sous-groupe nouveau-nés (concept paper et guideline EMA) et sur l'amyotrophie spinale (EMA-représentants académiques, patients réglementaires et industriels)	Pour information / discussion
3	Dossiers Produits – Substances (Europe)	
3.1	PIP 1984 Sparsentan (néphrologie) – Retrophin	Pour discussion
3.2	PIP 332 M11 Brivaracetam (épilepsie – nouveau-nés) – UCB	Pour discussion
3.3	PIP 402-2 M3 Lacosamide (épilepsie) – UCB	Pour discussion
3.4	PIP 969 M4 Cobicistat (VIH) – Gilead	Pour discussion
3.5	Pharmacopée Européenne : Formulaire pédiatrique européen	Pour discussion

	listes immunologie, endocrinologie et maladies pulmonaires obstructives	
4	Dossiers Produits – Substances (France)	
	Formulaire national : gélules de chlorure de sodium	Pour discussion
5	Tour de Table	

PIP* : Plan d'Investigation Pédiatrique

PDCO** : Peadiatric Committee, EMA: European Medicines Agency

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.2	Nom du dossier	PIP 1984 Sparsentan (néphrologie) – Retrophin
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Proposition de développement pédiatrique revu suite au 1^{er} tour PDCO.

Discussion sur le concept de faisabilité en pédiatrie, et le design envisagé (population incluse, modelisation, control).

Question posée	Le concept de faisabilité avec les contraintes proposées sont-elles acceptables, points à compléter/modifier ?
Question posée	Le design envisagé (population incluse, modelisation, control) est-il acceptable ou quels sont les points à discuter ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.2	Nom du dossier	PIP 332 M11 Brivaracetam – UCB
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

11^e modification du développement pédiatrique PIP332M11Bbrivaracetam, sur l'étude des nouveau-nés à rediscuter, concernant en particulier la définition des nouveau-nés à inclure, les doses des cohortes exploratoire et confirmatoires, les critères de jugement primaire et secondaires. Des résultats de modélisation PBPK et PK/PD sont fournis. Le retard de réalisation de l'étude est de nouveau demandé.

Question posée	Le changement de l'âge maximal d'inclusion (PNA vs PMA) et de critère d'exclusion (AED) sont-ils acceptables ?
Question posée	Les modifications relatives à la pharmacocinétique (ie premier critère de jugement) des cohortes exploratoire et confirmatoires (dose(s) initiale(s), nombre de prélèvements sanguins changé) est-il acceptable ?
Question posée	Les critères d'efficacité et de sécurité redéfinis sont-ils acceptable ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.3	Nom du dossier	PIP 402-2 M3 Lacosamide – UCB
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Modification importante de l'étude pivot en cours, des enfants âgés de 1 mois à < 4 ans pour le traitement adjuvant de l'épilepsie des crises partielles, basée sur l'étude analogue du levetiracetam et le retour d'experts.

Question posée	Les changements de critères d'inclusion (durées de vidéo-EEG réduites) et d'exclusion sont-ils acceptables ?
Question posée	La diminution de durée de traitement est-elle acceptable et correspond-elle à la pratique clinique ?
Question posée	Les nombreuses modifications des critères d'efficacité et de sécurité redéfinis sont-ils acceptable (EEG vs diary-based, échelles d'évaluation) ?
Question posée	Le report de finalisation important est-il acceptable compte tenu des modifications de l'étude où un compromis est-il à proposer ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.2	Nom du dossier	PIP 969 M4 Cobicistat – Gilead
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Modification du développement pédiatrique de Cobicistat, de l'unique étude en la simplifiant et en changeant les catégories d'âges/poids, compte tenu des nouvelles données en particulier PK, et pour améliorer la faisabilité. Les formulations pédiatriques sont détaillées, destinés aux 6 - < 12 ans.

Question posée	Les formulations pédiatriques proposées sont-elles acceptables / conviennent-elles pour les 6-<12 ans ?
Question posée	Les doses proposées (basée sur les résultats / adolescents et grands enfants de 6 ans et plus) et la stratégie de développement modifiée sont-ils acceptables ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

3.1	Nom du dossier :	Formulaire pédiatrique européen
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Un Formulaire pédiatrique européen est en cours d'élaboration par le groupe de travail PaedForm de la Pharmacopée Européenne. La première partie du travail consiste à recenser puis à prioriser les besoins de monographies de préparations pharmaceutiques pédiatriques à standardiser, par gammes thérapeutiques.

Question posée	Gamme « Immunologie » Etablir un classement par ordre de priorité en termes de besoins thérapeutiques pour les substances actives de la gamme.
Question posée	Gamme « Endocrinologie » Etablir un classement par ordre de priorité en termes de besoins thérapeutiques pour les substances actives de la gamme.
Question posée	Gamme « Maladies pulmonaires obstructives » Etablir un classement par ordre de priorité en termes de besoins thérapeutiques pour les substances actives de la gamme.

Dossier Produits – Substances (France)

4	Nom du dossier	Gélules de chlorure de sodium
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

La monographie des « GELULES DE CHLORURE DE SODIUM » du Formulaire national de la Pharmacopée française est actuellement en révision (modification du dosage volumétrique). A cette occasion, une extension de la gamme thérapeutique de la monographie peut être envisagée. La gamme thérapeutique actuelle est de 0,5 g à 1 g.

Question posée	Le besoin d'étendre la gamme thérapeutique à la pédiatrie existe-t-il ?
Question posée	Dans l'affirmative, quels sont les dosages prescrits et pour quelles pathologies ?