

Numéro unique de document : GT162017021

Date document : 23/05/2017

Direction : Evaluation

Pôle : Accès Innovation et Développement

Personne en charge : Sylvie Benchetrit

GT 16 Pédiatrie – N° 2017-02

Séance du 12 juin 2017 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° 2017-01	Pour adoption
2.	Dossiers thématiques	
2.1	- Guidelines EMA en cours de réactualisation chez les nouveau-nés et dans l'épilepsie, guideline extrapolation EMA	Pour information / discussion
2.2	- Formation/information des pédiatries à la recherche et au développement (dont l'évaluation réglementaire) des médicaments en pédiatrie (ex SFP/table-ronde, programmes européens de formation et de l'EMA, Empr-EMA)	Pour information / discussion
3	Dossiers Produits – Substances (National)	
3.1	Phosphoneuros – Bouchara - Recordati	Pour discussion
4	Dossiers Produits – Substances (Europe)	
4.1	PIP 2080 S-033188 - Shionogi	Pour discussion
4.2	PIP 2147 Sodium thiosulfate (ototoxicité) – Fennec Pharmaceuticals / Voisin consulting	Pour discussion
4.3	PIP 332 BRV M12 (Briavact®) (crises du nouveau-né) – UCB	Pour discussion
5	Tour de Table	

PIP* : Plan d'Investigation Pédiatrique

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

Dossier Produits – Substances (National)

3.1	Nom du dossier
-----	----------------

Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
Dossiers Produits – Substances (National)	<input checked="" type="checkbox"/> Phosphoneuros – Bouchara - Recordati
Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Décès de deux nouveau-nés prématurés par surdosage sous Phosphoneuros, solution buvable en gouttes, administré sans dilution (cf. fiche de synthèse jointe, précisant le Résumé Caractéristique Produit en vigueur).

Question posée	Il y t'il un réel besoin thérapeutique chez les enfants et à fortiori chez les prématurés ?
Question posée	Le schéma d'administration proposé est-il acceptable ? Avez-vous des propositions d'optimisation des modalités d'administration ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

4.1	Nom du dossier	PIP 2080 S-033188 - Shionogi
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Développement pédiatrique d'un produit innovant pour le traitement de la grippe, le S-033188 ((12aR)-12-[(11S)-7,8-difluoro-6,11-dihydrodibenzo[b,e]thiepin-11-yl]-6,8-dioxo-3,4,6,8,12,12a-hexahydro-1H-[1,4]oxazino[3,4-c]pyrido[2,1-f][1,2,4]triazin-7-yl}oxy)methyl methyl carbonate).

Question posée	Le développement proposé avec la formulation (destiné également aux nouveau-nés) et le développement PK-PD, de sécurité, avec extrapolation de l'efficacité à partir des résultats chez l'adulte et l'adolescent (« <i>otherwise healthy</i> » and at <i>'high risk'</i> »), est-il acceptable ?
Question posée	En particulier, - L'indication traitement de la grippe, sans la prévention, est-elle adéquate ? - La population incluse dans l'étude, de moins de 12 ans, et n'incluant pas les enfants à haut-risque, est-elle adéquate ? Le nombre est-il adéquat ? - Le critère de jugement premier est-il acceptable ((i.e. « <i>time to improvement of influenza symptoms</i> » vs « <i>time to alleviation of symptoms</i> ») ?

Dossier Produits – Substances (Europe)

4.2	Nom du dossier	PIP 2147 Sodium thiosulfate (ototoxicité) – Fennec Pharmaceuticals / Voisin consulting
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/>

Présentation de la problématique

Développement pédiatrique destiné à protéger la fonction auditive en cas de traitement antitumoral à la cysplatine. L'étude soumise a pour objectif l'évaluation de la protection de la fonction auditive chez les enfants de 1 à 17 ans avec un hépatoblastome résecable pour lequel le cysplatine est un traitement de première ligne.

Question posée	Le cysplatine est-il déjà utilisé en pratique clinique, en particulier en pédiatrie, dans cette indication ? La preuve de concept est-elle suffisante (cf données rat adulte 2005) avant d'intier un développement en pédiatrie (vs bénéfice clinique attendu) ?
Question posée	Le développement clinique proposé cible-t'il la population concernée par l'indication, aux catégories d'âge appropriées (cf critères d'inclusion et dérogations ci-dessous) ? <ul style="list-style-type: none"> • « Partiel waiver : ST unsafe with an immature renal system • Partial waiver 12-18y: unfeasible study due to rarity of standard risk hepatoblastoma (in the previous study, the oldest patient was 8.25 years).”
Question posée	Le développement proposé est-il adéquat par rapport à la qualité, à la PK-PD et à la clinique (dont critères de jugement d'efficacité et de sécurité, durée d'étude, reports).

Dossier Produits – Substances (Europe)

4.3	Nom du dossier	
	Dossier thématique	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (National)	<input type="checkbox"/>
	Dossiers Produits – Substances (Europe)	<input checked="" type="checkbox"/> PIP 332 BRV M12 (Briavact®) (crises du nouveau-né) – UCB

Présentation de la problématique

Rediscussion de la nécessité d'identifier les crises cliniques en plus des crises diagnostiquées par EEG chez le nouveau-né, qui sont le critère principal (cf. modification précédente), au vu des discussions actuelles entre académiciens et réglementaires.

Question posée	La modification proposée « seizure burden » sans « with and without clinical symptoms » pour mesurer l'efficacité – activité de brivaracetam est-elle acceptable ?
-----------------------	--