Médicaments en pédiatrie

Read the english version

L'ANSM est chargée d'améliorer la prise en charge thérapeutique des enfants et des adolescents (de leur naissance à 17 ans inclus) et de veiller à la sécurité des produits de santé qui leur sont destinés. Elle apporte son expertise lors du développement des médicaments, tant au niveau national qu'européen.

Des médicaments à développer pour les enfants et les adolescents

Parfois il est prescrit aux enfants et adolescents des médicaments conçus pour les adultes, en ajustant la dose, la durée ou le mode d'administration. Certains médicaments n'ont pas fait l'objet d'une **évaluation**, ni d'une **autorisation d'utilisation** pour leur classe d'âge. Cela s'explique par les difficultés à mener des recherches chez les enfants et les adolescents à la fois pour des raisons éthiques, logistiques, techniques et financières.

Cependant ces adaptations de dose, de durée ou de mode d'administration peuvent modifier l'action des médicaments (diminution de l'efficacité) ou engendrer des effets indésirables (pouvant être dangereux). Il est donc nécessaire de garantir la sécurité des enfants et adolescents et l'efficacité d'un médicament destiné à l'enfant ou à l'adolescent en favorisant la recherche et le développement de nouveaux médicaments qui leur sont adaptés. Pour répondre à ces besoins un règlement européen a été adopté.

Le règlement européen relatif aux médicaments à usage pédiatrique

Depuis 2007, le développement des médicaments destinés aux enfants et aux adolescents jusqu'à l'âge de 17 ans inclus, est encadré par le règlement européen (CE No 1901/2006) relatif aux médicaments à usage pédiatrique.

Ce règlement a pour but :

- d'inciter les laboratoires pharmaceutiques à développer des médicaments pour les enfants et les adolescents ;
- de faciliter le développement des médicaments pour les enfants et les adolescents ;
- de garantir leur sécurité ;
- d'améliorer les informations disponibles sur l'usage de médicaments pour les enfants et les adolescents ;
- d'encadrer la recherche pour qu'elle soit éthique, de bonne qualité et conforme aux exigences réglementaires.

Il impose notamment aux laboratoires pharmaceutiques de déposer auprès du Comité européen pédiatrique (*Paediatric Committee* - PDCO) de l'Agence Européenne du Médicament (*European Medicines Agency* - EMA), un Plan d'investigation pédiatrique (PIP), c'est-à-dire le programme complet des études envisagées en vue de la mise sur le marché de médicaments spécifiquement conçus pour les enfants et les adolescents.

Le comité européen pédiatrique (PDCO)

Le PDCO est responsable de tout ce qui concerne les médicaments utilisés chez l'enfant et l'adolescent au niveau européen mais aussi national, dans chaque pays membres de l'Union Européenne.

Il est composé de représentants de chaque état membre de l'Union européenne, des associations de médecins et de patients. Deux membres permanents nommés par l'ANSM (« *Delegate* » et « *Alternate* ») y représentent la France.

Le PDCO participe au développement et à l'évaluation des médicaments adaptés aux enfants et aux adolescents. Il détermine les recherches nécessaires pour autoriser l'utilisation d'un médicament, vérifie que les études respectent le cadre de la recherche en pédiatrie et évalue les dossiers déposés par les laboratoires pharmaceutiques (PIP).

Le Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP)

Il s'agit d'un programme complet de recherche et de développement, regroupant toutes les études précliniques (avant l'administration à l'homme : in vitro et in vivo chez l'animal) et cliniques (in vivo chez l'homme) envisagées par les laboratoires pharmaceutiques. Ces études vont permettre d'évaluer la qualité, la sécurité et l'efficacité du médicament chez les enfants et les adolescents. Si le médicament démontre qu'il est efficace et qu'il peut être utilisé en toute sécurité alors il pourra obtenir son autorisation de mise sur le marché (AMM) et être commercialisé. Avant toute demande d'AMM, un PIP doit être soumis et avalisé par le PDCO, puis réalisé en amont de la demande d'AMM dans une maladie et indication donnée (excepté les reports de réalisation d'essais cliniques parfois accordés).

Rôle et actions de l'ANSM

Au sein de l'agence, de nombreux sujets sont étudiés afin de garantir des soins de qualité et en toute sécurité aux enfants et aux adolescents. Pour cela des groupes de travails se réunissent afin d'échanger avec des professionnels de santé et des représentants de patients au sein notamment du Comité Scientifique Permanent de pédiatrie (CSP pédiatrie).

Assurer la sécurité et améliorer la prise en charge des enfants et adolescents

L'agence a la responsabilité de :

- fournir des informations relatives aux besoins thérapeutiques et aux médicaments pédiatriques ;
- donner un avis scientifique ou réglementaire sur des sujets en lien avec les médicaments en pédiatrie ;
- assurer le suivi des effets induits par les médicaments (pharmacovigilance, dont le suivi post-AMM et le mésusage) ;
- évaluer les dossiers portant sur la recherche chez l'enfant et l'adolescent (Plan d'Investigation Pédiatrique (PIP) ;
- veiller au respect de l'encadrement des recherches dans la population pédiatrique ;
- analyser :
  - les demandes d'autorisation de mise sur le marché (AMM) ;
  - les demandes d'accès précoce et compassionnel des médicaments chez l'enfant et l'adolescent.

Accompagner l'innovation

Sur le plan européen, nous accompagnons les laboratoires pharmaceutiques et les professionnels de santé dans le développement de médicaments adaptés aux enfants et aux adolescents.

La Commission Européenne a publié en 2017 un article sur les progrès réalisés depuis l'entrée en vigueur en 2007 du règlement européen (CE No 1901/2006). Des améliorations ont été constatées :

- augmentation de la recherche chez les populations pédiatriques (augmentation de +50% des essais cliniques enregistrés dans la base européenne, de 8,3 % en 2007 contre 12,4% en 2016) ;
- augmentation du nombre de médicaments autorisés chez l'enfant et l'adolescent (augmentation de +60% de PIP finalisés ces trois dernières années et 260 médicaments autorisés chez l'enfant ou l'adolescent entre 2006 et 2017, selon le rapport de la commission européenne) ;
- amélioration de la communication des sujets destinés aux parents et aux professionnels de santé sur les médicaments en pédiatrie.



Médicaments en pédiatrie (enfants et adolescents)