

Compte-rendu

Direction : Direction Europe et Innovation
 Pôle : Pepithe
 Personnes en charge : Céline Chu, Sylvie Benchetrit

Nom de l'instance

Séance du Comité Scientifique Permanent de Pédiatrie du 22 Janvier 2025

Ordre du jour

N°	Points prévus à l'ordre du jour	Pour avis, audition, information, adoption ou discussion
1	Introduction Approbation du compte-rendu de la séance du 01 octobre 2024 Point sur les déclarations publiques d'intérêts	Pour avis
2	Plan hivernal 2024-2025 : disponibilité des molécules sentinelles	Pour discussion
3	Utilisation des données de vie réelle pour le développement et l'accès des médicaments à usage pédiatrique	Pour discussion
4	Plans d'investigation pédiatrique ● REGN7508: prévention et traitement des thromboses associées au cancer ● vonaxefor : traitement du syndrome d'Alport	Pour discussion
5	Tour de table : propositions de sujets	Pour discussion

Participants

Nom des participants	Statut (modérateur, membre, évaluateur, ...)	Présent sur site	Présent visio	Absent/excuse
BAHANS Claire	Membre	☐	☐	☒
BERRUE- GAILLARD Hélène	Membre représentant associations patients	☐	☒	☐
BERTHAUD Romain	Membre	☐	☒	☐
BOILEAU Pascal	Membre	☐	☒	☐
BOUQUET Sylvain	Membre	☐	☐	☒
CALLOT Delphine	Membre	☐	☐	☒
FLAMEIN Florence	Membre	☐	☒	☐
HUET-SALVETAT Isabelle	Membre représentant associations patients	☐	☒	☐
KAGUELIDOU Florentia	Membre	☐	☒	☐
LEBLANC Claire	Membre	☐	☒	☐
PINEAU-VINCENT Fabienne	Membre	☐	☒	☐
PORTEFAIX Aurélie	Membre	☐	☐	☒
PROT-LABARTHE Sonia	Membre	☐	☒	☐
SPITZ Marie-Aude	Membre	☐	☐	☒
MALBURET- TESTORI Sarah	Evaluateur CASAR	☐	☒	☐
			Sujet 2	
REBISCOUL Baptiste	Evaluateur CASAR	☐	☒	☐
			Sujet 2	
GAZIN Vincent	Directeur adjoint DEI	☒	☐	☐
		Sujet 3		
HULIN Nina	Cheffe de pôle Pepithe DEI	☒	☐	☐
BENCHETRIT Sylvie	Référente pédiatrie Modérateur CSP DEI	☒	☐	☐
CHU Céline	Evaluateur pédiatrie Modérateur CSP DEI	☒	☐	☒

Introduction

Point sur les DPI et les situations de conflits d'intérêts

Le modérateur, après avoir vérifié que les membres n'ont pas de nouveaux liens à déclarer et que les DPI sont à jour, précise qu'aucune situation de conflits d'intérêts n'a été identifiée ou signalée au regard des dossiers de l'ordre du jour].

Aucun lien n'a été identifié pour les membres et les experts : OUI

Dossiers

Numéro/type/nom du dossier	Plan hivernal 2024-2025 : disponibilité des molécules sentinelles
Laboratoire(s)	N/A
Direction médicale concernée	CASAR
Expert(s)	N/A

Présentation du dossier

- Pour la deuxième année consécutive, l'ANSM active un plan hivernal afin d'anticiper, suivre et gérer les éventuelles tensions d'approvisionnement touchant des médicaments majeurs de l'hiver (antibiotiques, paracétamol, corticoïdes oraux et inhalés, médicaments de l'asthme).
- Le CASAR est venu présenter le contexte de la création de ce plan, son périmètre, un point de situation à date de la disponibilité de ces médicaments majeurs de l'hiver ainsi que des modalités d'information des parties prenantes (voir présentation en PJ).

Conclusions du CSP

Les membres du CSP :

- Constatent une évolution favorable de l'accès aux molécules sentinelles par rapport à l'année précédente.
- Remontent un accès à l'information difficile côté prescripteur. Il est rappelé que l'ANSM met en ligne les informations de tensions, rupture de stock et remise à disposition des spécialités <https://ansm.sante.fr/disponibilites-des-produits-de-sante/medicaments>
- Confirment l'intérêt d'avoir une vision plus fine du terrain. Les remontées d'informations par les patients sont encouragées (e.g. guichet usager de l'ANSM) tout en tenant compte des difficultés de traiter toutes les alertes selon leur pertinence. Pour cela, le développement d'outils de relai d'informations des ruptures de stocks

connectés aux logiciels d'aide à la prescription pourrait être intéressant sous réserve que cela n'impacte la durée de la consultation.

Numéro/type/nom du dossier	Utilisation des données de vie réelle pour le développement et l'accès des médicaments à usage pédiatrique
Laboratoire(s)	N/A
Direction médicale concernée	DEI
Expert(s)	N/A

Présentation du dossier

Les données en vie réelle :

- Données issues des routines de soins.
- Portent sur une population large, de médicaments utilisés dans la « vraie vie » (par rapport aux essais cliniques et leurs critères d'inclusion).
- Accessibilité accrue du fait de la numérisation globale des données de santé.
- Intérêt particulier pour renforcer les faisceaux de preuve de B/R d'un traitement dans les populations réduites (maladies rares, pédiatrie, sous-groupe de populations, etc.) en lien avec les essais cliniques.

Présentation du projet européen DARWIN EU :

- DARWIN EU fournit des données provenant de différents partenaires européens sur les maladies, les populations, l'utilisation et les performances des médicaments.
- L'EMA, les comités et groupes de travail européens et les autorités nationales compétentes du réseau européen de réglementation des médicaments peuvent ainsi utiliser ces données chaque fois que nécessaire tout au long du cycle de vie d'un médicament (requête via RWE@ema.europa.eu)¹.
- Les partenaires européens du réseau européen « Health Technology Assessment bodies (HTAbs) », dont la HAS, peuvent également utiliser ces données².
- Recherche de « partenaires de données » : appel ouvert à tout dépositaire de données en Europe afin d'accroître le réseau de données DARWIN EU®, en particulier en pédiatrie et les maladies rares : <https://www.darwin-eu.org/index.php>
- Les résultats des études réalisées par DARWIN EU sont publiés sur le site de l'EMA.

¹ Real-World Evidence to Support EU Regulatory Decision Making-Results From a Pilot of Regulatory Use Cases. Clin Pharmacol Ther. 2024 Nov;116(5):1188-1197. Prilla S, Groeneveld S, Pacurariu A, Restrepo-Méndez MC, Verpillat P, Torre C, Gartner C, Mol PGM, Naumann-Winter F, Breen KC, Gault N, Gross-Martirosyan L, Benchetrit S, Aylward B, Stoyanova-Beninska V, O'Donovan M, Straus S, Kjaer J, Arlett P.

² [Joint HTAb-regulatory perspectives on understanding evidence challenges, managing uncertainties and exploring potential solutions 2025.](#)

Conclusions du CSP

- L'intérêt des registres nationaux afin d'alimenter les bases de données en vie réelle européennes et nationales est reconnu. Toutefois, il est noté qu'il est crucial de bien pré-définir les sources de recueil de données, critères de sélection et d'analyse des données pour s'assurer de la robustesse et de la pertinence des données³ pour l'aide aux prises de décisions réglementaires, en support des données d'essais cliniques.

Numéro/type/nom du dossier	Plans d'investigation pédiatrique - REGN7508: prévention et traitement des thromboses associées au cancer - vonaxefor : traitement du syndrome d'Alport
Laboratoire(s)	N/A
Direction médicale concernée	DEI
Expert(s)	N/A

Présentation du dossier

Des dossiers PIPs (questions cliniques) ont été discutés brièvement :

- REGN7508: prévention et traitement des thromboses associées au cancer.
- Vonaxefor dans le traitement du syndrome alport

Ces dossiers sont discutés au niveau européen, avec le résultat final du débat rendu public par l'Agence Européenne du Médicament.

Conclusions du CSP

N/A

³ Guideline on registry-based studies https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-registry-based-studies_en.pdf